

**Malattie rare – Atti Senato 91, 163, 258, 294, 487, 513, 831 e 1068 –** Assegnati alla Commissione Igiene e Sanità – Nominati relatori Sen. AIELLO e Sen. BIANCO.

**Nella seduta del 1° agosto 2013** si è svolto l'esame congiunto dei disegni di legge in titolo. Il relatore [AIELLO](#) (PdL) esprime preliminarmente l'opinione che sia giunto ormai il tempo di porre mano alla normativa in materia di malattie rare, anche alla luce dei dati preoccupanti forniti alla Commissione dalla Società italiana di allergologia ed immunologia clinica, nell'ambito dell'audizione informale svolta nella mattinata odierna.

Osserva che i disegni di legge in esame appaiono caratterizzati dal coinvolgimento di troppi organismi, ciò che a suo avviso può determinare non auspicabili appesantimenti e farraginosità. Altro aspetto sul quale ritiene necessario un supplemento di riflessione è quello relativo alla riserva di una quota percentuale minima dell'educazione continua in medicina alle attività connesse alla materia delle malattie rare, di cui all'articolo 20 del disegno di legge n. [294](#). Una riflessione approfondita andrebbe a suo avviso svolta anche in ordine all'istituzione di un comitato nazionale per le malattie rare, prevista dall'articolo 7 del disegno di legge n. [258](#). Quanto agli aspetti propriamente legati alla metodologia terapeutica, esprime l'avviso che sia preferibile prefigurare la presa in carico dell'ammalato e il successivo svolgimento di un percorso terapeutico e sociale, anziché fare riferimento ad un protocollo personalizzato e al suo relativo responsabile, come previsto dall'articolo 4 dell'atto Senato n. [258](#).

In conclusione il relatore ribadisce il convincimento che sia opportuno dare risposte legislative alle problematiche delle persone affette da malattie rare, e si riserva di individuare, d'intesa con l'altro relatore, senatore Bianco, un testo che possa costituire la base per il prosieguo dell'esame. Nella **seduta del 25 settembre 2013** la presidente [RIZZOTTI](#) (PdL) comunica che i disegni di legge n. [91](#), [487](#) e [513](#), recentemente assegnati alla Commissione, per la stretta connessione d'oggetto saranno esaminati congiuntamente agli atti Senato nn. [163](#), [294](#) e [258](#). La Commissione prende atto.

Quindi, la [PRESIDENTE](#) dà la parola ai relatori per l'integrazione dell'esposizione preliminare. Il senatore [BIANCO](#) (PD), relatore, riferisce succintamente sugli atti Senato nn. [91](#), [487](#) e [513](#), ponendo in rilievo come essi mutuino in diversi punti le soluzioni prefigurate dai disegni di legge già illustrati. Fa quindi presente che, ai fini della individuazione di un possibile testo base, ritiene, d'intesa con l'altro relatore, preferibile acquisire gli orientamenti che emergeranno nel corso della discussione generale, pur rimettendosi su tale aspetto procedurale alle indicazioni della Presidenza. Il senatore [D'AMBROSIO LETTIERI](#) (PdL) annuncia l'imminente presentazione di un disegno di legge di propria iniziativa, che auspica possa essere, una volta assegnato, tempestivamente illustrato e tenuto in considerazione ai fini della definizione del testo base. La senatrice [BIANCONI](#) (GAL) chiede che l'illustrazione svolta dai relatori possa essere integrata con una

