

MALATTIE RARE, CON LEGGE VIA A SCREENING E FONDO AD HOC. DOMPE': "PASSO IMPORTANTE, STIMOLA RICERCA"

3 Novembre 2021



ROMA – Cure migliori e gratuite per i malati rari, screening precoci, sostegno e incentivi fiscali alla ricerca, un fondo di solidarietà per sostenere pazienti e famiglie: sono alcune delle novità previste dal testo unico “Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione di farmaci orfani”, approvato oggi in sede deliberante e in via definitiva in Commissione Sanità del Senato.

Per malattia rara si intende una patologia che colpisce 5 individui ogni 10.000. Complessivamente, però, i malati rari, solo in Italia, sono ben due milioni, molti dei quali bambini, e costretti ad affrontare anche i problemi dettati dalla rarità della loro condizione.

Per questo, la legge prevede il potenziamento dello screening neo-natale e della diagnosi precoce.

Per migliorare assistenza e cura è previsto il potenziamento della Rete nazionale delle malattie rare, già istituita con la legge 279/2001. Ai pazienti, inoltre, va assicurato un Piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato redatto dai Centri di riferimento. Questo dovrà uniformare le tante differenze regionali oggi esistenti e andare di pari passo con l'aggiornamento dell'elenco delle malattie rare: si stima, infatti, ne esistano circa 8.000, ma alcune sono talmente rare da non avere neanche un nome.

Tra le principali novità, l'istituzione del Fondo di solidarietà pari a 1 milione di euro dal 2022 con l'obiettivo di assistere malati rari che hanno necessità di un'assistenza continua. Previsti, inoltre, contributi a sostegno di famiglie e caregiver così come interventi volti a favorire l'inserimento lavorativo. Centrale è l'aspetto terapeutico: la legge prevede immediata disponibilità dei farmaci prescritti, anche quelli più nuovi, e un credito d'imposta del 65% delle spese sostenute per i progetti di ricerca sui farmaci orfani. Sarà poi istituito un Comitato nazionale con funzioni di indirizzo e coordinamento mentre un Piano nazionale delle malattie rare dovrà essere approvato ogni 3 anni.

Dovranno infine esser previste, in base al testo approvato, campagne di informazione del Ministero della Salute per sensibilizzare l'opinione pubblica.

“Oggi, dopo tre anni e mezzo, il Senato italiano ha approvato il Testo Unico Malattie rare che, per la prima volta in Italia,

definisce organicamente le malattie rare, i diritti di chi ne è affetto e il quadro organizzativo. È un passo importante che stimola la ricerca e accelera lo sviluppo di nuove cure”, afferma Sergio Dompé, vice presidente Assolombarda, nonché presidente dell’azienda farmaceutica che porta il suo nome, che ha il polo produttivo all’Aquila, e Chair della Task Force B20 su Salute e Scienze della Vita, in merito all’approvazione del DDL Malattie rare.

“Le malattie rare, che colpiscono fino a 5 persone ogni 10mila, sono spesso trascurate dalla ricerca per lo scarso numero di pazienti e, se rimangono orfane di cure insieme generano un costo sociale enorme per i pazienti e le famiglie. Oggi, con il licenziamento in Senato del Testo Unico sulle Malattie rare, l’Italia ha fatto un significativo passo avanti. È un segnale importante – afferma in una nota – per la ricerca scientifica, sia pubblica che privata, soprattutto in Italia che, anche grazie all’azione di organizzazioni come Telethon, ha sviluppato competenze di eccellenza su questo fronte”.

“Il Covid ci ha mostrato l’importanza di garantire la Salute a tutti, perché essa è la pietra angolare della nostra società civile e la ricerca ha dimostrato capacità di accelerazione senza precedenti con la produzione di vaccini di nuova generazione come quelli a mRNA ” prosegue Dompé, che ha presieduto la Task Force per la Salute e le Scienze della Vita del B20, la delegazione dell’industria al G20, insieme a Werner Bauman, amministratore delegato di Bayer, Geoff Martha, CEO Medtronic, Sir Mark Caulfield, amministratore delegato di Barts Life Sciences e Leon Wang, vicepresidente esecutivo per l’Asia e il Pacifico per AstraZeneca.

Proprio nelle sue raccomandazioni al G20 appena concluso a Roma, la Task Force ha sottolineato l’importanza di accelerare la ricerca e lo sviluppo di nuovi farmaci e cure, investendo in innovazione, creando nuovi percorsi regolatori e riclassificando la Salute come un investimento e non un costo per i bilanci nazionali.