# Martedì 6 Luglio 2021 alle ore 14.30 Commissione Igiene e sanità in Senato - Intervento del Presidente ANF

Martedì 6 Luglio 2021 alle ore 14.30
Commissione Igiene e sanità - Ufficio di Presidenza

Malattie rare e farmaci orfani
Audizioni sul ddl n. 2255 e connessi (malattie rare e farmaci orfani): Dott. Luigi Martemucci, direttore S.C. pediatria 2 A.O.R.N. Santobono Pausilipon; Società italiana talassemie ed emoglobinopatie;

ANF - Associazione per la Neurofibromatosi-OdV

**Intervento di**
**Melegari Corrado Presidente ANF Associazione per la Neurofibromatosi ODV**
06 luglio 2021

Audizione informale proposta di legge “disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani”.
Garantire in maniera EQUA alle persone affette da malattie rare il diritto alla migliore qualità di vita possibile per non lasciare indietro nessuno
Gentile Presidente, Onorevoli senatori

Ringrazio il relatore della legge, Senatrice Paola Binetti, ed i membri della Commissione per la disponibilità ad un confronto con i rappresentanti dei pazienti, con la volontà di realizzare un dialogo pieno ed effettivo nel corso del lavoro parlamentare.

Durante il percorso del Testo di Legge alla Camera come rappresentanti dei pazienti abbiamo avuto l'opportunità di discutere le nostre proposte di audizione; abbiamo inoltre potuto presentare i nostri bisogni anche in contesti pubblici e privati con diversi deputati della Camera.
Siamo consapevoli che, rispetto ad alcune proposte che noi stessi avevamo avanzato, ci siano state osservazioni dal MEF e dallo stesso Ministero della Salute che hanno indotto ad una versione che, come si è poi confermato, non avrebbe trovato opposizioni all'approvazione da parte delle varie commissioni deputate all'esame del testo di legge.

Un esempio fra tutti, l'introduzione dei farmaci di fascia C, indispensabili per molte malattie rare e in questo momento non omogeneamente distribuiti sul territorio nazionale a causa dei piani di rientro di alcune Regioni. Ma questo particolare può essere superato, lavorando di concerto proprio con la Conferenza Stato Regioni per chiedere alla Commissione Lea un'approvazione di una lista di terapie scientificamente riconosciute valide, in modo da eliminare tutte le disparità di accesso.

Siamo altrettanto consapevoli che, come ogni testo di legge, potrebbe essere emendato e migliorato, dato che con il senno di poi e ad una lettura fresca è estremamente più semplice trovare spunti di innovazione e approfondimento.

A quale prezzo però? La nostra sensazione è che rimettere mano al testo presentato dalla Camera, per quanto con ottime intenzioni e sicuramente con la realizzazione di miglioramenti, significherebbe allungare l'iter parlamentare e rischiare di andare ad impattare con la fine della legislatura. I tempi della burocrazia, lo sappiamo bene, sono lunghi e necessitano di approfondimenti successivi.

La comunità delle persone con malattia rara, già duramente provata dalla pandemia da Sars-Covid-2, ha bisogno di un segnale di attenzione.
Le politiche sanitarie devono tener conto dell'effettiva numerosità, purtroppo ancora largamente sottostimata, della nostra comunità: con gli ultimi studi europei dovrebbero essere censite oltre 2.200.000 persone con malattia rara. Abbiamo bisogno di poter vedere da un lato un cenno di attenzione e dall'altro un miglioramento della nostra qualità di vita, e il testo di legge alla vostra attenzione va in questa direzione.
Altri passi, naturalmente, potranno essere fatti. Emanare il decreto tariffe renderebbe fruibile il nomenclatore che ha aggiornato i LEA nel 2017, ancora oggi non applicabile per mancanza di questo decreto.

Rivedere le tabelle di invalidità dell'INPS, ferme al 1992, quando a malapena si sapeva che esistevano le malattie rare. Dare una copertura economica al finanziamento a funzione per le malattie rare già previsto dalla legge 50. Garantire una dignità lavorativa alle persone con malattia rara, prestando attenzione a tutti gli inserimenti lavorativi da garantire con la legge 68 e con specifici rimandi, anche qui in tutte le leggi in via di emanazione. Garantire la continuità assistenziale dall'età pediatrica all'età adulta Riconoscere e salvaguardare il ruolo dei Cargiver, concretizzando le proposte già all'attenzione parlamentare. Porre particolare attenzione ai percorsi

per le malattie rare in tutte le azioni previste nel Piano Nazionale Rilancio e Resilienza per il Servizio Sanitario Nazionale e la sua ristrutturazione.

Discutiamo insieme su come migliorare ulteriormente la qualità di vita delle persone con malattia rara, ma procediamo spediti con questo testo e questa formulazione. Dovremo già vigilare, dopo l'approvazione, perché i decreti attuativi completino velocemente l'iter parlamentare; stiamo vedendo proprio in questi mesi come la legge sulle sperimentazioni cliniche sia stata ferma per quasi quattro anni proprio in attesa di questi ultimi. E sappiamo quanto le sperimentazioni di nuove terapie siano indispensabili al mondo delle malattie rare.

Il nostro invito a Voi, illustri componenti della Commissione, e ai Senatori tutti, è che il cosiddetto Testo Unico non trovi impedimenti nel suo iter legislativo e possa giungere in tempi brevi alla fase operativa.

Grazie per la vostra attenzione, a nome di tutta la comunità delle persone con malattia rara