Legislatura 16 Atto di Sindacato Ispettivo nº 1-00483

Atto n. 1-00483

Pubblicato il 19 ottobre 2011 Seduta n. 627

Note: testo 2

BAIO , TOMASSINI , RUTELLI , ANTEZZA , BALDASSARRI , BASSOLI , BIONDELLI , BOSONE , BRUNO , CALABRO' , CECCANTI , CHIAROMONTE , CONTINI , COSENTINO , D'AMBROSIO LETTIERI , DE ANGELIS , DEL VECCHIO , DIGILIO , FERRANTE , FOSSON , GARAVAGLIA Mariapia , GERMONTANI , GHIGO , GUSTAVINO , MARINO Ignazio , MARINO Mauro Maria , MASCITELLI , MASSIDDA , MAZZUCONI , MILANA , MOLINARI , OLIVA , PORETTI , RAMPONI , RIZZI , RUSSO , SANTINI , SERRA , SOLIANI , STRADIOTTO , STRANO , THALER AUSSERHOFER , VALDITARA II Senato,

premesso che:

ai sensi del regolamento (CE) n. 141/2000, del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, e delle precedenti normative sono considerate rare quelle patologie "che colpiscono non più di cinque individui su diecimila";

nel mondo si riscontrano circa 7-8.000 patologie, molte delle quali croniche, invalidanti o fatali, che colpiscono tra il 6 e l'8 per cento della popolazione nel corso della vita e, malgrado le singole malattie rare siano caratterizzate da una bassa prevalenza, il numero totale di persone che ne sono affette, solo nell'Unione europea (UE), varia tra i 27 e i 36 milioni, pari a una persona su 100.000;

in Italia sono circa 2 milioni le persone affette da malattie rare, e circa il 70 per cento è in età pediatrica;

l'80 per cento di queste malattie è di origine genetica, per il restante 20 per cento dei casi si tratta di malattie acquisite;

l'UE ha indicato le malattie rare tra i temi prioritari delle politiche sanitarie, al fine di stabilire l'uguaglianza del trattamento dei cittadini rispetto ai livelli essenziali di assistenza (LEA) stabiliti dagli Stati membri; diversi Stati hanno recepito tali indicazioni;

in Francia, per esempio, da tempo è stato adottato un piano nazionale per le malattie rare e già dal 1994 è in vigore l'autorizzazione temporanea di utilizzo dei farmaci orfani che ha consentito a

più di 400 prodotti farmaceutici di ottenere l'autorizzazione temporanea di utilizzo (ATU), permettendo ai pazienti di utilizzarli in media 12 mesi prima dell'ottenimento dell'autorizzazione all'immissione in commercio;

l'ATU ha come finalità quella di consentire l'utilizzo di un farmaco orfano e/o destinato alla cura di malattie rare o gravi prima ancora che lo stesso abbia ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio, purché il farmaco sia in fase di sviluppo e non vi sia una valida alternativa terapeutica garantita da un farmaco regolarmente autorizzato;

attualmente, in Italia, il Sistema sanitario nazionale (SSN) riconosce l'esenzione per l'acquisto solo di determinati farmaci, vista la difficoltà riscontrata nella classificazione di queste malattie, con conseguente aggravio per le famiglie dei pazienti;

il decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279 (recante "Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie") riporta, all'allegato 1, l'elenco delle malattie riconosciute come rare dal SSN;

l'articolo 8 del suddetto decreto ministeriale prevede testualmente che "I contenuti del presente regolamento sono aggiornati, con cadenza almeno triennale, con riferimento all'evoluzione delle conoscenze scientifiche e tecnologiche, ai dati epidemiologici relativi alle malattie rare e allo sviluppo dei percorsi diagnostici e terapeutici di cui all'articolo 1, comma 28, della legge 23 dicembre 1996, n. 662, e successive modificazioni e integrazioni";

ad oggi, nonostante le previsioni di cui sopra, non si è proceduto ad alcun aggiornamento, sebbene il decreto del Presidente del Consiglio dei ministri del 21 marzo 2008, mai entrato in vigore, recasse, all'allegato 7, un aggiornamento della malattie riconosciute come rare, individuando altre 109 patologie ad integrazione dell'allegato 1 del decreto ministeriale n. 279 del 2001; considerato che:

