

MOZIONI BINETTI ED ALTRI N. 1-01063, BARONI ED ALTRI N. 1-01073, MIOTTO ED ALTRI N. 1-01074, VARGIU ED ALTRI N. 1-01075, NIZZI E OCCHIUTO N. 1-01076 E NICCHI ED ALTRI N. 1-01079 CONCERNENTI INIZIATIVE PER LA CURA DEI TUMORI RARI

Mozioni

La Camera,
premessi che:

la Commissione affari sociali, dopo aver svolto dal marzo al luglio 2015 un'indagine conoscitiva sulle malattie rare – che si è conclusa il 28 luglio con l'approvazione del documento conclusivo –, nel settembre scorso ha approvato all'unanimità una risoluzione, sul presupposto del documento conclusivo approvato a luglio, in cui sono contenuti alcuni impegni al Governo che costituiscono al tempo stesso una tutela per i malati e un forte incentivo alla ricerca. Si tratta di due finalità strettamente collegate tra di loro anche in funzione della prossima creazione degli ERN (*European Reference Network*). Le malattie rare, identificate dall'Unione europea come settore di sanità pubblica per cui è fondamentale la collaborazione tra gli Stati membri, fin dal 1999, con l'adozione della decisione del Parlamento europeo e del Consiglio n. 1295, che adotta un programma d'azione comunitaria in tale ambito, sono state spesso oggetto di raccomandazioni comunitarie finalizzate all'adozione di programmi con obiettivi ampiamente condivisi. Il contesto in cui si collocano attualmente le malattie rare abbraccia infatti tutta l'Europa in una lunga sinergia di progetti come *Europlan*, *Eurordis*, *Orphanet* e dal prossimo 2016 le Reti di riferimento europee (ERN);

come è emerso più volte durante le audizioni svolte nel corso della indagine conoscitiva, la scarsa consuetudine clinica e la scarsa disponibilità di conoscenze scientifiche, che derivano dalla rarità delle malattie, compresi i tumori rari, determina spesso lunghi tempi di latenza tra l'esordio della patologia e la diagnosi, nel caso delle malattie rare o diagnosi patologiche e trattamenti non idonei (nel caso dei tumori rari 1), incidendo negativamente sulla prognosi del paziente. Ma è proprio sul piano del diritto alla salute e più specificamente del diritto alle cure, che le richieste dei pazienti si fanno sempre più incalzanti e meno disposte alla rassegnazione nei confronti di un sistema burocratico a volte lento e farraginoso. L'Italia è stata presente fin dall'inizio in tutti gli organismi che si sono occupati di ricerca scientifica nel campo delle malattie rare a vari livelli: genetico, metabolico, farmacologico e assistenziale; dalla diagnosi precoce alla organizzazione della rete e dei servizi collegati, compresa l'integrazione tra le associazioni di malati. La competenza specifica e la disponibilità alla collaborazione del nostro Paese sono state oggetto di considerazione ed apprezzamento da parte di tutti i partner europei. E lo stesso è avvenuto in relazione ai tumori rari e alla rete di strutture di supporto che in questi anni si è andata formando, sia pure su base prevalentemente volontaristica;

uno strumento di lavoro fondamentale in questo campo è infatti rappresentato proprio dalla rete, nelle sue diverse articolazioni e con i suoi obiettivi specifici. La Rete nazionale delle malattie rare, istituita in Italia nel 2001, prevedeva già da allora il Registro

nazionale malattie rare (RNMR) e regolamentava l'esenzione da una serie di costi per le patologie inserite in una determinata lista, stabilita dal decreto ministeriale n. 279 del 2001. La lista da allora non è stata più aggiornata. All'istituzione della Rete nazionale delle malattie rare hanno fatto seguito due importanti accordi Stato-regioni, rispettivamente nel 2002 e nel 2007, dopo di che si è assistito ad un deciso rallentamento delle iniziative a favore di questi malati, considerati rari. L'assistenza ai malati rari richiede una serie molto complessa e articolata di interventi, che coinvolgono l'organizzazione, la programmazione e il finanziamento dell'intero sistema sanitario nazionale. Le difficoltà che i malati rari incontrano, per vedere soddisfatti i loro bisogni di presa in carico, dipendono da una molteplicità di fattori, quali la complessità delle azioni e degli interventi richiesti dalle specifiche patologie presentate dai pazienti, la necessità di coinvolgere un numero elevato di soggetti e specializzazioni per fornire loro un servizio adeguato, la differenza qualitativa che si registra nei servizi sanitari regionali del nostro Paese, nonché elementi strutturali, alcuni dei quali potrebbero essere fin da ora oggetto di azioni positive di miglioramento;

l'Italia ha coordinato due progetti europei sui tumori rari, *Surveillance of rare cancers in Europe (Rarecare)* e *Information network on rare cancers (Rarecarenet)*. Il primo, attraverso un processo di consenso, ha proposto la definizione di tumori rari ed ha prodotto una lista di 198 tumori rari. Il secondo progetto ha lavorato sulla definizione di centro di expertise per i tumori rari fornendo criteri generali e specifici per alcuni gruppi di tumori. Il Ministero della salute italiano ha supportato finanziariamente due progetti sui tumori rari, RITA (*Surveillance of rare cancers in Italy*) e RITA2 (*Rare Cancers in Italy: surveillance and evaluation of the access to diagnosis and treatment*), con gli obiettivi di fornire dati epidemiologici sui tumori rari in Italia e di raccogliere informazioni sulla qualità delle cure per alcuni tumori rari in Italia. Questi progetti sono stati basati sull'ampia collaborazione tra diversi esperti: patologi, oncologi, radioterapisti, chirurghi, epidemiologici, registri tumori di popolazione e volontariato oncologico (Federazione italiana delle associazioni di volontariato in oncologia – Favo);

i tumori rari condividono con le malattie rare l'aspetto della rarità, ma sono diversi per il fatto che si qualificano come tumori e in quanto tali appartengono ad una delle patologie più frequenti in Italia. Gli stessi tumori rari sono rari, se presi singolarmente, ma non sono tali se considerati cumulativamente. Il progetto *Surveillance of rare cancers in Italy* (RITA) ha infatti calcolato che i 198 tumori rari corrispondono a circa il 23 per cento dei nuovi casi di tumore maligno in Italia (circa 1 tumore su 5 è un tumore raro);

tra le principali differenze tra le malattie rare e i tumori rari se ne possono segnalare alcune per meglio comprendere la specificità dei due ambiti. I tumori rari sono tumori e quindi malattie sub-acute e vengono identificati in base all'incidenza ovvero al numero di nuovi casi/anno, mentre le malattie rare sono malattie croniche e quindi la prevalenza, che riflette il numero totale di casi in un determinato periodo nella popolazione, quantifica adeguatamente il peso che una malattia cronica ha a livello di popolazione. I tumori rari hanno una eziologia multifattoriale, mentre le malattie rare sono prevalentemente di origine genetica. I tumori rari hanno un andamento di tipo subacuto, caratterizzato da singoli eventi critici; mentre le malattie rare sono piuttosto malattie croniche, progressive e degenerative;

nel loro insieme, i tumori rari costituiscono il 23 per cento dei nuovi casi di tumore maligno. Fanno parte dei tumori rari tutta la famiglia dei tumori pediatrici, molti della famiglia dei tumori ematologici, dieci famiglie di tumori solidi dell'adulto. In pratica, vi sono dodici famiglie di tumori rari, che sono seguite da comunità diverse di medici, pazienti, istituzioni di riferimento. Sono sarcomi; tumori rari della testa e collo; tumori del sistema nervoso centrale; mesotelioma e timoma; tumori delle vie biliari; tumori neuroendocrini; tumori delle ghiandole endocrine; tumori rari urogenitali maschili; tumori rari ginecologici; tumori degli annessi cutanei e melanoma delle mucose e dell'uvea;

per queste famiglie, l'oncologia, in Italia ed in Europa, ha creato tipi diversi di collaborazioni, da quelle per la ricerca clinica, a quelle che producono linee guida per la pratica clinica; dalle collaborazioni su progetti ad hoc, alle reti di sorveglianza epidemiologica, per concludere con le reti di pazienti. In considerazione di queste realtà già presenti e funzionanti in buona parte dei Paesi europei, è necessario creare più Reti di riferimento europee (ERN) sui tumori rari, corrispondenti alle dodici famiglie di tumori rari che afferiscono alle relative comunità di medici, pazienti, istituzioni che se ne occupano. Il governo italiano dovrebbe sostenere con decisione a livello europeo che le Reti di riferimento europee corrispondano alle esistenti comunità di clinici, ricercatori, istituzioni, pazienti, cioè alle dodici famiglie di tumori rari e che – perché funzionino – siano definiti ed accreditati ufficialmente i centri di riferimento che le costituiscono, secondo i criteri che le diverse comunità scientifiche di riferimento avranno prodotto;

i dati epidemiologici relativi all'Italia sono stati raccolti nell'ambito del progetto RITA2 e si basano sui registri tumori di popolazione italiani dell'AIRTUM (<http://www.registri-tumori.it/cms/it>). Attualmente infatti non esiste un registro nazionale dedicato ai tumori rari, diversamente da quanto avviene per le malattie rare per le quali il decreto n. 279 del 2001 ha istituito un registro nazionale presso l'Istituto superiore di sanità. Quindi per i dati epidemiologici sui tumori rari ci si avvale dei registri tumori, fonte affidabile grazie all'esperienza ultradecennale nel fornire correntemente i dati epidemiologici su tutti i tumori. Resta comunque il problema che sebbene l'AIRTUM sia impegnata nella produzione di una monografia dedicata ai tumori rari, tuttora questi tumori non appaiono ancora nelle statistiche correnti né in Italia né in altri Paesi europei. Appare quindi importante garantire un costante aggiornamento dei dati epidemiologici volto anche ad aumentare le informazioni di base raccolte sui tumori rari in modo da poterle utilizzare, ai fini sia di una adeguata programmazione dei servizi sanitari che per la valutazione del loro impatto;

in Italia, le reti dell'Associazione italiana di ematologia e oncologia pediatrica (AIEOP) e del Gruppo italiano delle malattie ematologiche dell'adulto (GIMEMA) sostengono da anni la ricerca clinica, rispettivamente, nei tumori pediatrici e nei tumori ematologici, e contribuiscono a mantenere una buona qualità di cura tra centri di riferimento. Per quanto riguarda i tumori rari solidi dell'adulto (che corrispondono al 15 per cento di tutti i tumori rari e che sono molto meno presidiati da centri di riferimento specifici), dal 1997 la Rete tumori rari opera per migliorare la qualità di cura e diminuire la migrazione sanitaria attraverso la condivisione a distanza di singoli casi clinici;

