

XII COMMISSIONE PERMANENTE

(Affari sociali)

S O M M A R I O

COMITATO RISTRETTO:

Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare. C. 164 Paolo Russo, C. 1317 Bologna, C. 1666 De Filippo, C. 1907 Bellucci e C. 2272 Panizzut 173

SEDE REFERENTE:

Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare. C. 164 Paolo Russo, C. 1317 Bologna, C. 1666 De Filippo, C. 1907 Bellucci e C. 2272 Panizzut (*Seguito dell'esame e rinvio – Adozione del testo base*) 173

ALLEGATO (*Testo unificato elaborato dal Comitato ristretto adottato come testo base dalla Commissione*) 175

COMITATO RISTRETTO

Mercoledì 12 febbraio 2020.

Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare.

C. 164 Paolo Russo, C. 1317 Bologna, C. 1666 De Filippo, C. 1907 Bellucci e C. 2272 Panizzut.

Il Comitato ristretto si è riunito dalle 14.30 alle 14.50.

SEDE REFERENTE

Mercoledì 12 febbraio 2020. — Presidenza della presidente Marialucia LOREFICE. — Interviene la sottosegretaria di Stato per la salute, Sandra Zampa.

La seduta comincia alle 14.50.

Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare.

C. 164 Paolo Russo, C. 1317 Bologna, C. 1666 De Filippo, C. 1907 Bellucci e C. 2272 Panizzut.

(Seguito dell'esame e rinvio – Adozione del testo base).

La Commissione prosegue l'esame delle proposte di legge, rinviato, da ultimo, nella seduta del 10 dicembre 2019.

Marialucia LOREFICE, *presidente*, fa presente che il Comitato ristretto, nella seduta appena conclusa, ha terminato i propri lavori, elaborando un testo unificato che è all'esame della Commissione per essere adottato come testo base.

Dà, quindi, la parola alla relatrice, deputata Bologna, affinché riferisca alla Commissione sugli esiti delle riunioni del Comitato ristretto.

Fabiola BOLOGNA (M5S), *relatrice*, ringrazia tutti i componenti del Comitato

ristretto per il loro apporto, che ha consentito di svolgere in maniera approfondita un compito difficile, considerato che il testo unificato che è stato elaborato rappresenta una sintesi dei contenuti delle varie proposte di legge presentate dai diversi gruppi parlamentari.

Evidenzia, poi, come, attraverso tale testo, si cerchi di dare una risposta alle richieste, provenienti sia dalle società scientifiche che dalle associazioni di pazienti, relative a un riordino della disciplina degli interventi per la cura delle malattie rare. Auspica, quindi, che le soluzioni individuate possano essere accolte favorevolmente anche a livello regionale.

La sottosegretaria Sandra ZAMPA esprime la propria soddisfazione, osservando che l'adozione come testo base di un testo unificato che include aspetti rilevanti delle diverse proposte di legge rappresenta un importante segnale di convergenza all'interno della Commissione rispetto a un tema di indubbia rilevanza. Si

riserva, quindi, di interloquire con la Commissione in relazione ad aspetti specifici del provvedimento nel prosieguo dell'*iter* parlamentare.

Nessun altro chiedendo di intervenire, la Commissione delibera all'unanimità di adottare come testo base per il prosieguo dell'esame la proposta di testo unificato elaborato dal Comitato ristretto (*vedi allegato*).

Marialucia LOREFICE, *presidente*, propone di fissare il termine per la presentazione degli emendamenti alle ore 13 di mercoledì 19 febbraio 2020.

La Commissione concorda.

Marialucia LOREFICE, *presidente*, rinvia il seguito dell'esame del provvedimento ad altra seduta.

La seduta termina alle 15.

ALLEGATO

Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare. C. 164 Paolo Russo, C. 1317 Bologna, C. 1666 De Filippo, C. 1907 Bellucci e C. 2272 Panizzut.

**TESTO UNIFICATO ELABORATO DAL COMITATO RISTRETTO
ADOTTATO COME TESTO BASE DALLA COMMISSIONE**

CAPO I

FINALITÀ E AMBITO DI APPLICAZIONE

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) l'uniformità della erogazione nel territorio nazionale delle prestazioni e dei medicinali, inclusi quelli orfani;

b) l'aggiornamento periodico dei livelli essenziali di assistenza e dell'elenco delle malattie rare;

c) il coordinamento, il riordino e il potenziamento della Rete nazionale, comprensiva dei centri che fanno parte delle Reti di Riferimento Europee (ERN), per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare;

d) il sostegno alla ricerca.

Art. 2.

(Definizione di malattie rare)

1. In conformità al Regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, sono definite rare le malattie, comprese quelle di origine genetica, che presentano una bassa prevalenza.

2. Ai fini della presente legge, per bassa prevalenza delle malattie rare si intende una prevalenza inferiore a cinque individui su diecimila. Nell'ambito delle malattie rare sono comprese anche le malattie ultra rare, caratterizzate, ai sensi di quanto previsto dal regolamento (UE) 536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 aprile 2014, da una prevalenza inferiore a un individuo su cinquantamila.

3. I tumori rari, la cui identificazione deriva dal criterio d'incidenza, in conformità ai criteri internazionali e concordati a livello europeo, rientrano tra le malattie rare come disciplinate dalla presente legge.

