

DIRITTI AL PUNTO



 Scuola civica di
alta formazione
DIRITTI E PARTECIPAZIONE

Il Testo unico sulle malattie rare



Osservatorio Malattie Rare – O.Ma.R.



O.Ma.R - Osservatorio Malattie Rare è la prima ed unica agenzia giornalistica, in Italia e in Europa, dedicata alle malattie rare e ai tumori rari, fondata nel 2010. Il primo obiettivo è diffondere corretta informazione...ma con gli anni ci siamo trovati a soddisfare anche diverse richieste da parte dei pazienti e dei medici

Lo Sportello Legale ‘dalla parte dei rari’ e l’approfondimento sui diritti è un rubrica di consulenza legale, alla quale lavorano due avvocati, ed anche uno spazio dedicato ad approfondimenti sui diritti, e alla raccolta di segnalazioni dal territorio che riguardino questi aspetti (invalidità civile, legge 104, esenzioni, erogazione di prestazioni e ausili etc, pensionamento).

Durante la **pandemia** è stato aperto anche **uno speciale vaccinazioni, con approfondimenti su ogni regione, un Esperto risponde Covid** con 40 specialisti volontari

L'Alleanza Malattie Rare – AMR.



L'Alleanza Malattie Rare AMR è un Tavolo tecnico permanente nato nel **2017 con la firma alla Camera dei Deputati di un Memorandum d'Intesa tra l'Intergruppo Parlamentare per le malattie rare**, e sottoscritto da Gianna Puppo Fornaro, presidente della Lega Italiana Fibrosi Cistica in rappresentanza dei pazienti, e l'Osservatorio Malattie Rare.

Oggi fanno parte dell'Alleanza **oltre 250 Associazioni di Pazienti di I e II Livello**, ma anche tecnici e rappresentanti istituzionali sensibili alle tematiche delle malattie rare, come ad esempio il consorzio di ricerca universitario CREA sanità.

L'AMR rappresenta dunque un luogo di fattiva collaborazione tra la società civile ed il mondo istituzionale con lo scopo di migliorare l'organizzazione dell'intero settore delle malattie rare, toccando anche i temi della disabilità, dell'assistenza e dell'inclusione

Non si tratta di una Federazione di Associazioni, piuttosto di un **'soggetto civico' aperto a chiunque voglia lavorare** sui temi che di volta in volta diventano prioritari per motivi di attualità o su proposta dei soggetti stessi

Testo Unico Malattie Rare – il documento dell'Alleanza

Il documento dell'Alleanza Malattie Rare (2/2)

Il documento è stato redatto a margine di una riunione tra la Senatrice Paola Binetti, Presidente dell'Intergruppo Parlamentare per le Malattie Rare e le Associazioni di pazienti aderenti all'Alleanza Malattie Rare, organizzata il **7 settembre 2021**, al fine di individuare eventuali elementi di criticità e portarli all'attenzione delle Istituzioni competenti.

In particolare, sono stati discussi e analizzati alcuni degli articoli che, per come formulati, potrebbero non essere in grado di incidere in maniera significativa sull'attuale organizzazione e, di conseguenza, non risolvere le criticità attualmente esistenti nel settore.

Il Senato non ha apportato alcuna modifica al testo precedentemente approvato dalla Camera dei Deputati il 26 maggio 2021, pertanto le considerazioni elaborate e contenute nel **documento dell'Alleanza sono perfettamente attuali**.



Il documento dell'Alleanza Malattie Rare (2/2)

Articolo 4 – Piano Diagnostico Terapeutico Assistenziale Personalizzato e Livelli Essenziali di Assistenza per le malattie rare - Comma 2

«Sono posti a totale carico del Servizio sanitario nazionale i trattamenti sanitari, già previsti dai livelli essenziali di assistenza (LEA) o qualificati come salvavita compresi nel piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato e indicati come essenziali, appartenenti alle seguenti categorie: [...] c) le terapie farmacologiche, anche innovative, **di fascia A o H** ... [...]».

