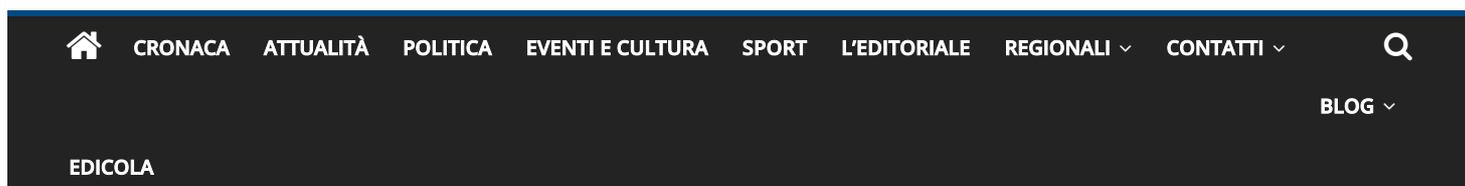




Ultimo: GUGLIELMI SUL MELFI



EDICOLA

malattierare.gov.it
insieme nel mondo delle malattie rare

Ministero della Salute
CENTRO NAZIONALE MALATTIE RARE
UNIAMO
FEDERAZIONE ITALIANA MALATTIE RARE
Rare Diseases Italy

www.malattierare.gov.it

Attualità Blog Rubriche

RARAMENTE : NUOVO NUMERO SULLE MALATTIE RARE

Adesso spetta a tutti noi rendere operativo quanto la Legge prevede e proiettarci verso nuovi traguardi



17 Novembre 2021 Domenico Leccese

È online il nuovo numero della newsletter RaraMente, dedicato al Testo unico sulle malattie rare !!

malattierare.gov.it
insieme nel mondo delle malattie rare

Trasmissioni



Basilicata Blog Trasmissioni

GLI EROI DEL 118: DALLE AMBULANZE ALL'ELICOTTERO

4 Luglio 2021 redazione

L'emergenza-urgenza interessa tutta la regione. Ospite di Doctor, il responsabile del 118 Dr Rizzo



TURISMO, ECCO LA RIPARTENZA SECONDO GARAVAGLIA

1 Luglio 2021



LE PATOLOGIE DEL COMPARTO ORECCHIO-NASO-GOLA

27 Giugno 2021

t.me/lecronache





La newsletter è realizzata in collaborazione con @uniamofimronlus e @cnmr_ISS, e grazie al supporto tecnico di @IPZS



Silvio Brusferro, Presidente dell'ISS

17 novembre 2021

Testo Unico sulle malattie rare: un punto fermo da cui non si torna indietro

di Silvio Brusferro, Presidente dell'ISS

Il Testo Unico sulle malattie rare è finalmente Legge di Stato. Nel corso di un iter durato tre anni e mezzo – di cui due attraversati, anzi 'complicati' da una pandemia che tutti ha messo alla prova ma che ha disorientato i pazienti rari più di altri – la collaborazione trasversale tra forze parlamentari, istituzioni e associazioni di pazienti, in nome di un bene maggiore e comune, ha dato i suoi frutti.

Frutti che certamente ora devono maturare nel quotidiano delle persone, ossia concretizzarsi in termini di vero accesso alle cure, disponibilità dei farmaci, inclusione scolastica, sociale e lavorativa. Si parte, però, per la prima volta, da solide fondamenta. Da

unisciti al nostro canale telegram

Diretta Live | H24

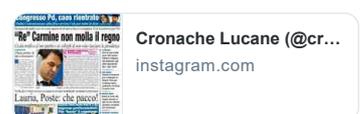


Sponsor



Seguici su Twitter

Tweet di @cronachelucane



3h



3h

Incorpora

Visualizza su Twitter

un testo che ha dato una cornice legislativa ad obiettivi fissati e attesi da tempo ma anche agli strumenti istituzionali atti a realizzarli. La Legge ha il merito, infatti, di aver valorizzato quanto di buono è stato fatto ad oggi a partire dal 2001, anno di istituzione della Rete e del Registro Nazionale delle Malattie Rare, di averne fatto un patrimonio comune, da difendere e al tempo stesso da rendere fruibile – tramite i Decreti attuativi che auspichiamo spediti grazie anche al Tavolo tecnico sulle malattie rare istituito presso il Ministero della salute -, da parte dei pazienti, delle famiglie degli stessi e dei caregiver.

