

CAMERA DEI DEPUTATI N. 2272

PROPOSTA DI LEGGE

D'INIZIATIVA DEI DEPUTATI

**PANIZZUT, BOLDI, DE MARTINI, FOSCOLO,
LAZZARINI, LOCATELLI, SUTTO, TIRAMANI, ZIELLO**

Norme per la cura delle malattie rare
e per il sostegno della ricerca su di esse

Presentata il 27 novembre 2019

ONOREVOLI COLLEGHI! — La proposta di legge che presentiamo alla vostra attenzione reca disposizioni in materia di malattie rare, intervenendo su più aspetti connessi tra loro dall'obiettivo comune di tutelare in maniera piena ed effettiva il diritto alla salute delle persone che soffrono di queste patologie.

Una malattia si definisce rara quando la sua prevalenza, intesa come il numero di casi presenti in una determinata popolazione, non supera una soglia stabilita. Nell'Unione europea, il limite in questione è fissato in meno di 5 persone su 10.000, ai sensi del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999.

L'errore più comune che si commette quando si affronta il tema delle malattie rare è quello di pensare che esse riguar-

dino, nel loro complesso, un numero molto ristretto di persone. In realtà non è così. È vero che le malattie rare presentano una bassa prevalenza nella popolazione, ma è anche vero che esse sono moltissime, addirittura tra 7.000 e 8.000 secondo le principali classificazioni scientifiche. Solamente in Italia e solamente con riguardo alle patologie riconosciute dal Servizio sanitario nazionale, sono circa 770.000 le persone affette da malattie rare e, pertanto, è evidente l'estrema rilevanza della problematica sanitaria in esame.

Le malattie rare, per le loro peculiarità e per la scarsità di conoscenze, sono state identificate dall'Unione europea come uno dei settori della sanità pubblica per i quali è fondamentale la cooperazione tra gli Stati membri; per questa ragione hanno formato oggetto di numerosi provvedimenti e atti di

indirizzo. Tra questi si ricordano, in particolare, il citato regolamento (CE) n. 141/2000, nonché la raccomandazione 2009/C 151/02 del Consiglio, dell'8 giugno 2009, volte ad istituire misure per migliorare le conoscenze sulle malattie rare nonché sulla qualità della vita e sulla cura dei pazienti.

Particolarmente rilevante è anche la direttiva 2011/24/UE del Parlamento europeo e del Consiglio, del 9 marzo 2011, sull'assistenza sanitaria transfrontaliera, in attuazione della quale sono state istituite le reti di riferimento europee sulle malattie rare (*European reference network* – ERN): si tratta di centri di *expertise*, prestatori di assistenza sanitaria e laboratori che forniscono un quadro di riferimento per i percorsi sanitari, rafforzando la cooperazione tra gli Stati membri e agevolando la condivisione delle conoscenze nell'Unione europea.

A livello nazionale, occorre citare sicuramente il regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, con il quale sono state individuate le malattie rare che danno diritto all'esenzione dalla partecipazione al costo delle correlate prestazioni sanitarie.

Il regolamento ha altresì previsto l'istituzione della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, costituita dai centri regionali o interregionali di riferimento e dai presidi accreditati, individuati dalle regioni tra quelli in possesso di documentata esperienza in materia. Inoltre, è stato istituito il Registro nazionale delle malattie rare, al fine di supportare la programmazione degli interventi volti alla tutela delle persone affette da queste malattie e di attuare la sorveglianza delle stesse.

Più di recente, è stato adottato il decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, pubblicato nel supplemento ordinario alla *Gazzetta Ufficiale* n. 65 del 18 marzo 2017, recante definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, con il quale – dopo molti anni – si è proceduto alla riorganizzazione dell'elenco delle malattie rare individuate dal citato regolamento di cui al decreto ministeriale n. 279 del 2001, secondo una nuova

impostazione che classifica le patologie per «gruppi aperti», in modo da riconoscere l'accesso ai benefici anche in relazione a malattie non espressamente menzionate, purché riconducibili a un determinato gruppo o sottogruppo.

Infine, per quanto riguarda la disciplina applicabile ai medicinali orfani – intendendo per tali i medicinali che, ai sensi del regolamento (CE) n. 141/2000, sono destinati al trattamento delle malattie rare – si fa riferimento all'articolo 12 del decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158, convertito, con modificazioni, dalla legge 8 novembre 2012, n. 189, che ha stabilito una procedura accelerata per la negoziazione delle condizioni di prezzo e di rimborso di tali prodotti, con l'obiettivo di ridurre i tempi necessari per la loro prescrivibilità a carico del Servizio sanitario nazionale (cosiddetta «procedura dei cento giorni»).

