**XII Commissione (Affari sociali) della Camera dei deputati - Martedì 12 novembre 2019**

**Osservazioni Giuseppe Remuzzi**

PROPOSTA DI LEGGE

d’iniziativa del deputato PAOLO RUSSO

**Disposizioni in favore della ricerca sulle malattie rare e per la loro cura**

Presentata il 23 marzo 2018

**CAPO I OBIETTIVI E AMBITO DI APPLICAZIONE**

**ART. 1.(Oggetto e finalità)**

Osservazioni: non criticità.

**ART. 2. (Definizione di malattia rara)**

Osservazioni: non criticità.

**ART. 3. (Definizione di farmaco orfano)**

Non viene fornita una definizione rigorosa.

Osservazioni: si suggerisce il riferimento alla definizione europea.

**ART. 4. (Benefìci previsti per le persone affette da malattie rare)**

Si suggerisce un aggiornamento annuale dell’elenco delle malattie rare da sottoporre a tutela. L’attuale Decreto ministeriale (279/2001) prevede un aggiornamento almeno ogni tre anni. Di fatto, l’aggiornamento è stato effettuato una sola volta dal 2001, in occasione dell’aggiornamento dei LEA approvato nel 2017.

Viene definito il percorso diagnostico-terapeutico-assistenziale.

Osservazioni: Il problema sembra essere quello del rispetto delle scadenze. Necessario stabilire una periodicità ragionevole per l’aggiornamento dell’elenco delle malattie da tutelare (idealmente ogni anno), ma soprattutto un sistema per garantirne l’attuazione.

La descrizione del percorso diagnostico va migliorata.

Principi sostanzialmente condivisibili.

**ART. 5. (Modalità di certificazione ed esenzione)**

Osservazioni: non criticità.

**CAPO II DIAGNOSI E PRESA IN CARICO DELLE PERSONE AFFETTE DA MALATTIE RARE**

**ART. 6. (Reti di assistenza per le malattie rare)**

Viene sostanzialmente descritta l’attuale organizzazione.

Osservazioni: non criticità.

**ART. 7. (Elementi componenti le reti di assistenza per le malattie rare)**

Viene descritta una architettura della Rete malattie rare formata da Centri di riferimento, strutture territoriali sanitarie e sociali, Centri di coordinamento a dimensione regionale o interregionale.

Osservazioni: manca il riferimento ad un Coordinamento nazionale.

**ART. 8. (Compiti dei centri di riferimento per le malattie rare)**

Vengono sostanzialmente ribaditi i compiti attualmente previsti per i Centri di riferimento (Presidi della rete malattie rare) insistendo sulla offerta assistenziale complessiva e sul raccordo con la rete territoriale.

Osservazioni: i compiti attribuiti trovano solo in parte riscontro nell’attuale sistema di remunerazione delle prestazioni.

**ART. 9. (Compiti delle reti orizzontali di assistenza per le malattie rare)**

Vengono sostanzialmente ribaditi i compiti attualmente previsti per le strutture territoriali, la medicina di base, i servizi sociali.

Osservazioni: la formulazione generica (tutto per tutti al meglio delle possibilità) rende complesso il monitoraggio dell’attuazione dei compiti. Potrebbe essere utile individuare alcuni obiettivi verificabili.

**ART. 10. (Compiti dei centri regionali e interregionali di coordinamento).**

Vengono ribadite le funzioni dei Centri regionali e interregionali di coordinamento già attivati in molte, ma non in tutte le Regioni.

Osservazioni: ad oggi i Centri regionali e interregionali di coordinamento, laddove esistenti, sono finanziati dalle Regioni con modalità proprie. Ciò ha inevitabilmente creato differenze tra Regioni in relazione a diversi investimenti e competenze rese disponibili. Il presente disegno di legge potrebbe contribuire a ridurre le disomogeneità.

**ART. 11. (Infrastrutture a supporto delle reti di assistenza per le malattie rare)**

Vengono descritte le infrastrutture informatiche ideali per il funzionamento della rete per le malattie rare, le attività di consulenza a distanza, il monitoraggio epidemiologico, la programmazione sanitaria.

Osservazioni: la proposta incentiva la creazione e il miglioramento di infrastrutture su base regionale senza riferimenti concreti alla necessità di sistemi condivisi a livello nazionale.

**ART. 12. (Trattamenti con farmaci, dietetici, parafarmaci, galenici e dispositivi medici)**

**ART. 13. (Riadattamento, mantenimento, potenziamento e supplementazione di funzioni e di attività delle persone affette da malattie rare)**

Tutti i trattamenti compresi nel piano assistenziale personalizzato e indicati come essenziali dagli specialisti dei Centri di riferimento sono sostanzialmente a totale carico del Servizio sanitario nazionale.