Art. 3.

(Definizione di farmaco orfano)

1. In conformità ai criteri stabiliti dall'articolo 3 del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, un farmaco è definito orfano se:

a) è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita o la disabilità cronica e che colpisce non più di cinque individui su diecimila nel momento in cui è presentata la domanda di assegnazione della qualifica di farmaco orfano, oppure se è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita, di un'affezione seriamente debilitante, o di

un'affezione grave e cronica, ed è poco probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione di tale farmaco sia così redditizia da giustificare l'investimento necessario;

b) non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, di profilassi o di terapia delle affezioni di cui alla lettera a) autorizzati o, se tali metodi esistono, il farmaco ha effetti benefici significativi per le persone colpite da tali affezioni.

CAPO II

PRESTAZIONI E BENEFICI PER LE PERSONE AFFETTE DA MALATTIE RARE

Art. 4.

(Piano assistenziale personalizzato e livelli essenziali di assistenza per le malattie rare)

1. Il centro di riferimento di cui all'articolo 13 definisce il piano assistenziale, compresi i trattamenti e i monitoraggi di cui la persona affetta da una malattia rara necessita. Il piano è sottoposto alla valutazione dei servizi della rete di assistenza, che hanno il compito di attivarlo, dopo averlo condiviso con i familiari del paziente. Qualora siano richieste particolari competenze è ipotizzabile un periodo di formazione del personale coinvolto nell'assistenza domiciliare presso il centro di riferimento.

2. Qualora il carico familiare risulti particolarmente gravoso, il piano di cui al comma 1 è integrato da un piano di supporto ai familiari, elaborato con la collaborazione dei pazienti stessi e delle associazioni delle persone affette da una malattia rara e dei loro familiari.

3. Tutti i trattamenti compresi nel piano assistenziale personalizzato e indicati come essenziali sono a totale carico del Servizio sanitario nazionale.

4. Sono compresi nei LEA:

a) le prestazioni rese nell'ambito del percorso diagnostico a seguito di sospetto

di malattia rara espresso da un medico del Servizio sanitario nazionale, compresi gli accertamenti diagnostici genetici sui familiari utili per la formulazione della diagnosi, anche in caso di diagnosi non confermata;

b) gli eventuali accertamenti da eseguire sul cadavere o su campioni biologici di esso, qualora il paziente sia deceduto senza aver potuto completare il percorso diagnostico e qualora la formulazione di una corretta diagnosi *post-mortem* possa essere di utilità per i familiari;

c) le prestazioni correlate al monitoraggio clinico;

d) i trattamenti essenziali, comprese le terapie farmacologiche, anche innovative, i prodotti dietetici, le formulazioni galeniche, magistrali e officinali, l'acquisto dei farmaci di cui all'articolo 8, comma 10, lettera c), della legge 24 dicembre 1993, n. 537, necessari per il trattamento delle malattie rare, nonché i trattamenti considerati non farmacologici, quali alimenti, integratori alimentari, dispositivi medici e presidi sanitari;

e) le cure palliative e la fruizione di prestazioni di riabilitazione motoria, logopedica, respiratoria, vescicale, neuropsicologica e cognitiva, di terapia occupazionale, di trattamenti nutrizionali nonché di interventi di supporto e di sostegno per il paziente.

5. Nel caso di acquisto di dispositivi medici o di presidi sanitari, l'esenzione dal pagamento è estesa anche alla manutenzione ordinaria e straordinaria degli stessi. La dotazione di presidi, di protesi e di ausili inclusi nei piani assistenziali personalizzati deve essere resa gratuitamente disponibile in tempi utili per un tempestivo sostegno al malato. La dotazione comprende tutte le procedure e le attività per il rilascio e per l'eventuale addestramento all'uso.

6. Qualora condizioni cliniche individuali comportino l'utilizzo di farmaci, prodotti dietetici, formulazioni galeniche e dispositivi medici non compresi nei piani

personalizzati, il centro di riferimento è tenuto a redigere una relazione tecnica contenente le motivazioni che supportano la prescrizione e in base ad essa l'azienda sanitaria locale di residenza della persona affetta da malattia rara provvede all'erogazione di quanto previsto.

7. Al fine di privilegiare il permanere della persona affetta da una malattia rara all'interno del suo nucleo familiare, è garantita l'assistenza domiciliare, anche di elevata intensità assistenziale, ogni volta che il paziente e i suoi familiari ne fanno richiesta tramite il medico che ha in cura il paziente.

8. Qualora la procedura di aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza di cui all'articolo 1, commi 554 e 559, della legge 28 dicembre 2015, n. 208, non consenta di aggiornare tempestivamente le malattie rare individuate, sulla base della classificazione *orphan code* presente sul portale Orphanet, dal Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR) dell'Istituto Superiore di Sanità (ISS) e da inserire nell'elenco di cui all'allegato 7 del decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, pubblicato nel supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 65 del 18 marzo 2017, nonché le prestazioni necessarie al trattamento delle malattie rare, il Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze, provvede, annualmente, con proprio decreto, a stabilire, in via transitoria, i criteri per il riconoscimento delle ulteriori malattie rare e per assicurare le risorse per l'erogazione delle relative prestazioni.

9. L'aggiornamento dei LEA di cui al presente articolo è effettuato 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 e senza specifica diagnosi, 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.

