



Malattie Rare, da istituzioni, pazienti e tecnici

5 punti per il Ministro Speranza

Tra le richieste dell'intergruppo Parlamentare malattie rare, di Uniamo e dell'Osservatorio (O.Ma.R) il finanziamento del PNMR e la completa applicazione dei LEA.

Roma, 8 ottobre 2019 – Le **malattie rare diventino una priorità di salute pubblica**. È questa, in sintesi, l'istanza avanzata al Ministro della Salute Roberto Speranza dall'**intergruppo Parlamentare per le malattie rare** presieduto dalla Sen. Paola Binetti, da **UNIAMO Fimr Onlus** la federazione dei pazienti rari e **dall'Osservatorio Malattie Rare** testata giornalistica di riferimento del settore, nel corso della conferenza stampa organizzata al Senato alla quale hanno preso parte anche Eurordis la federazione europea dei pazienti e Fondazione Telethon. "Passi avanti sono stati compiuti, ma non è sufficiente – hanno sostenuto all'unisono la Sen. Binetti, la presidente di Uniamo Annalisa Scopinaro e il direttore di O.Ma.R Ilaria Ciancaleoni Bartoli, - due milioni di persone in Italia aspettano da tempo azioni concrete e non meri proclami elettorali, ci sono delle questioni aperte che si possono, e si devono, affrontare e risolvere immediatamente".

Nella lettera consegnata al Ministro della Salute e al Viceministro Pierpaolo Sileri presente all'incontro l'intergruppo parlamentare Malattie rare, Uniamo e OMAR indicano in particolare **cinque punti** che possono essere affrontati anche in breve tempo e che rivestono particolare importanza: **l'approvazione e finanziamento del nuovo Piano Nazionale delle Malattie Rare; un impegno per trovare soluzioni organizzative tali da garantire l'accesso in tempi rapidi a terapie innovative e terapie avanzate; maggior sostegno alla ricerca, l'ampliamento del panel delle malattie incluse nello screening neonatale obbligatorio e la piena attuazione dei 'nuovi LEA' con tanto di aggiornamento della lista delle malattie rare esenti.**

Il primo punto riguarda **l'approvazione e finanziamento del nuovo Piano Nazionale delle Malattie Rare**: il primo, valido per il 2013-2016, non solo è scaduto da tre anni ma anche parzialmente inattuato. "Bisogna fare in modo che il secondo Piano Nazionale delle Malattie Rare abbia un destino diverso, - ha dichiarato la **Sen. Paola Binetti, presidente dell'Intergruppo Parlamentare Malattie Rare** - e perché ciò avvenga bisogna dotarlo di risorse economiche perché un piano senza fondi finirebbe per essere nuovamente e solo una bella dichiarazione di intenti".

Il secondo punto riguarda **l'accesso all'innovazione terapeutica**. "Per molte patologie non esistono cure specifiche, ma dove ci sono occorre non perdere tempo – ha spiegato Ilaria Ciancaleoni Bartoli, direttore di OMAR – Con questo spirito è stata approvata la Legge (n. 189/2012) che istituisce la 'procedura dei 100 giorni' secondo la quale per i farmaci di eccezionale rilevanza terapeutica e per i farmaci ospedalieri è previsto un procedimento negoziale accelerato, da concludersi, appunto, in 100 giorni. Una bella norma, ma inattuata, perché, come evidenziato nel Rapporto OSSFOR 2018, i tempi medi di approvazione dei farmaci orfani vanno ben oltre i 200 giorni".

Il terzo punto riguarda il **sostegno alla ricerca**. Nella lettera indirizzata alle Istituzioni e presentata oggi al Senato, si evidenzia come la ricerca fatta in questi anni sulle malattie rare abbia permesso di sviluppare



soluzioni tecnologiche che si sono rivelate utili per tutte le patologie. Si può lavorare per rendere l'Italia un Paese leader nelle terapie avanzate e anche nella ricerca di base, ambito nel quale comunque si potrebbero prevedere ulteriori facilitazioni nell'accesso ai fondi da parte di soggetti di ricerca del terzo settore. "Come già avvenuto nel nostro Paese per altri ambiti di urgenza e necessità, - ha detto **Carlo Fornario, responsabile delle relazioni istituzionali della Fondazione Telethon** - serve definire un piano di incentivi fiscali che - sotto forma di credito di imposta - possa favorire interventi a sostegno della ricerca clinica e preclinica sulle malattie rare, non solo da parte dell'industria farmaceutica ma anche dei privati che vorranno finanziare programmi dedicati all'avvio e alla realizzazione di tali progetti."

Il quarto punto riguarda invece uno straordinario strumento di diagnosi precoce e prevenzione secondaria: **lo screening neonatale**. Su questo si è soffermata in particolare **Annalisa Scopinaro, Presidente di UNIAMO Fimr onlus, che ha detto**: "Lo screening neonatale metabolico allargato è un vanto per il nostro paese, abbiamo il dovere di implementarlo. Stanno per scadere i termini per un primo aggiornamento del panel e a breve Uniamo presenterà un documento frutto di un lavoro congiunto tra le associazioni dove indicheremo chiaramente come sia anche necessario lavorare ad un ulteriore allargamento. Lo spunto di discussione che lanciamo è comprendere anche alcune malattie genetiche. Ci auguriamo che si colga l'opportunità di questa imminente scadenza per estendere i benefici dello screening ad altre patologie: occorre che si faccia al più presto il punto sulle nuove opportunità e si ampli il panel."

Il quinto ed ultimo punto, ma non per ordine di importanza, riguarda la **piena attuazione dei 'nuovi' Livelli Essenziali di Assistenza (LEA)** che, come ha detto **Ilaria Ciancaleoni Bartoli** "sono un grande traguardo sul piano teorico, ma delineano diritti solo parzialmente esigibili perché non sono ancora stati emanati i Decreti che fissano le tariffe massime dell'assistenza specialistica ambulatoriale e protesica. Ci auguriamo che il Ministro Speranza ponga ora fine a 2 anni di attesa e dia anche impulso all'aggiornamento della lista delle malattie rare esenti".

Le richieste dell'intergruppo Parlamentare malattie rare, di Uniamo e di OMAR sono state consegnate, in occasione della conferenza stampa, al viceministro Pierpaolo Sileri che si è dimostrato disposto a collaborare con gli stakeholder delle malattie rare e determinato a portare avanti velocemente i lavori per l'approvazione del nuovo Piano Nazionale Malattie Rare.