IN SEDE REFERENTE

(2) TOMASSINI. - Incentivi alla ricerca e accesso alle terapie nel settore delle malattie rare. Applicazione dell' articolo 9 del regolamento (CE) n. 141/2000, del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999

(496) BAIO ed altri. - Misure a sostegno della ricerca e della cura delle malattie rare

(1426) MARINO ed altri. - Norme a sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare

(Esame congiunto e rinvio)

Riferisce sui disegni di legge in titolo la senatrice EMPRIN GILARDINI (*RC-SE*), la quale, dopo aver ringraziato il Presidente della fiducia dimostrata con il conferimento dell'incarico di svolgere la relazione, fa presente l'opportunità di adottare una disciplina legislativa in materia di malattie rare, specie dopo i tentativi falliti nelle scorse legislature. La relatrice osserva indi che i disegni di legge in esame hanno impianti in parte simili. Il primo articolo reca, in tutti e tre i testi, la definizione di malattie rare, di cui al Regolamento (CE) n. 141 del 2000 del Parlamento europeo e del Consiglio del 16 dicembre 1999, quali malattie a rischio di vita o gravemente invalidanti con un'incidenza non superiore a cinque individui su diecimila nell'Unione europea. I disegni di legge n. 2 e n. 1426, in aggiunta, includono tra le malattie rare quelle elencate nell'Allegato I, parte I, del decreto ministeriale n. 279 del 2001, per le quali è riconosciuto il diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo per le correlate prestazioni di assistenza sanitaria. Al riguardo, sottolinea che il disegno di legge n. 1426 prevede, all'articolo 4, una modifica dell'articolo 8 del decreto stesso, disponendo un'intensificazione dell'attività di aggiornamento che da triennale diviene annuale.

Prosegue rilevando che l'articolo 2 dei disegni di legge n. 1426 e n. 2, nonché l'articolo 6, comma 1, del disegno di legge n. 496 definiscono farmaci orfani, in linea con quanto sancito dal richiamato Regolamento comunitario n. 141 del 2000, i medicinali destinati alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia delle malattie rare e la cui produzione, in ragione del numero di pazientiestremamente limitato cui sono rivolti, non risulterebbe - in assenza di incentivi - sufficientemente remunerativa per le industrie e rischierebbe perciò di non essere assicurata.

Inoltre, l'articolo 1 del disegno di legge n. 496 e l'articolo 3 del disegno di legge n. 1426 dispongono l'inclusione delle prestazioni relative alle malattie rare nei livelli essenziali di assistenza (LEA). A tal fine, è demandata al Governo la modifica del decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 29 novembre 2001, recante la definizione dei LEA. In particolare, il disegno di legge n. 1426 include nei LEA anche i farmaci di fascia C e H, i trattamenti non farmacologici connessi alla cura delle malattie rare, come l'acquisto di alimenti e integratori alimentari o di dispositivi medici e presidi sanitari, nonché la fruizione di sedute di riabilitazione di tipo motorio, logopedico, neuropsicologico e cognitivo e gli interventi di supporto e sostegno per il paziente e per la sua famiglia. Le prescrizioni che danno diritto alle esenzioni sono quelle per le cure che vengono rilasciate dai presìdi individuati dalle Regioni - ai sensi dell'articolo 2 del richiamato decreto n. 279 del 2001 - e competenti ad emettere la relativa certificazione della malattia rara. L'Atto Senato n. 496 sancisce che la certificazione di malattia rara assicura - fra l'altro - anche l'assistenza scolastica domiciliare e le facilitazioni per l'accesso al telestudio.

Il disegno di legge n. 2, pur non disponendo un'esplicita modifica della normativa sui LEA, prescrive (all'articolo 9) la gratuità delle prestazioni riguardanti la cura delle malattie rare.