nel 2012 e nel 2013, gli obiettivi di carattere prioritario e di rilievo nazionale del servizio sanitario nazionale ne hanno incorporato il progetto, con lo scopo di far divenire la Rete tumori rari una «risorsa permanente del sistema sanitario nazionale», interfacciata con le reti oncologiche regionali, attraverso una *governance* ed un finanziamento centrali, in collaborazione con le regioni. Questa rete ha costituito un punto di riferimento importante per una migliore assistenza ai malati di tumori rari ma, contrariamente a quanto stabilito negli obiettivi di carattere prioritario per il 2012 e 2013, la Rete tumori rari non è stata confermata negli ultimi obiettivi di carattere prioritario, rendendo privo di un progetto formale l'unico punto di riferimento in rete per i pazienti italiani con tumori rari solidi dell'adulto;

al contrario, la relazione finale del gruppo di lavoro sulla Rete tumori rari del Ministero della salute, istituito con decreto ministeriale 14 febbraio 2013, ha proposto una serie di azioni, condivise dal Ministro, tra cui la formalizzazione a livello Stato-regioni della predetta Rete;

il decreto ministeriale 14 febbraio 2013 aveva istituito un gruppo tecnico di lavoro sui tumori rari, che ha consegnato al Ministero della salute le sue conclusioni nel maggio 2015. Il gruppo di lavoro ha lavorato con il mandato di fornire elementi di analisi,

identificare criticità e definire proposte in merito a quattro obiettivi:

a) fornire indirizzi per la progettazione e valutazione dei progetti regionali attuativi, nell'ottica di promuovere la collaborazione permanente tra i centri oncologici distribuiti su tutto il territorio nazionale;

b) formulare proposte per il pieno raggiungimento degli scopi della rete (RTR), che attualmente ha carattere prevalentemente tecnico-professionale, frutto di un processo di aggregazione spontanea che non va disperso, ma va potenziato e reso fruibile da tutti coloro che ne abbiano bisogno;

c) elaborare proposte per aumentare l'accesso ai farmaci nel trattamento dei tumori rari, rivedendo i requisiti normativi delle evidenze scientifiche necessarie per accedere all'uso compassionevole dei farmaci (decreto ministeriale 8 maggio 2003), e indispensabili per circoscrivere gli usi *off-label* nei tumori rari a centri clinici di documentata esperienza in tal senso;

d) stabilire criteri e metodi per la classificazione nosologica dei tumori rari, facendo riferimento allo studio «*Surveillance of rare cancers in Italy*»: la definizione di tumore raro va basata sulla incidenza, che è il miglior indicatore di frequenza e i tumori vanno distinti in base a caratteristiche anatomo-patologiche (OMS);

le criticità maggiori emerse nell'ambito della cura e del trattamento dei tumori rari solidi dell'adulto riguardano quattro aspetti concreti:

a) la necessità di poter accedere in tempi ragionevoli ad una seconda diagnosi, perché la prima nel 40 per cento dei casi si rivela inidonea;

b) la necessità di accedere obbligatoriamente ad un centro di riferimento per il trattamento chirurgico, che rappresenta il cardine della cura e che – se condotto senza esperienza specifica – compromette seriamente le probabilità di guarire del singolo paziente;

c) la possibilità di accedere con la formula «per uso compassionevole» a farmaci che abbiano mostrato risultati di attività ed efficacia anche qualora non siano disponibili studi formali di fase seconda, o non vi sia un'iniziativa di registrazione in corso da parte dell'azienda farmaceutica produttrice, o non vi siano sperimentazioni in corso, e altro (in molto Paesi ciò è già possibile);

d) l'urgenza di disporre di una rete nazionale per i tumori rari, articolata secondo parametri condivisi, in cui sia possibile per i centri oncologici privi di un'expertise iper-specialistico su un determinato tumore raro accedere a tele-consultazioni e condivisioni cliniche prolungate con centri di eccellenza;

la Rete tumori rari, esattamente per la rarità delle patologie di cui si occupa, deve configurarsi come rete di respiro nazionale con caratteristiche e necessità specifiche. In particolare deve prevedere il coinvolgimento di tutte le regioni, in sede di accordo Stato-regioni e pubbliche amministrazioni; le caratteristiche vanno adeguatamente e strutturalmente specificate (criteri di identificazione dei nodi della rete) dalle regioni in modo tale che la Rete tumori rari possa essere facilmente riconoscibile; occorre implementare le funzioni di carattere nazionale, mediante la valorizzazione del sistema informativo/informatico e in coerenza con la normativa regionale delle «prestazioni per la rete»,

impegna il Governo:

al fine di evitare l'interruzione dell'operatività della attuale Rete nazionale delle malattie rare, conseguente alla decisione della Conferenza Stato-regioni, a promuovere rapidamente iniziative in grado di assicurarne la continuità così da «traghetare», come già previsto, l'inserimento della Rete tumori rari nel Servizio sanitario nazionale;

a formalizzare una lista di tumori rari, sulla base di quella proposta dal gruppo di

lavoro sulla Rete tumori rari, seguendo le conclusioni del progetto *Rarecare*;

ad avviare un percorso che conduca alla definizione di criteri per l'accreditamento di centri di riferimento per i tumori rari, con l'obiettivo di centralizzarne il trattamento locale e raccordandone l'azione all'interno delle reti collaborative, così da massimizzarne l'efficacia;

a costituire un gruppo di lavoro per l'avanzamento del progetto della Rete tumori rari, coinvolgendo i registri tumori di popolazione e le associazioni di volontariato oncologico;

ad assicurare un più agevole accesso per i malati di tumore raro all'uso compassionevole dei farmaci attraverso l'aggiornamento del decreto ministeriale 8 maggio 2003 («Uso terapeutico di medicinale sottoposto a sperimentazione clinica»);

ad investire sulla ricerca clinica e di sanità pubblica per i tumori rari, innanzitutto prevedendo una regolare sorveglianza epidemiologica dei tumori rari, a partire dal lavoro svolto nell'ambito di *Rarecare* e *Rarecarenet* dalla struttura di epidemiologia dell'Istituto nazionale tumori di Milano, in collaborazione con l'Associazione italiana registri tumori (AIRTUM);

a valorizzare le eccellenze presenti nei centri di riferimento italiani, per realizzare un monitoraggio efficace degli standard di eccellenza, a livello scientifico, clinico-assistenziale ed organizzativo;

a supportare la Commissione europea nella procedura di valutazione e selezione dei centri di riferimento italiani che entreranno a far parte delle *European Reference Network* su base rigorosamente meritocratica, con indicatori precisi e condivisi;

a diffondere le informazioni relative alle *European Reference Network*, agli *standard* necessari per entrare a farne parte e alle opportunità che potrebbero scaturire fin da subito per la ricerca a vario livello, stimolando processi di autovalutazione della qualità del lavoro nel proprio centro;

a proporre modelli di integrazione e di collaborazione tra i nodi di eccellenza delle reti e i diversi operatori del servizio sanitario nazionale, in modo da favorire la conoscenza reciproca e lo scambio di competenze necessarie per garantire un'attività scientifica e assistenziale sempre più efficace sull'intero territorio nazionale;

a potenziare la capacità di ricerca e di formazione dei centri, attraverso la partecipazione a progetti di ricerca scientifica dedicati ai tumori rari sia sotto il profilo diagnostico-assistenziale che sotto quello della organizzazione dei servizi e dei modelli di presa in carico dei pazienti a livello individuale e familiare;

a verificare che in tutti i tavoli di lavoro in cui si trattano i tumori rari siano presenti i rappresentanti delle associazioni di malati che hanno raggiunto livelli di esperienza e di competenza di riconosciuto valore;

a investire sulla sicurezza dei pazienti affetti da tumori rari attraverso: elevata e comprovata competenza dei professionisti, riconosciuta qualità scientifica, capacità di giungere a diagnosi precoci in modo corretto, elevata esperienza specifica sul trattamento locale, inserimento dei pazienti in progetti di sperimentazione farmacologica ad elevata probabilità di successo, presenza di un monitoraggio costante e continuo delle procedure;

a investire sull'aggiornamento dei pediatri di base e dei medici di medicina generale perché collaborino con i centri di riferimento nel riconoscimento di «sintomi sentinella», nella prevenzione primaria e secondaria, e attraverso un'opportuna diffusione dei fattori di protezione e dei fattori di rischio;

a facilitare il riferimento dei pazienti ai centri della rete nelle fasi iniziali della cura, attraverso un capillare sistema informativo con il coinvolgimento del volontariato oncologico;

ad assumere iniziative per facilitare la ricerca sul piano farmacologico attraverso misure di defiscalizzazione attrattive per gli investitori, soprattutto quando si tratta di «farmaci orfani» che potrebbero fungere da salvavita;

a facilitare l'accesso dei pazienti ai farmaci *off-label*, utilizzando il cosiddetto fondo

Aifa per la ricerca, anche attraverso un opportuno coinvolgimento dei medici curanti, in modo da garantire ai malati un costante ed efficace interessamento nei loro confronti, pur in assenza, per il momento, di soluzioni certe e definitive.

(1-01063) «[Binetti](#), [Bosco](#), [Pagano](#), [Calabrò](#), [Sammarco](#), [Minardo](#), [Garofalo](#), [Vella](#), [Tancredi](#), [Scopelliti](#), [Pizzolante](#), [Cera](#), [Palese](#)».