Art. 5.

(Assistenza farmaceutica e disposizioni per assicurare l'immediata disponibilità dei farmaci orfani)

1. I farmaci prescritti nell'ambito della Rete di assistenza per le malattie rare ai pazienti affetti da una malattia rara sono erogati dai seguenti soggetti:

a) le farmacie dei presidi sanitari, anche nel caso di somministrazione ambulatoriale del farmaco;

b) le aziende territoriali di appartenenza del paziente, anche qualora la malattia rara sia stata diagnosticata in una regione diversa da quella di residenza, nel caso di farmaci necessari al trattamento dei pazienti inseriti nei programmi di assistenza domiciliare e nel caso di farmaci di classe H, non registrati in Italia o compresi nell'elenco dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) per le terapie domiciliari;

c) le farmacie o la ASL di appartenenza del paziente, nel caso dei farmaci di classe A e C, dei farmaci inseriti nell'elenco di cui all'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, e dei farmaci registrati all'estero o inseriti in protocolli clinici di sperimentazione di cui è documentata l'esigenza terapeutica per le specifiche malattie rare;

d) le farmacie pubbliche e private convenzionate con il SSN nei comuni con meno di 5.000 abitanti, con le modalità e alle condizioni stabilite dagli accordi regionali stipulati ai sensi di quanto previsto dall'articolo 8, comma 1, lettera a), del decreto-legge 18 settembre 2001, n. 347, convertito, con modificazioni, dalla legge 16 novembre 2001, n. 405. Con le medesime modalità, nei predetti comuni, sono erogati anche i prodotti di cui all'articolo 4, comma 4, lettera d), della presente legge.

2. In deroga alle disposizioni in materia di prescrizioni farmaceutiche di cui all'ar-

articolo 9 della legge 23 dicembre 1994, n. 724, per le prescrizioni relative a una malattia rara il numero di pezzi prescrivibili per ricetta può essere superiore a tre previa adeguata motivazione da parte del medico prescrittore.

3. L'AIFA, recepite le indicazioni del Comitato nazionale per le malattie rare di cui all'articolo 8 della presente legge, provvede all'istituzione, all'interno dell'elenco delle specialità medicinali erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale di cui all'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, di un'apposita sezione dedicata alle malattie rare recante l'elenco dei farmaci e dei trattamenti non farmacologici di cui all'articolo 4. La sezione è aggiornata dall'Agenzia italiana del farmaco, con la medesima procedura, con cadenza annuale. I medicinali inseriti dall'AIFA nella sezione dedicata alle malattie rare di cui al presente comma sono resi disponibili dalle regioni indipendentemente dal loro inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri o in altri analoghi elenchi predisposti dalle competenti autorità regionali o locali.

4. Restano ferme le disposizioni in materia di classificazione dei farmaci previste dall'articolo 12, comma 5-*bis*, del decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158, convertito, con modificazioni, dalla legge 8 novembre 2012, n. 189.

5. Al fine di garantire il rispetto dei livelli essenziali di assistenza in tutto il territorio nazionale, le regioni 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.

6. Le disposizioni del presente articolo sono applicabili nelle regioni a statuto speciale e nelle province autonome di Trento e di Bolzano compatibilmente con i rispettivi statuti e le relative norme di attuazione.

7. Per l'attuazione degli articoli 4 e 5, il Fondo sanitario nazionale è incrementato di 5 milioni di euro annui a decorrere dal 2021. Ai relativi oneri si provvede ai sensi dell'articolo 21.

Art. 6.

(Istituzione del Fondo di solidarietà per le persone affette da malattie rare)

1. Nello stato di previsione del Ministero della salute è istituito il Fondo di solidarietà per le persone affette da malattie rare, destinato al finanziamento delle misure per il sostegno del lavoro di cura e assistenza delle persone affette da malattie rare, con una percentuale di invalidità pari al 100 per cento, con connotazione di gravità ai sensi dell'articolo 3, comma 3, della legge 5 febbraio 1992, n. 104, e per la quale necessita di assistenza continua ai sensi di quanto previsto dalla tabella di cui al decreto del Ministro della sanità 5 febbraio 1992, pubblicato nel supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 47 del 26 febbraio 1992.

2. A decorrere dal 2021, il Fondo di solidarietà di cui al comma 1 è finanziato da una quota fissa di un milione di euro derivante dalle scelte non espresse relativamente alla destinazione della quota del 5 per mille dell'imposta sul reddito delle persone fisiche, nonché da donazioni e da lasciti da chiunque effettuati, deducibili ai sensi del testo unico delle imposte sui redditi, di cui al decreto del Presidente della Repubblica 22 dicembre 1986, n. 917.

3. Con decreto del Ministro del lavoro e delle politiche sociali, di concerto con il Ministro della salute e con il Ministro dell'economia e delle finanze, sentito l'Istituto nazionale della previdenza sociale, entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, ai sensi dell'articolo 17, comma 3, della legge 23 agosto 1988, n. 400, è adottato il regolamento di attuazione del presente articolo.