Un ringraziamento speciale va a tutti i parlamentari che hanno lavorato con grande spirito di collaborazione a questo disegno di legge, dando così un esempio di “buona politica”, e, naturalmente, alle associazioni dei pazienti, alle centinaia di associazioni, in primis ad UNIAMO, la Federazione Italiana Malattie Rare, che ne raccoglie oltre 150, per quel lavoro instancabile di advocacy, senza calcoli e senza distrazioni, che, semplicemente, mette al centro le persone.

In questo patrimonio comune che è la Legge, dispiegata in 16 articoli, mi fa piacere evidenziare il ruolo fondamentale dell'ISS che ha il suo perno, in quest'ambito, nel Centro Nazionale Malattie Rare (CNMR), diretto da **Domenica Taruscio** e che, fin dai suoi esordi nel 2008 e ancor prima nel 2001, è stato a servizio dei pazienti e, per loro, a supporto del Servizio Sanitario Nazionale. L'articolo 7 del Testo Unico definisce, infatti, anzi conferma e rafforza, le attività di ricerca, consulenza e documentazione del CNMR, già sede del prezioso Registro Nazionale delle Malattie Rare. L'articolo 8 istituisce il Comitato Nazionale per le Malattie Rare, deputato a definire le strategie delle politiche nazionali e regionali in quest'ambito, per mezzo delle competenze di rappresentanti dell'ISS, insieme a quelli dei Ministeri della salute, dell'Università e della ricerca, del lavoro e delle politiche sociali, della Conferenza delle regioni, dell'AIFA, dell'AGENAS, dell'INPS e delle Associazioni dei pazienti. Rappresentanti che, mi preme sottolinearlo, non riceveranno per questo compito alcuna indennità, alcun emolumento o rimborso spese che dir si voglia. Non vi è, in altre parole, alcun onere aggiuntivo per le casse dello Stato. Infine, l'articolo 10 conferma il CNMR come ultimo destinatario del flusso di dati e informazioni che giungono dalle Regioni, attraverso i centri regionali e interregionali di coordinamento, affinché lo stesso CNMR possa produrre nuove conoscenze sulle malattie rare, monitorare l'attività per valutare la qualità complessiva della presa in carico dei pazienti e attuare il monitoraggio epidemiologico per orientare e supportare meglio la programmazione sanitaria nazionale in tema di patologie rare.

E' stata definita questa una legge di civiltà. E di fatto lo è, perché fissa dei principi di equità e giustizia sociale da cui non è lecito tornare indietro: rende obbligatoria l'uniformità su tutto il territorio nazionale dei percorsi di cura, a partire dall'erogazione di prestazioni e medicinali, compresi quelli orfani (al riguardo, detta disposizioni perché, in tutte le Regioni, sia immediata l'assistenza farmaceutica e la disponibilità dei farmaci approvati a livello nazionale); assicura l'aggiornamento periodico dei LEA e dell'elenco delle malattie rare, quelle per le quali esiste un codice identificativo che assicura l'esenzione dal ticket; potenzia la Rete Nazionale delle Malattie Rare, collegando tutti i centri clinici accreditati e individuati dalle Regioni con i centri che fanno parte delle Reti di Riferimento Europee, network a loro volta di strutture sanitarie di eccellenza presenti in tutta Europa; sostiene la ricerca, sia di soggetti pubblici che privati, con incentivi, quali il credito d'imposta.

Oltre ad esigere il rinnovo puntuale ogni tre anni del Piano Nazionale per le Malattie Rare, punta ad un Piano Diagnostico Terapeutico Assistenziale personalizzato, ovvero a misura del paziente, assegnandone la delineazione ai Centri di riferimento e costruendo le tappe di un percorso che mancava, quello della transizione dall'età pediatrica all'età adulta. Senza dimenticare la sfera sociale, ossia quei bisogni che la gran parte di noi ritiene scontati, ma che tali non sono se per alcuni restano inevasi, innescando quel cerchio di solitudine in cui molti malati rari restano intrappolati. Al riguardo, il Testo Unico istituisce un Fondo di solidarietà, a partire da uno stanziamento di un milione di euro annui dal 2022, per finanziare il sostegno scolastico, l'inserimento e la permanenza delle persone con malattie rare nei diversi contesti di vita e di lavoro.