Osservazioni: si sottolinea la necessità di una condivisione nazionale per quanto riguarda le prestazioni extra LEA da offrire ai pazienti con malattie rare.

**ART. 14. (Cure palliative)**

Osservazioni: le cure palliative devono essere garantitea tutti.

L’introduzione di un articolo dedicato ai pazienti con malattie rare potrebbe essere controproducente e introdurre un criterio di priorità laddove il principio dovrebbe essere indipendente dalla definizione diagnostica e basato sui bisogni assistenziali.

**ART. 15. (Inserimento comunitario delle persone affette da malattie rare).**

Vedi osservazioni ART. 14.

**CAPO III INCENTIVI ALLA RICERCA FARMACOLOGICA E IN FAVORE DELLE IMPRESE PER LA REALIZZAZIONE DI FARMACI INNOVATIVI**

**ART. 16. (Fondo nazionale per la ricerca, lo sviluppo e l’accesso ai medicinali orfani)**

Si propone di istituire un Fondo nazionale per la ricerca, lo sviluppo e l’accesso ai medicinali orfani. Il Fondo è finanziato con il 20 per cento delle quote versate dalle industrie farmaceutiche per le procedure di registrazione e di variazione dei prodotti medicinali.

Osservazioni: potrebbero essere meglio delineate le modalità di accesso al fondo, con predilezione per bandi periodici e le modalità di verifica.

**ART. 17. (Incentivi per le imprese)**

Vengono descritti incentivi già previsti per le imprese farmaceutiche e biotecnologiche che intendono svolgere studi finalizzati alla scoperta o alla registrazione e alla produzione di farmaci orfani o di altri trattamenti altamente innovativi.Vengono inoltre proposte ulteriori agevolazioni per le imprese farmaceutiche che operano nel settore delle malattie rare.

Osservazioni: non criticità.

**CAPO IV RICERCA**

**ART. 18. (Consorzi di ricerca e di innovazione)**

E’ incentivata la realizzazione di consorzi per la ricerca e l’innovazione tra soggetti pubblici, in particolare regioni, università, parchi scientifici e tecnologici e altre istituzioni dedicate alla ricerca, aziende sanitarie locali e ospedaliere, amministrazioni locali, aziende private e associazioni d’utenza.

Osservazioni: esplicitare più concretamente in cosa consistono gli incentivi.

**ART. 19.(Accesso ai finanziamenti pubblici per la ricerca)**

In ciascun bando di concorso per la ricerca alla materia delle malattie rare è riservato un finanziamento non inferiore al 15 per cento della somma totale.

Osservazioni: non criticità.

**CAPO V FORMAZIONE E INFORMAZIONE PROFESSIONALI**

**ART. 20. (Aggiornamento professionale)**

Aumentano le quote di acquisizione dei crediti ECM e dell’offerta formativa legate alle malattie rare. I crediti dell’ECM, se maturati in corsi di formazione riguardanti le malattie rare, hanno un valore maggiorato del 50 per cento.

Osservazioni: mentre si può valutare favorevolmente l’incentivo a rafforzare la formazione sulle malattie rare, la maggiorazione del valore dei crediti non trova un razionale.

**ART. 21. (Formazione universitaria)**

Osservazioni: non criticità.

**ART. 22. (Informazione sulle malattie rare)**

Osservazioni: non criticità.

**CAPO VI STRUMENTI DI GESTIONE, DI VALUTAZIONE E DI FINANZIAMENTO**

**ART. 23. (Rappresentanza delle persone affette da malattie rare)**

Le rappresentanze delle persone affette da malattie rare sono chiamate a partecipare attivamente ai processi decisionali strategici, di monitoraggio e di valutazione delle attività svolte nel settore delle malattie rare, sia a livello regionale che a livello nazionale.

Il Ministro della salute riconosce la Federazione italiana malattie rare – UNIAMO, in quanto membro del Consiglio delle alleanze nazionali dell’Organizzazione europea per le malattie rare (EURORDIS) come interlocutore primario.

Osservazioni: non criticità.

**ART. 24. (Istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare)**

Viene istituito il Comitato nazionale per le malattie rare con il compito di coordinare e di orientare le politiche nazionali in materia di malattie rare, di verificarne l’attuazione nonché di valutarne l’efficacia e l’impatto sul Servizio sanitario nazionale.