La Camera,
premessi che:

i tumori rari sono neoplasie che possono svilupparsi in diverse parti dell'organismo e avere caratteristiche molto differenti: la scarsa diffusione è l'unico elemento che accomuna tutti i tumori classificati come rari, che rappresentano una famiglia estremamente eterogenea di patologie;

al momento non ci sono forme attendibili per stabilire in materia di tumori rari quanto siano realmente diffusi, poiché non esiste una definizione univoca sui numeri che caratterizzano questa «rarietà»: una delle questioni principali da dirimere è la definizione di tumore raro ovvero quando è così poco comune da poter essere definito raro;

la Rete tumori rari è una collaborazione tra centri oncologici italiani per migliorare l'assistenza ai pazienti con tumori rari ed utilizza la soglia di incidenza, ovvero il numero di nuovi casi in un anno, inferiore o uguale a 5 casi su 100.000, ma altre organizzazioni utilizzano soglie diverse e ciò complica il calcolo della diffusione di queste patologie;

i tumori rari rappresentano oltre il 20 per cento di tutti i tumori diagnosticati ogni anno nell'Unione europea e riguardano nel territorio europeo oltre 4 milioni di persone;

in Italia, secondo i dati dello studio RITA, dedicato proprio ai tumori rari, ogni anno sono circa 60.000 le nuove diagnosi di tumore raro;

un tumore che sia raro non significa che sia incurabile o che le possibilità di guarigione siano più limitate rispetto a quelle di un tumore più comune: alcune neoplasie rare hanno infatti percentuali di guarigione o di controllo della malattia superiori a tumori molto più diffusi;

i tumori rari sono una famiglia di neoplasie molto eterogenee. Ne esistono infatti molte tipologie che possono interessare ogni parte dell'organismo: i ricercatori del progetto *Rarecare (Surveillance of rare cancers in Europe)*, un progetto europeo che si occupa di tumori rari, ne hanno individuate oltre 250;

tra i tumori rari più noti anche alcune forme di leucemie e linfomi, tumori pediatrici come il retinoblastoma o tumori solidi dell'adulto come il tumore gastrointestinale stromale (GIST) e i tumori neuroendocrini (Pnet);

non è possibile definire fattori di rischio comuni per tutti i tumori rari perché queste patologie sono molto numerose e molto diverse tra loro, ma anche perché le informazioni e gli studi clinici ed epidemiologici su un tumore raro sono spesso limitati proprio a causa della difficoltà di reperire una quantità sufficiente di dati sui quali basare la diagnosi;

la diagnosi è un momento fondamentale nel percorso di una persona che si confronta con il tumore: una diagnosi precoce e precisa consente di affrontare la malattia con gli strumenti più adatti a sconfiggerla o a tenerla sotto controllo;

nel caso dei tumori rari la diagnosi oggi spesso arriva in ritardo, dopo che il paziente si è sottoposto a diverse visite o esami clinici. La ragione principale di questo ritardo è la difficoltà che incontrano i medici a riconoscere una patologia rara, con la quale hanno a che fare raramente nel corso della loro carriera professionale;

per diagnosticare una malattia rara, sia tumorale sia di altra natura, servono infatti competenze particolari che solo un esperto del settore può garantire e servono inoltre esami specifici per rendere la diagnosi veramente completa e affidabile. Potrebbe quindi

essere necessario inviare i campioni prelevati in altri laboratori per effettuare tali esami, allungando ulteriormente il tempo necessario per giungere alla diagnosi finale;

nel 1997, per esempio, ha preso il via presso l'Istituto nazionale dei tumori di Milano (INT) la Rete tumori rari, un progetto nato con lo scopo di migliorare l'assistenza alle persone affette da un tumore raro, con particolare attenzione a quelli che vengono definiti tumori solidi dell'adulto (non si occupa infatti di tumori del sangue e tumori pediatrici). Si tratta di una collaborazione coordinata dall'Istituto nazionale dei tumori di Milano alla quale hanno aderito circa 200 centri oncologici in tutta Italia;

dal 2001 esiste una Rete nazionale delle malattie rare, istituita dalla Conferenza Stato-regioni, a cui fa capo anche quella oncologica;

gli obiettivi della Rete tumori rari sono:

a) creare una collaborazione permanente tra strutture sanitarie con lo scopo di migliorare la qualità di cura ai pazienti con tumore raro;

b) che la diagnosi e il trattamento nei centri partecipanti avvengano secondo criteri comuni;

c) condividere a distanza casi clinici fra i centri partecipanti, in modo da migliorare le capacità di cura dei medici aumentando il numero dei casi che si trovano a fronteggiare;

d) promuovere un accesso razionale a centri di diagnosi e cura, limitando al minimo indispensabile gli spostamenti dei pazienti;

e) contribuire alla ricerca clinica sui tumori rari;

f) contribuire alla diffusione della conoscenza sui tumori rari;

g) diventare un modello sia dal punto di vista dei metodi utilizzati sia da quello delle tecnologie per ulteriori collaborazioni nell'ambito oncologico;

i tumori rari in Italia, contrariamente da quanto previsto in Europa, non sono ricompresi nell'elenco delle malattie rare, che ha un proprio registro nazionale presso l'Istituto superiore di sanità istituito con il decreto n. 279 del 2001, e quindi i pazienti non possono beneficiare dei vantaggi, anche se insufficienti, riconosciuti alle persone affette da una patologia rara;

si riscontrano e vengono denunciate dalle associazioni che si occupano di persone con tumore raro, difficoltà e disparità di accesso ai trattamenti innovativi, a volte uniche terapie efficaci per queste gravi forme di tumore;

nel 2013 in Italia i pazienti affetti della sola leucemia mieloide cronica erano 7.881, con un'incidenza annuale in aumento stimata del 12 per cento, ovvero pari a 930 nuovi casi di persone con tumore raro;

è necessario utilizzare e rendere accessibili le migliori terapie disponibili quando il paziente è ancora in fase cronica, per evitare il passaggio alle fasi avanzate della malattia;

è estremamente importante, in un terreno orfano di terapie diagnostiche e specifiche, un efficace coordinamento dei centri specializzati che operano sul campo, ed appare necessario ottimizzare le risorse e promuovere le eccellenze che non mancano, evitando in tal modo i cosiddetti viaggi della speranza;

non si può fare una programmazione delle strutture sul territorio in materia oncologica, se non si ha una base di conoscenza reale e attendibile sull'incidenza di queste malattie sul territorio. Senza queste informazioni è elevato il rischio di sovrastimare o sottostimare le strutture operanti nel campo: danneggiando comunque il paziente, in termini economici o di assistenza medica;

l'obiettivo da perseguire è investire sulle terapie più innovative, sulla diagnostica della cronicità, ma anche sulla prevenzione e sul contrasto alle cattive abitudini che alimentano la diffusione delle patologie neoplastiche;

il decreto-legge n. 158 del 2012 (cosiddetto decreto Balduzzi), convertito, con

modificazioni, dalla legge n. 189 del 2012, impone la registrazione dei farmaci orfani entro 100 giorni a partire dall'avvio della procedura nazionale,

impegna il Governo:

al fine di assicurare specifiche forme di tutela ai soggetti affetti da tumori rari, ad implementare e dare continuità alla Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare inserendo in tale ambito i tumori rari;

a definire in maniera chiara e condivisa i tumori che devono essere riconosciuti come rari;

ad individuare i centri di eccellenza per la prevenzione, diagnosi, cura e terapia dei tumori rari, con particolare riferimento alla loro presenza uniforme sul territorio nazionale;

a predisporre l'elenco dei tumori rari nell'ambito dell'elenco delle malattie rare;

a prevedere che l'elenco dei tumori rari sia una «lista dinamica» in grado di accogliere e aggiornare l'elenco via via che siano diagnosticate anche le nuove patologie definite come rare ai fini delle opportune tutele per i pazienti di tumori rari;

a sviluppare la capacità di ricerca in tale ambito, anche destinando ad essa specifiche linee di finanziamento, e prevedendo un'adeguata formazione per chi opera in tali centri, attraverso la partecipazione a progetti di ricerca scientifica a livello nazionale ed europeo, dedicati ai tumori rari sia sotto il profilo diagnostico- assistenziale, che sotto quello della organizzazione dei servizi e dei modelli di presa in carico dei pazienti a livello individuale e familiare;

a promuovere la defiscalizzazione delle spese sostenute in Italia per la ricerca clinica e pre-clinica relativa ai «farmaci orfani» e ai tumori rari, con particolare attenzione e che progetti di ricerca in tale ambito siano rivolti anche al territorio delle regioni con disavanzo sanitario e sottoposte a piani di rientro;

a garantire e favorire l'utilizzo *off-label* di farmaci per la cura dei tumori rari di cui è accertata l'efficacia, sulla base di evidenze scientifiche, anche al fine del loro inserimento nella lista del decreto-legge n. 536 del 1996, convertito dalla legge n. 648 del 1996, favorendo lo sviluppo da parte dell'Agenzia italiana del farmaco di un'attenzione particolare ai tumori rari così come previsto per le malattie rare;

ad aggiornare i dati relativi all'incidenza, sopravvivenza e prevalenza di ciascun tumore raro, tenuto conto dei dati relativi ai registri tumori AIRTUM;

a verificare la possibilità di integrazione e validazione reciproca dei dati della Rete tumori rari (RTR) e dei dati dei registri tumori (AIRTUM);

a prevedere la diffusione di informazioni sui tumori rari attraverso la collaborazione con le associazioni dei pazienti, coinvolgendo esperti, ricercatori, medici, associazioni di pazienti nel progetto informativo;

a promuovere e favorire, anche attraverso apposite iniziative normative, l'istituzione di un registro nazionale tumori che comprenda, obbligatoriamente, i dati epidemiologici relativi ai tumori rari in riferimento agli elenchi citati in premessa;

ad assumere iniziative affinché le attività di raccolta e analisi dei dati raccolti dai distretti e dalle aziende sanitarie locali, relativi a eziologia multifattoriale, eziologia generica o incerta possano essere attività correlate e connesse a quelle relative ai tumori rari;

a intraprendere ogni iniziativa per il potenziamento della prevenzione primaria, da considerarsi attività di informazione e diffusione rispetto ai fattori di rischio, attraverso il coinvolgimento delle scuole e del Ministero dell'istruzione, dell'università e della ricerca, relativamente alle abitudini e ad un corretto stile di vita associato alla maggiore incidenza di patologie tumorali con particolare riferimento ai tumori rari;

a garantire che, nell'ambito dell'attività di ricerca dell'Istituto superiore di sanità, sia

garantito un finanziamento totalmente pubblico relativamente alla prevenzione primaria, secondaria e terziaria dei tumori rari.

(1-01073) «[Baroni](#), [Silvia Giordano](#), [Colonnese](#), [Di Vita](#), [Grillo](#), [Lorefice](#), [Mantero](#), [Zolezzi](#), [D'Incà](#)».

