

CAMERA DEI DEPUTATI N. 5023

PROPOSTA DI LEGGE

d'iniziativa del deputato MORONI

Disposizioni in favore dei pazienti affetti da malattie rare

Presentata il 21 maggio 2004

ONOREVOLI COLLEGHI! — Le malattie rare sono stimate nel mondo in un numero che varia da 5.000 a 6.000. Alcune sono aggregabili in gruppi o in aree clinico-terapeutiche (malattie dismetaboliche, anemie congenite, neuropatie, eccetera) con particolare concentrazione in determinate aree territoriali e geografiche. La cura o almeno il controllo clinico delle malattie rare pone problemi del tutto particolari in quanto:

1) trattasi di malattie il più delle volte genetiche che pongono pertanto difficoltà diagnostiche e che attendono i principali risultati terapeutici dallo sviluppo di nuovi farmaci ottenuti attraverso l'impiego di metodologie avanzate (biotecnologie, terapia genica, cellulare, eccetera) non sempre immediatamente disponibili;

2) trattasi di malattie croniche e invalidanti, con conseguenti specifiche esigenze assistenziali e alti costi sanitari e sociali;

3) sono tuttora spesso prive di trattamento (malattie orfane) perché, in assenza di incentivi, le aziende farmaceutiche non sono stimolate a investire in funzione di un mercato che resterebbe comunque molto limitato.

Il regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279 (emanato ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera *b*), del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124) ha regolamentato l'istituzione della Rete nazionale delle malattie rare e l'esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie.

Ogni regione deve istituire la Rete dei presidi per le malattie rare, coordinati da un Centro interregionale di riferimento. I presidi della Rete sono individuati tra quelli in possesso di documentata esperienza di attività diagnostica o terapeutica specifica per le malattie o per i gruppi di malattie rare, nonché di idonea dotazione

di strutture di supporto e di servizi complementari, ivi inclusi, per le malattie che lo richiedono, servizi per l'emergenza e per la diagnostica biochimica e genetica-molecolare.

I presidi inclusi nella Rete operano secondo protocolli clinici concordati con i Centri interregionali di riferimento e collaborano con i servizi territoriali e con i medici di famiglia ai fini dell'individuazione e della gestione del trattamento.

La severità delle caratteristiche richieste per l'accreditamento dei presidi è la migliore garanzia per il corretto, appropriato ed efficace trattamento terapeutico.

È necessario ricordare che il citato regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità n. 279 del 2001 parla esplicitamente di esenzione dalla partecipazione al costo per le prestazioni efficaci e appropriate per il trattamento e il monitoraggio della malattia dalla quale il soggetto è affetto e per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti. Per trattamento si devono intendere tutti i farmaci disponibili, gli alimenti, i *medical device* (o dispositivi medici) e le altre sostanze attive utili, prescritti dai presidi della Rete, secondo la necessità della patologia e delle sue complicanze.

La Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano nella seduta dell'11 luglio 2002, avente per oggetto l'accordo sui criteri di individuazione e di aggiornamento dei Centri interregionali di riferimento delle malattie rare, ha preso atto che l'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie garantisce l'accessibilità alle prestazioni in quanto costituisce una componente strutturale dei livelli di assistenza.

Non tutte le regioni hanno istituito la Rete dei presidi o hanno emesso direttive coerenti con lo spirito delle disposizioni

legislative nazionali, per cui le strutture sanitarie hanno incontrato molte difficoltà applicative nella prescrizione e nella fornitura dei farmaci.

Queste difficoltà sono ricadute sui pazienti e sulle loro famiglie in quanto, forse per eccesso di scrupolo, molto spesso le esenzioni sono state applicate a una fascia ristretta di farmaci, escludendo la prescrizione gratuita dei farmaci per la cura delle complicanze e/o quelli non in classe A. Sono stati naturalmente esclusi gli alimenti, gli integratori alimentari, i dispositivi medici e quanto altro non compreso nei prontuari ufficiali.

In tutti questi casi è stata disattesa la *ratio* legislativa, la quale intendeva estendere le possibilità di cura delle patologie rare, limitando soltanto la definizione del trattamento a strutture selezionate e altamente specialistiche (i presidi della Rete).

Si rende quindi necessario ribadire e uniformare i criteri di gratuità delle prestazioni per il trattamento delle malattie rare, includendo esplicitamente tutti i farmaci, gli integratori alimentari e i dispositivi medici.

Inoltre, per evitare discriminazioni dovute a diverse interpretazioni date dalle commissioni medico-sociali per la valutazione dello stato di *handicap* grave ai sensi della legge n. 104 del 1992, articolo 3, comma 3, questo deve essere riconosciuto dalla certificazione del presidio della Rete quando la patologia e le sue complicanze richiedono una assistenza terapeutica e/o diagnostica permanente e continuativa.

Si conferma infine il riconoscimento interregionale della Rete dei presidi accreditati, riconoscimento essenziale per queste particolari patologie per le quali le competenze e conoscenze sono spesso concentrate in pochi centri altamente specialistici.

PROPOSTA DI LEGGE

ART. 1.

(Assistenza farmaceutica).

1. Per i pazienti affetti dalle malattie rare previste dal regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, e successive modificazioni, l'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie comporta il diritto di accedere alle prestazioni in quanto componente strutturale dei livelli di assistenza. Le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano forniscono gratuitamente, purché inseriti nel piano terapeutico individuale predisposto dal presidio della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, istituita ai sensi del citato regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità n. 279 del 2001:

a) i farmaci registrati nel territorio nazionale inseriti nella classe A ivi inclusi quelli di fascia H, e nelle classi B e C in base alla classificazione di cui all'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537, e successivi decreti attuativi;

b) i farmaci inseriti nell'apposito elenco predisposto ai sensi dell'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648;

c) i farmaci registrati all'estero;

d) gli integratori alimentari;

e) i dispositivi medici;

f) quanto altro ritenuto necessario per il trattamento della patologia e delle sue complicanze.

ART. 2.

(Certificazione dello stato di handicap).

1. Per i pazienti di cui all'articolo 1, quando l'assistenza terapeutica e/o diagnostica, in qualunque forma prestata, ha le caratteristiche di permanenza e di continuità, i presidi della Rete nazionale di cui al medesimo articolo, su richiesta degli interessati, certificano lo stato di *handicap* grave, ai sensi dell'articolo 3, comma 3, della legge 5 febbraio 1992, n. 104.

ART. 3.

(Riconoscimento interregionale della Rete nazionale dei presidi accreditati).

1. Ai fini del riconoscimento del diritto all'esenzione previsto dall'articolo 5, comma 4, del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, l'assistito può chiedere il riconoscimento medesimo all'azienda sanitaria locale di residenza, anche se il presidio che ha accertato la malattia rara è stato accreditato da altra regione o provincia autonoma, includendo nella certificazione da allegare l'eventuale piano terapeutico formulato dal presidio stesso.

2. Entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, il Ministro della salute provvede ad apportare le modificazioni al regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, conseguenti a quanto previsto dal presente articolo.