Tali misure vanno sicuramente valutate con favore, avendo introdotto nell'ordinamento nazionale principi e istituti fondamentali per la tutela delle persone affette da malattie rare.

Vi sono, tuttavia, numerose criticità alle quali occorre ancora porre rimedio.

Innanzitutto, è necessario garantire una maggiore reattività nei processi di aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza e dell'elenco delle malattie rare riconosciute dal Servizio sanitario nazionale. Dal 2001 ad oggi questo aggiornamento è stato effettuato una sola volta, con il citato decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017. Si è riscontrato, quindi, un distacco tra l'evoluzione medico-scientifica e quella normativa che si ripercuote inevitabilmente a danno delle persone affette da malattie rare, traducendosi in un vuoto di tutela sul fronte dell'assistenza e delle prestazioni loro riconosciute.

In secondo luogo, è necessario migliorare la presa in carico di tali soggetti, perfezionando ulteriormente il sistema di collegamento tra il livello centrale e la rete regionale e predisponendo, altresì, dei percorsi diagnostici, terapeutici e assistenziali *standard* per ogni malattia rara o gruppo di patologie con esigenze assistenziali simili, basati su linee guida condivise, che possano

essere più facilmente e velocemente personalizzati e approvati da ciascuna regione.

C'è poi il tema della ricerca scientifica e dei medicinali orfani: la bassa prevalenza nella popolazione costituisce un disincentivo allo sviluppo di nuovi medicinali che, infatti, vengono definiti orfani anche perché manca l'interesse da parte delle industrie farmaceutiche ad investire nel loro sviluppo e nella loro commercializzazione. Ancora oggi vi sono moltissime malattie rare poco conosciute per le quali non esistono terapie e neppure adeguate forme di diagnosi o prevenzione. È, quindi, necessario sostenere la ricerca con misure efficaci nel medio e nel lungo periodo; e, ancora, è necessario garantire che i medicinali orfani, una volta approvati e ammessi alla rimborsabilità, siano immediatamente resi disponibili in tutto il territorio nazionale.

Ebbene, con la presente proposta di legge, fermi restando i principi generali e le definizioni recati dal regolamento (CE) n. 141/2000 direttamente applicabili nel nostro ordinamento, si intendono introdurre misure volte specificamente al superamento delle anzidette criticità.

L'articolo 1 individua la finalità della proposta di legge che è, appunto, quella di tutelare il diritto alla salute delle persone affette da malattie rare attraverso le misure che si procede ad illustrare di seguito.

L'articolo 2 prevede l'istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare, quale organo di vertice della Rete nazionale delle malattie rare, con funzioni di orientamento e coordinamento delle strutture della stessa Rete.

L'articolo 3 riconosce sul piano normativo il Centro nazionale delle malattie rare, istituito presso l'Istituto superiore di sanità con la missione di svolgere attività di ricerca, consulenza e documentazione sulle malattie rare e sui medicinali orfani.

Gli articoli 4 e 5 recano misure in materia di sviluppo e potenziamento della Rete nazionale delle malattie rare e delle strutture operanti nell'ambito di essa. L'articolo 6 è dedicato alle prestazioni diagno-

stiche e terapeutiche garantite, in regime di esenzione, alle persone affette da malattie rare.

L'articolo 7 stabilisce una procedura di aggiornamento periodico dell'elenco delle malattie rare e delle relative prestazioni sanitarie comprese nei livelli essenziali di assistenza. L'obiettivo è quello di mantenere la disciplina normativa e regolamentare al passo con l'evoluzione medica e scientifica in materia, garantendo ai pazienti il tempestivo riconoscimento delle malattie e l'inserimento nei livelli essenziali di tutte le prestazioni necessarie ed appropriate al loro trattamento.

L'articolo 8 è dedicato al Piano nazionale per le malattie rare e stabilisce che lo stesso sia aggiornato con cadenza triennale, in sede di Conferenza per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano.

