

# CAMERA DEI DEPUTATI N. 1625

## PROPOSTA DI LEGGE

d’iniziativa del deputato **DORINA BIANCHI**

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

*Presentata il 25 settembre 2013*

ONOREVOLI COLLEGHI! — Il 29 febbraio 2008 è stata 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 e raccolte di fondi, allo scopo 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 a 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 nel 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 nel loro territorio un determinato farmaco orfano — con enorme beneficio dei pazienti — e che 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 un'ulteriore differenziazione tra le regioni del 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 in tutto il territorio nazionale — e che mina l'efficacia del sistema dei livelli essenziali di assistenza.

A livello europeo, l'attenzione verso le malattie rare e i farmaci orfani è cresciuta rapidamente, portando a interventi organizzati a livello di Unione europea. 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, che ha previsto un'apposita strategia nazionale per le malattie rare, e il Belgio, che ha istituito 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.

Tuttavia, ancora molta è la strada che bisogna percorrere, anche nel nostro Paese. Con la presente proposta 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, la presente proposta 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 2014, 2015 e 2016, allo scopo di:

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

b) garantire agli stessi con immediatezza e in 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 tali presidi e servizi presso le strutture del Servizio sanitario nazionale.

L'articolo 3 stabilisce che con decreto del Ministro della salute sia istituito il Comitato nazionale per le malattie rare, 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 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 aziende che investono nel sud Italia) delle spese sostenute dalle aziende per la ricerca e lo sviluppo di presidi e di farmaci per la diagnosi e il trattamento delle malattie rare.

L'articolo 5, infine, prevede la copertura finanziaria.

## PROPOSTA 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 un'affezione che comporta una minaccia per la vita o che è 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 aziende 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 2014, 2015 e 2016, 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 in 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 dei 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 della salute 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 della salute sulla base delle specifiche competenze tematiche e della validità curricolare;

b) 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 aziende per la ricerca e lo sviluppo di presidi e di farmaci per la diagnosi e il trattamento delle malattie rare.

2. Per le aziende 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 della salute 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 della salute e dell'economia e delle finanze, secondo le modalità indicate da un apposito regolamento adottato con decreto del Ministro della salute, 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 2014, 2015 e 2016, si provvede mediante corrispondente riduzione delle proiezioni per i medesimi anni dello stanziamento del fondo speciale di parte corrente iscritto, ai fini del bilancio triennale 2013-2015, nell'ambito del programma «Fondi di riserva e speciali» della missione «Fondi da ripartire» dello stato di previsione del Ministero dell'economia e delle finanze

per l'anno 2013, 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.

PAGINA BIANCA

€ 1,00



\*17PDL0015380\*