Tweet e post dai social del Consiglio regionale di Basilicata

Tweet di @CRBasilicata



Incorpora

Visualizza su Twitter

Dall'Italia e dal mondo

Vaccino 5-11 anni, possibile decisione Ema entro settimana prossima

Assegno unico figli e obbligo terza dose sanitari in Cdm domani

Covid oggi Calabria, 197 contagi e 2 morti: bollettino 17 novembre

Covid, quadruplicano casi di ansia e la fondatrice di ProntoPro lancia piattaforma Serenis



Infine, un articolo della Legge è dedicato alla comunicazione: tra i compiti del Ministero della salute vi è quello di un'informazione tempestiva e corretta ai pazienti e ai loro familiari, nonché la sensibilizzazione dell'opinione pubblica. La comunicazione, dunque, come parte della "cura". E di questo ne è strumento anche il Portale malattierare.gov.it, in cui di nuovo il CNMR è coinvolto in prima linea: con una banca dati che contiene nomi e caratteristiche di migliaia di patologie, e, per ognuna di esse, associazioni di pazienti di riferimento e centri di diagnosi e cura; con news, eventi, testimonianze e numeri utili, in primis quello del Telefono Verde Malattie Rare, e con la disseminazione delle informazioni anche tramite questa newsletter.

Adesso spetta a tutti noi rendere operativo quanto la Legge prevede e proiettarci verso nuovi traguardi.

Malattie rare, la Legge articolo per articolo



Il "Disegno di legge per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani", approvato il 3 novembre in Senato all'unanimità, si compone di 16 articoli, di cui proponiamo qui una sintesi:

L'articolo 1 tratta le finalità della legge, sostanzialmente la tutela del diritto alla salute, con misure che dovrebbero garantire:

- l'uniformità dell'erogazione sul territorio nazionale delle prestazioni e dei medicinali, inclusi quelli orfani;
- il coordinamento, l'aggiornamento periodico dei livelli di assistenza e dell'elenco delle malattie rare;
- il coordinamento, il riordino e il potenziamento della Rete Nazionale per le Malattie Rare istituita nel 2001 e comprensiva dei centri che fanno parte delle Reti di Riferimento Europee (ERN);
- il sostegno alla ricerca.

L'articolo 2 definisce quando si debba parlare di **malattia rara**, ovvero quando la prevalenza è di meno di 5 casi ogni 10.000 persone. Nell'ambito delle malattie rare sono comprese le malattie ultrarare (con una prevalenza inferiore a un caso su 50.000) e i tumori rari.

L'articolo 3 definisce un farmaco come **orfano**, in conformità al regolamento CE n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio del 16 dicembre 1999, quando:

- è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita o la debilitazione cronica e che colpisce non più di cinque individui su 10.000 nel momento in cui viene presentata la domanda di assegnazione della qualifica di farmaco orfano;
- oltre ad essere destinato ad una malattia debilitante o grave e cronica, è poco probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione di tale farmaco sia così redditizia da giustificare l'investimento necessario;
- non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, profilassi o terapia delle affezioni descritte autorizzati;
- pur sussistendo metodi autorizzati si può dimostrare che il farmaco ha effetti benefici significativi.

L'articolo 4 si occupa dei Piani Diagnostico Terapeutico Assistenziali Personalizzati, dandone la competenza ai centri di riferimento di cui al D.M. 279 del 2001. I Piani comprendono tutti i trattamenti e i monitoraggi necessari al paziente, garantendo anche un percorso strutturato nella transizione dall'età pediatrica all'età adulta.

L'articolo 5 dà disposizioni per assicurare l'assistenza farmaceutica e l'immediata disponibilità dei farmaci orfani in tutte le Regioni. I farmaci di fascia A od H prescritti ai pazienti vengono erogati dalle farmacie dei presidi sanitari, dalle aziende sanitarie territoriali di appartenenza del paziente – anche nel caso di diagnosi della malattia rara in una regione diversa da quella di residenza -, dalle farmacie pubbliche e private convenzionate con il Servizio Sanitario Nazionale, secondo gli accordi regionali. Aumenta il numero di pezzi prescrivibili per ricetta, che può essere superiore a tre qualora previsto dal Piano Terapeutico Assistenziale.