Delle modalità di diagnosi e di certificazione trattano i disegni di legge n. 1426 e n. 496, rispettivamente agli articoli 5 e 4, stabilendo che, per garantire omogeneità di risultati sull'intero territorio nazionale, si fa riferimento a specifici protocolli diagnostici elaborati dal Centro nazionale per le malattie rare di cui è disposta l'istituzione rispettivamente dagli articoli 10 del disegno di legge n. 1426 e dall'articolo 3 del disegno di legge n. 496.

Gli articoli 6 e 7 del disegno di legge n. 1426 dispongono rispettivamente sulla disponibilità, sulla gratuità delle prestazioni e dei prontuari terapeutici e sull'assistenza farmaceutica. Con riferimento ai soggetti eroganti i farmaci orfani, l'Atto Senato n. 1426, all'articolo 7, prevede che questi siano individuati nei presidi sanitari, qualora il medicinale sia somministrato ambulatorialmente dalle ASL di appartenenza nel caso in cui la malattia venga diagnosticata in una Regione diversa da quella di appartenenza del paziente, ovvero quando vi sia necessità di assistenza domiciliare, per i farmaci di fascia H o per quelli registrati all'estero. Per i farmaci di fascia A e C, per quelli di cui all'elenco del decreto-legge n. 536 del 1996, convertito dalla legge n. 648 del 1996 e per quelli registrati all'estero che siano inseriti in protocolli di sperimentazione

clinica di accertata necessità terapeutica provvedono all'erogazione le farmacie o le ASL di appartenenza. Una disciplina analoga è dettata dall'Atto Senato n. 2, eccezion fatta per il rinvio alla normativa regionale in merito alle modalità di erogazione dei medicinali di cui al citato decreto-legge n. 536 del 1996 (articolo 9, comma 4).

La relatrice rileva indi che gli articoli 8 del disegni di legge n. 1426 e 4 del disegno di legge n. 2 recano norme circa il diritto di un malato, per il quale sia stato riconosciuto uno stato permanente di *handicap* derivante da una malattia rara, di richiedere la predisposizione di un protocollo personalizzato, nel quale siano indicati specifici percorsi riabilitativi, terapeutici e di sorveglianza.

Il Fondo nazionale per la ricerca nel settore delle malattie rare previsto da tutti i disegni di legge in esame è destinato in via prioritaria allo svolgimento di attività di ricerca e studi preclinici, clinici e osservazionali, nonché - limitatamente ai disegni di legge n. 2 e n. 1426 - alla tenuta di registri sull'uso compassionevole di farmaci ancora non commercializzati in Italia, all'attuazione di programmi di somministrazione controllata dei farmaci non compresi nelle fasce A ed H dei prontuari nazionali e regionali e di monitoraggio delle terapie domiciliari ed aggiornamento dell'elenco dei medicinali di cui al citato decreto-legge n. 536 del 1996. I disegni di legge n. 2 e n. 496 prevedono altresì tra gli intenti l'attuazione di programmi di informazione per i pazienti. In particolare l'articolo 5 del disegno di legge n. 496 prevede l'inserimento di insegnamenti sulle malattie rare in alcuni corsi di laurea, nonché lo svolgimento di attività di educazione presso ordini professionali e scuole di ogni ordine e grado.

Specifica inoltre che, ai sensi dell'articolo 2 del disegno di legge n. 496, in merito alla gestione e all'individuazione dei criteri di ripartizione del Fondo, è necessaria l'acquisizione del parere di un apposito Comitato, presieduto dal Ministro della salute e composto da membri designati dall'Istituto superiore di sanità, dal Ministro della salute, dal Ministro della solidarietà sociale, dal Ministro delle politiche per la famiglia, dalla Conferenza Stato-Regioni e dal mondo dell'associazionismo.

Quanto al finanziamento del Fondo, esso è assicurato dal 20 per cento delle quote versate dalle industrie per le procedure di registrazione e variazione dei farmaci, nonché (articolo 9, comma 4, del disegno di legge n. 1426 e articolo 5, comma 2, del disegno di legge n. 2) da contributi pubblici e privati. Per quanto riguarda gli studi clinici, preclinici ed osservazionali e per la tenuta dei registri sull'uso compassionevole dei medicinali, il comma 3 dell'articolo 9 del disegno di legge n. 1426 predispone che l'assegnazione delle risorse venga effettuata da un comitato di ricercatori, italiani e stranieri, che, almeno per la metà, operino in istituti ed enti di ricerca non italiani giudicati di eccellenza secondo parametri scientifici oggettivi.