La Camera,

premessi che:

i tumori rari sono neoplasie che possono svilupparsi in diverse parti dell'organismo e avere caratteristiche molto differenti: la scarsa diffusione è l'unico elemento che accomuna tutti i tumori classificati come rari, che rappresentano una famiglia estremamente eterogenea di patologie;

al momento non ci sono forme attendibili per stabilire in materia di tumori rari quanto siano realmente diffusi, poiché non esiste una definizione univoca sui numeri che caratterizzano questa «rarietà»: una delle questioni principali da dirimere è la definizione di tumore raro ovvero quando è così poco comune da poter essere definito raro;

la Rete tumori rari è una collaborazione tra centri oncologici italiani per migliorare l'assistenza ai pazienti con tumori rari ed utilizza la soglia di incidenza, ovvero il numero di nuovi casi in un anno, inferiore o uguale a 5 casi su 100.000, ma altre organizzazioni utilizzano soglie diverse e ciò complica il calcolo della diffusione di queste patologie;

i tumori rari rappresentano oltre il 20 per cento di tutti i tumori diagnosticati ogni anno nell'Unione europea e riguardano nel territorio europeo oltre 4 milioni di persone;

in Italia, secondo i dati dello studio RITA, dedicato proprio ai tumori rari, ogni anno sono circa 60.000 le nuove diagnosi di tumore raro;

un tumore che sia raro non significa che sia incurabile o che le possibilità di guarigione siano più limitate rispetto a quelle di un tumore più comune: alcune neoplasie rare hanno infatti percentuali di guarigione o di controllo della malattia superiori a tumori molto più diffusi;

i tumori rari sono una famiglia di neoplasie molto eterogenee. Ne esistono infatti molte tipologie che possono interessare ogni parte dell'organismo: i ricercatori del progetto *Rarecare (Surveillance of rare cancers in Europe)*, un progetto europeo che si occupa di tumori rari, ne hanno individuate oltre 250;

tra i tumori rari più noti anche alcune forme di leucemie e linfomi, tumori pediatrici come il retinoblastoma o tumori solidi dell'adulto come il tumore gastrointestinale stromale (GIST) e i tumori neuroendocrini (Pnet);

non è possibile definire fattori di rischio comuni per tutti i tumori rari perché queste patologie sono molto numerose e molto diverse tra loro, ma anche perché le informazioni e gli studi clinici ed epidemiologici su un tumore raro sono spesso limitati proprio a causa della difficoltà di reperire una quantità sufficiente di dati sui quali basare la diagnosi;

la diagnosi è un momento fondamentale nel percorso di una persona che si confronta con il tumore: una diagnosi precoce e precisa consente di affrontare la malattia con gli strumenti più adatti a sconfiggerla o a tenerla sotto controllo;

nel caso dei tumori rari la diagnosi oggi spesso arriva in ritardo, dopo che il paziente si è sottoposto a diverse visite o esami clinici. La ragione principale di questo ritardo è la difficoltà che incontrano i medici a riconoscere una patologia rara, con la quale hanno a che fare raramente nel corso della loro carriera professionale;

per diagnosticare una malattia rara, sia tumorale sia di altra natura, servono infatti competenze particolari che solo un esperto del settore può garantire e servono inoltre esami specifici per rendere la diagnosi veramente completa e affidabile. Potrebbe quindi essere necessario inviare i campioni prelevati in altri laboratori per effettuare tali esami,

allungando ulteriormente il tempo necessario per giungere alla diagnosi finale;

nel 1997, per esempio, ha preso il via presso l'Istituto nazionale dei tumori di Milano (INT) la Rete tumori rari, un progetto nato con lo scopo di migliorare l'assistenza alle persone affette da un tumore raro, con particolare attenzione a quelli che vengono definiti tumori solidi dell'adulto (non si occupa infatti di tumori del sangue e tumori pediatrici). Si tratta di una collaborazione coordinata dall'Istituto nazionale dei tumori di Milano alla quale hanno aderito circa 200 centri oncologici in tutta Italia;

dal 2001 esiste una Rete nazionale delle malattie rare, istituita dalla Conferenza Stato-regioni, a cui fa capo anche quella oncologica;

gli obiettivi della Rete tumori rari sono:

a) creare una collaborazione permanente tra strutture sanitarie con lo scopo di migliorare la qualità di cura ai pazienti con tumore raro;

b) che la diagnosi e il trattamento nei centri partecipanti avvengano secondo criteri comuni;

c) condividere a distanza casi clinici fra i centri partecipanti, in modo da migliorare le capacità di cura dei medici aumentando il numero dei casi che si trovano a fronteggiare;

d) promuovere un accesso razionale a centri di diagnosi e cura, limitando al minimo indispensabile gli spostamenti dei pazienti;

e) contribuire alla ricerca clinica sui tumori rari;

f) contribuire alla diffusione della conoscenza sui tumori rari;

g) diventare un modello sia dal punto di vista dei metodi utilizzati sia da quello delle tecnologie per ulteriori collaborazioni nell'ambito oncologico;

i tumori rari in Italia, contrariamente da quanto previsto in Europa, non sono ricompresi nell'elenco delle malattie rare, che ha un proprio registro nazionale presso l'Istituto superiore di sanità istituito con il decreto n. 279 del 2001, e quindi i pazienti non possono beneficiare dei vantaggi, anche se insufficienti, riconosciuti alle persone affette da una patologia rara;

si riscontrano e vengono denunciate dalle associazioni che si occupano di persone con tumore raro, difficoltà e disparità di accesso ai trattamenti innovativi, a volte uniche terapie efficaci per queste gravi forme di tumore;

nel 2013 in Italia i pazienti affetti della sola leucemia mieloide cronica erano 7.881, con un'incidenza annuale in aumento stimata del 12 per cento, ovvero pari a 930 nuovi casi di persone con tumore raro;

è necessario utilizzare e rendere accessibili le migliori terapie disponibili quando il paziente è ancora in fase cronica, per evitare il passaggio alle fasi avanzate della malattia;

è estremamente importante, in un terreno orfano di terapie diagnostiche e specifiche, un efficace coordinamento dei centri specializzati che operano sul campo, ed appare necessario ottimizzare le risorse e promuovere le eccellenze che non mancano, evitando in tal modo i cosiddetti viaggi della speranza;

non si può fare una programmazione delle strutture sul territorio in materia oncologica, se non si ha una base di conoscenza reale e attendibile sull'incidenza di queste malattie sul territorio. Senza queste informazioni è elevato il rischio di sovrastimare o sottostimare le strutture operanti nel campo: danneggiando comunque il paziente, in termini economici o di assistenza medica;

l'obiettivo da perseguire è investire sulle terapie più innovative, sulla diagnostica della cronicità, ma anche sulla prevenzione e sul contrasto alle cattive abitudini che alimentano la diffusione delle patologie neoplastiche;

il decreto-legge n. 158 del 2012 (cosiddetto decreto Balduzzi), convertito, con modificazioni, dalla legge n. 189 del 2012, impone la registrazione dei farmaci orfani entro 100 giorni a partire dall'avvio della procedura nazionale,

impegna il Governo:

a definire in maniera chiara e condivisa i tumori che devono essere riconosciuti come rari;

ad individuare i centri di eccellenza per la prevenzione, diagnosi, cura e terapia dei tumori rari, con particolare riferimento alla loro presenza uniforme sul territorio nazionale;

a prevedere che l'elenco dei tumori rari sia una «lista dinamica» in grado di accogliere e aggiornare l'elenco via via che siano diagnosticate anche le nuove patologie definite come rare ai fini delle opportune tutele per i pazienti di tumori rari;

a sviluppare la capacità di ricerca in tale ambito, anche destinando ad essa specifiche linee di finanziamento, e prevedendo un'adeguata formazione per chi opera in tali centri, attraverso la partecipazione a progetti di ricerca scientifica a livello nazionale ed europeo, dedicati ai tumori rari sia sotto il profilo diagnostico- assistenziale, che sotto quello della organizzazione dei servizi e dei modelli di presa in carico dei pazienti a livello individuale e familiare;

a valutare di promuovere la defiscalizzazione delle spese sostenute in Italia per la ricerca clinica e pre-clinica relativa ai «farmaci orfani» e ai tumori rari, con particolare attenzione e che progetti di ricerca in tale ambito siano rivolti anche al territorio delle regioni con disavanzo sanitario e sottoposte a piani di rientro;

a garantire e favorire l'utilizzo *off-label* di farmaci per la cura dei tumori rari di cui è accertata l'efficacia, sulla base di evidenze scientifiche, anche al fine del loro inserimento nella lista del decreto-legge n. 536 del 1996, convertito dalla legge n. 648 del 1996, favorendo lo sviluppo da parte dell'Agenzia italiana del farmaco di un'attenzione particolare ai tumori rari così come previsto per le malattie rare;

a valutare l'opportunità di aggiornare i dati relativi all'incidenza, sopravvivenza e prevalenza di ciascun tumore raro, tenuto conto dei dati relativi ai registri tumori AIRTUM;

a verificare la possibilità di integrazione e validazione reciproca dei dati della Rete tumori rari (RTR) e dei dati dei registri tumori (AIRTUM);

a prevedere la diffusione di informazioni sui tumori rari attraverso la collaborazione con le associazioni dei pazienti, coinvolgendo esperti, ricercatori, medici, associazioni di pazienti nel progetto informativo;

a promuovere e favorire, anche attraverso apposite iniziative normative, l'istituzione di un registro nazionale tumori che comprenda, obbligatoriamente, i dati epidemiologici relativi ai tumori rari in riferimento agli elenchi citati in premessa;

a valutare l'opportunità di assumere iniziative affinché le attività di raccolta e analisi dei dati raccolti dai distretti e dalle aziende sanitarie locali, relativi a eziologia multifattoriale, eziologia generica o incerta possano essere attività correlate e connesse a quelle relative ai tumori rari;

a intraprendere ogni iniziativa per il potenziamento della prevenzione primaria, da considerarsi attività di informazione e diffusione rispetto ai fattori di rischio, attraverso il coinvolgimento delle scuole e del Ministero dell'istruzione, dell'università e della ricerca, relativamente alle abitudini e ad un corretto stile di vita associato alla maggiore incidenza di patologie tumorali con particolare riferimento ai tumori rari.

(1-01073)

(Testo modificato nel corso della seduta come risultante dalla votazione per parti separate) «[Baroni](#), [Silvia Giordano](#), [Colonnese](#), [Di Vita](#), [Grillo](#), [Lorefice](#), [Mantero](#), [Zolezzi](#), [D'Incà](#)».

