

Senato della Repubblica	XVI LEGISLATURA
-------------------------	-----------------

**DISEGNO DI LEGGE**

**d’iniziativa della senatrice BIANCHI**

**COMUNICATO ALLA PRESIDENZA IL 30 MAGGIO 2008**

Istituzione di un Fondo di cura e sostegno a vantaggio dei pazienti affetti da malattie rare e misure per incentivare la ricerca industriale sui farmaci orfani

Onorevoli Senatori. – Il 29 febbraio 2008 si è celebrata la giornata europea delle malattie rare: per la prima volta organizzazioni di pazienti di diversi Paesi in rappresentanza di una gran varietà di malattie rare hanno collaborato in grande scala per una grande campagna in favore delle malattie rare. Nella maggior parte dei Paesi europei (e non solo come, ad esempio, in Canada) si sono tenute conferenze stampa, *forum* di discussione, marce organizzate, raccolte fondi, tutto in funzione di migliorare la conoscenza dei bisogni delle persone colpite da malattia rara.

Le malattie rare sono una serie di patologie diverse tra loro e accomunate dal fatto di interessare un numero limitato di persone, da cui la loro definizione di «rare».

Il numero di malattie rare è stimato dall’Organizzazione mondiale della sanità intorno a 5.000, l’80 per cento delle quali di origine genetica, anche se il manifestarsi delle patologie e la loro concentrazione cambiano a seconda dei Paesi interessati.

La scarsa disponibilità di conoscenze scientifiche, che scaturisce proprio dalla rarità, determina spesso lunghi tempi di latenza tra esordio della patologia e diagnosi che incidono negativamente sulla prognosi del paziente.

Ad aggravare tale situazione vi sono altri elementi che riguardano da una parte la difficoltà delle aziende farmaceutiche ad investire per lo sviluppo della ricerca e della

produzione dei cosiddetti «farmaci orfani», fondamentali per la cura delle patologie rare, e dall'altra la difficoltà dei pazienti a reperire su tutto il territorio nazionale le suddette tipologie di farmaci. A tale proposito, occorre rilevare che vi sono delle regioni che possono investire maggiori risorse per rendere disponibile sul loro territorio un determinato farmaco orfano – con enorme beneficio dei pazienti – ed hanno adottato delle procedure di immissione in commercio snelle e veloci che permettono la disponibilità concreta del farmaco in tempi brevi. Tuttavia, altre regioni, particolarmente gravate da già consistenti disavanzi sanitari, non riescono ad essere altrettanto efficienti, mentre altre ancora hanno adottato delle procedure per l'immissione in commercio complesse e lunghe che non permettono l'immediata disponibilità dei farmaci orfani sul territorio.

Da tali premesse, consegue una ulteriore differenziazione tra le regioni del nostro Paese e tra i pazienti, che acuisce i problemi di non omogeneità quali-quantitativa dell'assistenza sanitaria e socio-sanitaria – che invece dovrebbero essere garantite a tutti e su tutto il territorio nazionale – e mina l'efficacia del sistema dei livelli essenziali di assistenza.

A livello europeo, l'attenzione verso le malattie rare e i farmaci orfani sta crescendo rapidamente: la Commissione europea ha avviato una consultazione pubblica sul tema «Malattie rare: una sfida per l'Europa» che si concluderà con la pubblicazione, prevista per il prossimo mese di novembre, di una Comunicazione su un'Azione europea nel campo delle malattie rare. Anche a livello dei singoli Stati membri, ci sono segnali importanti di una crescente attenzione e sensibilità delle forze politiche verso tali patologie. Ricordiamo, a titolo di esempio, oltre alla Francia che già da tempo si è dotata di un Piano nazionale per le malattie rare, la Spagna, il cui Ministro della salute ha recentemente annunciato la creazione di un gruppo di lavoro finalizzato allo sviluppo di una Strategia nazionale per le malattie rare; il Belgio, in cui si è creato una Commissione nazionale per le malattie rare e i farmaci orfani, composta da rappresentanti delle organizzazioni dei pazienti, dell'industria, dei centri terapeutici, delle farmacie ospedaliere e membri del Parlamento, al fine di sviluppare una strategia finalizzata a incrementare l'attenzione per le problematiche connesse alle malattie rare e al rimborso dei farmaci orfani; anche in Romania è stato presentato a fine 2007 una proposta di Piano nazionale per le malattie rare, attualmente al vaglio dei Ministri della salute e dell'educazione.