Quanto all'istituzione del Centro (o Comitato nel caso del disegno di legge n. 2) nazionale per le malattie rare, essa è prevista presso l'Istituto superiore di sanità dagli Atti Senato n. 496 e n. 1426 e presso il Ministero della salute nell'Atto Senato n. 2. Tra i compiti compaiono quello di ricerca clinica, di aggiornamento degli elenchi delle malattie rare e dei farmaci orfani, l'emanazione ovvero la predisposizione di criteri per l'emanazione di linee guida valide per l'elaborazione dei prontuari regionali, nonché dei protocolli diagnostici e terapeutici o l'individuazione di criteri per la garanzia e la verifica di qualità delle attività diagnostiche. Il Centro deve inoltre verificare la sussistenza di strumenti adeguati di diagnosi e cura all'interno dei Centri di coordinamento per le patologie acute, nonché la presenza di strutture qualificate di assistenza e di settori appositamente predisposti alla riabilitazione per le patologie progressive e croniche. Ulteriori attribuzioni sono la promozione di attività di formazione per medici ed operatori sanitari, di informazione per i cittadini, di raccolta di dati aggiornati sulle strutture e sui servizi diagnostici ed assistenziali e - nel caso dell'Atto Senato n. 1426 - l'istituzione di un centro di documentazione sulle malattie rare e i farmaci orfani.

Dopo aver dato conto dei componenti del Centro, la relatrice rileva che per le finalità di ricerca sulle malattie rare, oltre all'attività di cui è competente il Centro nazionale, l'Atto Senato n. 2 prevede che le Regioni attivino consorzi regionali o interregionali di ricerca cui possono partecipare, oltre a tutti i soggetti istituiti ai sensi del regolamento applicativo del decreto del Ministro della sanità n. 279 del 2001, anche le ASL, i centri diagnostici ospedalieri, le aziende farmaceutiche, le associazioni professionali sanitarie e le associazioni dei pazienti e del volontariato.

L'attività di ricerca clinica e preclinica per la produzione di farmaci orfani - prosegue - è incentivata prevedendo contributi alla spesa e agevolazioni fiscali per le imprese farmaceutiche che investano in tale direzione.

L'articolo 11, comma 3, dell'Atto Senato n. 1426 rinvia all'emanazione di uno specifico regolamento governativo l'individuazione di criteri e modalità per l'attuazione delle suddette

norme riguardanti l'incentivazione economica per le imprese, mentre l'articolo 8, comma 1, del disegno di legge n. 2 stabilisce che gli incentivi sono quelli previsti dal decreto del Ministro per l'università e la ricerca dell'8 agosto 2000, destinati alle attività elencate dall'articolo 21 del medesimo decreto.

Avviandosi alla conclusione, rileva che l'articolo 6 del disegno di legge n. 496 stabilisce benefici fiscali, prevedendo per le industrie, nonché per i presidi per la diagnosi e il trattamento delle malattie rare che investano in ricerca, un'agevolazione fiscale pari al 23 per cento delle spese sostenute.

La senatrice BIANCONI (*FI*), in considerazione del rilievo della tematica affrontata dai disegni di legge in titolo, propone di svolgere un ciclo di audizioni.

Su proposta del PRESIDENTE , la Commissione conviene di fissare a martedì, 11 dicembre, alle ore 12, il termine entro il quale i senatori potranno far pervenire alla Presidenza i nominativi dei soggetti da inserire nel ciclo di audizioni che si svolgeranno in sede di Ufficio di Presidenza integrato dai rappresentanti dei Gruppi.

Il seguito dell'esame congiunto è indi rinviato.

La seduta termina alle ore 9,25.