La Camera,
premessi che:

i tumori rari sono neoplasie che si sviluppano in un numero ristretto di persone, perciò talvolta vengono impropriamente associati alle malattie rare. Unica differenza con tutti i tumori è la scarsa diffusione, anche se superano il 20 per cento del totale. Nonostante non sia semplice riscontrare una definizione univoca, viene utilizzata la prevalenza, che la Rete tumori rari indica come soglia di incidenza – numero di nuovi casi in un anno – in 6 casi su 100.000 persone. Il numero totale delle persone affette da tumore raro è molto elevato perché sono circa 200 i tumori rari. In Italia, si stimano in circa 60.000 le nuove diagnosi di tumore, ogni anno;

la rarità incide sulla difficoltà di effettuare la diagnosi perché non sempre si incrocia il medico veramente esperto nella scelta e nella gestione della terapia, atteso che non è facile condurre studi clinici su numeri di pazienti contenuti: ciò impone una particolare attenzione nella programmazione di azioni efficaci per consentire a tutte le persone malate di accedere alle cure appropriate;

in occasione della conclusione di una indagine conoscitiva condotta nella XII Commissione (Affari sociali) della Camera dei deputati sulle malattie rare, nel luglio scorso, è stato affermato: «per quanto concerne specificatamente la rete dei tumori rari, essa funziona dal 1997 come collaborazione permanente tra centri oncologici distribuiti sul territorio nazionale. Nel 2012 la linea progettuale n. 4 degli obiettivi del Piano sanitario nazionale intendeva istituzionalizzare la Rete come risorsa permanente. Gli obiettivi di Piano del 2013 hanno ribadito il progetto dell'anno precedente, prevedendo un finanziamento globale di euro 55.000.000 per la Rete tumori rari e Rete malattie rare». Dal 2014, nel riparto del fondo sanitario è venuto meno lo stanziamento dedicato e vincolato, con il rischio di indebolire la Rete che faticosamente era stata creata, anche alla luce di quanto prevede il Piano nazionale sulle malattie rare 2013-2016 che, al punto 2.2, afferma: «Al momento i tumori rari sono in gran parte esclusi dall'elenco delle malattie rare, allegato al decreto ministeriale n. 279 del 2001, tuttavia è necessario rivalutare tale situazione anche alla luce dei risultati delle sperimentazioni in corso, al fine di integrare modelli organizzativi e processi assistenziali tra le reti esistenti in analogia a quanto avviene negli altri paesi europei»;

in verità, l'Italia partecipa a progetti europei significativi, come ricorda – Associazione italiana registri tumori (AIRTUM) – indicando nel progetto RITA (sorveglianza sui tumori rari) una linea di ricerca importante per conoscere l'impatto dei tumori rari in Italia. I registri tumori sono uno strumento importante per conoscere la frequenza e la sopravvivenza della patologia tumorale, tuttavia per i tumori rari la qualità della informazione non è mai stata studiata sistematicamente. Il progetto ha avuto lo scopo di migliorare la raccolta delle informazioni ed è stato integrato con il progetto europeo *Rarecare*. Il progetto, concluso nel 2010, ha prolungato e approfondito la ricerca con il progetto RITA 2 che consente di affermare che sono circa 200 i tumori rari e superano il 20 per cento dei nuovi casi di tumore maligno in Italia;

si è inoltre alle porte di un nuovo importante appuntamento europeo: nel 2016 nasceranno le Reti di riferimento europee – *European Reference Network* (ERN) – che saranno le sedi ove si forniranno input per la formulazione delle linee guida, nonché dei criteri per l'accreditamento per la ricerca, la prevenzione e la cura delle malattie rare;

è interesse dei pazienti e del nostro Sistema sanitario fare in modo che ci siano centri italiani in grado di ottenere il riconoscimento di idoneità per l'ammissione nelle Reti di riferimento europee. Si potranno così far circolare le informazioni e le competenze evitando le migrazioni ai pazienti;

le regioni hanno presentato il 20 ottobre 2015, una proposta operativa al Ministero della salute che individua i criteri per selezionare i presidi e le modalità per costituire i

Consorti, quali soggetti giuridici che parteciperanno nelle Reti di riferimento europee: è un impegno che si ritiene strategico per l'intera rete dei servizi impegnati nella oncologia italiana e nelle malattie rare;

infine occorre ricordare che l'intergruppo parlamentare sulle malattie rare ha recentemente prodotto un documento che sottopone al Ministro della salute alcune linee prioritarie di azione che sono largamente condivise anche dalle società scientifiche e dalle associazioni di volontariato,

impegna il Governo:

ad assicurare la partecipazione italiana al massimo livello alle Reti di riferimento europee (ERN);

ad assicurare la revisione dei registri tumori affinché siano evidenziate le informazioni sui tumori rari;

ad assicurare la continuità alla Rete tumori rari coinvolgendo le associazioni di malati e di volontari che operano nel settore;

ad inserire negli obiettivi di Piano il finanziamento degli interventi per i tumori rari;

a dare attuazione alle conclusioni cui è pervenuto il gruppo di lavoro istituito dal Ministero della salute il 14 febbraio 2013 consegnate nel maggio 2015, ed in particolare a potenziare la ricerca e facilitare l'accesso ai farmaci.

(1-01074) «[Miotto](#), [Lenzi](#), [Amato](#), [Burtone](#), [Grassi](#), [Casati](#), [Piazzoni](#), [Capone](#), [Paola Boldrini](#), [Bini](#), [D'Incecco](#), [Vico](#), [Carnevali](#), [Antezza](#)».

La Camera,

premesso che:

le patologie cosiddette «rare» rappresentano una vera e propria frontiera di civiltà nell'erogazione di prestazioni di assistenza di qualità perché impegnano il sistema sanitario a garantire un appropriato affiancamento di pazienti spesso «difficili», sia nel primo, corretto inquadramento diagnostico che nel successivo trattamento terapeutico;

le patologie rare rappresentano anche una sfida di sostenibilità economica per il nostro sistema di *welfare* in quanto richiedono specificità di approccio, spesso tarata su pochi casi o, addirittura, sul singolo caso;

l'aggiornamento dell'elenco delle malattie rare è uno degli «*step*» più attesi ed impegnativi delle azioni di innovazione in programma presso il Ministero della salute;

le patologie rare rappresentano altresì una sfida per la verifica delle capacità di integrazione dei sistemi sanitari regionali italiani, in quanto spingono verso la strutturazione di sistemi di risposta ramificati e a rete, che abbiano punti di riferimento che vanno ben oltre i tradizionali bacini di utenza regionali;

le patologie rare rappresentano inoltre una scommessa che può aiutare a disegnare i primi passi di un sistema di *welfare* sanitario di dimensione europea. Le più recenti direttive dell'Unione europea sulla mobilità sanitaria transfrontaliera e sulla libera circolazione del paziente in ambito europeo accelerano infatti l'esigenza di un nuovo confronto tra le diverse filosofie di risposta sanitaria dei Paesi dell'Unione europea e suggeriscono forme di collaborazione immediata che consentano la concertazione di una risposta sanitaria europea adeguata, per patologie che hanno numeri e frequenze che rendono assai difficile la strutturazione di centri di eccellenza di dimensione nazionale;

nell'ambito delle patologie rare sono ricompresi anche i «tumori rari», che in Italia sono trattati nell'ambito delle reti oncologiche e sono pertanto esclusi dall'elencazione classica delle «malattie rare»;

la XII Commissione (Affari sociali) della Camera dei deputati, nei mesi precedenti all'estate 2015, ha svolto un'indagine conoscitiva sulle malattie rare, compendiata da un'ampia fase di audizioni, nel corso della quale sono stati sentiti anche i referenti delle associazioni di riferimento per i tumori rari;

la stessa XII Commissione (Affari sociali) della Camera dei deputati ha successivamente approvato una risoluzione finalizzata a ottenere il massimo impegno del Governo per il decollo delle attività dei *network* europei di riferimento per le malattie rare (ERN);

lo stesso impegno appare necessario per l'attivazione delle reti europee di riferimento per i tumori rari;

analogamente alle «malattie rare», anche i «tumori rari» sono spesso effettivamente «rari» se conteggiati singolarmente, ma non lo sono affatto nel loro complesso, al punto di rappresentare di fatto circa il 23 per cento delle complessive nuove diagnosi di tumore in Italia, con circa 86.000 nuovi casi l'anno;

le forme di tumore raro sono oggi oltre 200, compendiate in dodici famiglie: dieci famiglie di tumori solidi dell'adulto a cui si aggiungono la famiglia dei tumori rari pediatrici e quella dei tumori rari ematologici;

circa 600.000 italiani convivono oggi con un «tumore raro»;

oggi in Italia, a fronte di tale massiccia presenza di patologie oncologiche «rare», sono purtroppo attive soltanto le due reti di riferimento dell'AIEOP (ematologie e oncologia pediatrica) e del GINEMA (ematologia dell'adulto). È invece ancora atteso il definitivo decollo delle attività della Rete dei tumori rari (RTR) che fin qui si è occupata molto di sarcomi, ma sta progressivamente allargando il suo interesse a tutte le 10 famiglie dei tumori rari solidi dell'adulto, che costituiscono circa il 15 per cento dei nuovi casi di tumore. La Rete dei tumori rari, che pure era stata considerata un obiettivo prioritario dell'intesa Stato - regioni, non ha ancora avuto la definitiva istituzionalizzazione ed opera pertanto in regime non ufficiale, con significativi limiti organizzativi, di risorse e di autorevolezza;

la nascita e la crescita delle reti, oltre che rappresentare un solido punto di riferimento per le esigenze del paziente, costituisce anche uno stimolo alla relazione e alla ricerca clinica tra «centri di riferimento» che possono mettere in comune esperienze e *best practice*, collaborando tra loro, scambiandosi *know how* e conoscenze, correlando le esperienze di ricerca e contribuendo alla formazione delle risorse umane dedicate;

il ritardo nella strutturazione delle reti e nel loro potenziamento si traduce in una riduzione di qualità della risposta alle esigenze del paziente che, spesso, non trova i punti di riferimento indispensabili per un approccio più sereno alla gestione della propria patologia;

il ritardo nella strutturazione delle reti si accompagna al deficit nell'individuazione dei centri di riferimento e nella valutazione dell'appropriatezza delle cure erogate dalle singole strutture, con complessiva perdita di qualità della risposta al singolo paziente, che spesso ha difficoltà persino ad individuare la struttura del servizio sanitario nazionale più idonea a fornire risposte diagnostiche e terapeutiche di qualità al proprio problema oncologico;

tale situazione di ritardo organizzativo è stata più volte segnalata dalle organizzazioni che tutelano l'interesse dei pazienti oncologici al punto che la Federazione italiana delle associazioni di volontariato in oncologia (Favo), il 30 ottobre 2015, ha organizzato un momento di incontro con l'intergruppo parlamentare che segue le malattie rare, finalizzato a sensibilizzare le istituzioni parlamentari alla necessità di accelerare i provvedimenti indispensabili per modificare la capacità di risposta del nostro servizio sanitario nazionale all'emergenti esigenze dei malati affetti da tumore raro;

in tale circostanza, la stessa Federazione italiana delle associazioni di volontariato in oncologia ha ancora una volta sottolineato la difficoltà nella reperibilità e nell'utilizzo dei

farmaci oncologici ad alto costo (Fac), conseguente al diverso regime autorizzativo reso possibile dalla disomogeneità della normativa in materia di disponibilità dei farmaci nelle differenti regioni italiane;

in tale occasione, la stessa Federazione italiana delle associazioni di volontariato in oncologia ha ancora denunciato con forza la necessità di dirimere quanto prima le difficoltà applicative del decreto ministeriale dell'8 maggio 2003, che disciplina l'uso terapeutico dei medicinali sottoposti a sperimentazione clinica, rendendo possibile il cosiddetto «uso compassionevole» dei farmaci spesso indispensabili a dare nuova speranza ai pazienti affetti da tumore raro;

le difficoltà interpretative delle norme nazionali e le differenze di erogazione di prestazioni e presidi nelle diverse regioni italiane rendono ancora più urgente ed indispensabile la creazione di centri di riferimento per i tumori rari e delle reti di relazioni nazionali ed internazionali, finalizzate alla qualità e omogeneità delle prestazioni erogate, che garantiscano nella sostanza i principi di equità e universalità che stanno alla base della legge n. 833 del 1978, che ha fatto nascere il nostro sistema sanitario nazionale,