L'articolo 9 è finalizzato ad agevolare la reperibilità e la disponibilità dei medicinali orfani, applicando ad essi una disciplina analoga a quella prevista per i farmaci innovativi dall'articolo 10, commi 2 e 3, del citato decreto-legge n. 158 del 2012. Si prevede, dunque, che i medicinali orfani, ammessi alla rimborsabilità da parte del Servizio sanitario nazionale ed inclusi in un apposito elenco da parte dell'Agenzia italiana del farmaco, siano resi disponibili dalle regioni indipendentemente dal loro formale inserimento all'interno dei prontuari o in altri analoghi elenchi predisposti dalle autorità regionali e locali, garantendo così alle persone affette da malattie rare la rapidità e la parità di accesso alle terapie in tutto il territorio nazionale.

Le misure di cui agli articoli 10, 11 e 12 sono volte ad incentivare la ricerca in materia di malattie rare e di medicinali orfani.

L'articolo 13 garantisce la partecipazione attiva delle rappresentanze delle persone affette da malattie rare ai processi decisionali strategici e di monitoraggio.

L'articolo 14 prevede le norme finanziarie.

PROPOSTA DI LEGGE

Art. 1.

(Finalità)

1. La presente legge ha la finalità di tutelare il diritto alla salute delle persone affette da malattie rare, attraverso misure volte a garantire:

a) il coordinamento e il potenziamento della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, istituita ai sensi dell'articolo 2 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, di seguito denominata « Rete nazionale »;

b) l'aggiornamento periodico dei livelli essenziali di assistenza e dell'elenco delle malattie rare di cui all'allegato 7 annesso al decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, pubblicato nel supplemento ordinario n. 15 alla *Gazzetta Ufficiale* n. 65 del 18 marzo 2017, di seguito denominato « decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017 »;

c) il sostegno alla ricerca e l'uniformità della distribuzione nel territorio nazionale dei medicinali orfani, definiti ai sensi del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, di seguito denominato « regolamento (CE) n. 141/2000 ».

Art. 2.

(Comitato nazionale per le malattie rare)

1. Entro sessanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, con decreto del Presidente del Consiglio dei ministri, è istituito presso il Ministero della salute il Comitato nazionale per le malattie rare, di seguito denominato « Comitato ».

2. La composizione del Comitato assicura la rappresentanza di tutti i soggetti portatori di interesse del settore e, in par-

ticolare, del Ministero della salute, del Ministero dell'istruzione, dell'università e della ricerca, del Ministero dello sviluppo economico, di ciascuna regione e provincia autonoma, dell'Agenzia italiana del farmaco, dell'Istituto superiore di sanità, dell'Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali e delle associazioni dei pazienti.

3. Il Comitato è l'organo di vertice della Rete nazionale e svolge funzioni di indirizzo e di coordinamento, definendo le linee strategiche delle politiche nazionali in materia di malattie rare. In particolare, al Comitato è assegnato il compito di:

a) formulare la proposta annuale di aggiornamento dell'elenco delle malattie rare attivando la procedura di cui all'articolo 7;

b) adottare linee guida per la predisposizione di percorsi diagnostici, terapeutici e assistenziali per interi gruppi di malattie rare o singole malattie rare, al fine di consentire una progressiva omogeneizzazione basata sulle evidenze scientifiche, anche per quanto riguarda l'accesso ai benefici e alle prestazioni;

c) monitorare l'attività dei centri di riferimento e dei presidi accreditati operanti nell'ambito della Rete nazionale, verificandone l'adequatezza in rapporto ai modelli e agli indicatori di riferimento stabiliti con il decreto di cui all'articolo 4, comma 3;

d) fornire all'Agenzia italiana del farmaco le indicazioni necessarie ai fini dell'aggiornamento dell'elenco dei medicinali orfani, di cui all'articolo 9, comma 2;

e) selezionare i progetti di ricerca da finanziare attraverso gli stanziamenti del Fondo di cui all'articolo 10;

f) redigere un rapporto annuale sulla condizione delle persone affette da malattie rare in Italia e sul funzionamento della Rete nazionale;

g) adottare linee guida per le campagne di informazione e per i progetti di formazione e di aggiornamento del personale sanitario in materia di malattie rare;

h) formulare pareri sui bisogni formativi in materia di malattie rare per gli

ordinamenti dei corsi universitari delle facoltà di medicina e chirurgia.

4. Per lo svolgimento dei compiti di cui al comma 3, il Comitato può organizzarsi in gruppi di lavoro e può avvalersi, per i relativi processi di istruttoria tecnica, dell'apporto di esperti esterni.