Tuttavia, ancora molta è la strada che bisogna percorrere, anche nel nostro Paese. Con il presente disegno di legge ci si prefigge l'obiettivo di tutelare i malati e le loro famiglie per rendere meno gravoso il decorso della malattia.

A tal fine e per trovare una soluzione alle problematiche in materia di farmaci orfani di cui si è detto, il presente disegno di legge, dopo aver definito all'articolo 1

cosa si intende per malattia rara e per farmaco orfano – sulla base di quanto previsto dal regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999 – istituisce un Fondo specificatamente dedicato alla cura e al sostegno dei pazienti affetti da malattie rare e gestito direttamente dal Centro nazionale per le malattie rare istituito presso l’Istituto superiore di sanità con una dotazione pari a 500 milioni di euro per ciascuno degli anni 2008, 2009 e 2010, allo scopo di:

a) consentire la tempestiva instaurazione delle cure idonee ed il costante sostegno terapeutico per i pazienti;

b) garantire agli stessi con immediatezza e su tutto il territorio nazionale l’erogazione dei medicinali, dei dispositivi medici e dei servizi diagnostici, assistenziali e riabilitativi necessari;

c) agevolare la reperibilità e la disponibilità di detti presidi e servizi presso le strutture del Servizio sanitario nazionale.

L’articolo 3 stabilisce che con decreto del Ministro del lavoro, della salute e delle politiche sociali venga istituito il Comitato nazionale per le malattie rare, di seguito denominato «Comitato», composto, oltre che dallo stesso Ministro con funzioni di presidente, da altri diciannove membri. Il Comitato resta in carica per tre anni e dispone l’erogazione ai pazienti delle somme disponibili nel «Fondo terapia» di cui all’articolo 2 per consentire la tempestività delle cure necessarie.

L’articolo 4 prevede alcune disposizioni finalizzate a favorire la ricerca e la produzione di farmaci orfani, attraverso la defiscalizzazione del 23 per cento (28 per cento per le industrie che investono nel sud Italia) delle spese sostenute dalle industrie per la ricerca e lo sviluppo di presidi e di farmaci per la diagnosi e il trattamento delle malattie rare.

L’articolo 5 infine si occupa della copertura finanziaria per le disposizioni di cui al presente disegno di legge.

## **DISEGNO DI LEGGE**

Art. 1.

*(Definizioni)*

1. Ai fini della presente legge e sulla base di quanto previsto dal regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, si intende per:

a) farmaco orfano: il medicinale destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di una patologia di cui alla lettera b) o destinato alla diagnosi, alla profilassi

o alla terapia di una affezione che comporti una minaccia per la vita o che sia seriamente debilitante o grave e cronica e la cui commercializzazione è poco probabile che, in mancanza di incentivi, sia tanto redditizia da giustificare l'investimento necessario da parte delle imprese farmaceutiche;

b) malattia rara: la patologia che comporta un rischio di vita o che è gravemente invalidante per l'essere umano e che colpisce non più di cinque individui su diecimila nell'ambito dei Paesi membri dell'Unione europea.