I farmaci suddetti sono comunque resi disponibili dalle regioni anche nelle more dei periodici aggiornamenti per il loro inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri o in altri elenchi analoghi predisposti dalle competenti autorità regionali o locali. Le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano sono tenute ad aggiornare, con periodicità almeno semestrale, i prontuari terapeutici ospedalieri e ogni altro strumento analogo regionale, nonché a trasmetterne copia all'AIFA.

Viene **consentita l'importazione di farmaci in commercio in altri Paesi anche per usi non autorizzati nei Paesi di provenienza**, purché compresi nei Piani Diagnostici Terapeutici Assistenziali. Il farmaco, che è a carico del SSN, deve essere però richiesto da una struttura ospedaliera, anche se utilizzato per assistenze domiciliari.

L'articolo 6 prevede e disciplina l'istituzione, nello stato di previsione del Ministero del lavoro e delle politiche sociali, del **Fondo di solidarietà per le persone affette da malattie rare**, con una dotazione iniziale pari ad un milione di euro annui a decorrere dall'anno 2022. Tale Fondo va a finanziare le misure **per il sostegno del lavoro di cura e assistenza delle persone affette da tale patologia, con invalidità pari al 100 per cento e che necessitano di assistenza continua**. Il regolamento di attuazione dell'articolo 6 viene adottato, entro tre mesi dall'entrata in vigore della legge, 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, previa intesa in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni, le province autonome di Trento e Bolzano, sentito l'Istituto nazionale della previdenza sociale. Tale regolamento stabilisce misure dirette a:

- riconoscere benefici e contributi ai familiari e a coloro che si prendono cura delle persone con malattie rare;
- garantire il diritto all'educazione e alla formazione delle persone con malattie rare nelle scuole, assicurando che il piano terapeutico sia svolto anche in ambiente scolastico con il supporto necessario;
- favorire l'inserimento lavorativo e la possibilità di mantenere una condizione lavorativa autonoma della persona con malattia rara.

L'articolo 7 definisce le **funzioni del Centro Nazionale per le Malattie Rare**, con sede presso l'Istituto Superiore di Sanità, prevedendo che esso svolga attività di ricerca,

consulenza e documentazione sulle malattie rare e i farmaci orfani finalizzata alla prevenzione, trattamento e sorveglianza delle stesse. Il Centro è la sede del Registro Nazionale delle Malattie Rare e promuove attività operative finalizzate al suo mantenimento e sviluppo.

L'**articolo 8** prevede l'istituzione presso il Ministero della salute del **Comitato Nazionale per le Malattie Rare**, la cui composizione assicura la rappresentanza di tutti i soggetti portatori di interessi del settore (tra i quali rappresentanti dei Ministeri della salute, dell'Università e della ricerca, del lavoro e delle politiche sociali, della Conferenza delle regioni, dell'AIFA, dell'ISS, dell'AGNAS, dell'INPS e delle Associazioni dei pazienti), **svolge funzioni di indirizzo e coordinamento definendo le linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare**. I componenti del Comitato non percepiscono alcuna indennità, compensi, rimborsi od emolumenti. Le attività di supporto tecnico sono svolte dalle strutture ministeriali competenti e disponibili a legislazione vigente senza nuovi o maggiori oneri per la finanza pubblica.

L'**articolo 9** prevede che **ogni tre anni** venga approvato il **Piano Nazionale per le Malattie Rare** che, in sede di prima attuazione del provvedimento in esame, verrà adottato entro tre mesi dall'entrata in vigore della legge.

L'**articolo 10** prevede che le regioni assicurino, attraverso i Centri regionali e interregionali di coordinamento, il **flusso informativo delle reti per le malattie rare** al Centro Nazionale per le Malattie Rare, al fine di produrre nuove conoscenze sulle malattie rare, monitorare l'attività e l'uso delle risorse nonché per valutare la qualità complessiva della presa 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. Anche in tal caso è inserita la clausola di invarianza degli oneri finanziari.