4. Con il regolamento di attuazione di cui al comma 3, al fine di assicurare

interventi per favorire l'inserimento e la permanenza delle persone affette da malattie rare nei diversi ambienti di vita e di lavoro, sono disciplinate nei limiti delle risorse del Fondo le misure finalizzate a:

a) riconoscere alle famiglie e ai caregiver delle persone affette da malattie rare benefici e contributi per il sostegno e la cura delle persone affette da malattie rare;

b) garantire il diritto all'educazione e alla formazione delle persone affette da malattie rare, nelle scuole di ogni ordine e grado, assicurando che il piano terapeutico sia effettuato anche in ambiente scolastico, con il supporto del personale della scuola appositamente formato, degli operatori delle reti territoriali di assistenza ed eventualmente dei familiari o del caregiver della persona affetta da una malattia rara;

c) assicurare l'inserimento lavorativo della persona affetta da una malattia rara, garantendo la possibilità di mantenere una condizione lavorativa autonoma il più a lungo possibile nel corso della malattia.

CAPO III

CENTRO NAZIONALE, COMITATO NAZIONALE E RETE DI ASSISTENZA PER LE MALATTIE RARE

Art. 7.

(Centro nazionale per le malattie rare)

1. Il Centro nazionale per le malattie rare, con sede presso l'ISS, di seguito denominato « Centro nazionale », svolge le seguenti funzioni:

a) svolge attività di ricerca sulle malattie rare, sia direttamente sia coordinando le attività di altri enti, e promuove l'aggiornamento dei dati presso i medici e gli operatori sanitari e la pubblicazione in via telematica dei medesimi dati;

b) provvede all'aggiornamento semestrale del Registro nazionale delle malattie

rare, istituito dall'articolo 3 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, sulla base del flusso dei dati epidemiologici inviati dalle regioni secondo le medesime modalità di cui alla legge 22 marzo 2019, n. 29 e, in base a tali dati, aggiorna l'elenco delle malattie rare riconosciute;

c) provvede all'istituzione di un Centro di documentazione sulle malattie rare e sui farmaci orfani;

d) predisporre l'istruttoria tecnica di supporto al Comitato di cui all'articolo 8 per la redazione della relazione annuale sulla situazione epidemiologica delle malattie rare in Italia;

e) partecipa con un proprio rappresentante ai lavori del Comitato;

f) predisporre e partecipa a ricerche nazionali e internazionali in materia di malattie rare;

g) predisporre e partecipa alle azioni di formazione e di informazione sulle malattie rare.

2. Il Centro nazionale, mediante il collegamento con la rete dei centri di coordinamento, dei presidi specialistici a essi afferenti e con i coordinatori dei centri che fanno parte delle ERN, svolge altresì le seguenti funzioni:

a) verifica l'applicazione, all'interno dei centri di coordinamento, di strumenti di diagnosi, sia di laboratorio che strumentali, e di cura, compresi i farmaci orfani, relativi a terapie sia intensive che subintensive, per le malattie rare ad esordio o ad andamento acuto;

b) promuove la presenza di strutture qualificate di assistenza e di settori dedicati specificatamente all'attività neuro-riabilitativa per le patologie ad andamento lentamente progressivo o cronico;

c) raccoglie e fornisce informazioni aggiornate sulle strutture e sui servizi diagnostici e assistenziali, a livello nazionale e internazionale, avvalendosi anche della collaborazione delle associazioni na-

zionali e internazionali di pazienti affetti da malattie rare, con le quali intrattiene rapporti periodici;

d) promuove attività di formazione per medici e per operatori sanitari per la prevenzione, la diagnosi, il trattamento e l'assistenza socio-sanitaria, anche di tipo domiciliare, delle malattie rare e organizza annualmente corsi specifici finalizzati alla preparazione e all'aggiornamento degli operatori della rete di assistenza per le malattie rare;

e) promuove attività di comunicazione e di informazione sulle malattie rare e sui farmaci orfani rivolte ai cittadini;

f) definisce i parametri e i criteri per l'elaborazione di linee guida e di protocolli diagnostici e terapeutici, promuovendone la diffusione e assicurandone l'elaborazione per singole malattie rare o per gruppi di malattie rare, nonché i parametri e i criteri per garantire e per verificare la qualità delle attività diagnostiche sulle malattie rare;

g) definisce, d'intesa con i coordinatori dei centri che fanno parte delle ERN, i modelli per l'integrazione delle attività dei medesimi centri ERN nell'ambito del Servizio sanitario nazionale.

3. Il Centro nazionale è composto:

a) dal presidente, nella figura del presidente dell'ISS;

b) dal direttore generale, scelto dal presidente tra il personale di ruolo dell'ISS;

c) dal dirigente amministrativo, scelto dal presidente tra il personale di ruolo dell'ISS;

d) dal comitato d'indirizzo, composto da venti membri e dura in carica 5 anni.

4. Con decreto del Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'università e della ricerca, d'intesa con la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, sono designati i componenti

del comitato d'indirizzo di cui al comma 3, lettera d), individuati tra esperti della materia, rappresentati delle associazioni dei pazienti affetti da una malattia rara e tra i coordinatori dei centri che fanno parte delle ERN. Il numero dei rappresentanti delle associazioni dei pazienti non può essere inferiore a tre. Sono componenti di diritto del comitato il presidente dell'ISS e il direttore generale del Centro nazionale. Ai componenti del Comitato d'indirizzo non spettano gettoni di presenza, compensi, indennità ed emolumenti comunque denominati, ad eccezione del rimborso delle spese effettivamente sostenute previste dalla normativa vigente.

