



Ministero della Salute

TROVA NORME &
CONCORSI SALUTE

TROVANORMESALUTE

Numero Atti : 69603

Ultima Gazzetta Ufficiale del : 29 novembre 2021

Ultima Modifica : 30 novembre 2021



Dettaglio atto

STAMPA

Atto suddiviso

Legge 10 novembre 2021 , n. 175

Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani. (21G00189)

(G.U. Serie Generale , n. 283 del 27 novembre 2021)



Capo I*Finalità e ambito di applicazione

La Camera dei deputati ed il Senato della Repubblica hanno approvato;

IL PRESIDENTE DELLA REPUBBLICA

Promulga

la seguente legge:

Art. 1

Finalita'

1. La presente legge ha la finalita' di tutelare il diritto alla salute delle persone affette da malattie rare, attraverso misure volte a garantire:

- a) l'uniformita' dell'erogazione nel territorio nazionale delle prestazioni e dei medicinali, compresi quelli orfani;
- b) il coordinamento e l'aggiornamento periodico dei livelli essenziali di assistenza (LEA) e dell'elenco delle malattie rare;
- c) il coordinamento, il riordino e il potenziamento della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, istituita dall'articolo 2 del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanita' 18 maggio 2001, n. 279, di seguito denominata «Rete nazionale per le malattie rare», comprendente i centri che fanno parte delle Reti di riferimento europee «ERN», per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare;
- d) il sostegno della ricerca.

Art. 2

Definizione di malattie rare

1. Sono definite rare le malattie, comprese quelle di origine genetica, che presentano una bassa prevalenza.

2. Ai fini della presente legge, per bassa prevalenza delle malattie rare si intende una prevalenza inferiore a cinque individui su diecimila. Nell'ambito delle malattie rare sono comprese anche le malattie ultra rare, caratterizzate, ai sensi di quanto previsto dal regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 aprile 2014, da una prevalenza inferiore a un individuo su cinquantamila.

3. I tumori rari, la cui identificazione deriva dal criterio d'incidenza, in conformita' ai criteri internazionali e concordati a livello europeo nonche' all'intesa 21 settembre 2017, n. 158/CSR, tra il Governo, le regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano per la realizzazione della Rete nazionale dei tumori rari, rientrano tra le malattie rare disciplinate dalla presente legge.

Art. 3

Definizione di farmaco orfano

1. In conformita' ai criteri stabiliti dall'articolo 3 del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, un farmaco e' definito orfano se:

a) e' 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 piu' di cinque individui su diecimila nel momento in cui e' presentata la domanda di assegnazione della qualifica di farmaco orfano, oppure se e' destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita, di un'affezione seriamente debilitante, o di un'affezione grave e cronica, ed e' poco probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione di tale farmaco sia tanto redditizia da giustificare l'investimento necessario;

b) non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, di profilassi o di terapia delle affezioni di cui alla lettera a) autorizzati o, se tali metodi esistono, il farmaco ha effetti benefici significativi per le persone colpite da tali affezioni.



Capo II*Prestazioni e benefici per le
persone affette da malattie rare

Art. 4

Piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato e livelli
essenziali di assistenza per le malattie rare

1. I centri di riferimento individuati ai sensi del regolamento di cui al decreto del Ministro della sanita' 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 strutturato nella transizione dall'eta' pediatrica all'eta' adulta. Il piano, corredato di una previsione di spesa, e' 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 responsabilita' genitoriale e con i familiari.

2. Sono posti a totale carico del Servizio sanitario nazionale i trattamenti sanitari, gia' 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.

3. I dispositivi medici e i presidi sanitari, presenti nei piani diagnostici terapeutici assistenziali personalizzati, ai fini dell'assistenza dei pazienti affetti da malattie rare, sono posti a carico del Servizio sanitario nazionale, compresi la manutenzione ordinaria e straordinaria e l'eventuale addestramento all'uso. Ai fini del presente comma, si considerano i dispositivi e i presidi gia' oggetto di acquisto attraverso procedure di gara, ferma restando la possibilita' della prescrizione di prodotti personalizzati ove ne sia dimostrata la superiorita' in termini di benefici per i pazienti.

4. 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 sanita' di



cui all'articolo 7, nonche' le prestazioni necessarie al trattamento delle malattie rare.

5. Per le finalita' di cui al comma 4, le malattie rare sono individuate per gruppi aperti, in modo da garantire che tutte le malattie rare afferenti a un determinato gruppo siano comprese nell'elenco previsto dal medesimo comma 4.

Art. 5

Assistenza farmaceutica e disposizioni per assicurare l'immediata disponibilita' dei farmaci orfani

1. I farmaci di fascia A o H prescritti per l'assistenza dei pazienti affetti da una malattia rara sono erogati dai seguenti soggetti:

a) le farmacie dei presidi sanitari, anche nel caso di somministrazione ambulatoriale del farmaco;

b) le aziende sanitarie territoriali di appartenenza del paziente, anche qualora la malattia rara sia stata diagnosticata in una regione diversa da quella di residenza;

c) le farmacie pubbliche e private convenzionate con il Servizio sanitario nazionale, nel rispetto di quanto prevedono gli accordi regionali stipulati ai sensi dell'articolo 8, comma 1, lettera a), del decreto-legge 18 settembre 2001, n. 347, convertito, con modificazioni, dalla legge 16 novembre 2001, n. 405.

2. 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 puo' essere superiore a tre quando previsto dal piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato di cui all'articolo 4, comma 1, della presente legge.