Membri del Comitato: un membro designato da ogni regione, due membri dal Ministro della salute, un membro dal Ministro dell’istruzione, dell’università e della ricerca, un membro dal Ministro dello sviluppo economico, un membro dal Ministro per la semplificazione e la pubblica amministrazione, un membro dall’Istituto superiore di sanità e tre membri dalla Federazione italiana malattie rare – UNIAMO.

Osservazioni: non criticità.

**ART. 25. (Compiti del Comitato)**

Osservazioni: molti dei compiti affidati al Comitato sono oggi svolti dal Centro Nazionale Malattie Rare istituito presso l’Istituto Superiore di Sanità che opera con risorse dedicate.

I Compiti attribuiti al Comitato richiederebbero almeno altrettante risorse umane e materiali dedicate. Da quanto previsto sembra che, per la sua composizione, il Comitato possa svolgere un ruolo di indirizzo e supervisione.

**ART. 26. (Registro nazionale delle malattie rare)**

È istituito presso l’ISS il Registro nazionale delle malattie rare con i seguenti compiti:

a) raccogliere le informazioni prodotte e inviate dai registri regionali e interregionali delle malattie rare

b) predisporre l’istruttoria tecnica di supporto al Comitato per redigere la relazione annuale sulla situazione epidemiologica delle malattie rare in Italia

c) partecipare con un proprio rappresentante ai lavori del Comitato

d) predisporre e partecipare a ricerche nazionali e internazionali in materia di malattie rare

e) predisporre e partecipare alle azioni di formazione e di informazione sulle malattie rare.

Osservazioni: l’attuale dataset condiviso tra Regioni e ISS è troppo esiguo per consentire lo svolgimento dei compiti previsti.

**ART. 27. (Programmazione delle attività. Piano nazionale delle malattie rare)**

La calendarizzazione degli interventi, l’organizzazione delle attività e la pianificazione delle strutture e delle risorse necessarie per l’attivazione della presente legge sono definite dal Piano nazionale per le malattie rare.

Osservazioni: non si esplicita a chi è affidato il compito di redigere il Piano nazionale malattie rare.

**ART. 28. (Monitoraggio e valutazione dell’attività)**

Viene istituito il flusso informativo nazionale sulle malattie rare. Scopo del flusso informativo nazionale è quello di produrre i dati epidemiologici necessari per la programmazione e per il governo nazionale delle politiche in materia di malattie rare.

Osservazioni: è necessario esplicitare con chiarezza a chi è affidato il compito di analizzare i dati del flusso informativo. Il Comitato, nella costituzione prevista, non garantisce le necessarie competenze.

**ART. 29. (Meccanismi di finanziamento delle reti di assistenza regionali e interregionali per le malattie rare)**

Vengono ribadite le attuali modalità di finanziamento. Si stabilisce inoltre chele regioni possono riconoscere un compenso aggiuntivo, denominato «compenso di funzione», a quello derivante dalla tariffazione delle singole prestazioni, per i centri di riferimento che prendono in carico persone affette da malattie rare che richiedono maggiore intensità di cura e di carico assistenziale, secondo le indicazioni fornite dal Comitato.

Osservazioni: valutare l’opportunità di migliorare l’attuale sistema di tariffazione delle prestazioni sanitarie in modo da riconoscere adeguatamente l’impegno di risorse necessario per l’assistenza ai pazienti con malattie rare. E’ auspicabile il mantenimento di un sistema di tariffazione nazionale. La modalità del compenso di funzione regionale non offre sufficienti garanzie di equità.

**ART. 30. (Norme finanziarie)**

Non si osservano particolari criticità.

PROPOSTA DI LEGGE

D’INIZIATIVA DEI DEPUTATIBOLOGNA, CHIAZZESE, D’ARRANDO, IANARO, LAPIA, MAMMÌ, MENGA, NAPPI, NESCI, SAPIA, SARLI, SPORTIELLO, TRIZZINO, LEDA VOLPI

**Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare**

Presentata il 30 ottobre 2018

La proposta è formulata con una approssimazione che rende difficile fornire commenti circostanziati.

Nel nostro Paese il livello di tutela per i pazienti con malattie rare è superiore, meglio definito e organizzato di quanto immaginato nel testo.

Viene presentata una lettura di quanto contenutoneldecreto di aggiornamento dei LEA (DPCM del 12 gennaio 2017)che non corrisponde a quanto riportato nel testo approvato epubblicato in Gazzetta Ufficiale.