Art. 3.

(Centro nazionale delle malattie rare)

1. L'Istituto superiore di sanità assicura il mantenimento nell'ambito della propria organizzazione interna del Centro nazionale delle malattie rare, istituito ai sensi dell'articolo 9, comma 1, lettera *d*), del regolamento di cui al decreto del Presidente dell'Istituto superiore di sanità 24 gennaio 2003, pubblicato nella *Gazzetta Ufficiale* n. 33 del 10 febbraio 2003, con la missione di svolgere attività di ricerca, consulenza e documentazione sulle malattie rare e sui medicinali orfani finalizzata alla prevenzione, al trattamento e alla sorveglianza.

2. Un rappresentante del Centro nazionale delle malattie rare partecipa ai lavori del Comitato. Il Centro svolge attività di supporto tecnico al Comitato, predisponendo relazioni e analisi sulla base dei dati raccolti nel Registro nazionale delle malattie rare istituito ai sensi dell'articolo 3 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279.

Art. 4.

(Strutture della Rete nazionale)

1. Lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano assicurano il potenziamento dei centri interregionali di riferimento per le malattie rare e dei presidi accreditati, istituiti ai sensi dell'articolo 2 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279.

2. Nello svolgimento dei propri compiti, i centri e i presidi di cui al comma 1 si

attengono alle indicazioni contenute negli atti di indirizzo adottati dal Comitato.

3. Entro sessanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, con decreto del Ministro della salute, su proposta del Comitato, previa intesa in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, sono individuati modelli e indicatori di riferimento per l'istituzione di nuovi centri di riferimento e presidi accreditati e per il potenziamento di quelli esistenti nell'ambito della Rete nazionale. I modelli di organizzazione dei centri e dei presidi e gli indicatori di riferimento per la loro istituzione sono individuati tenendo conto dell'esigenza di:

a) assicurare l'adeguata distribuzione nel territorio dei centri e dei presidi, in relazione a ciascuna malattia rara compresa nell'elenco di cui all'allegato 7 annesso al decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, e successivi aggiornamenti;

b) agevolare il collegamento funzionale tra i centri e i presidi e tra questi e i servizi coinvolti nella presa in carico dei pazienti, utilizzando soluzioni tecnologiche per agevolare la condivisione delle informazioni cliniche, ridurre la mobilità dei pazienti e rendere disponibile la competenza e l'esperienza dei centri di riferimento nei luoghi in cui si trova il paziente;

c) individuare i requisiti organizzativi e strutturali dei centri e dei presidi, nel rispetto delle normative emanate dall'Unione europea;

d) favorire l'inserimento dei centri e dei presidi nell'ambito delle reti di riferimento europee istituite in attuazione dell'articolo 12 della direttiva 2011/24/UE del Parlamento europeo e del Consiglio, del 9 marzo 2011.

Art. 5.

(Registri delle malattie rare)

1. L'Istituto superiore di sanità, con le modalità e le finalità stabilite dall'articolo 3

del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, provvede alla gestione del Registro nazionale delle malattie rare, assicurandone il collegamento funzionale con i registri delle malattie rare istituiti a livello internazionale, interregionale e regionale.

2. Al fine di migliorare la copertura, la qualità e l'attendibilità delle informazioni contenute nei registri nazionale, interregionali e regionali di cui al comma 1, entro sessanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, l'Istituto superiore di sanità elabora apposite linee guida per ampliare e standardizzare i dati raccolti in merito alle malattie rare, anche avvalendosi delle modalità di codifica utilizzate nell'Unione europea. Le strutture della Rete nazionale si attengono alle linee guida adottate ai sensi del presente comma per quanto riguarda la tenuta e la gestione dei registri regionali o interregionali.

Art. 6.

(Prestazioni garantite)

1. Il paziente che, secondo la diagnosi di un medico specialista del Servizio sanitario nazionale, potrebbe essere affetto da una malattia rara compresa nell'elenco di cui all'allegato 7 annesso al decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, e successivi aggiornamenti, è indirizzato dallo stesso medico, in base alle informazioni del competente centro interregionale di riferimento, ai presidi della Rete nazionale in grado di garantire la diagnosi della specifica malattia rara, anche in relazione alla sua inclusione in un gruppo di malattie rare.