5. Per lo svolgimento delle sue funzioni il Centro nazionale si avvale del personale dell'ISS e della collaborazione dell'Agenzia sanitaria per i servizi regionali (Agenas) e dell'AIFA.

6. Per le finalità dei commi 3 e 4 è autorizzata la spesa di 400.000 euro annui a decorrere dal 2021.

Art. 8.

(Istituzione del 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 particolare, 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'AIFA, dell'ISS, dell'Agenas, delle società scientifiche e delle associazioni dei pazienti affetti da una malattia rara.

3. Il Comitato è l'organo di vertice della Rete nazionale e svolge funzioni di indi-

rizzo e di coordinamento, definendo le linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare.

4. Ai componenti del Comitato non spettano gettoni di presenza, compensi, indennità ed emolumenti comunque denominati, ad eccezione del rimborso delle spese effettivamente sostenute previste dalla normativa vigente. Le attività di supporto al tavolo tecnico sono svolte dalle strutture ministeriali competenti nell'ambito delle risorse umane, finanziarie e strumentali disponibili a legislazione vigente senza nuovi o maggiori oneri a carico della finanza pubblica.

Art. 9.

(Compiti del Comitato)

1. Il Comitato ha il compito di:

a) adottare linee guida, predisposte dal Centro nazionale delle malattie rare e redatte in conformità con quelle europee, per la predisposizione di percorsi diagnostici, terapeutici e assistenziali per interi gruppi di malattie rare o singole malattie rare, al fine di favorire una progressiva omogeneizzazione basata sulle evidenze scientifiche, anche per quanto riguarda l'accesso ai benefici e alle prestazioni;

b) selezionare, con procedure ad evidenza pubblica, sentito il Centro nazionale per le malattie rare, i progetti di ricerca da finanziare attraverso gli stanziamenti del Fondo di cui all'articolo 17;

c) redigere la relazione annuale sulla condizione delle persone affette da malattie rare in Italia e sul funzionamento della Rete nazionale;

d) 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;

e) formulare pareri sui bisogni formativi in materia di malattie rare per gli ordinamenti dei corsi universitari delle facoltà di riferimento.

2. Per lo svolgimento dei propri compiti, il Comitato si avvale della collaborazione del personale dell'ISS, può organizzarsi in gruppi di lavoro e può ricorrere, per i relativi processi di istruttoria tecnica, all'apporto di esperti esterni.

Art. 10.

(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 e il Centro nazionale per le malattie rare, 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.

3. La calendarizzazione degli interventi, l'organizzazione delle attività e la pianificazione delle strutture e delle risorse necessarie per l'attivazione della presente legge sono definite dal Piano nazionale per le malattie rare.

Art. 11.

(Reti di assistenza per le malattie rare)

1. Le regioni, in conformità al Piano nazionale di cui all'articolo 10, definiscono nei propri piani sanitari o socio-sanitari o in altri atti di programmazione l'organizzazione della rete di assistenza per le malattie rare. La Rete nazionale di assistenza per le malattie rare è articolata nelle varie reti regionali e interregionali,

integrate dai centri che fanno parte delle ERN.

2. Sono consentiti e incentivati accordi, convenzioni o protocolli di collaborazione tra più regioni, al fine di istituire comuni reti di assistenza, che definiscano bacini di utenza sufficientemente ampi, per garantire l'alta qualità della prestazione erogata e positive economie di scala allo scopo di ammortizzare gli investimenti tecnologici e infrastrutturali richiesti.

3. Gli accordi, convenzioni o protocolli di cui al comma 2 possono essere estesi anche ad aree transfrontaliere e ad altri Stati europei.

Art. 12.

(Elementi componenti le reti di assistenza per le malattie rare)

1. Le reti di assistenza per le malattie rare comprendono:

a) la rete verticale composta dai centri di riferimento, individuati e accreditati dalle regioni in base a criteri di esperienza e di competenza oggettivamente comprovate e dai centri ERN afferenti alle reti ERN;

b) le reti orizzontali attive vicino al luogo di vita della persona affetta da una malattia rara, composte dagli ospedali locali e dalle reti territoriali di cure primarie dei distretti sanitari, comprendenti medici di medicina generale, pediatri di libera scelta, specialisti, professionisti sanitari e sociali nonché educatori.

2. Ciascuna regione o gruppo di esse individua un centro di coordinamento regionale o interregionale della rete di assistenza.

Art. 13.