L'**articolo 11** dispone che a decorrere dal 2022 il **Fondo nazionale per l'impiego**, a carico del SSN, **di farmaci orfani** per malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie, di cui all'articolo 48, comma 19, lettera a) del D.L. n. 269/2003, convertito, con modificazioni, dalla legge n. 326/2003, **venga integrato con un ulteriore versamento pari al 2 per cento delle spese autocertificate entro il 30 aprile di ogni anno da parte delle aziende farmaceutiche sull'ammontare complessivo della spesa sostenuta nell'anno precedente per le attività di promozione rivolte al personale sanitario**. (NDR: attualmente tale fondo è istituito presso AIFA e finanziato con il 2,5% delle suddette spese; con questa legge il contributo delle aziende sale al 4,5%). Il Fondo è destinato a studi preclinici e clinici nel settore delle malattie rare, e a studi osservazionali e registri di uso compassionevole di farmaci non ancora commercializzati in Italia.

L'**articolo 12** è di **incentivo alla ricerca**, con la concessione, a decorrere dal 2022, di **un contributo, sotto forma di credito d'imposta, nel rispetto della normativa europea sugli aiuti di Stato, pari al 65 per cento delle spese sostenute per l'avvio e per la realizzazione di progetti di ricerca, fino all'importo massimo annuale di euro 200.000 per ciascun beneficiario, nel limite di spesa complessivo di 10 milioni di euro annui**. L'agevolazione opera in favore dei soggetti pubblici o privati che svolgono tali attività di ricerca. I beneficiari, per godere dell'agevolazione, sono tenuti a inviare entro il 31 marzo di ogni anno il protocollo relativo alla ricerca sulle malattie rare al Ministero della salute. Si demanda al Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'università e della ricerca e con il Ministro dell'economia e delle finanze, il compito di individuare, entro sei mesi dalla data di entrata in vigore della normativa in commento, i criteri e le modalità di attuazione delle agevolazioni in esame.

Si prevede e disciplina poi l'accesso, a decorrere dall'anno 2022, da parte delle imprese farmaceutiche e biotecnologiche che intendono svolgere studi finalizzati alla scoperta o alla registrazione o alla produzione di farmaci orfani o di altri trattamenti altamente innovativi, agli interventi di sostegno previsti dal decreto del Ministro dell'istruzione,

dell'università e della ricerca del 26 luglio 2016 n. 593. L'attuazione di tale previsione viene poi rimessa ad un decreto del Ministro dell'Università e della ricerca, da emanare entro sei mesi dalla data di entrata in vigore della legge, nell'ambito delle risorse disponibili a legislazione vigente.

L'**articolo 13** prevede che il Ministero della salute, il Ministero dell'Università e della ricerca e le regioni e le province autonome di Trento e Bolzano, **promuovano il tema delle malattie rare nell'ambito della ricerca indipendente**. Le amministrazioni interessate devono provvedere all'attuazione del presente articolo nell'ambito delle risorse umane, strumentali e finanziarie disponibili a legislazione vigente.

L'**articolo 14** concerne le **attività di informazione** sulle malattie rare. Esso prevede che il Ministero della salute, nell'ambito delle attività informative e comunicative previste a legislazione vigente, promuova azioni utili per dare un'informazione tempestiva e corretta ai pazienti e ai loro familiari e sensibilizzare l'opinione pubblica sulle malattie rare.

L'**articolo 15** detta le **disposizioni finanziarie**.

L'**articolo 16**, infine, reca la **clausola di salvaguardia** per le regioni a statuto speciale e le province autonome di Trento e Bolzano.



Correlati



MALATTIE RARE È LEGGE PER TUTTI

3 Novembre 2021
In "Attualità"



IL TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE È LEGGE, SODDISFATTO DE FILIPPO

4 Novembre 2021
In "Basilicata"



DISPONIBILE 22° NUMERO RARAMENTE

18 Ottobre 2021
In "Attualità"

← FURTI DI CANI A MELFI MATERA S.O.S MEDICI DEL PRONTO SOCCORSO →

Potrebbe anche interessarti



G20 DELLA CULTURA IN COLOSSEO

📅 29 Luglio 2021



BASILICATA INDIETRO SUI TRASPORTI PUBBLICI

📅 3 Ottobre 2019



MATTIA: INDIGENTE, MA NON TROPPO

📅 30 Settembre 2020

I più letti



t.me/lecronache
unisciti al nostro canale telegram

622 TV DIGITALE TERRESTRE
CANALE

Tag

Sponsor

ARCHIVI

stampa tivù radio digital

#cronachelucanetv arresti
arresto bardi Bari
basilicata calcio
carabinieri
coronavirus
covid Covid19 covid 19
cronache cronache
lucane cultura droga
edicola edizione
emergenza emergenza