Criticità: il **CHIARO RICHIAMO AI FARMACI CLASSIFICATI IN FASCIA A e H**, potrebbe escludere ogni possibilità di riferimento, anche in via interpretativa, ai farmaci classificati in fascia C e altri trattamenti non farmacologici talvolta essenziali per il trattamento di alcune patologie rare. Ad oggi le Regioni che non sono in rientro (Es. Toscana, Veneto) erogano questi farmaci se inclusi nel PAI, altre (Es: Campania) lo fanno 'forzando' un po' la lettura delle norme: così posta la Legge però potrebbe costituire un ostacolo...molto dipende da come verrà interpretata

Il documento dell'Alleanza Malattie Rare (2/2)

Articolo 5 - Assistenza farmaceutica e disposizioni per assicurare l'immediata disponibilità dei farmaci orfani - Comma 3

«Nelle more dei periodici aggiornamenti per il loro inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri o in altri elenchi analoghi predisposti dalle competenti autorità regionali o locali [...] sono resi comunque disponibili dalle regioni».

Criticità:

- 1) Non si dice 'come' le regioni dovrebbero fare, pertanto per ora rimane molto vago
- 2) Si dà per scontato che il termine previsto per l'aggiornamento dei prontuari terapeutici regionali sia rispettato. Tale termine prevede **periodicità almeno semestrale**, non di rado si assiste ad una dilazione dei tempi e alla conseguente variabilità degli stessi in funzione delle diverse regioni che vengono prese in considerazione. -> **sarebbe opportuno intanto rivedere questo termine semestrale riducendolo**, ed è una delle cose a cui stiamo puntando nei prossimi provvedimenti

Il documento dell'Alleanza Malattie Rare (2/2)

Articolo 6 – istituzione del Fondo di solidarietà per le persone affette da malattia rara - Comma 1

Nello stato di previsione del Ministero del lavoro e delle politiche sociali è **istituito il Fondo di solidarietà per le persone affette da malattie rare**, con una dotazione pari a **1 milione di euro annui a decorrere dall'anno 2022**, destinato al finanziamento delle misure per **il sostegno del lavoro di cura e assistenza** delle persone affette da malattie rare, con una percentuale di **invalidità pari al 100 per cento**, con una disabilità con connotazione di gravità ai sensi **dell'articolo 3, comma 3, della legge 5 febbraio 1992, n.104**, e che necessitano di assistenza continua ai sensi di quanto previsto dalla tabella di cui al decreto del Ministro della sanità 5 febbraio 1992, pubblicato nel supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n.47 del 26 febbraio 1992.

Criticità:

1. le risorse attualmente destinate al Fondo potrebbero non essere sufficienti per garantire quanto previsto dall'articolo
2. l'invalidità 100% e la disabilità grave non sempre vengono riconosciute alle persone con malattia rara, dunque i criteri potrebbero risultare troppo stringenti

Il documento dell'Alleanza Malattie Rare (2/2)

Articolo 9 – Piano Nazionale per le Malattie Rare e riordino della Rete nazionale per le malattie rare

L'articolo in questione **NON** prevede un finanziamento specifico per il PNMR.

Criticità:

L'assenza di un finanziamento del Piano stabilito per legge, identificato e costante nel tempo, potrebbe comportare le stesse criticità riscontrate fino ad oggi. Il Piano scaduto ormai nel 2016, che attualmente rappresenta l'unico riferimento concreto in questo senso, **contiene tutta una serie di principi di natura organizzativa a beneficio delle persone con malattia rara**, tuttavia l'assenza di un finanziamento ad esso dedicato **non ha consentito di dare concreta applicazione a tutto quanto in esso contenuto**.

LEGGE DI BILANCIO, cosa si potrebbe fare?

- Incrementare il Fondo di Solidarietà
- Stabilire un finanziamento per il Piano Nazionale Malattie Rare
- Rifinanziare lo screening neonatale
- **Modificare l'obbligo di fare studi di HTA per l'inserimento di nuove patologie nel panel nazionale**, prevedendo che non sia necessario laddove siano stati condotti e conclusi progetti pilota sul terreno nazionale o internazionale
- Stabilire finanziamenti per far partire la **Rete dei Tumori Rari**
- **Modificare il termine di 6 mesi per l'inserimenti delle terapie nei prontuari** (riducendolo ad un massimo di 2 mesi)

Grazie per l'attenzione!

Ilaria Ciancaleoni Bartoli
direttore@osservatoriomalattierare.it