(Compiti delle reti verticali per le malattie rare)

1. Nell'ambito delle reti verticali, i centri di riferimento hanno il compito di:

a) formulare la diagnosi di una specifica malattia rara per ciascun paziente, compresa, ove necessaria, l'eventuale diagnosi molecolare. Qualora quest'ultima non sia disponibile nel presidio della rete regionale o interregionale, essa può essere attuata da qualsiasi altro presidio competente che fa parte della Rete nazionale o, eventualmente, seguendo le procedure previste dalla normativa vigente, anche da un presidio competente straniero, senza alcun onere per il paziente e per i suoi familiari;

b) redigere il certificato di diagnosi di malattia rara e rilascia l'attestato di esenzione;

c) definire il danno attuale ed evolutivo, nonché i profili delle funzioni e delle attività indispensabili per formulare il bisogno assistenziale del paziente;

d) predisporre il piano assistenziale personalizzato, a partire dal profilo dei bisogni assistenziali, e il suo aggiornamento nel tempo, che costituisce la base per la presa in carico della persona affetta da una malattia rara, garantendo anche un percorso strutturato nella transizione dall'età pediatrica all'età adulta;

e) attuare direttamente cure e interventi di particolare complessità, qualora essi si rendano necessari;

f) redigere relazioni cliniche, certificazioni e quanto altro sia utile per facilitare e per orientare azioni e interventi di presa in carico delle persone affette da una malattia rara, di ottenimento di diritti e di benefici, nonché di inserimento nei diversi luoghi di vita e di lavoro della medesima persona;

g) supervisionare e offrire eventuale consulenza sia a distanza che in loco ai servizi e alle strutture attivi nella presa in carico della persona affetta da una malattia rara;

h) collabora alla stesura di protocolli e di linee guida sulle specifiche malattie rare trattate, in collaborazione con gli altri

centri di riferimento delle reti regionali o interregionali e con i centri di coordinamento regionali o interregionali;

i) partecipare a progetti di ricerca di base, molecolare e traslazionale nonché a programmi di formazione e di aggiornamento professionali e di informazione all'utenza e all'opinione pubblica;

l) attivare e tenere un rapporto stabile con le associazioni delle persone affette da una malattia rara e dei loro familiari.

2. La certificazione di malattia rara, effettuata ai sensi del comma 1, assicura, con durata illimitata e per tutto il territorio nazionale, l'erogazione, a totale carico del Servizio sanitario nazionale, di tutte le prestazioni incluse nei LEA di cui al decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, pubblicato nel supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 65 del 18 marzo 2017.

Art. 14.

(Compiti delle reti orizzontali di assistenza per le malattie rare)

1. Le reti orizzontali, attive nel luogo di residenza o di domicilio dell'assistito e costituite dalle strutture territoriali sanitarie, sociosanitarie e sociali, pubbliche o convenzionate hanno il compito, ciascuna per le proprie competenze, di:

a) prendere in carico la persona affetta da una malattia rara, in base a quanto predisposto dal centro di riferimento nel piano assistenziale personalizzato, realizzando gli interventi e i trattamenti previsti eventualmente anche a livello domiciliare;

b) effettuare il monitoraggio clinico secondo le indicazioni date dal centro di riferimento e rispondere alle richieste urgenti ed emergenti;

c) interagire con gli altri servizi e istituzioni della comunità, facilitando e favorendo l'inserimento e l'integrazione

della persona affetta da una malattia rara nella scuola, nel lavoro, nelle attività del tempo libero, dello sport e dell'aggregazione;

d) fornire assistenza legale alla persona affetta da una malattia rara per facilitare l'ottenimento di quanto previsto dai diritti ad essa riconosciuti, orientando la stessa persona e i suoi familiari tra i servizi e le istituzioni preposti al riconoscimento di tali diritti;

e) garantire il supporto psicologico e organizzativo alla persona affetta da una malattia rara e ai suoi familiari, nonché l'informazione e la comunicazione adeguate alle situazioni e alle evoluzioni cliniche ipotizzate e alle circostanze vissute dal nucleo familiare, anche attraverso il coinvolgimento delle associazioni delle persone affette da una malattia rara e dei loro familiari, nelle forme e nei limiti previsti dalla legge.

Art. 15.

(Compiti dei centri regionali e interregionali di coordinamento)

1. I centri regionali o interregionali di coordinamento hanno il compito di:

a) coordinare la rete di assistenza per malattie rare, anche attivando azioni di facilitazione dei rapporti tra centri di riferimento e reti orizzontali di presa in carico, di supporto e di orientamento alle attività di valutazione diagnostica e di realizzazione del percorso assistenziale di ciascun paziente;

b) predisporre, in collaborazione con i centri di riferimento, compresi i centri ERN, i protocolli diagnostico e terapeutici per le malattie rare;

c) gestire e coordinare il flusso informativo per la parte di competenza regionale o interregionale, anche attraverso l'attivazione del registro regionale o interregionale delle malattie rare, assicurando il trasferimento dei dati nel Registro nazionale;

d) fornire supporto alla programmazione regionale o interregionale in tema di malattie rare;

e) garantire l'informazione alle persone affette da malattie rare, ai loro familiari e all'opinione pubblica nonché collaborare nei programmi di formazione e di aggiornamento per i professionisti sanitari, sociali e per gli educatori in materia di malattie rare;

f) partecipare a eventuali attività di ricerca epidemiologica, clinica e traslazionale, nonché ai processi di innovazione tecnologica e organizzativa in materia di malattie rare;

g) garantire rapporti costanti con le persone affette da malattie rare e con le associazioni delle persone affette da una malattia rara e dei loro familiari al fine di orientare, monitorare e valutare le strategie predisposte in materia di malattie rare;

h) monitorare le attività svolte dalla rete, con una valutazione biennale circa il mantenimento dei requisiti da parte delle strutture presenti nella rete.

Art. 16.