RADIO GLOBO
L'ORIGINALE

Per eventi e comunicazione: radioglobo@gruppoemil.com
Per la pubblicità: radioglobo@gruppoemil.com

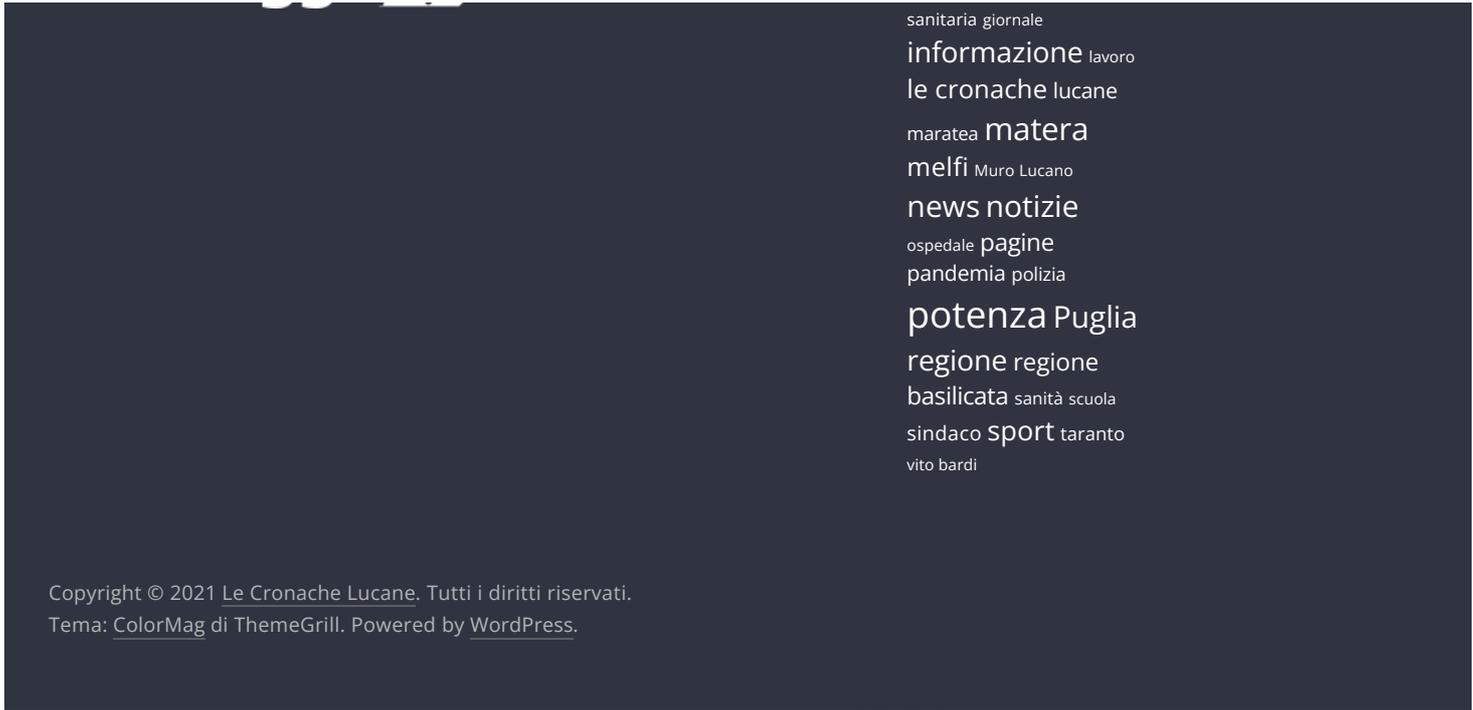
Seleziona il mese

l'edizione di oggi

www.facebook.com/CronacheLucane

SPIDER-FIVE-121732421

Il presente documento è ad uso esclusivo del committente.



Copyright © 2021 [Le Cronache Lucane](#). Tutti i diritti riservati.
Tema: [ColorMag](#) di [ThemeGrill](#). Powered by [WordPress](#).



Questo sito fa uso di cookie per migliorare l'esperienza di navigazione degli utenti [Impostazioni](#) [ACCETTO](#)

SPIDER-FIVE-121732421

Il presente documento e' ad uso esclusivo del committente.



Servizi di Media Monitoring

[LINK ALL'ARTICOLO](#)