ricognizione degli aspetti di differenziazione tra i vari testi in esame, così da disporre di un quadro più completo ai fini dello svolgimento della discussione generale. La senatrice [DIRINDIN](#) (PD) esprime l'avviso che l'esame debba procedere in maniera quanto più possibile sollecita, pur senza opporsi alla proposta di integrazione testé avanzata. La presidente [DE BIASI](#) (PD) propone di riprendere l'esame non appena i relatori siano in condizione di illustrare il disegno di legge preannunciato dal senatore D'Ambrosio Lettieri e di operare la ricognizione auspicata dalle senatrici Bianconi e Taverna. Quindi, si potrà passare allo svolgimento della discussione generale e alla conseguente definizione di un testo base. **Nella seduta del 22 gennaio 2014** si è svolta la discussione generale del provvedimento. La senatrice [BIANCONI](#) (NCD) ha rilevato di condividere pienamente le finalità perseguite dai disegni di legge in esame, volti a delineare una legge quadro sulle malattie rare, dando così risposta alle aspettative di circa due milioni di pazienti distribuiti sul territorio nazionale. Ha espresso l'avviso che si debbano definire meccanismi per semplificare l'inclusione delle patologie nell'elenco delle malattie rare, prevedendo una sollecita integrazione e revisioni successive con cadenza periodica. In riferimento al tema specifico dei farmaci orfani, ha osservato che occorrerebbe individuare uno strumento per accelerare l'inclusione dei medicinali nei prontuari regionali, considerato che allo stato la complessità del sistema dà origine al fenomeno della migrazione degli ammalati verso regioni che assicurano la disponibilità dei medicinali. La senatrice [DIRINDIN](#) (PD) ha affermato di ritenere invece condivisibile un'iniziativa legislativa volta a delineare una cornice normativa statale in tema di malattie rare, purchè siano chiari gli obiettivi perseguiti. A suo avviso, le finalità dovrebbero essere quelle di assicurare una rete specifica per la effettiva presa in carico degli ammalati e misure appropriate per il sostegno alla produzione dei cosiddetti farmaci orfani. **Nella seduta del 11 febbraio 2014** la senatrice [GRANAIOLA](#) (PD) ritiene che, selezionando le parti migliori dei diversi disegni di legge in esame, si possa pervenire alla definizione di un testo che risponda finalmente alle istanze delle persone affette da malattie rare e dei relativi familiari. A suo avviso, è opportuno affrontare globalmente patologie eterogenee, accomunate da problematiche assistenziali e difficoltà diagnostiche simili, nonché da esiti talora invalidanti e da difficoltà di trattamento. Finalità principale dell'intervento dovrebbe essere quella di riconoscere e tutelare i diritti della persona affetta da malattia rara, prevedendo, come fanno quasi tutti i disegni di legge, l'esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni per il trattamento della patologia, nonché l'inserimento delle prestazioni nell'ambito dei livelli essenziali di assistenza. Osserva che particolare attenzione dovrebbe essere prestata alla definizione di "malattia rara", alla luce di parametri in continua evoluzione e della emersione di malattie prima sconosciute. Reputa opportuno prevedere il potenziamento delle reti assistenziali, oltre a iniziative di raccordo e di cooperazione tra le regioni, finalizzate alla creazione di aree interregionali di intervento assistenziale omogenee e integrate. In tema di farmaci orfani,

ritiene condivisibile la previsione, recata da diversi dei disegni di legge, che essi siano immediatamente e gratuitamente disponibili. Per ciò che concerne il sostegno alla ricerca nel settore, auspica il vincolo di una percentuale *ad hoc* nell'ambito del Fondo nazionale per la ricerca, mentre in tema di formazione ravvisa l'opportunità di dedicare agli interventi in questione una quota delle attività annuali di aggiornamento professionale degli operatori sanitari. Esprime conclusivamente l'opinione che il testo unificato, la cui definizione è affidata ai relatori, dovrebbe imperniarsi sulla garanzia di adeguata tutela ai diritti delle persone affette da malattie rare, e di forme di sostegno concreto ai familiari. **Nella seduta del 4 marzo 2014** il senatore [D'AMBROSIO LETTIERI](#) (FI-PdL XVII) ritiene che i disegni di legge in titolo perseguano il condivisibile obiettivo di colmare una lacuna legislativa, che ha determinato nel tempo inefficienze, difficoltà di accesso alle cure e perfino sperequazioni tra malati, legate all'incertezza dell'inclusione nell'elenco delle patologie rare. Dopo aver rilevato che la problematica interessa circa due milioni di pazienti, esprime l'avviso che un possibile testo unificato dovrebbe trattare gli aspetti legati alle esenzioni, alla costituzione di un fondo speciale, alla necessità di un coordinamento nazionale e al sostegno alle attività di formazione, ricerca e dispensazione dei farmaci. In conclusione, preannuncia il sostegno convinto della sua parte politica alla sollecita definizione di un testo da sottoporre alla discussione dell'Assemblea. Nella seduta del 11 marzo 2014 il relatore [BIANCO](#) (PD), in sede di replica, sottolinea che dal dibattito è emersa la volontà unanime di fornire risposta alle istanze delle persone affette da malattie rare, che da lungo tempo attendono l'intervento del legislatore. Rileva che i disegni di legge in esame sono caratterizzati da un nucleo normativo comune, formato da disposizioni volte alla definizione di malattia rara e di farmaco orfano, all'assicurazione di prestazioni adeguate nell'ambito dei livelli essenziali di assistenza e alla predisposizione di fondi per il sostegno dell'attività di ricerca. I testi propongono soluzioni differenziate in merito all'organizzazione della rete assistenziale a supporto degli ammalati e dei loro familiari. **Pertanto, ravvisa l'opportunità di un supplemento di riflessione sul punto, finalizzato all'individuazione di una sintesi equilibrata delle diverse impostazioni, nel cui ambito occorrerebbe apprestare strumenti specifici per rinforzare la base giuridica del Centro nazionale per le malattie rare. Si riserva, quindi, di sottoporre alla Commissione, d'intesa con l'altro relatore, Aiello, una proposta di testo base suscettibile di ampia condivisione, così da porre le premesse per un eventuale trasferimento dell'esame in sede deliberante.** Il relatore [AIELLO](#) (NCD), nell'associarsi alla replica già svolta, osserva che in sede di elaborazione della proposta di testo unificato occorrerà soprattutto individuare una misura che consenta di risolvere le complicazioni nella procedura di revisione dell'elenco delle malattie rare, che allo stato determina tempi di attesa insostenibili da parte degli ammalati e delle rispettive famiglie.