(Flussi informativi delle reti di assistenza per le malattie rare)

1. Al fine di produrre nuove conoscenze sulle storie naturali delle malattie rare, monitorare l'attività e l'uso delle risorse nonché per valutare la qualità complessiva delle prese in carico dei pazienti e attuare un monitoraggio epidemiologico anche al fine di orientare e supportare la programmazione nazionale in tema di malattie rare e le azioni di controllo e di verifica del Comitato nazionale per le malattie rare, le regioni assicurano, attraverso i Centri regionali e interregionali di coordinamento, il flusso informativo delle reti di assistenza per le malattie rare al Centro nazionale delle malattie rare di cui all'articolo 7.

2. Può essere incentivata, con i fondi per l'innovazione tecnologica e per l'infor-

matizzazione della pubblica amministrazione e della sanità, la realizzazione di infrastrutture informatiche che facilitino la connessione tra centri di riferimento e reti orizzontali di cure primarie attraverso l'uso di cartelle cliniche condivise, attività di consulenza a distanza e supervisione degli interventi attivati anche in sede domiciliare. Tali supporti permettono la messa in comune dell'informazione tra tutti gli attori coinvolti nella presa in carico della persona affetta da malattia rara e consentono alla stessa di avere a disposizione la propria informazione clinica essenziale al momento dell'accesso a nuove strutture, anche in condizioni di urgenza ed emergenza.

3. Può essere incentivato l'utilizzo della piattaforma *Clinical Patient Management System* (CPMS) per la condivisione di dati sensibili predisposta dalla Commissione Europea ad uso dei centri ERN.

CAPO IV

RICERCA, FORMAZIONE E INFORMAZIONE IN MATERIA DI MALATTIE RARE

Art. 17.

(Istituzione del Fondo nazionale per la ricerca sulle malattie rare e sullo sviluppo dei farmaci orfani)

1. Ai sensi dell'articolo 9 del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, nello stato di previsione del Ministero della salute è istituito il Fondo nazionale per la ricerca sulle malattie rare e sullo sviluppo dei farmaci orfani, di seguito denominato « Fondo ».

2. Su parere del Comitato nazionale di cui all'articolo 8, sentito il Centro nazionale per le malattie rare, il Fondo, nel limite delle risorse disponibili, è destinato alle seguenti attività:

a) studi preclinici e clinici promossi nel settore delle malattie rare;

b) studi osservazionali e registri di uso compassionevole di farmaci non ancora commercializzati in Italia;

c) programmi di sorveglianza su farmaci orfani e su altri trattamenti innovativi immessi in commercio sulla base di ipotesi biologiche e di evidenze iniziali di efficacia, ma privi di conoscenze certe sulla efficacia e sulla sicurezza del loro uso a medio e a lungo termine.

3. Il Fondo è finanziato con un incremento pari al 2 per cento delle quote versate dalle industrie farmaceutiche per le procedure di registrazione e di variazione dei prodotti medicinali e con eventuali contributi di soggetti, singoli o collettivi, pubblici o privati. Nel Fondo confluiscono altresì le risorse di cui all'articolo 48, comma 19, lettera a), del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito con modificazioni dalla legge 24 novembre 2003, n. 326. Con decreto del Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze, da adottare entro quattro mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, sono stabiliti le modalità e i criteri di accesso e finanziamento del Fondo nonché le modalità di valutazione e verifica dei risultati delle ricerche, fatto salvo quanto disposto all'articolo 9, comma 1, lettera b).

Art. 18.

(Incentivi fiscali)

1. Al fine di favorire la ricerca finalizzata allo sviluppo di protocolli terapeutici o alla produzione dei farmaci orfani ai soggetti pubblici o privati che svolgono tali attività di ricerca o che finanziano progetti di ricerca sulle malattie rare o sui farmaci orfani svolti da enti di ricerca pubblici o privati si applica un sistema di incentivi fiscali sotto forma di credito d'imposta pari al 65 per cento delle spese sostenute per l'avvio e per la realizzazione di tali progetti. Il credito d'imposta è riconosciuto fino ad un importo massimo annuale di euro 200.000 per ciascun bene-

ficiario, nel limite massimo complessivo di 10 milioni di euro annui a decorrere dal 2021.

2. I soggetti di cui al comma 1, al fine di usufruire degli incentivi fiscali di cui al medesimo comma, inviano, entro il 31 marzo di ogni anno, al Ministero dell'economia e delle finanze il protocollo relativo alla ricerca sulle malattie rare.

3. Il Ministro dell'economia e delle finanze, di concerto con il Ministro della salute e con il Ministro dell'istruzione, dell'università e della ricerca, entro sei mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, con regolamento adottato ai sensi dell'articolo 17, comma 3, della legge 23 agosto 1988, n. 400, stabilisce i criteri e le modalità di attuazione del presente articolo, anche al fine di assicurare l'osservanza dei limiti di spesa annui.