impegna il Governo:

ad inserire le iniziative di tutela dei malati oncologici rari negli obiettivi prioritari dell'attività del Ministero della salute:

a) stabilendo tempi e metodologia per l'individuazione e l'accreditamento dei centri nazionali di riferimento per i tumori oncologici rari;

b) potenziando le reti dei tumori rari già esistenti (AIEOP e GIMEMA) e istituzionalizzando e dotando di risorse adeguate la Rete dei tumori rari, già operativa di fatto dal 1997;

c) potenziando l'infrastrutturazione informatica e l'aggiornamento delle risorse umane che consenta ai centri di riferimento di ottimizzare le proprie capacità di comunicazione attraverso la tecnologia, contribuendo a «spostare le informazioni e le conoscenze» senza «spostare il paziente»;

d) promuovendo l'integrazione delle Reti dei tumori rari nazionali con analoghe iniziative europee, orientate all'organizzazione di veri e propri *network* (ERN) in grado di orientare e accompagnare i pazienti verso le eccellenze certificate di livello europeo;

e) ponendo in carico all'Agenas (Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali) il ruolo di promozione e di coordinamento di tali attività di rete e quello di contatto con le società scientifiche e le associazioni di tutela dei diritti dei pazienti;

f) attivando rapporti di collaborazione e di confronto con il mondo scientifico e l'industria del farmaco per potenziare la capacità di ricerca sia in ambito epidemiologico, che clinico favorendo tutte le attività di sperimentazione finalizzate al progresso delle conoscenze specifiche e di nuove opportunità terapeutiche, in particolare per le patologie con numeri più bassi, meno attrattive di capitali per la ricerca;

g) promuovendo, in collaborazione con l'Agenas, con i registri tumori e con le associazioni dei pazienti, le specifiche attività di sanità pubbliche rivolte alla identificazione della migliore organizzazione dei servizi e dei modelli di presa in carico dei pazienti a livello individuale e familiare;

h) favorendo la crescita qualitativa e l'omogeneizzazione dei trattamenti dei pazienti affetti da tumori rari su tutto il territorio nazionale, anche intervenendo sulle politiche del farmaco oncologico ad alto costo (FAC) per facilitare l'accesso all'innovazione in modo uniforme, in tutte le regioni italiane;

i) disponendo il puntuale aggiornamento del decreto ministeriale dell'8 luglio 2003, per garantirne l'efficacia e per dirimere ogni dubbio di interpretazione normativa che possa rendere difficoltoso l'accesso dei pazienti alla sperimentazione farmacologica di tipo

«compassionevole»;

l) garantendo la piena collaborazione con le associazioni di tutela dei malati oncologici, finalizzata alla conoscenza e al superamento con adeguati interventi organizzativi, interpretativi e normativi delle difficoltà incontrate dai pazienti affetti da tali gravi patologie.

(1-01075) «[Vargiu](#), [Monchiero](#), [Vecchio](#), [Catania](#), [Matarrese](#), [Dambrosio](#), [Capua](#), [Librandi](#), [Galgano](#), [Vezzali](#), [Mazziotti Di Celso](#), [Rabino](#), [D'Agostino](#), [Sottanelli](#), [Oliaro](#), [Pinna](#)».

La Camera,
premessi che:

i tumori rari sono neoplasie che si possono sviluppare in un numero ristretto di persone, con il rischio che talvolta vengano impropriamente associati alle malattie rare. Rispetto agli altri tumori, l'unica differenza delle patologie tumorali rare è la loro scarsa diffusione; non è semplice individuare una definizione univoca, ma generalmente, viene presa a riferimento la soglia di incidenza utilizzata dalla Rete dei tumori rari in 6 casi su 100.000 persone;

i ricercatori del progetto *Rarecare (Surveillance of rare cancers in Europe)* che è uno dei due progetti coordinati dall'Italia, ne hanno individuati oltre 250. I tumori rari rappresentano, purtroppo, oltre il 20 per cento di tutti i tumori diagnosticati ogni anno nell'Unione Europea (il 23 per cento dei nuovi casi di tumore maligno diagnosticati) e riguardano, in questo territorio, più di 4 milioni di persone. Si tratta di oltre 500 mila nuove diagnosi ogni anno in Europa e almeno 10 mila in Italia (dati Associazione italiana dei registri tumori – AIRTUM);

fanno parte dei tumori rari tutta la famiglia dei tumori pediatrici, molti della famiglia dei tumori ematologici e alcuni tumori solidi dell'adulto. Il fatto che si parli di un tumore raro non significa che sia incurabile o che le possibilità di guarigione siano più limitate rispetto a quelle di un tumore più comune: alcune neoplasie rare hanno infatti percentuali di guarigione o di controllo della malattia superiori a tumori molto più diffusi;

sicuramente, la rarità di queste malattie crea una serie di problemi come, per esempio, la difficoltà di effettuare la diagnosi o di incontrare medici veramente esperti nella scelta e nella gestione della terapia e l'incertezza di medici e ricercatori sulle strategie di cura, legata soprattutto alla mancanza di studi clinici su numeri elevati di pazienti;

la diagnosi è un momento cruciale nel percorso di una persona che si confronta con il cancro: una diagnosi precoce e precisa permette, infatti, in molti casi, di affrontare la malattia con gli strumenti più adatti a sconfiggerla o a tenerla sotto controllo. Nel caso dei tumori rari, però, la diagnosi arriva spesso in ritardo, dopo che il paziente si è sottoposto a diverse visite o esami clinici. La ragione principale di questo ritardo è la difficoltà che incontrano i medici a riconoscere una patologia rara;

in occasione della conclusione di un'indagine conoscitiva condotta nella XII Commissione (Affari sociali) della Camera dei deputati sulle malattie rare, nel luglio 2015, è stato affermato: «per quanto concerne specificatamente la rete dei tumori rari, essa funziona dal 1997 come collaborazione permanente tra centri oncologici distribuiti sul territorio nazionale. Nel 2012 la linea progettuale n. 4 degli obiettivi del piano sanitario nazionale intendeva istituzionalizzare la Rete come risorsa permanente. Gli obiettivi di piano del 2013 hanno ribadito il progetto dell'anno precedente, prevedendo un finanziamento globale di euro 55.000.000 per la Rete dei tumori rari e Rete delle malattie rare». Dal 2014 nel riparto del fondo sanitario è venuto meno lo stanziamento dedicato e vincolato con il rischio di indebolire la Rete che faticosamente era stata creata, anche alla luce di quanto prevede il piano nazionale sulle malattie rare 2013-2016 che al punto 2.2

afferma: «Al momento i tumori rari sono in gran parte esclusi dall'elenco delle malattie rare, allegato al decreto ministeriale n. 279 del 2001, tuttavia è necessario rivalutare tale situazione anche alla luce dei risultati delle sperimentazioni in corso, al fine di integrare modelli organizzativi e processi assistenziali tra le reti esistenti in analogia a quanto avviene negli altri Paesi europei»;

la Rete nazionale delle malattie rare, che è stata istituita in Italia nel 2001, prevedeva già da allora il Registro nazionale delle malattie rare (Rnmr) e regolamentava l'esenzione da una serie di costi, per le patologie inserite in una determinata lista, stabilita dal decreto ministeriale n. 279 del 2001. La lista da allora non è stata più aggiornata. Dopo l'istituzione della Rete nazionale hanno fatto seguito due importanti accordi Stato-regioni, dopo i quali si è purtroppo assistito ad un progressivo rallentamento delle iniziative in favore dei malati considerati rari;

la Rete dei tumori rari è una collaborazione permanente tra centri oncologici su tutto il territorio nazionale, finalizzata al miglioramento dell'assistenza ai pazienti con tumori rari, attraverso la condivisione a distanza di casi clinici, l'assimilazione della diagnosi e del trattamento secondo criteri comuni, il razionale accesso dei pazienti alle risorse di diagnosi e cura. Attualmente, la Rete considera «rare» le neoplasie con incidenza annuale inferiore o uguale a 6/100.000. Questa è peraltro una definizione conservativa, rispetto, in particolare, a quella in uso per le malattie rare in genere (basata sulla prevalenza, intesa come inferiore a 50/100.000). Ciò che è importante, nella sostanza, è che i tumori rari sono molti, e dunque i casi, ancorché pochi per ogni tumore, sono numerosi globalmente;

il problema dei tumori rari è socialmente rilevante, paradossalmente proprio in termini quantitativi, oltre naturalmente a costituire una priorità per motivi etici. Sotto il profilo etico, infatti, non è giusto che i pazienti con tumore raro abbiano a soffrire discriminazioni dovute alla bassa incidenza della loro malattia, come invece può accadere. I tumori rari, come le malattie rare in genere, comportano difficoltà particolari. Le competenze cliniche sui tumori rari non sono reperibili con facilità dalla persona malata, in quanto i centri che ne dispongono sono pochi e dispersi geograficamente. Inoltre, il trattamento dei tumori rari richiede spesso approcci multidisciplinari, e dunque la dispersione geografica delle competenze risulta ancora più frequente. Di fatto, i tumori rari sottendono un elevato grado di migrazione sanitaria, all'interno e verso l'esterno del Paese;

in questo senso, i costi sociali dei tumori rari sono impressionanti, se appunto si considera la migrazione sanitaria. La migrazione sanitaria all'interno del Paese, talora verso l'esterno, è notoriamente un problema maggiore dell'ambito oncologico italiano, ma naturalmente essa diventa ancora più importante se si considerano i tumori rari;

la Rete dei tumori rari è dunque una collaborazione permanente tra strutture sanitarie con lo scopo di migliorare la qualità di cura ai pazienti con «tumore raro»;

per migliorare la qualità di cura nell'ambito dei tumori rari sono obiettivi primari della Rete:

a) assimilare la diagnosi e il trattamento nei centri partecipanti secondo criteri comuni (si definisce «logico di rete» il paziente il cui caso viene affrontato nell'ambito della Rete secondo criteri condivisi);

b) realizzare la condivisione a distanza di casi clinici fra i centri partecipanti (si definisce «virtuale di rete» il paziente il cui caso sia condiviso a distanza nell'ambito della Rete);

c) promuovere un razionale accesso alle risorse di diagnosi e cura, limitando se e quanto possibile la migrazione del paziente;

d) contribuire alla ricerca clinica sui tumori rari;

e) contribuire alla diffusione della conoscenza sui tumori rari;

f) fungere da modello metodologico e tecnologico per la collaborazione in rete geografica nell'ambito oncologico e delle malattie rare;

