
Il ddl sulle malattie rare è legge. I punti principali del testo

Il testo unico sulle malattie rare, un provvedimento molto atteso e che ha avuto una gestazione laboriosa, è finalmente diventato legge. Il ddl contenente “disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani” è stato approvato all'unanimità dalla commissione Sanità del Senato e il testo, già licenziato a maggio dalla Camera, non dovrà compiere ulteriori passaggi per completare il suo iter poiché la commissione si è espressa in “sede deliberante”. Nei prossimi mesi dovranno essere emanati i decreti attuativi, con il coinvolgimento delle Regioni per la parte di loro competenza trattandosi di materia sanitaria, e da essi dipenderà la concreta operatività del sistema disegnato dal Parlamento. I primi effetti pratici si dovrebbero registrare entro il prossimo anno. Nei sedici articoli del testo unico si punta a garantire l'uniformità dell'erogazione di prestazioni e medicinali; ad aggiornare costantemente l'elenco delle malattie rare e dei livelli essenziali di assistenza; a riordinare e potenziare la “Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare”; a sostenere la ricerca scientifica; a sensibilizzare l'opinione pubblica assicurando un'informazione tempestiva e corretta. Per malattie rare si intendono quelle con una “prevalenza” molto bassa, vale a dire inferiore a 5 individui su 10 mila. Una circostanza che rende diseconomico l'investimento da parte delle aziende farmaceutiche in quanto esse non riuscirebbero a recuperare i costi per lo sviluppo di farmaci mirati (di qui la definizione di “farmaci orfani”). Occorre quindi un incentivo pubblico. Tra le varie misure la nuova legge prevede un'integrazione del fondo nazionale destinato alla ricerca e alla produzione di tali farmaci e un credito d'imposta per le imprese pari al 65%. Fondamentale è la messa a punto del “piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato”, che comprende “i trattamenti e i monitoraggi di cui la persona affetta da una malattia rara necessita, garantendo anche un percorso strutturato nella transizione dall'età pediatrica all'età adulta”. Il piano, “corredato di una previsione di spesa, è condiviso con i servizi della 'Rete nazionale per le malattie rare', che hanno il compito di attivarlo, dopo averlo condiviso, tramite consenso informato, con il paziente o chi esercita la responsabilità genitoriale e con i familiari”. I trattamenti sanitari, già previsti dai livelli essenziali di assistenza o qualificati come salvavita, compresi nel piano personalizzato e “indicati come essenziali”, sono posti a totale carico del Servizio sanitario nazionale. Viene inoltre istituito presso il ministero del lavoro un “Fondo di solidarietà per le persone affette da malattie rare”, con una dotazione di un milione di euro l'anno, per il sostegno del lavoro di cura e assistenza relativo ai soggetti con un'invalità del 100%. A livello organizzativo toccherà al “[Centro nazionale per le malattie rare](#)” svolgere attività di ricerca, consulenza e documentazione, nonché tenere e gestire il “Registro nazionale delle malattie rare”. Entro due mesi dall'entrata in vigore della legge verrà istituito presso il ministero della Salute il “Comitato nazionale per le malattie rare” con il compito di definire le linee strategiche delle politiche nazionali e regionali. Di tale comitato faranno parte, oltre ai rappresentanti istituzionali, anche quelli “delle società scientifiche, degli enti di ricerca senza scopo di lucro riconosciuti dal Ministero dell'università e della ricerca che si occupano di malattie rare e delle associazioni dei pazienti affetti da una malattia rara più rappresentative a livello nazionale”. Ogni tre anni (e per la prima volta entro tre mesi dall'entrata in vigore della legge) sarà approvato con un accordo a livello di Conferenza Stato-Regioni il “Piano nazionale per le malattie rare” nel quale saranno definiti gli obiettivi e gli interventi. Con il medesimo accordo si provvederà al “riordino della Rete nazionale per le malattie rare, articolata nelle reti regionali e interregionali, con l'individuazione dei compiti e delle funzioni dei centri di coordinamento, dei centri di riferimento e dei centri di eccellenza che partecipano allo sviluppo delle Reti di riferimento europee”.