



Intervento di

**Annalisa Scopinaro**  
**Presidente UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare**  
**Rare Disease Italy**

13 luglio 2021

Audizione informale proposta di legge "Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare".

**Garantire in maniera EQUA alle persone affette da malattie rare  
il diritto alla migliore qualità di vita possibile per non lasciare indietro nessuno**

*Gentile Presidente, Onorevoli Senatori,*

Ringrazio il relatore della legge, Senatrice Paola Binetti, ed i membri della Commissione per la disponibilità ad un'audizione con la Federazione, unica rappresentanza collettiva, nazionale e trasversale della Comunità delle persone con malattia rara.

Durante il percorso del Testo di Legge alla Camera abbiamo avuto l'opportunità di discutere le nostre proposte in audizione; abbiamo inoltre potuto presentare i nostri bisogni anche in contesti pubblici e privati con diversi deputati.

Il risultato su alcuni articoli, dopo queste audizioni, è ottimo: all'art. 4 comma 2 lettera c apprezziamo l'apertura alle formulazioni galeniche e magistrali anche alle farmacie pubbliche e private convenzionate, come richiesto anche dagli stessi farmacisti ospedalieri; alla lettera d) l'elencazione delle terapie riabilitative, compresi la neuropsicologica e cognitiva, terapia psicologica e occupazionale.

Nell'art. 6 sottolineiamo l'importanza, oltre che dell'istituzione del Fondo di Solidarietà, un cenno di attenzione, delle lettere b e c al comma 2, sul diritto all'educazione e formazione e sull'inserimento lavorativo della persona con malattia rara.

L'articolo 8, che istituisce il Comitato Nazionale per le malattie rare, ha recepito i nostri suggerimenti sull'allargamento al MIUR, al Ministero del Lavoro e politiche Sociali e all'INPS, nell'ottica di comprendere tutte le istituzioni, non solo sanitarie, che devono realizzare concretamente il progetto di vita delle persone con malattia rara.

Alleanza Nazionale di



Come ha sottolineato anche il Sottosegretario Sileri nell'intervento di apertura della presentazione del rapporto Monitorare il 6 luglio, l'art. 9 che rende l'aggiornamento del Piano nazionale una consuetudine triennale dà un senso di routine e pianificazione a questa attività.

Il Capo IV, sulla ricerca, ampliando i finanziamenti dedicati, gli incentivi fiscali e anche la promozione specifica della ricerca sulle malattie rare, accompagnata da un'informazione precisa (anche attraverso specifiche campagne di sensibilizzazione), potrà costituire uno stabile punto di appoggio; insieme al finanziamento previsto dal PNRR, che purtroppo non sarà ripetibile ma può costituire la base per un nuovo slancio, conferma una maggiore attenzione a queste aree.

Siamo consapevoli che, rispetto ad alcune proposte che noi stessi avevamo avanzato, ci siano state osservazioni dal MEF e dallo stesso Ministero della Salute che hanno indotto ad una versione che, come si è poi confermato, non avrebbe trovato opposizioni all'approvazione da parte delle varie commissioni deputate all'esame del testo di legge.

All'art. 4 comma 2c, ad esempio, sono stati esclusi i farmaci di fascia C, indispensabili per molte malattie rare e in questo momento disomogeneamente distribuiti sul territorio nazionale a causa dei piani di rientro di alcune Regioni. Ma questo particolare può essere superato, lavorando di concerto proprio con la Conferenza Stato Regioni per chiedere alla Commissione LEA un'approvazione di una lista di terapie scientificamente riconosciute valide, in modo da eliminare tutte le disparità di accesso.

Il Fondo di Solidarietà ha un importo minimo, paragonato alla numerosità delle persone con malattia rara.

Non si parla di formazione sulle e per le malattie rare, lasciata ad altri organi istituzionali.

I dispositivi medici e i presidi sanitari sono oggetto di procedure di gara, che sappiamo essere al ribasso, pur individuando la possibilità di prescrizione di prodotti personalizzati, se superiori in termini di benefici. Dovremo vigilare puntualmente su questo aspetto.

Nonostante questi appunti, la nostra sensazione è che rimettere mano al testo presentato dalla Camera, per quanto con ottime intenzioni e sicuramente con la realizzazione di miglioramenti, significherebbe allungare l'iter parlamentare e rischiare di andare ad impattare con la fine della legislatura. I tempi necessari agli approfondimenti e dovuti, nel nostro ordinamento, per assicurare la massima democraticità delle decisioni sono essenziali ma anche molto lunghi.

Le persone con malattia rara, già duramente provate dalla pandemia da Sars-Covid-2, hanno bisogno di un segnale di attenzione.



Le politiche sanitarie devono tener conto dell'effettiva numerosità, purtroppo ancora largamente sottostimata, della nostra comunità: con gli ultimi studi europei, come evidenziato nel rapporto MonitoRare, dovrebbero essere censite oltre 2.200.000 persone con malattia rara. Abbiamo bisogno di poter vedere da un lato un cenno di attenzione, dall'altro un miglioramento nella nostra qualità di vita, e il testo di legge alla vostra attenzione va in quella direzione.

Altri passi, naturalmente, potranno essere fatti.

Emanare il decreto Tariffe renderebbe fruibile il nomenclatore che ha aggiornato i LEA nel 2017, ancora oggi non applicabile per mancanza di questo decreto.

Rivedere le tabelle di invalidità dell'INPS, ferme al 1992, quando a malapena si sapeva che esistevano le malattie rare.

Dare una copertura economica al finanziamento per la malattie rare, già previsto nel decreto legislativo 502/1992.

Riconoscere e salvaguardare il ruolo del caregiver, concretizzando le proposte già all'attenzione parlamentare.

Porre particolare attenzione ai percorsi per le malattie rare in tutte le azioni previste nel Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza per il Servizio Sanitario Nazionale e la sua ristrutturazione.

Discutiamo insieme su come migliorare ulteriormente la qualità di vita delle persone con malattie rare, ma procediamo spediti con questo testo e questa formulazione. Dovremo già vigilare, dopo l'approvazione, perché i decreti attuativi completino velocemente l'iter legislativo: stiamo vedendo proprio in questi mesi come la legge sulle sperimentazioni cliniche sia stata ferma per quasi quattro anni proprio in attesa di questi ultimi. E sappiamo quanto le sperimentazioni di nuove terapie siano indispensabili al mondo delle malattie rare.

Il nostro invito a voi, illustri componenti della Commissione, e ai Senatori tutti, è che il cosiddetto Testo Unico non trovi impedimenti nel suo iter legislativo e possa giungere in tempi brevi alla fase operativa.

Grazie per la vostra attenzione, a nome di tutta la comunità delle persone con malattia rara.

Alleanza Nazionale di