Si introducono elementi di confusione nelle procedure per l’individuazione delle malattie rare cui applicare le norme a tutela dei pazienti. Si attribuiscono al Ministero compiti dicompetenza di AIFA e, più in generale, le competenze vengono attribuite in maniera impropria ai diversi Enti.

Si introducono procedure di emergenza per una materia che richiede approfondimentirigorosi, circostanziati e trasparenti.

Viene descritto un flusso di informazioni che non garantisce i diritti alla riservatezza e alla tutela dei dati sensibili e che nel nostro Paese è invece gestito secondo standard legislativi condivisi.

Si fa confusione tra designazione di farmaco orfano e autorizzazione alla commercializzazione da parte dell’EMA.

PROPOSTA DI LEGGE

D’INIZIATIVA DEI DEPUTATIDE FILIPPO, CARNEVALI, UBALDO PAGANO, RIZZO NERVO, SIANI

**Norme per il sostegno della ricerca, della produzione dei farmaci orfani nonché della cura delle malattie rare e in favore delle famiglie con bambini affetti da tali malattie**

Presentata il 12 marzo 2019

**Art. 1. (Definizione di malattia rara)**

Il riferimento all’elenco nazionale delle malattie rare non è aggiornato. E’ necessario citare l’Allegato 7 - Elenco malattie rare esentate dalla partecipazione al costo.

E’ necessario inoltre chiarire se la presente legge considera altre malattie rare oltre a quelle elencate nell’Allegato 7 che rappresenta un sottoinsieme delle condizioni afferenti alla definizione europea.

**Art. 2. (Definizione di farmaco orfano)**

Non si rilevano criticità.

**Art. 3. (Aggiornamento dell’elenco del Registro nazionale delle malattie rare)**

E’ opportuno parlare di aggiornamento dell’elenco delle malattie rare sorvegliate dal registro nazionale.

Si suggerisce un aggiornamento annuale dell’elenco delle malattie rare da sottoporre a tutela. L’attuale Decreto ministeriale (279/2001) prevede un aggiornamento almeno ogni tre anni. Di fatto, l’aggiornamento è stato effettuato una sola volta dal 2001, in occasione dell’aggiornamento dei LEA approvato nel 2017.

Osservazioni: Il problema sembra essere quello del rispetto delle scadenze. Si stabilisca una periodicità ragionevole per l’aggiornamento dell’elenco delle malattie da tutelare (idealmente ogni anno), ma soprattutto un sistema per garantirne l’attuazione.

**Art. 4. (Diagnostica e certificazione)**

Viene sostanzialmente descritto l’attuale sistema.

Non si rilevano particolari criticità.

**Art. 5. (Protocollo personalizzato)**

E’ necessario chiarire meglio per quali pazienti è prevista la redazione del Protocollo personalizzato (pazienti con malattia rara con una percentuale di invalidità pari al 100 per cento, con connotazione di gravità ai sensi dell’articolo 3, comma 3, della legge 5 febbraio 1992, n. 104?).

**Art. 6. (Benefìci previdenziali per i soggetti che assistono un minore affetto da una malattia rara)**

**Art. 7. (Contributi per il sostegno della genitorialità)**

**Art. 8. (Istituzione del Fondo di solidarietà per le famiglie dei minori affetti da malattie rare)**

Presso il Ministero della salute è istituito il Fondo di solidarietà per le famiglie dei minori affetti da malattie rare, destinato al finanziamento delle misure per il sostegno del lavoro di cura e assistenza dei minori previste dagli articoli 6 e 7.

Osservazioni: questi Articoli introducono una forma di tutela innovativa di sostegno alle famiglie che assistono un disabile grave. L’approccio descritto è interessante.

La criticità maggiore è tuttavia rappresentata dalla definizione delle modalità di accesso.

Famiglie di soggetti con malattie rare comprese nell’elenco di quelle tutelate dalla normativa per le esenzioni (Allegato 7 e relativi aggiornamenti)?

Esistono tutele analoghe per le famiglie di disabili gravi per cause diverse dalle malattie rare?

Il condizionare l’accesso a queste forme di tutela alla diagnosi di malattia rara non trova un razionale.

Queste agevolazioni dovrebbero essere applicate in funzione della disabilità e dei bisogni assistenziali del minore indipendentemente dalla rarità della malattia.

**Art. 9. (Acquisto dei farmaci e immediata disponibilità, gratuità delle prestazioni e prontuari farmaceutici)**

Articolo in parte non rigoroso per quanto riguarda definizione di ciò che si vorrebbe introdurre ad integrazione di quanto già previsto dai LEA.