nelle scorse settimane è stata incardinata, presso la XII Commissione (Affari sociali) della Camera dei deputati, una proposta di legge per promuovere l'«Istituzione e la disciplina del Registro nazionale e dei registri regionali dei tumori». In Italia, i registri dei tumori sono nati su base volontaristica per iniziative spontanee di singoli clinici, epidemiologi, patologi o operatori della sanità pubblica che hanno inizialmente portato alla costituzione di nuclei di sorveglianza di dimensioni medio-piccole;

l'attività dei registri dei tumori ha già dimostrato in maniera diffusa l'utilità di un sistema di sorveglianza delle patologie oncologiche. Infatti, i registri dei tumori raccolgono, valutano, organizzano e archiviano in modo continuativo e sistematico le informazioni più importanti su tutti i casi di tumore e le relative variazioni territoriali e temporali attraverso misure di incidenza, sopravvivenza per i diversi casi e mortalità, fornendo così un indicatore fondamentale della qualità dei servizi diagnostici e terapeutici nei diversi territori. I registri dei tumori sono strumenti fondamentali per l'organizzazione e la valutazione dell'efficacia degli interventi anche di prevenzione in aree o per popolazione ad alto rischio,

impegna il Governo:

a definire in maniera univoca quali siano i tumori che devono essere riconosciuti come rari, predisponendo conseguentemente, un prospetto aggiornato di tali patologie, nell'ambito dell'elenco delle malattie rare;

ad individuare i centri di eccellenza per la prevenzione, la diagnosi e la terapia dei tumori rari, con particolare riferimento alla loro presenza capillare sul territorio nazionale;

a promuovere l'inserimento delle patologie tumorali rare tra le 21 ERN (*European Reference Network*), che accedono ai fondi comunitari per le malattie rare e che la Commissione europea dovrà costituire nel 2016;

a dare continuità alla Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi, cura e terapia delle malattie rare, inserendo in questo ambito anche i tumori rari, anche dando seguito agli accordi Stato-regioni, dopo i quali si era verificato un rallentamento delle iniziative a favore dei malati di tumore raro.

(1-01076) «[Nizzi](#), [Occhiuto](#)».

La Camera,
premessi che:

i tumori rari sono neoplasie che si possono sviluppare in un numero ristretto di persone, con il rischio che talvolta vengano impropriamente associati alle malattie rare. Rispetto agli altri tumori, l'unica differenza delle patologie tumorali rare è la loro scarsa diffusione; non è semplice individuare una definizione univoca, ma generalmente, viene presa a riferimento la soglia di incidenza utilizzata dalla Rete dei tumori rari in 6 casi su 100.000 persone;

i ricercatori del progetto *Rarecare (Surveillance of rare cancers in Europe)* che è uno dei due progetti coordinati dall'Italia, ne hanno individuati oltre 250. I tumori rari rappresentano, purtroppo, oltre il 20 per cento di tutti i tumori diagnosticati ogni anno nell'Unione Europea (il 23 per cento dei nuovi casi di tumore maligno diagnosticati) e riguardano, in questo territorio, più di 4 milioni di persone. Si tratta di oltre 500 mila nuove diagnosi ogni anno in Europa e almeno 10 mila in Italia (dati Associazione italiana dei registri tumori – AIRTUM);

fanno parte dei tumori rari tutta la famiglia dei tumori pediatrici, molti della famiglia dei tumori ematologici e alcuni tumori solidi dell'adulto. Il fatto che si parli di un tumore raro non significa che sia incurabile o che le possibilità di guarigione siano più limitate rispetto a quelle di un tumore più comune: alcune neoplasie rare hanno infatti percentuali di guarigione o di controllo della malattia superiori a tumori molto più diffusi;

sicuramente, la rarità di queste malattie crea una serie di problemi come, per esempio, la difficoltà di effettuare la diagnosi o di incontrare medici veramente esperti nella scelta e nella gestione della terapia e l'incertezza di medici e ricercatori sulle strategie di cura, legata soprattutto alla mancanza di studi clinici su numeri elevati di pazienti;

la diagnosi è un momento cruciale nel percorso di una persona che si confronta con il cancro: una diagnosi precoce e precisa permette, infatti, in molti casi, di affrontare la malattia con gli strumenti più adatti a sconfiggerla o a tenerla sotto controllo. Nel caso dei tumori rari, però, la diagnosi arriva spesso in ritardo, dopo che il paziente si è sottoposto a diverse visite o esami clinici. La ragione principale di questo ritardo è la difficoltà che incontrano i medici a riconoscere una patologia rara;

in occasione della conclusione di un'indagine conoscitiva condotta nella XII Commissione (Affari sociali) della Camera dei deputati sulle malattie rare, nel luglio 2015, è stato affermato: «per quanto concerne specificatamente la rete dei tumori rari, essa funziona dal 1997 come collaborazione permanente tra centri oncologici distribuiti sul territorio nazionale. Nel 2012 la linea progettuale n. 4 degli obiettivi del piano sanitario nazionale intendeva istituzionalizzare la Rete come risorsa permanente. Gli obiettivi di piano del 2013 hanno ribadito il progetto dell'anno precedente, prevedendo un finanziamento globale di euro 55.000.000 per la Rete dei tumori rari e Rete delle malattie rare». Dal 2014 nel riparto del fondo sanitario è venuto meno lo stanziamento dedicato e vincolato con il rischio di indebolire la Rete che faticosamente era stata creata, anche alla luce di quanto prevede il piano nazionale sulle malattie rare 2013-2016 che al punto 2.2 afferma: «Al momento i tumori rari sono in gran parte esclusi dall'elenco delle malattie rare, allegato al decreto ministeriale n. 279 del 2001, tuttavia è necessario rivalutare tale situazione anche alla luce dei risultati delle sperimentazioni in corso, al fine di integrare modelli organizzativi e processi assistenziali tra le reti esistenti in analogia a quanto avviene negli altri Paesi europei»;

la Rete nazionale delle malattie rare, che è stata istituita in Italia nel 2001, prevedeva già da allora il Registro nazionale delle malattie rare (Rnmr) e regolamentava l'esenzione da una serie di costi, per le patologie inserite in una determinata lista, stabilita dal decreto ministeriale n. 279 del 2001. La lista da allora non è stata più aggiornata. Dopo l'istituzione della Rete nazionale hanno fatto seguito due importanti accordi Stato-regioni, dopo i quali si è purtroppo assistito ad un progressivo rallentamento delle iniziative in favore dei malati considerati rari;

la Rete dei tumori rari è una collaborazione permanente tra centri oncologici su tutto il territorio nazionale, finalizzata al miglioramento dell'assistenza ai pazienti con tumori rari, attraverso la condivisione a distanza di casi clinici, l'assimilazione della diagnosi e del trattamento secondo criteri comuni, il razionale accesso dei pazienti alle risorse di diagnosi e cura. Attualmente, la Rete considera «rare» le neoplasie con incidenza annuale inferiore o uguale a 6/100.000. Questa è peraltro una definizione conservativa, rispetto, in particolare, a quella in uso per le malattie rare in genere (basata sulla prevalenza, intesa come inferiore a 50/100.000). Ciò che è importante, nella sostanza, è che i tumori rari sono molti, e dunque i casi, ancorché pochi per ogni tumore, sono numerosi globalmente;

il problema dei tumori rari è socialmente rilevante, paradossalmente proprio in termini quantitativi, oltre naturalmente a costituire una priorità per motivi etici. Sotto il profilo etico, infatti, non è giusto che i pazienti con tumore raro abbiano a soffrire

discriminazioni dovute alla bassa incidenza della loro malattia, come invece può accadere. I tumori rari, come le malattie rare in genere, comportano difficoltà particolari. Le competenze cliniche sui tumori rari non sono reperibili con facilità dalla persona malata, in quanto i centri che ne dispongono sono pochi e dispersi geograficamente. Inoltre, il trattamento dei tumori rari richiede spesso approcci multidisciplinari, e dunque la dispersione geografica delle competenze risulta ancora più frequente. Di fatto, i tumori rari sottendono un elevato grado di migrazione sanitaria, all'interno e verso l'esterno del Paese;

in questo senso, i costi sociali dei tumori rari sono impressionanti, se appunto si considera la migrazione sanitaria. La migrazione sanitaria all'interno del Paese, talora verso l'esterno, è notoriamente un problema maggiore dell'ambito oncologico italiano, ma naturalmente essa diventa ancora più importante se si considerano i tumori rari;

la Rete dei tumori rari è dunque una collaborazione permanente tra strutture sanitarie con lo scopo di migliorare la qualità di cura ai pazienti con «tumore raro»;

per migliorare la qualità di cura nell'ambito dei tumori rari sono obiettivi primari della Rete:

a) assimilare la diagnosi e il trattamento nei centri partecipanti secondo criteri comuni (si definisce «logico di rete» il paziente il cui caso viene affrontato nell'ambito della Rete secondo criteri condivisi);

b) realizzare la condivisione a distanza di casi clinici fra i centri partecipanti (si definisce «virtuale di rete» il paziente il cui caso sia condiviso a distanza nell'ambito della Rete);

c) promuovere un razionale accesso alle risorse di diagnosi e cura, limitando se e quanto possibile la migrazione del paziente;

d) contribuire alla ricerca clinica sui tumori rari;

e) contribuire alla diffusione della conoscenza sui tumori rari;

f) fungere da modello metodologico e tecnologico per la collaborazione in rete geografica nell'ambito oncologico e delle malattie rare;

nelle scorse settimane è stata incardinata, presso la XII Commissione (Affari sociali) della Camera dei deputati, una proposta di legge per promuovere l'«Istituzione e la disciplina del Registro nazionale e dei registri regionali dei tumori». In Italia, i registri dei tumori sono nati su base volontaristica per iniziative spontanee di singoli clinici, epidemiologi, patologi o operatori della sanità pubblica che hanno inizialmente portato alla costituzione di nuclei di sorveglianza di dimensioni medio-piccole;

l'attività dei registri dei tumori ha già dimostrato in maniera diffusa l'utilità di un sistema di sorveglianza delle patologie oncologiche. Infatti, i registri dei tumori raccolgono, valutano, organizzano e archiviano in modo continuativo e sistematico le informazioni più importanti su tutti i casi di tumore e le relative variazioni territoriali e temporali attraverso misure di incidenza, sopravvivenza per i diversi casi e mortalità, fornendo così un indicatore fondamentale della qualità dei servizi diagnostici e terapeutici nei diversi territori. I registri dei tumori sono strumenti fondamentali per l'organizzazione e la valutazione dell'efficacia degli interventi anche di prevenzione in aree o per popolazione ad alto rischio,

impegna il Governo:

a definire in maniera univoca quali siano i tumori che devono essere riconosciuti come rari, predisponendo conseguentemente, un prospetto aggiornato di tali patologie, nell'ambito dell'elenco delle malattie rare;

ad individuare i centri di eccellenza per la prevenzione, la diagnosi e la terapia dei tumori rari, con particolare riferimento alla loro presenza capillare sul territorio nazionale;

a promuovere l'inserimento delle patologie tumorali rare tra le 21 ERN (*European Reference Network*), che accedono ai fondi comunitari per le malattie rare e che la Commissione europea dovrà costituire nel 2016.
(1-01076) (*Testo modificato nel corso della seduta*) «[Nizzi](#), [Occhiuto](#)».