4. Il credito d'imposta è indicato nella dichiarazione dei redditi relativa al periodo d'imposta di riconoscimento del credito. Esso non concorre alla formazione del reddito né della base imponibile dell'imposta regionale sulle attività produttive e non rileva ai fini del rapporto di cui agli articoli 61 e 109, comma 5, del testo unico delle imposte sui redditi, di cui al decreto del Presidente della Repubblica 22 dicembre 1986, n. 917. Il credito d'imposta è utilizzabile esclusivamente in compensazione ai sensi dell'articolo 17 del decreto legislativo 9 luglio 1997, n. 241, e non è soggetto al limite di cui al comma 53 dell'articolo 1 della legge 24 dicembre 2007, n. 244. Il credito è utilizzabile a decorrere dal 1° gennaio del periodo d'imposta successivo a quello in cui sono state effettuate le spese. Ai fini della fruizione del credito d'imposta, il modello F24 è presentato esclusivamente attraverso i servizi telematici messi a disposizione dall'Agenzia delle entrate, pena il rifiuto dell'operazione di versamento. I fondi occorrenti per la regolazione contabile delle compensazioni esercitate ai sensi del presente comma sono stanziati su apposito capitolo di spesa dello stato di previsione del Ministero dell'economia e delle fi-

nanze, per il successivo trasferimento alla contabilità speciale « Agenzia delle entrate – Fondi di bilancio ».

5. Le imprese farmaceutiche e biotecnologiche che intendono svolgere studi finalizzati alla scoperta o alla registrazione e alla produzione di farmaci orfani o di altri trattamenti altamente innovativi possono accedere agli incentivi stabiliti dal decreto del Ministro dell'università e della ricerca scientifica e tecnologica 8 agosto 2000, pubblicato nel supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 14 del 18 gennaio 2001. Le richieste sono approvate dal Ministro dell'istruzione, dell'università e della ricerca entro sei mesi dalla data della loro presentazione. L'ammissione agli incentivi previsti o l'eventuale esclusione sono comunicati ai soggetti richiedenti, entro sei mesi dalla data di presentazione della relativa richiesta, in forma scritta. In caso di esclusione, la comunicazione contiene in dettaglio le motivazioni. Lo stesso progetto di ricerca, opportunamente modificato, può comunque essere ripresentato.

6. Entro sei mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, il Ministro dell'istruzione, dell'università e della ricerca stabilisce, con proprio decreto, che per ciascuna delle tipologie delle attività di cui al comma 21 dell'articolo 5 del decreto del Ministro dell'università e della ricerca scientifica e tecnologica 8 agosto 2000, pubblicato nel supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 14 del 18 gennaio 2001, siano concesse eventuali ulteriori agevolazioni, nell'ambito delle risorse disponibili a legislazione vigente.

Art. 19.

(Accesso ai finanziamenti pubblici per la ricerca)

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.

3. Le ricerche finanziate ai sensi del presente articolo sono equamente distribuite tra ricerca di base e molecolare, ricerca clinica e ricerca traslazionale.

Art. 20.

(Formazione e informazione sulle malattie rare)

1. Il Ministero della salute, nell'ambito delle attività informative e comunicative previste a legislazione vigente, promuove azioni utili per:

a) assicurare un'adeguata formazione dei professionisti sanitari, dei pazienti coinvolti e delle loro famiglie;

b) dare un'informazione tempestiva e corretta ai pazienti e ai loro familiari;

c) sensibilizzare l'opinione pubblica sulle malattie rare.

2. I centri di coordinamento regionali e interregionali, entro sei mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, si dotano di strumenti adeguati, preferibilmente linee telefoniche dedicate, siti *web* e sistemi di dialogo via e-mail, al fine di fornire le informazioni necessarie per accedere e per utilizzare in modo ottimale le reti regionali e interregionali di assistenza per le malattie rare da loro coordinate e per orientare le persone affette da tali malattie anche rispetto alle offerte assistenziali organizzate da regioni diverse da quella di rispettiva residenza.

3. Il Ministero della salute, sentito il Comitato nazionale per le malattie rare di cui all'articolo 8, attua periodiche campagne nazionali di informazione e di sensibilizzazione dell'opinione pubblica sulle malattie rare nell'ambito delle attività informative e comunicative previste a legislazione vigente.

4. Il Ministero della salute presenta, entro il 31 dicembre di ciascun anno, alle competenti commissioni parlamentari, una relazione sullo stato di attuazione della presente legge.

CAPO V

DISPOSIZIONI FINANZIARIE

Art. 21.

(Disposizioni finanziarie)

1. Per l'attuazione degli articoli 7, commi 1, 2 e 5, 9, 11, 12, 13, 14 e 15, è autorizzata la spesa di 10 milioni di euro annui a decorrere dal 2021. Con decreto del Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'economia, acquisito il parere delle commissioni parlamentari competenti per materia e per i profili finanziari, le risorse di cui al primo periodo sono ripartite annualmente, sulla base del piano nazionale

delle malattie rare, ove adottato, fra gli interventi da attuare.

2. Agli oneri derivanti dall'attuazione degli articoli 4, 5, 6, commi 2 e 7, comma 6, e del comma 1 del presente articolo, pari a 16,4 milioni di euro annui a decorrere dal 2021, si provvede mediante corrispondente riduzione del fondo per le esigenze indifferibili di cui all'articolo 1, comma 200, della legge n. 190 del 2014.

3. Agli oneri derivanti dall'attuazione dell'articolo 18, pari a 10 milioni di euro annui a decorrere dal 2021, si provvede mediante corrispondente riduzione dello stanziamento del fondo speciale di conto capitale iscritto, ai fini del bilancio triennale 2020-2022, 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 2020, allo scopo parzialmente utilizzando l'accantonamento relativo al medesimo Ministero.

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