2. Le strutture operanti nell'ambito della Rete nazionale assicurano l'erogazione, in regime di esenzione dalla partecipazione alla spesa sanitaria, delle prestazioni finalizzate alla diagnosi e, qualora necessarie in relazione a una malattia rara di origine ereditaria, delle indagini genetiche sui familiari del paziente. La gratuità è garantita anche in caso di mancata conferma della diagnosi ed è estesa agli accertamenti eventualmente da eseguire sul cadavere o su

campioni biologici di esso, qualora il paziente sia deceduto senza che sia stato completato il percorso diagnostico e qualora la formulazione di una corretta diagnosi *post mortem* possa essere di utilità per i suoi familiari.

3. In caso di conferma della diagnosi, la struttura presso la quale essa è effettuata predispone un piano assistenziale individualizzato, in conformità ai protocolli e alle linee guida adottati dai centri di riferimento e di coordinamento regionali o interregionali e dal Comitato. Il piano garantisce la presa in carico multidisciplinare del paziente, assicurando un supporto continuo sotto il profilo clinico, assistenziale e psicologico.

4. Il paziente per il quale sia stata accertata da una struttura della Rete nazionale una malattia rara compresa nell'elenco di cui all'allegato 7 annesso al decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, e successivi aggiornamenti, può chiedere il riconoscimento del diritto all'esenzione dalla partecipazione alla spesa sanitaria all'azienda sanitaria locale di residenza, allegando la certificazione rilasciata dal centro regionale o dal presidio operante nell'ambito della Rete nazionale.

5. Il paziente che beneficia dell'esenzione dalla partecipazione alla spesa sanitaria ai sensi del comma 4 ha diritto alle prestazioni di assistenza sanitaria, prescritte con le modalità previste dalla normativa vigente, comprese nei livelli essenziali di assistenza, efficaci e appropriate per il trattamento e il monitoraggio della malattia dalla quale è affetto e per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti. Per quanto non espressamente previsto dalla presente legge si applicano le disposizioni del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279.

Art. 7.

(Aggiornamento dell'elenco delle malattie rare e dei livelli essenziali di assistenza)

1. L'elenco delle malattie rare di cui all'allegato 7 annesso al decreto del Presi-

dente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017 è aggiornato annualmente con decreto del Presidente del Consiglio dei ministri, su proposta del Comitato, di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze, previa intesa in sede di la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, assicurando che le malattie siano individuate per gruppi aperti, in modo da garantire che tutte le malattie rare afferenti a un determinato gruppo, ancorché non espressamente menzionate, siano considerate comprese ai fini del riconoscimento ai pazienti del diritto all'esenzione dalla partecipazione alla spesa sanitaria e degli altri benefici previsti dalla normativa vigente.

2. Con il decreto di cui al comma 2 si provvede all'inserimento nei livelli essenziali di assistenza di ulteriori servizi, attività e prestazioni garantiti in regime di esenzione dalla partecipazione alla spesa sanitaria per le persone affette da malattie rare, tenuto conto delle proposte formulate dal Comitato.

Art. 8.

(Piano nazionale per le malattie rare)

1. Con accordo in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, sentito il Comitato, è approvato ogni tre anni il Piano nazionale per le malattie rare, con il quale sono definiti gli obiettivi e gli interventi pertinenti nel settore delle malattie rare.

2. In sede di prima attuazione della presente legge, il Piano nazionale per le malattie rare è adottato entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della legge medesima, con la procedura di cui al comma 1, mediante aggiornamento del Piano nazionale per le malattie rare 2013-2016 di cui all'accordo sancito dalla Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano n. 140/CSR del 16 ottobre 2014.

Art. 9.

(Disposizioni per assicurare l'immediata disponibilità dei medicinali orfani)

1. Al fine di garantire il rispetto dei livelli essenziali di assistenza in tutto il territorio nazionale, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano sono tenute ad assicurare l'immediata disponibilità dei medicinali erogati a carico del Servizio sanitario nazionale che possono essere qualificati come medicinali orfani ai sensi dell'articolo 3 del regolamento (CE) n. 141/2000, anche se approvati prima della data di entrata in vigore del citato regolamento.

