

MENU

Sei qui: [Home](#) > [News](#) > [Politiche socio-sanitarie](#) > Testo Unico Malattie Rare: 6 mesi sono già stati persi[Politiche socio-sanitarie](#)

## Testo Unico Malattie Rare: 6 mesi sono già stati persi

Autore: Redazione, 27 Giugno 2022



### OMaR consegna una "Road Map" alle istituzioni

Roma - Il **Testo Unico Malattie Rare** il **10 novembre scorso è divenuto legge**, la n. 175/2021, recante Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani. **Una legge che per ora esiste solo su carta: i 5 atti che sarebbero stati necessari per attuarla concretamente e portare benefici ai pazienti e alla ricerca non sono stati fatti, e i**

**termini sono tutti scaduti da tempo, l'ultimo il 12 giugno scorso. Il "conto alla rovescia" è finito con un nulla di fatto da parte delle diverse istituzioni preposte.** Ma il mondo delle malattie rare non è rimasto a guardare, perché troppi sono i bisogni insoddisfatti, molte le speranze riposte in questa legge e poco il tempo a disposizione prima della fine della legislatura. Sei mesi sono stati persi, e poco più di sei ne rimangono per mettere velocemente a terra questa legge. Per questo, **Osservatorio Malattie Rare (OMaR) consegnerà nei prossimi giorni alle istituzioni competenti una "Road Map" che ha visto il coinvolgimento delle oltre 320 associazioni aderenti all'Alleanza Malattie Rare, dei Referenti dei Centri di Coordinamento Regionali Malattie Rare, dell'Intergruppo Parlamentare Malattie Rare e delle Aziende impegnate nella ricerca e nello sviluppo di farmaci orfani.**

Una delle tappe della Road Map è stata proprio l'**incontro odierno** - organizzato da Osservatorio Malattie Rare e patrocinato dall'Alleanza Malattie Rare e dall'Intergruppo Parlamentare Malattie Rare - nel corso del quale è stata **presentata la bozza di documento** ed è stata aperta una consultazione, al fine di arrivare a un documento davvero inclusivo ed esaustivo contenente tutti i contributi utili a supportare le Istituzioni nel realizzare, in fretta, tutti i passaggi attuativi necessari.

Nel documento vengono analizzate una serie di possibili criticità interpretative legate al testo della Legge, accompagnate da proposte di soluzione. "Il fatto che si sia in così grande ritardo è grave - ha detto il **Vicepresidente di Osservatorio Malattie Rare, Francesco Macchia** - ma in questo momento ci sono pazienti e ricercatori che aspettano una soluzione. Più che perdersi in polemiche, che pure sarebbero state giustificate, abbiamo preferito fare da collante tra i vari portatori di interesse delle malattie rare e contribuire con proposte concrete a superare gli ostacoli: spero che i soggetti competenti tengano conto di questo ampio, e non semplice, lavoro e riescano a fare tutti gli atti necessari entro febbraio 2023, perché davvero perdere altro tempo sarebbe una colpa gravissima".

Nello specifico, analizzando i 16 articoli che compongono la Legge, i soggetti istituzionali chiamati a dar compimento attraverso propri atti normativi sono il Ministero della Salute, il Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali e la Conferenza Stato Regioni, che dovranno di volta in volta lavorare in concerto con il Ministero dell'Economia e delle Finanze e/o con il MIUR.

"Dopo tre anni di battaglie, nel 2021 siamo finalmente riusciti ad approvare la Legge n. 175 nota anche come Testo Unico Malattie Rare, che ora rischia di essere l'ennesimo "incompiuto" se non si metterà a terra con i decreti, accordi e regolamenti necessari", ha affermato la **Senatrice Paola Binetti, Presidente dell'Intergruppo Parlamentare per le Malattie Rare.** "Il Parlamento ha fatto la sua parte, ora tocca ad altri livelli istituzionali. Ricordiamoci che dietro a un ritardo normativo c'è un danno che si ripercuote sulle vite dei pazienti rari, sulle loro famiglie, su chi è chiamato a esserne medico, infermiere, caregiver, ricercatore. È una

SPORTELLLO LEGALE  
**OMAR**  
DALLA PARTE DEI RARI

Iscriviti alla Newsletter

Iscriviti alla Newsletter per ricevere Informazioni, News e Appuntamenti di Osservatorio Malattie Rare.

Invia

Seguici sui Social

**"Nico è così" - Un romanzo che dà voce ai giovani con emofilia**

comunità molto più grande di quel che si pensa. Se non saranno le istituzioni a ricordarsi di loro, saranno loro a ricordarsi di chi ne ha infranto le speranze e non ha dato seguito alla volontà espressa dal Parlamento”.

