



Camera dei Deputati

Dott.ssa Lucia Marotta
Presidente A.N.I.Ma.S.S. ONLUS
Via Santa Chiara 6
37129 Verona

Roma 12 novembre 2015,

In occasione del vostro Convegno di domani desidero farvi arrivare il mio pieno incoraggiamento, perché farsi carico di una, fosse anche una sola malattia rara, oggi sembra una impresa eroica. Rara la malattia, raro l'aiuto che si riceve da parte delle Istituzioni, perché anche quando si cerca di fare qualcosa di buono, la sua traduzione in decisioni operative e quindi in vantaggi concreti per i malati è ancora fin troppo problematico. Le malattie rare (MR) sono state identificate dall'Unione europea come uno dei settori della sanità pubblica per i quali è fondamentale la collaborazione tra gli Stati membri e fin dal 1999, con la Decisione n. 1295, sono state oggetto di raccomandazioni comunitarie che hanno portato ad adottare una serie di programmi con obiettivi ampiamente condivisi. In Italia si calcola una stima approssimativa di circa 2 milioni di malati, moltissimi dei quali in età pediatrica. La scarsa disponibilità di conoscenze scientifiche, che scaturisce proprio dalla rarità delle malattie, determina spesso lunghi tempi di latenza tra l'esordio della patologia e la diagnosi, cosa che incide negativamente sulla prognosi del paziente; inoltre, le industrie farmaceutiche, a causa della limitatezza del mercato di riferimento, hanno scarso interesse a sviluppare la ricerca e la produzione dei cosiddetti «farmaci orfani», potenzialmente utili per tali patologie.

L'Italia è stata presente fin dall'inizio in tutti gli organismi che si sono occupati di: ricerca scientifica, a vari livelli (genetico, metabolico e farmacologico); di qualità dell'assistenza, a cominciare dalla diagnosi precoce; di organizzazione della rete e dei

servizi collegati; di integrazione tra le associazioni di malati. La competenza specifica e la disponibilità alla collaborazione dimostrate dal nostro Paese hanno suscitato la stima e la considerazione da parte di tutti i partner europei.

Negli incontri che come presidente del gruppo interparlamentare sulle malattie rare ho promosso in questi anni abbiamo più volte richiamato l'attenzione del Governo su alcuni punti che Lei, dottoressa Marotta conosce molto bene, ma mi fa piacere ricordarne qualcuno alla vostra qualificata assemblea, soprattutto in materia di semplificazioni e orientamenti normativi per favorire la cura dei malati rari.

a) svincolare l'aggiornamento dell'elenco delle malattie rare contenute nel decreto ministeriale n. 279 del 2001 dal decreto del Presidente del Consiglio dei ministri contenente i LEA, rinnovandolo direttamente con uno specifico decreto ministeriale, cosa non esclusa dalla presente normativa;

b) investire risorse adeguate nella prevenzione, a cominciare dalla prevenzione primaria che consente di aumentare i fattori protettivi e di ridurre i fattori di rischio per il nascituro, anche attraverso campagne di informazione su base nazionale. Solo mappando realisticamente i costi che si debbono affrontare è possibile distinguere tra quelli assolutamente necessari, quelli altamente convenienti, quelli sostanzialmente indifferenti e quelli francamente inutili, ragionando anche sui costi "extra-LEA" e sui costi sociali, compresi quelli della assistenza domiciliare, che sono interamente a carico delle famiglie;

c) modificare la normativa vigente consentendo di importare dall'estero farmaci essenziali per il trattamento di malati rari, di comprovata efficacia e già in commercio in altri Paesi con un'indicazione diversa dalla malattia rara per cui dovrebbero essere importati.

d) modificare il decreto ministeriale 8 maggio 2003 “Uso terapeutico di medicinale sottoposto la sperimentazione clinica”, al fine di facilitare l’accesso - con uso cosiddetto

compassionevole - ai farmaci innovativi per i pazienti affetti da malattie rare e tumori rari.

e) valorizzare il fondo AIFA (di cui all’articolo 48 della legge istitutiva dell’AIFA, n. 326 del 2003), che è alimentato dal 5 per cento delle spese annuali per le attività di promozione delle aziende farmaceutiche destinate ai medici. I malati rari usano farmaci, i cosiddetti farmaci orfani, ad altissimo costo e la sostenibilità economica costituisce un nodo fondamentale sotto il profilo etico, oltre che scientifico ed economico. Questi stessi pazienti potrebbero essere arruolati in sperimentazioni cliniche importanti, anche per dare loro una speranza concreta di possibilità di cura, se non di guarigione, sulla base di iniziative specificamente create per loro.

Sono cinque punti chiave su cui noi continueremo ad insistere per venire incontro alle esigenze delle persone con malattie rare, come quella che voi state affrontando in questi giorni. Mi farà molto piacere ricevere le conclusioni del vostro convegno per poterle utilizzare nei nostri gruppi di studio e di lavoro parlamentare.

Vi rivolgo pertanto i nostri migliori per i vostri lavori e resto in attesa delle vostre conclusioni,

Cordialmente,

On. Paola Binetti

Presidente Intergruppo parlamentare sulle Malattie Rare