3. Nelle more dei periodici aggiornamenti per il loro inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri o in altri elenchi analoghi predisposti dalle competenti autorita' regionali o locali ai sensi dell'articolo 10, comma 5, del decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158, convertito, con modificazioni, dalla legge 8 novembre 2012, n. 189, i farmaci di cui al comma 1 del presente articolo sono resi comunque disponibili dalle regioni.

4. In deroga a quanto previsto dal decreto del Ministro della sanita' 11 febbraio 1997, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 72 del 27 marzo 1997, e' consentita l'importazione di farmaci in commercio in altri Paesi anche per usi non autorizzati nei Paesi di provenienza, purché compresi nei piani di cui all'articolo 4, comma 1, della presente legge, nonche' nell'elenco di cui all'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648. I farmaci di cui al presente comma devono essere richiesti da una struttura ospedaliera, anche se utilizzati per assistenze domiciliari, e sono posti a carico del Servizio sanitario nazionale.

Art. 6

Istituzione del Fondo di solidarieta'
per le persone affette da malattie rare

1. Nello stato di previsione del Ministero del lavoro e delle politiche sociali e' istituito il Fondo di solidarieta' 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 invalidita' pari al 100 per cento, con connotazione di gravita' 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 sanita' 5 febbraio 1992, pubblicato nel Supplemento ordinario n. 43 alla Gazzetta Ufficiale n. 47 del 26 febbraio 1992.

2. Con decreto del Ministro del lavoro e delle politiche sociali, di concerto con il Ministro della salute e con il Ministro dell'economia e delle finanze, previa intesa in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano, ai sensi dell'articolo 3 del decreto legislativo 28 agosto 1997, n. 281, sentito l'Istituto nazionale della previdenza sociale, entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, ai sensi dell'articolo 17, comma 3, della legge 23 agosto 1988, n. 400, e' adottato il regolamento di attuazione del presente articolo.

3. Con il regolamento di attuazione di cui al comma 2, al fine di introdurre interventi volti a favorire l'inserimento e la permanenza delle persone affette da malattie rare nei diversi ambienti di vita e di lavoro, sono disciplinate, nei limiti della dotazione del Fondo di cui al comma 1, misure finalizzate a:

a) riconoscere alle famiglie e ai caregiver delle persone affette da malattie rare benefici e contributi per il sostegno e la cura delle persone affette da malattie rare in funzione della disabilita' e dei bisogni assistenziali;

b) garantire il diritto all'educazione e alla formazione delle persone affette da malattie rare, nelle scuole di ogni ordine e grado, assicurando che il piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato di cui all'articolo 4, comma 1, sia attivato anche in ambiente scolastico, con il supporto del personale della scuola appositamente formato, degli operatori delle reti territoriali di assistenza ed eventualmente dei familiari o del caregiver della persona affetta da una malattia rara;

c) favorire l'inserimento lavorativo della persona affetta da una malattia rara, garantendo a essa la possibilita' di mantenere una condizione lavorativa autonoma.

4. Agli oneri di cui al comma 1 del presente articolo, pari a 1 milione di euro annui a decorrere dall'anno 2022, si provvede ai sensi dell'articolo 15, comma 1.

Capo III*Centro nazionale, comitato nazionale e rete nazionale per le malattie rare

Art. 7

Centro nazionale per le malattie rare

1. Il Centro nazionale per le malattie rare, istituito ai sensi del regolamento di cui al decreto del Ministro della salute del 2 marzo 2016, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 88 del 15 aprile 2016, svolge attivita' di ricerca, consulenza e documentazione sulle malattie rare e sui farmaci orfani finalizzate alla prevenzione, al trattamento e alla sorveglianza degli stessi.

2. Il Centro nazionale per le malattie rare cura la tenuta e la gestione del Registro nazionale delle malattie rare.

Art. 8

Istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare

1. Entro sessanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, il Ministro della salute, con proprio decreto, istituisce presso il Ministero della salute il Comitato nazionale per le malattie rare, di seguito denominato «Comitato», e ne disciplina le modalita' di funzionamento, prevedendo, in particolare, che le riunioni dello stesso si svolgano preferibilmente mediante videoconferenza.

2. La composizione del Comitato assicura la partecipazione di tutti i soggetti portatori di interesse del settore e, in particolare, di rappresentanti dei Ministeri della salute, dell'universita' e della ricerca e del lavoro e delle politiche sociali, della Conferenza delle regioni e delle province autonome, dell'Agenzia italiana del farmaco, dell'Istituto superiore di sanita', dell'Agenzia nazionale per i servizi sanitari regionali, dell'Istituto nazionale della previdenza sociale, degli Ordini delle professioni sanitarie, delle societa' scientifiche, degli enti di ricerca senza scopo di lucro riconosciuti dal Ministero dell'universita' e della ricerca che si occupano di malattie rare e delle associazioni dei pazienti affetti da una malattia rara piu' rappresentative a livello nazionale.

3. Il Comitato svolge funzioni di indirizzo e di coordinamento, definendo le linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare.

4. Ai componenti del Comitato non spettano gettoni di presenza, compensi, indennita', rimborsi di spese e altri emolumenti comunque denominati. Le attivita' di supporto al Comitato sono svolte dalle strutture ministeriali di cui al comma 2 competenti nell'ambito delle risorse umane, strumentali e finanziarie disponibili a legislazione vigente, senza nuovi o maggiori oneri a carico della finanza pubblica.