#### Art. 2.

*(Istituzione del Fondo di cura e sostegno a vantaggio dei pazienti affetti da malattie rare)*

1. È istituito il Fondo di cura e sostegno a vantaggio dei pazienti affetti da malattie rare, di seguito denominato «Fondo terapia», con una dotazione pari a 500 milioni di euro per ciascuno degli anni 2008, 2009 e 2010, allo scopo di:

a) consentire la tempestiva instaurazione delle cure idonee e il costante sostegno terapeutico per i pazienti;

b) garantire ai pazienti, con immediatezza e su tutto il territorio nazionale, l'erogazione dei medicinali, dei dispositivi medici e dei servizi diagnostici, assistenziali e riabilitativi necessari;

c) agevolare la reperibilità e la disponibilità dei presidi e servizi di cui alla lettera b) presso le strutture del Servizio sanitario nazionale.

2. Il Fondo terapia è gestito direttamente dal Comitato nazionale per le malattie rare istituito ai sensi dell'articolo 3.

#### Art. 3.

*(Comitato nazionale per le malattie rare)*

1. Con decreto del Ministro del lavoro, della salute e delle politiche sociali è istituito il Comitato nazionale per le malattie rare, di seguito denominato «Comitato», composto, oltre che dallo stesso Ministro con funzioni di presidente, da diciannove membri individuati con le seguenti modalità:

a) otto membri tecnici, di cui quattro provenienti dall'Istituto superiore di sanità (ISS) e indicati dal presidente del medesimo Istituto, e quattro nominati dal Ministro del lavoro, della salute e delle politiche sociali sulla base delle specifiche competenze tematiche e della validità curricolare;

d) cinque membri designati dalla Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano;

c) cinque membri indicati dalle associazioni dei pazienti affetti da malattie rare e dalle associazioni per la tutela dei diritti dei malati;

d) un revisore contabile per la gestione del Fondo terapia.

4. Il Comitato resta in carica tre anni e i suoi membri possono essere chiamati a ricoprire lo stesso incarico per non più di nove anni, anche non consecutivi.

5. Il Comitato dispone l'erogazione ai pazienti delle somme disponibili nel Fondo terapia, per consentire la tempestività delle cure necessarie.

#### Art. 4.

##### *(Defiscalizzazione della ricerca industriale sui farmaci orfani)*

1. Al fine di favorire la ricerca e la produzione di farmaci orfani, è concessa la defiscalizzazione del 23 per cento delle spese sostenute dalle industrie per la ricerca e lo sviluppo di presidi e di farmaci per la diagnosi e il trattamento delle malattie rare.

2. Per le industrie che investono in ricerca e sviluppo di farmaci orfani nelle regioni del sud Italia la defiscalizzazione di cui al comma 1 è concessa nella misura pari al 28 per cento.

3. Per usufruire delle agevolazioni di cui ai commi 1 e 2 le industrie inviano, entro il 31 marzo di ogni anno, ai Ministeri del lavoro, della salute e delle politiche sociali e dell'economia e delle finanze, il protocollo relativo alla ricerca e allo sviluppo del presidio o del farmaco e la documentazione giustificativa relativa alla malattia rara, o al gruppo di malattie rare, di interesse.

4. La documentazione di cui al comma 3 è valutata da un'apposita commissione nominata dai Ministri del lavoro, della salute e delle politiche sociali e dell'economia e delle finanze, secondo le modalità indicate da un apposito regolamento adottato con decreto del Ministro del lavoro, della salute e delle politiche sociali, di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze.

#### Art. 5.

##### *(Copertura finanziaria)*

1. Agli oneri derivanti dall'attuazione della presente legge, pari a 500 milioni di euro per ciascuno degli anni 2008, 2009 e 2010, si provvede mediante corrispondente riduzione dello stanziamento iscritto, ai fini del bilancio triennale 2008-2010, nell'ambito del fondo speciale di parte corrente dello stato di previsione del Ministero dell'economia e delle finanze per l'anno 2008, allo scopo parzialmente utilizzando l'accantonamento relativo al Ministero della salute.

2. Il Ministro dell'economia e delle finanze è autorizzato ad apportare, con propri decreti, le occorrenti variazioni di bilancio.