nonostante dalla XIII Legislatura ad oggi siano stati depositati numerosi disegni di legge al riguardo, non ancora approvati, i pazienti e le loro famiglie incontrano enormi difficoltà di tipo

economico ed assistenziale, ma soprattutto di grave carenza di strutture e farmaci adeguati alla cura di tali patologie;

nell'ordinamento la possibilità di accedere a farmaci non ancora dotati di autorizzazione all'immissione in commercio è limitata ai casi disciplinati dal decreto del Ministero della salute dell'8 maggio 2003, relativo al cosiddetto uso compassionevole, e dal decreto-legge n. 536 del 1996, convertito, con modificazioni, dalla legge n. 648 del 1996, concernente misure per il contenimento della spesa farmaceutica, e, pertanto, possono essere somministrati ai pazienti solo in presenza di sperimentazioni cliniche in fase già avanzata;

lo schema dell'ATU, mutuato dal sistema francese, applicato ai farmaci destinati alla cura di malattie rare, orfane o gravi, consentirebbe ai pazienti di avere a disposizione tali farmaci con largo anticipo rispetto ai tempi necessari alla conclusione degli studi clinici e all'ottenimento dell'autorizzazione alla commercializzazione;

il percorso autorizzativo di detta tipologia di farmaci è molto lungo e reso difficoltoso dal fatto che, solitamente, gli studi clinici richiedono molto tempo, in quanto la ricerca scientifica ha difficoltà a raggiungere sufficienti prove di evidenza e di efficacia visto l'esiguo numero di pazienti su scala mondiale e risulta, quindi, necessario dislocare le sperimentazioni in diversi Paesi, con conseguente ulteriore aggravio dal punto di vista dei tempi necessari alla relativa conduzione;

le persone affette da patologie non ancora accreditate come rare sono prive di ogni tutela socioassistenziale: sono costrette a sostenere interamente i costi di eventuali farmaci esistenti in commercio nonché quelli delle visite specialistiche e delle terapie riabilitative; in ambito lavorativo non possono usufruire di congedi e permessi per malattie e in ambito scolastico sono privi dell'adeguata e necessaria assistenza;

molte delle patologie rare sono gravemente invalidanti e compromettono in modo significativo la qualità della vita sul piano psico-fisico sia dei pazienti che delle rispettive famiglie;

consapevoli delle difficoltà che le persone affette da malattie rare devono quotidianamente fronteggiare e della necessità di sollecitare l'opinione pubblica e le Istituzioni, affinché si possa giungere a risultati reali e tangibili, diverse associazioni hanno richiesto l'intervento del legislatore e un riscontro sui tempi di aggiornamento dei LEA,

impegna il Governo:

ad aggiornare l'elenco delle malattie rare di cui al decreto ministeriale n. 279 del 2001, includendo le 109 patologie, già individuate dall'allegato 7 del decreto del Presidente del Consiglio dei ministri del 21 marzo 2008 mai entrato in vigore, nonché inserendo tutte la patologie diagnosticate come rare:

ad aggiornare con cadenza annuale l'elenco delle malattie rare di cui al decreto ministeriale n. 279 del 2001;

a porre in essere tutte le misure necessarie per garantire la presa in carico dei malati affetti da malattie rare e delle loro famiglie, in particolare attraverso l'accesso alle cure e all'assistenza materiale, economica e psicologica, in modo da ottemperare alle indicazioni dell'UE;

ad agevolare la predisposizione di una normativa che preveda l'autorizzazione temporanea di utilizzo per favorire l'accesso ai farmaci innovativi cosiddetti orfani, mutuando il modello francese;

ad istituire un comitato nazionale per le malattie rare, in grado di monitorare la fenomenologia e l'incidenza delle malattie rare e gestire i fondi relativi;

a promuovere la ricerca scientifica finalizzata ad individuare nuove terapie o farmaci per la cura delle malattie rare.