

## INTERGRUPPO PARLAMENTARE SULLE MALATTIE RARE E ONCOEMATOLOGICHE

### DOCUMENTO PROGRAMMATICO

La XIX legislatura ha visto la nascita di un nuovo intergruppo parlamentare, che intende affrontare con visione d'insieme sia i problemi legati alle malattie rare sia la vasta problematica legata ai pazienti oncologici, identificando in un campo e nell'altro alcuni obiettivi strategici, su cui intervenire efficacemente. Obiettivi che sono in parte uguali e in parte specifici in ciascun ambito. L'anello di congiunzione è rappresentato dai tumori rari, che per la loro rarità rientrano nel mondo delle malattie rare, e in quanto tali sono inclusi e tutelati dalla legge 175/2021, ma per la loro specificità rientrano a pieno titolo tra le patologie oncologiche. I tumori rari costituiscono un importante punto di riferimento per capire meccanismi non solo biologico-molecolari, spesso genetici, ma anche socioculturali, che riguardano sia i malati rari che i pazienti oncologici.

Tra gli obiettivi su cui l'Intergruppo può lavorare in questa Legislatura ce ne sono alcuni di indubbio interesse sia per i malati rari che per i malati oncologici, per le loro famiglie e per le associazioni che li rappresentano:

- a) Modalità di finanziamento, di attuazione e di monitoraggio del **Piano malattie rare**
- b) Modalità di finanziamento, di attuazione e di monitoraggio del **Piano Oncologico Nazionale** tramite:
  - La definizione di un modello di governance centrale (Cabina di Regia) che guidi effettivamente l'attuazione del PON, lo monitori e ne valuti i risultati, anche con il coinvolgimento delle Associazioni di pazienti
  - l'istituzione del Coordinamento generale delle Reti Oncologiche (CRO) presso il Ministero della Salute, Direzione generale Programmazione sanitaria, con Agenas, ISS, AIFA, Regioni e Associazioni di pazienti e cittadini (in attuazione Punto 10 "*Linee guida organizzative e delle raccomandazioni per la Rete Oncologica che integra l'attività ospedaliera per acuti e post acuti con l'attività territoriale*", approvato dalla Conferenza Stato – Regioni il 17 aprile 2019
- c) Il monitoraggio della legge 175/2021: "**Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani**", finalizzato all'emanazione dei decreti attuativi
- d) È inoltre necessario, urgente, attivare la **Rete dei tumori rari**, per evitare che i pazienti vengano "discriminati", rispetto agli altri raggruppamenti più potenti: Malattie rare e Tumori. Loro, che sono l'anello di congiunzione tra i due, non possono diventare l'anello debole del sistema. Visto che la RNTR è stata approvata dall'Intesa Stato Regioni, la sua attuazione attualmente è affidata alle iniziative delle Regioni. Ciò può essere facilitato solo attraverso un forte coordinamento da parte del Ministero della Salute e con i possibili incentivi.

- e) Una delle richieste che viene dal mondo delle Associazioni, sia nell'area delle Malattie Rare che in quella dei Tumori rari, è la necessità di rendere immediatamente disponibili alle persone con tali patologie i **"farmaci *early access*"**, subito dopo l'approvazione da parte di EMA, senza attendere né la trafila per l'approvazione AIFA, né la complessa catena burocratica che li rende disponibili come farmaci "per uso compassionevole". Occorre superare la normativa 648/1996, il D.M. 7 settembre 2017, che riguarda l'"uso compassionevole" dei farmaci, Fondo nazionale AIFA del 5%: la legge 326/2003. In base alla normativa vigente è prevista la possibilità di impiegare per malattie rare e tumori rari medicinali per i quali siano disponibili anche solo i risultati di studi clinici sperimentali di fase I che ne abbiano documentato l'attività e la sicurezza. Il malato grave, che non ha alternative sul piano terapeutico, quando viene a sapere che un determinato farmaco ha ottenuto l'approvazione EMA, pur non avendo ancora ultimato tutte le procedure di sicurezza, preferisce correre gli eventuali rischi, senza attendere la conclusione delle procedure, nella speranza di ottenere i miglioramenti desiderati.
- f) Un altro obiettivo di indubbio interesse anche sotto il profilo scientifico riguarda il **potenziamento della Rete ERN**, riconoscendone il ruolo come già nel Piano Nazionale Malattie Rare e stimolando anche per i tumori rari un'analogha considerazione.
- g) Resta sempre valido l'obiettivo di un **maggiore coinvolgimento delle associazioni di pazienti nei processi decisionali** che li riguardano, anche ai massimi livelli istituzionali, in attuazione di quanto previsto nella mozione approvata alla Camera concernente iniziative in materia di malattie rare ai punti:  
*2: favorire la presenza delle federazioni/associazioni di persone con tumori rari più rappresentative nell'ambito del Comitato nazionale per le malattie rare, istituito presso il Ministero della salute (art 8, comma 2, L. 10-11-2021, n. 175);*  
*7: coinvolgere e ascoltare continuamente i rappresentanti delle associazioni dei pazienti maggiormente rappresentative sin dalle prime fasi dei processi decisionali*  
*8: favorire il coinvolgimento da parte di Aifa delle associazioni dei pazienti maggiormente rappresentative (art. 5 L. 10-11-2021, n. 175).*
- h) Occorre inoltre continuare a sollecitare **l'aggiornamento di LEA, screening, registri.**