La Camera,
premessi che:

le malattie rare, secondo una definizione adottata in ambito comunitario, hanno una prevalenza nella popolazione inferiore a 5 casi ogni 10.000 abitanti. Si tratta di patologie eterogenee, che necessitano di essere affrontate globalmente e che richiedono una particolare e specifica tutela, per le difficoltà diagnostiche, la gravità clinica, il decorso cronico, gli esiti invalidanti e l'onerosità del trattamento;

si tratta di patologie potenzialmente letali o croniche, in gran parte di origine genetica, che comprendono anche rare forme tumorali, malattie autoimmuni, malformazioni congenite o derivate dall'esposizione ambientale durante la gravidanza, patologie di origine infettiva o tossica. Tali malattie, oltre ad essere numerose sono anche molto eterogenee fra di loro, e richiedono un approccio articolato e complesso, basato su interventi specifici e combinati, finalizzati a prevenire un'elevata morbilità e migliorare la qualità di vita delle persone colpite;

uno dei principali problemi è quello della difficoltà nella diagnosi. Detto ritardo dipende da vari fattori, tra cui la mancanza di conoscenze adeguate da parte dei medici spesso collegata alla estrema rarità della malattia, la presenza di segni clinici individualmente non diagnostici, l'assenza o la limitata disponibilità di test diagnostici, la frammentazione degli interventi, l'inadeguatezza dei sistemi sanitari. Ne consegue che molti malati rari non riescono ad ottenere un inquadramento della loro patologia nel corso di tutta la loro vita, laddove sarebbe invece necessario rendere accessibili le terapie nella fase in cui il paziente è ancora in fase cronica, ed evitare così il passaggio alla fase più avanzata della malattia;

secondo le stime in Italia ci sarebbero dai 450.000 ai 600.000 malati rari, di cui solo 300.000 nelle forme comprese nell'elenco allegato al decreto ministeriale n. 279 del 2001;

all'interno dell'elenco delle malattie rare, già previsto dal suddetto decreto ministeriale n. 279 del 2001, sono però esclusi la gran parte dei tumori rari;

sebbene, il Piano oncologico nazionale 2010-2012 preveda uno specifico paragrafo alle problematiche dei tumori rari, indicando come priorità la loro inclusione nell'elenco delle malattie rare, diversamente dal resto d'Europa, solo alcuni tumori rari possono beneficiare nel nostro Paese delle misure previste per agevolare le condizioni dei pazienti. Solo quei tumori rari attualmente tutelati dal decreto ministeriale n. 279 del 2001, sono esenti dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie;

come ricorda l'Osservatorio malattie rare, i tumori rari vengono definiti tali in quanto colpiscono un numero molto ristretto di persone. I ricercatori del progetto *Rarecare* (*Surveillance of rare cancers in Europe*) ne hanno individuati oltre 250. Nell'ambito dell'Unione europea, i Tumori Rari rappresentano oltre il 20 per cento di tutti i tumori diagnosticati ogni anno e riguardano più di 4 milioni di persone;

integrato con il suddetto progetto europeo «*Surveillance of rare cancers in Europe*», al fine di conoscere l'impatto dei tumori rari nella popolazione italiana, si segnala lo studio RITA («*Surveillance of rare cancers in Italy*»). I registri tumori di popolazione sono un ottimo strumento per conoscere la frequenza e la sopravvivenza della patologia tumorale, tuttavia per i tumori rari la qualità dell'informazione non è mai stata studiata

sistematicamente. Scopo del progetto RITA, è di fornire indicatori di frequenza, migliorare la raccolta delle informazioni da parte dei registri tumori, identificare strategie per la divulgazione dei risultati del progetto;

il progetto RITA si è concluso nel 2010, ma il lavoro sui tumori rari è continuato con il nuovo progetto *Rare Cancers in Italy: surveillance and evaluation of the access to diagnosis and treatment* (cosiddetto RITA2);

nel 2014, la lista dei tumori rari è stata rivista, ed ha portato alla definizione di nuovi tumori rari che, in totale, sono ora 194;

attualmente, la Rete dei tumori rari, una collaborazione permanente tra circa 200 centri oncologici italiani per migliorare l'assistenza e la cura ai pazienti con «tumore raro», utilizza la soglia di incidenza (numero di nuovi casi in un anno) inferiore o uguale a 5 casi su 100 mila;

la Rete, mai istituzionalizzata, era inserita negli obiettivi di carattere prioritario dalla Conferenza Stato-regioni nei due anni scorsi, ma non più a partire da quest'anno. È quindi urgente che venga attivato un nuovo progetto, che conduca definitivamente la Rete dei tumori rari a costituire una risorsa permanente del Servizio sanitario nazionale. Lo sviluppo di «reti» dedicate che facilitino la condivisione delle esperienze cliniche può garantire che l'*expertise* richiesto possa raggiungere un elevato numero di pazienti. Anche sotto questo aspetto, le reti sono fondamentali;

la Rete considera «rare» le neoplasie con incidenza annuale inferiore o uguale a 6/100.000. Il numero dei casi di tumore raro è elevato, e dunque i casi, anche se pochi per ogni tumore, sono complessivamente numerosi. I casi di tumore raro possono giungere a un quinto dei casi totali di neoplasia maligna. Dunque paradossalmente, seppur si parla di tumori rari, il problema di questo tipo di patologie è socialmente rilevante proprio in termini quantitativi;

al pari delle malattie rare, anche i tumori rari comportano evidenti problematicità: i centri che dispongono di competenze cliniche sono pochi, non facilmente individuabili, e mal distribuiti sul territorio, e questo comporta evidenti difficoltà per i malati; il trattamento dei tumori rari richiede molto spesso degli approcci multidisciplinari e la distribuzione non omogenea sul territorio di questi centri complica ulteriormente la fruibilità da parte del paziente;

tutto questo comporta inevitabilmente una sorta di migrazione sanitaria, con evidenti costi sociali dei tumori rari, una migrazione sanitaria non solo all'interno del nostro Paese, ma anche verso l'estero;

nel nostro Paese, i problemi nell'accesso alla diagnosi e alla terapia sono aggravati dalla regionalizzazione del Servizio sanitario nazionale che impone ai pazienti affetti da tumori rari ulteriori disparità di trattamento, soprattutto per quanto riguarda l'accesso alle terapie;

peraltro, la reale disponibilità delle terapie per i pazienti passa attraverso la negoziazione del prezzo e rimborso a livello di Agenzia italiana del farmaco (Aifa) e successivamente attraverso 21 procedure regionali, dalle quali dipendono i tempi e le modalità secondo cui il farmaco viene inserito nei prontuari terapeutici; ciò comporta che l'accesso al farmaco è ritardato, (da un'indagine di Farindustria è evidenziato un ritardo medio di 9 mesi, con regioni che registrano ritardi anche di oltre un anno e mezzo), facendo venir meno l'obiettivo principale del regolamento (CE) n. 141/2000, ossia la contemporaneità della disponibilità delle cure e livelli omogenei di tutela della salute per tutti i cittadini europei;

a causa del costo elevato dei trattamenti, a cui si aggiungono frequenti prestazioni improprie e migrazioni sanitarie obbligate, l'impatto sociale dei tumori rari è elevato. Le prestazioni diagnostiche, chirurgiche e i trattamenti sono garantiti solo in parte dal Sistema sanitario nazionale. Non tutte le terapie mediche per i tumori rari prevedono farmaci

prescrivibili e rimborsabili e vi sono disparità a seconda dei servizi sanitari regionali. Inoltre è possibile il rimborso di farmaci che abbiano raggiunto la fase 2 della sperimentazione clinica;

è quindi indispensabile avviare tutte le azioni conseguenti volte a garantire a tutte le persone affette da queste patologie di poter accedere al meglio alle cure più appropriate;

si evidenzia peraltro come la diagnosi rappresenti un momento decisivo, e questo vale ancora di più nel caso di una persona affetta da tumore: una diagnosi precoce e precisa permette infatti, in molti casi, di affrontare la malattia con gli strumenti più adatti a sconfiggerla. Nel caso dei tumori rari, però, la diagnosi arriva spesso in ritardo, dopo che il paziente si è sottoposto a diverse visite o esami clinici. E la ragione principale di questo ritardo è la difficoltà che incontrano i medici a riconoscere una patologia rara, con la quale hanno a che fare solo poche volte nel corso della loro carriera professionale,

impegna il Governo:

ad avviare le opportune iniziative, anche normative, al fine di favorire l'accesso a farmaci «salvavita» nei tumori rari, anche attraverso l'uso *off-label* di farmaci già oggetto di sperimentazione e già approvati dalle autorità sanitarie, ma registrati e autorizzati solo per alcune indicazioni terapeutiche;

a favorire, laddove possibile, l'uso cosiddetto «compassionevole» dei farmaci di cui al decreto ministeriale 8 maggio 2003 per consentire al paziente affetto da tumore raro di accedere a farmaci innovativi ancora sottoposti a sperimentazione e privi dell'autorizzazione all'immissione in commercio;

ad assumere iniziative per rendere immediatamente disponibile sui siti istituzionali delle regioni e del Ministero della salute un elenco ufficiale di centri dedicati al trattamento di queste malattie;

a garantire il pieno accesso alle terapie, attivandosi per favorire una maggiore disponibilità e distribuzione territoriale delle cure e livelli omogenei di tutela della salute, e ridurre il più possibile il fenomeno delle migrazioni sanitarie, anche attraverso l'implementazione dei centri di eccellenza per la prevenzione, diagnosi e cura dei tumori rari;

a promuovere la revisione e l'aggiornamento costante dei registri tumori al fine di evidenziare le informazioni sui tumori rari;

ad individuare gli interventi idonei ad accelerare le procedure di autorizzazione per i nuovi farmaci qualificati come «farmaci orfani»;

ad assumere iniziative per incentivare e sostenere, anche attraverso la fiscalità di vantaggio e lo stanziamento di adeguate risorse finanziarie, la ricerca scientifica sui farmaci orfani e per lo sviluppo di nuove terapie;

a prevedere il coinvolgimento nei tavoli decisionali dei rappresentanti delle principali associazioni delle persone affette da tumore raro;

ad assumere iniziative per implementare i programmi di formazione e aggiornamento per i professionisti sanitari, con particolare riferimento alla diagnosi precoce e appropriata delle malattie rare, con particolare riferimento ai tumori rari.

(1-01079) «[Nicchi](#), [Gregori](#), [Scotto](#)».