
Malattie rare: approvato Testo unico. Taruscio (Cnmr-Iss), "punto di partenza per garantire equità delle cure e sostegno alla ricerca"

Il testo unificato delle proposte di legge recanti "Norme per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani e della cura delle malattie rare", noto come Testo unico sulle malattie rare, è legge. Oggi, il voto unanime dell'intera Aula del Senato – dopo che lo scorso 8 ottobre il testo era stato approvato dalla XII Commissione Igiene e Sanità del Senato – ha approvato il testo in via definitiva. "Il lavoro di squadra, ovvero la collaborazione fattiva e costante interistituzionale, con il contributo fondamentale di Uniamo e di tutte le associazioni dei pazienti, ha dato i suoi frutti, che si concretizzano oggi in uno strumento istituzionale in grado di raggiungere quegli obiettivi che i numerosi pazienti rari in Italia (e le loro famiglie) aspettavano da tempo – dichiara Domenico Taruscio, direttore del Centro nazionale malattie rare dell'Iss -: rendere uniforme la prevenzione, la diagnosi precoce e il trattamento delle malattie rare su tutto il territorio nazionale, promuovendo l'equità dei percorsi di cura in tutte le Regioni; favorire l'avanzamento della ricerca nel campo delle malattie rare, incentivando anche la produzione e ricerca dei cosiddetti farmaci orfani, preservare e divulgare le buone pratiche e tutti quei percorsi messi a punto negli ultimi anni". Il testo prevede l'attuazione del Piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato; garantisce un percorso strutturato della transizione dall'età pediatrica all'età adulta; prevede che i farmaci, una volta approvati dall'Aifa, siano resi immediatamente disponibili da tutte le Regioni. Viene inoltre istituito un fondo di solidarietà finalizzato a favorire l'inclusione sociale dei pazienti, ovvero l'istruzione e l'inserimento lavorativo e sociale degli stessi. Il fondo, come spesso sottolineato, è largamente insufficiente per i bisogni, ma è un segnale di attenzione. Vengono incrementati i finanziamenti per la ricerca (progetti pubblici e privati), viene confermato e rafforzato il Centro nazionale malattie rare (Cnmr) all'interno dell'Istituto superiore di sanità con le proprie competenze e istituito un comitato nazionale - composto da rappresentanti delle istituzioni nazionali e regionali, associazioni dei pazienti, enti di ricerca e società scientifiche - atto a tracciare linee e strategie di intervento. In particolare, l'articolo 7 e l'articolo 10 del decreto legge definiscono bene le funzioni del Cnmr dell'Iss, sede del Registro nazionale delle malattie rare. Il primo prevede che il Cnmr svolga attività di ricerca, consulenza e documentazione sulle malattie rare e i farmaci orfani. Il secondo articolo, il 10, prevede che le regioni assicurino, attraverso i Centri regionali e interregionali di coordinamento, il flusso informativo delle reti per le malattie rare al Cnmr al fine di promuovere nuove conoscenze scientifiche, effettuare un monitoraggio epidemiologico delle malattie rare, valutare la qualità complessiva della presa in carico dei pazienti e orientare così la programmazione nazionale in tema di malattie rare.

Gigliola Alfaro