2. L'Agenzia italiana del farmaco, entro novanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, predispone l'elenco dei medicinali orfani di cui al comma 1. L'Agenzia provvede ad aggiornare periodicamente l'elenco e a renderlo disponibile nel proprio sito *internet* istituzionale. I medicinali orfani inseriti nell'elenco sono resi disponibili dalle regioni e dalle province autonome di Trento e di Bolzano indipendentemente dal loro inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri o in altri analoghi elenchi predisposti dalle competenti autorità regionali o locali.

3. La regione o la provincia autonoma che, sulla base di approfondite valutazioni tecniche, ritenga che un medicinale inserito nell'elenco di cui al comma 2 non abbia i requisiti per essere erogato alle condizioni stabilite dall'Agenzia italiana del farmaco, comunica le proprie valutazioni alla stessa Agenzia e, per conoscenza, al Ministero della salute.

4. L'Agenzia italiana del farmaco, ricevuta la comunicazione di cui al comma 3, la trasmette alla Commissione consultiva tecnico-scientifica affinché la esamini entro sessanta giorni dalla data di trasmissione ed esprima un parere motivato. Alle riunioni della Commissione sono invitati a partecipare i rappresentanti delle regioni e delle province autonome di Trento e di Bolzano

5. Al termine dell'istruttoria di cui al comma 4, l'Agenzia italiana del farmaco, con propria determinazione, provvede a

confermare l'inserimento del medicinale nell'elenco di cui al comma 2 o a cancellarlo da tale elenco

Art. 10.

*(Fondo nazionale per la ricerca
sulle malattie rare)*

1. È istituito, presso il Ministero della salute, il Fondo nazionale per la ricerca sulle malattie rare, le cui risorse sono destinate alla realizzazione di:

a) studi preclinici e clinici sulle malattie rare;

b) studi osservazionali e registri dei medicinali a uso compassionevole non ancora immessi in commercio in Italia;

c) programmi di somministrazione controllata di medicinali e dispositivi medici non compresi tra quelli erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale;

d) programmi di sorveglianza sui medicinali orfani.

2. Il Fondo di cui al comma 1 è finanziato con il 20 per cento delle risorse rivenienti dalle quote versate dalle aziende farmaceutiche nell'ambito delle procedure concernenti la registrazione dei medicinali e la variazione delle condizioni delle relative autorizzazioni all'immissione in commercio.

Art. 11.

*(Consorti regionali
per la ricerca e l'innovazione)*

1. Lo Stato e le regioni promuovono la realizzazione di consorzi per la ricerca e l'innovazione nel settore delle malattie rare, aperti alla partecipazione di soggetti pubblici, in particolare regioni, strutture della Rete nazionale e istituzioni dedicate alla ricerca, nonché di aziende private e associazioni.

2. I consorzi di cui al comma 1 hanno personalità giuridica. Ai fini della loro ammissione ai finanziamenti pubblici, il loro

statuto deve individuare l'ambito di attività in favore delle malattie rare in cui essi operano.

Art. 12.

(Accesso ai finanziamenti)

1. Il Ministero della salute, il Ministero dell'istruzione, dell'università e della ricerca e le regioni provvedono a introdurre la materia delle malattie rare nei rispettivi bandi di concorso per la ricerca.

2. In ciascun bando di concorso per la ricerca di cui al comma 1, alla materia delle malattie rare è riservato un finanziamento non inferiore al 15 per cento della somma totale.

Art. 13.

*(Rappresentanza delle persone
affette da malattie rare)*

1. È garantita la partecipazione attiva dei rappresentanti delle persone affette da malattie rare ai processi decisionali strategici, di monitoraggio e di valutazione delle attività svolte nel settore delle malattie rare, a livello regionale e nazionale.

2. Il Ministro della salute, con proprio decreto, riconosce, entro due mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, la Federazione italiana malattie rare, in quanto membro del Consiglio delle alleanze nazionali dell'Organizzazione europea per le malattie rare, come interlocutore primario per esprimere pareri nel corso dei processi di cui al comma 1.

Art. 14.

(Norme finanziarie)

1. Agli oneri derivanti dall'attuazione della presente legge si provvede mediante corrispondente riduzione dello stanziamento del fondo speciale di parte corrente iscritto, ai fini del bilancio triennale 2019-2021, nell'ambito del programma « Fondi di riserva speciali » della missione « Fondi da ripartire » dello stato di previsione del

Ministero dell'economia e delle finanze per l'anno 2019, allo scopo parzialmente utilizzando l'accantonamento relativo al medesimo Ministero.

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

PAGINA BIANCA



18PDL0084480