



FNOMCeO

Federazione Nazionale degli Ordini
dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri

COMUNICAZIONE N. 237

AI PRESIDENTI DEGLI OMCEO

AI PRESIDENTI DELLE CAM

AI PRESIDENTI DELLE CAO

Oggetto: Legge 10 novembre 2021, n. 175, recante “Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani”.

Cari Presidenti,

Si segnala per opportuna conoscenza che sulla Gazzetta Ufficiale n. 283 del 27-11-2021 è stata pubblicata la legge indicata in oggetto di cui si riportano di seguito le disposizioni di maggiore interesse.

L'articolo 1 espone le finalità del disegno di legge che, al fine di **tutelare il diritto alla salute delle persone affette da malattie rare**, garantisce: l'uniformità dell'erogazione nel territorio nazionale delle prestazioni e dei medicinali, compresi quelli orfani; il coordinamento e l'aggiornamento periodico dei livelli essenziali di assistenza e dell'elenco delle malattie rare; il coordinamento, il riordino e il potenziamento della Rete nazionale per le malattie rare, comprendente i centri che fanno parte delle Reti di riferimento europee per le malattie rare (ERN).

L'articolo 2 definisce **malattie rare** le malattie di origine genetica che presentano una prevalenza inferiore a cinque individui su diecimila, comprendendo anche le malattie ultra rare caratterizzate, ai sensi di quanto previsto dal regolamento (UE) n. 536/2014, da una prevalenza inferiore a un individuo su cinquantamila.

L'articolo 3, in conformità con il regolamento (CE) n. 141/2000, **definisce "orfano" un farmaco 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 diecimila**, ed è poco probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione di tale farmaco sia così redditizia da giustificare l'investimento necessario.

L'art. 4 prevede che **“I centri di riferimento individuati ai sensi del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, definiscono il piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato, compresi i trattamenti e i monitoraggi di cui la persona affetta da una malattia rara necessita, garantendo anche un percorso**



FNOMCeO

Federazione Nazionale degli Ordini
dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri

strutturato nella transizione dall'età pediatrica all'età adulta. Il piano, corredato di una previsione di spesa, è condiviso con i servizi della Rete nazionale per le malattie rare, che hanno il compito di attivarlo, dopo averlo condiviso, tramite consenso informato, con il paziente o chi esercita la responsabilità genitoriale e con i familiari” (comma 1).

“Sono posti a totale carico del Servizio sanitario nazionale i trattamenti sanitari, già previsti dai LEA o qualificati salvavita, compresi nel piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato e indicati come essenziali, appartenenti alle seguenti categorie: a) le prestazioni rese nell'ambito del percorso diagnostico a seguito di sospetto di malattia rara, compresi gli accertamenti diagnostici genetici sui familiari utili per la formulazione della diagnosi, anche in caso di diagnosi non confermata; b) le prestazioni correlate al monitoraggio clinico; c) le terapie farmacologiche, anche innovative, di fascia A o H, i medicinali da erogare ai sensi dell'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, i prodotti dietetici e le formulazioni galeniche e magistrali preparate presso le farmacie ospedaliere e le farmacie pubbliche e private convenzionate con il Servizio sanitario nazionale, per quanto riguarda queste ultime nel rispetto di specifici protocolli adottati dalle regioni; d) le cure palliative e le prestazioni di riabilitazione motoria, logopedica, respiratoria, vescicale, neuropsicologica e cognitiva, di terapia psicologica e occupazionale, di trattamenti nutrizionali, in regime ambulatoriale, semiresidenziale, residenziale e domiciliare; e) le prestazioni sociosanitarie di cui al capo IV del decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, pubblicato nel Supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 65 del 18 marzo 2017”(comma 2). “Per tutelare la salute dei soggetti affetti da malattie rare, nelle more del perfezionamento della procedura di aggiornamento dei LEA, il Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze, provvede, con proprio decreto, ad aggiornare l'elenco delle malattie rare individuate, sulla base della classificazione orpha code presente nel portale Orphanet, dal Centro nazionale per le malattie rare dell'Istituto superiore di sanità di cui all'articolo 7, nonché le prestazioni necessarie al trattamento delle malattie rare” (Comma 4).

L'art. 5 dispone che “In deroga alle disposizioni in materia di prescrizioni farmaceutiche di cui all'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 quando previsto dal piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato di cui all'articolo 4, comma 1, della presente legge” (Comma 2).



FNOMCeO

Federazione Nazionale degli Ordini
dei Medici Chirurghi e degli Odontoiatri

“I farmaci di cui al presente comma (**comma 4**) devono essere richiesti da una struttura ospedaliera, anche se utilizzati per assistenze domiciliari, e sono posti a carico del Servizio sanitario nazionale”.

L'art. 6 prevede che “Nello stato di previsione del Ministero del lavoro e delle politiche sociali è istituito il Fondo di solidarietà per le persone affette da malattie rare, con una dotazione pari a 1 milione di euro annui a decorrere dall'anno 2022, 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 che necessitano 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 n. 43 alla Gazzetta Ufficiale n. 47 del 26 febbraio 1992” (**comma1**).

L'articolo 7 definisce le funzioni del **Centro nazionale per le malattie rare**, il quale svolge attività di ricerca, consulenza e documentazione sulle malattie rare e sui farmaci orfani.

L'articolo 8 prevede l'istituzione del **Comitato nazionale per le malattie rare**, che svolge funzioni di indirizzo e coordinamento definendo le linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare.

L'art. 9 prevede che ogni tre anni venga approvato il **Piano nazionale per le malattie rare, con il quale sono definiti gli obiettivi e gli interventi** pertinenti in tale settore. L'articolo prevede, altresì, il riordino della Rete nazionale per le malattie rare, articolata nelle reti regionali e interregionali, con l'individuazione dei compiti e delle funzioni dei centri di coordinamento, dei centri di riferimento e dei centri di eccellenza che partecipano allo sviluppo delle Reti di riferimento europee.

L'articolo 10 attribuisce alle regioni il compito di assicurare il **flusso informativo delle reti per le malattie rare al Centro nazionale per le malattie rare**, al fine di produrre nuove conoscenze, monitorare l'attività e l'uso delle risorse in tale settore.

In conclusione, al fine di consentire un esame più approfondito della materia si allega il provvedimento indicato in oggetto (All. n. 1).

Cordiali saluti.

IL PRESIDENTE
Filippo Anelli

All. n. 1
MF/CDL

Documento informatico firmato digitalmente ai sensi del T.U. 445/2000 e del D.Lgs 82/2005