**Art. 10. (Centro nazionale per le malattie rare)**

Le competenze attribuite al Centro nazionale per le malattie rare, con sede presso l’ISS, al punto 2 non tengono conto delle competenze e responsabilità dei diversi Enti già attivi a livello nazionale.

Non è chiaro che cosa si intenda per centri di coordinamento.

L’inserimento dei farmaci nel prontuario e la classe di rimborsabilità sono di competenza di AIFA.

**Art. 11. (Istituzione del Fondo nazionale per la ricerca nel settore delle malattie rare)**

Il Fondo è finanziato con il 20 per cento delle quote versate dalle industrie per le procedure di registrazione e di variazione dei prodotti medicinali e con contributi di soggetti pubblici e privati.

Non particolari criticità. In generale si segnala la necessità di un maggiore rigore nel definire le tipologie delle attività finanziate.

**Art. 12. (Incentivi per le imprese)**

Sintesi: vengono descritti incentivi già previsti per le imprese farmaceutiche e biotecnologiche che intendono svolgere studi finalizzati alla scoperta o alla registrazione e alla produzione di farmaci orfani o di altri trattamenti altamente innovativi. Vengono inoltre proposte ulteriori agevolazioni per le imprese farmaceutiche che operano nel settore delle malattie rare.

Osservazioni: non criticità.

**Art. 13. (Copertura finanziaria)**

PROPOSTA DI LEGGE

d’iniziativa della deputata BELLUCCI

**Riconoscimento della sindrome di Sjögren primaria come malattia rara nonché disposizioni per la cura delle persone affette da essa e per la promozione della ricerca sulle malattie rare**

Presentata il 12 giugno 2019

Nella premessa si sottolinea la necessità di tutelare adeguatamente i malati affetti dalla sindrome di Sjögren inserendo la condizione nell’elenco delle malattie rare previsto dalla attuale normativa.

Come sottolineato, la condizione è oggi compresa nell’elenco delle patologie croniche e invalidanti.

La redazione degli elenchi delle malattie rare e delle malattie croniche e invalidanti viene gestita a livello ministeriale secondo criteri condivisi, con la collaborazione di gruppi di lavoro multidisciplinari appositamente costituiti.

Se è vero che tali elenchi debbano essere suscettibili di revisione e aggiornamento, l’inserimento di una condizione “per legge” non trova un razionale.

La modalità rappresenta un passo indietro rispetto all’attuale sistema di garanzie di tutela per i pazienti e può creare un precedente di complessa gestione.

In altre parole, indipendentemente dalle considerazioni condivisibili in merito alla necessità di incentivare la ricerca e migliorare le forme di tutela per i pazienti con sindrome di Sjögren, la proposta di una legge specificamente dedicata ad una singola condizione non appare una modalità opportuna.

Ulteriori disposizioni contenute nella proposta di legge:

**CAPO II INCENTIVI PER LA RICERCA**

**Art. 3. (Istituzione del Fondo nazionale per la ricerca, lo sviluppo e l’accesso dei pazienti ai medicinali orfani)**

Il Fondo è finanziato con il 20 per cento delle quote versate dalle industrie per le procedure di registrazione e di variazione dei prodotti medicinali e con contributi di soggetti pubblici e privati.

Non particolari criticità.

**Art. 4. (Consorzi regionali per la ricerca clinica nel settore delle malattie rare)**

Non particolari criticità.

**Art. 5. (Comitato nazionale per le malattie rare)**

Viene istituito il Comitato nazionale per le malattie rare, composto da un rappresentante per ciascuna regione, da un rappresentante del Ministero della salute, da un rappresentante del Ministero dell’istruzione, dell’università e della ricerca, da un rappresentante del Ministero dello sviluppo economico, da tre rappresentanti della Federazione italiana malattie rare e da un rappresentante di ciascuna delle associazioni nazionali delle malattie rare.

Osservazioni: anche per le Associazioni deve valere un criterio di rappresentanza.

Molti dei compiti affidati al Comitato sono oggi svolti dal Centro Nazionale Malattie Rare istituito presso l’Istituto Superiore di Sanità che opera con risorse dedicate.

I Compiti attribuiti al Comitato richiederebbero almeno altrettante risorse umane e materiali dedicate. Da quanto previsto sembra che, per la sua composizione, il Comitato possa svolgere un ruolo di indirizzo e supervisione.

**CAPO III ASSISTENZA FARMACEUTICA**

**Art. 6. (Gratuità delle prestazioni e prontuari farmaceutici)**

Articolo in parte non rigoroso per quanto riguarda la definizione di ciò che si vorrebbe introdurre ad integrazione di quanto già previs