**Nelle circa 15 pagine della Road Map coordinata da Osservatorio Malattie Rare e sottoposta oggi a consultazione, le questioni affrontate sono essenzialmente riassumibili in 4 punti:**

**1) L'erogazione di prestazioni e farmaci inclusi nel PDTAP.** Qui le difficoltà sono soprattutto in una possibile interpretazione differente del testo di Legge da parte delle Regioni, che potrebbero trovare in una interpretazione letterale un "limite" alle erogazioni "extra LEA" – e in particolare di farmaci di fascia C o parafarmaci – più che un incentivo a soddisfare i reali bisogni dei pazienti. Per quanto riguarda l'erogazione di prestazioni extra LEA, la criticità potrebbe essere risolta attraverso un'attività di interpretazione da parte del legislatore, del concetto di terapia "salvavita" nel contesto delle malattie rare. Moltissime di queste malattie non dispongono di una terapia specifica autorizzata, per questa ragione, non di rado vengono utilizzati farmaci che, seppure in grado attenuare i sintomi della stessa, non sono direttamente ricollegabili alla patologia. In questo senso, dunque, acquisisce rilevanza l'indicazione di ciò che deve ritenersi indispensabile e insostituibile per una persona con malattia rara. A questa attività di interpretazione, valida su tutto il territorio nazionale, potrebbe seguire poi la stesura di una serie di liste, da parte delle istituzioni competenti, in collaborazione con i Centri di Coordinamento Regionali Malattie Rare, con l'obiettivo di individuare tutti i trattamenti, farmacologici e non e tutte le prestazioni necessarie per il trattamento di una malattia rara.

**2) La mancanza della previsione di un finanziamento per il Piano Nazionale Malattie Rare** che con questa Legge assume un ruolo ancora più centrale nella programmazione delle politiche per il settore, e che quindi senza dubbio andrebbe previsto per consentire a quanto in esso stabilito di essere validamente realizzato sul territorio nazionale.

**3) Il riordino delle Reti**, che è assolutamente necessario e che prevede la definizione di nuovi criteri tanto per l'accredito quanto, soprattutto, per il monitoraggio e aggiornamento, nonché per lo scambio di dati. Sul tema è già al lavoro il Tavolo dei Referenti dei Centri di Coordinamento Regionale, attraverso l'elaborazione di un documento che mira proprio a determinare una migliore riorganizzazione della Rete. "È stato osservato più volte che tanto i tempi della diagnosi quanto gli outcome terapeutici e la soddisfazione del paziente dipendano in parte dal far riferimento o meno a un centro esperto e con approccio multidisciplinare, quali dovrebbero essere sempre i centri di riferimento. Oggi abbiamo designati come tali anche dei centri che forse lo erano in passato e ora non lo sono più. Senza condannare quello che è avvenuto in passato, quando tutto il sistema malattie rare era giovane, possiamo però oggi fare molto di più, utilizzando criteri di valutazione ben precisi e attuando in costante monitoraggio su parametri stabiliti, come si fa per i centri delle reti ERN", ha dichiarato **Maurizio Scarpa, Coordinatore Rete Europea per le malattie metaboliche ereditarie rare METABERN.**

**4) L'istituzione del Fondo di solidarietà** rappresenta senza dubbio un punto di partenza da incrementare e adattare nel corso del tempo. "Al momento le risorse e il requisito per beneficiarne (art. 3, comma 3 legge 104/92) potrebbero limitare l'accesso per molte persone con malattia rara, dove non di rado la disabilità non viene riconosciuta generando, anche in questo caso, una discriminazione su base regionale", ha commentato **Manuela Vaccarotto, Vicepresidente AISMME APS - Associazione Italiana Sostegno Malattie Metaboliche Ereditarie – Alleanza Malattie Rare.** La previsione e l'istituzione di un Fondo di solidarietà, come stabilito all'art. 6 del TUMR, rappresenta un'opportunità importante per le persone con malattia rara. Le basse risorse ad esso attualmente dedicate sono un punto di inizio per la futura integrazione che, vista la presenza del Fondo all'interno di una legge, può essere fatta in qualsiasi momento mediante delle proposte emendative.

L'evento online Testi Unici Malattie Rare, la Road Map OMaR è stato realizzato con il contributo non condizionante di Janssen-Pharmaceutical Companies of Johnson & Johnson, Kyowa Kirin, Pfizer, PTC Therapeutics e Vertex.

## Articoli correlati

- > 25-02-2022 - Regolamento europeo sui farmaci orfani e Testi Unici Malattie Rare: necessario spingere sull'acceleratore
- > 28-09-2021 - Testi Unici Malattie Rare: "Approvare subito e prepararsi ad alcuni correttivi per il futuro"
- > 09-03-2022 - Testi Unici Malattie Rare: già in ritardo sull'attuazione
- > 28-02-2022 - Malattie rare, urgenti i decreti attuativi per applicare il Testi Unici
- > 23-02-2022 - Testi Unici Malattie Rare: un'interrogazione per sollecitarne i tempi di attuazione
- > 30-11-2021 - Il Testi Unici Malattie Rare è Legge
- > 11-11-2021 - Testi Unici Malattie Rare, FedEmo: "Bene l'approvazione, ma nessun passo indietro su emofilia"
- > 04-11-2021 - Testi Unici Malattie Rare: tutti plaudono a 'una legge giusta' e guardano alla sua applicazione
- > 13-10-2021 - Testi Unici sulle Malattie Rare approvato in Commissione XII al Senato
- > 09-07-2021 - Testi Unici Malattie Rare, OMaR: "Testi depotenziato ma ora serve approvarlo, poi vigilanza e correttivi"