

# LE MALATTIE RARE IN UMBRIA

RDD 2022: È LA RETE CHE FA LA FORZA

**26 FEBBRAIO 2022**

dalle ore 9:00

link per partecipare: <https://youtu.be/l-0q5a2ZxR4>



Con il patrocinio di



## Associazioni Partecipanti



### Moderatori

Andrea Sonaglia: Giornalista / Pietro Marinelli: Presidente Associazione Smith-Magenis Italia

**RDD 2022: È LA RETE CHE FA LA FORZA**  
link per partecipare: <https://youtu.be/l-Oq5a2ZxR4>

# TEMA

## **Testo Unico sulle MR, PNRR e Piano Nazionale MR un'occasione unica e irripetibile**

Dobbiamo essere positivi perché siamo in un momento “magico” per le opportunità che ci vengono offerte dal nuovo Testo Unico sulle malattie rare – MR, dall'aggiornamento del Piano Nazionale Malattie Rare - PNMR e dal Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza - PNRR che ci permetteranno di rinforzare a tutti i livelli la rete scientifica e socio-sanitaria a beneficio delle persone con malattia rara - PcMR. Dal Testo Unico abbiamo gli obiettivi che, uniti ai finanziamenti del PNRR, ci possono permettere di creare un'eccellenza e dare sostanza agli articoli della Legge. Se le Istituzioni centrali, regionali, periferiche, le associazioni e i rappresentanti sapranno cogliere l'opportunità di questo momento mettendosi in rete e facendo “sistema” nel vero senso della parola, si realizzerà una vera e propria “rivoluzione” nel sistema di gestione delle PcMR che potrà attivare un volano di buone pratiche e nuova conoscenza scientifica, in quanto le MR e la PcMR sono un paradigma di sanità, un banco di prova che se opportunamente sviluppato può fornire soluzioni che possono essere applicate a tutto il sistema sanitario a vantaggio della nostra salute.

**La Legge 10 novembre 2021 n.175** recante “Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani”, nota come **Testo Unico sulle Malattie Rare** è ufficialmente **entrata in vigore dal 12/12/2021**.

## IL TESTO UNICO IN SINTESI

L'**articolo 1** enuncia la finalità della Legge identificandola nella tutela del diritto alla salute delle persone affette da malattie rare

L'**articolo 2** definisce le malattie rare e i tumori rari

L'**articolo 3** contiene la definizione di farmaco orfano

L'**articolo 4** rimette ai centri di riferimento la definizione del piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato che garantisca anche un percorso strutturato nella transizione all'età adulta. Pone a carico del SSN alcuni trattamenti sanitari, già previsti dai LEA o qualificati salvavita, oltre che i dispositivi medici e i presidi sanitari compresi nel PDTA personalizzato. Prevede l'aggiornamento dell'elenco delle malattie rare nonché le prestazioni necessarie al trattamento delle stesse.

L'**articolo 5** assicura l'assistenza farmaceutica e l'immediata disponibilità dei farmaci orfani - anche nel caso di diagnosi della malattia rara in una regione diversa da quella di residenza. Viene consentita l'importazione di farmaci in commercio in altri Paesi anche per usi non autorizzati nei Paesi di provenienza, purché compresi nei Piani diagnostici terapeutici assistenziali.

L'**articolo 6** prevede e disciplina l'istituzione del Fondo di solidarietà destinato al finanziamento delle misure per il sostegno del lavoro di cura ed assistenza delle persone affette da malattie rare, con una percentuale di invalidità pari al 100 per cento, con handicap riconosciuto con connotazione di gravità (ai sensi della Legge 104) e che necessitano di assistenza continua. Il comma 2, prevede che il Ministero del lavoro e delle politiche sociali, entro il 12 marzo 2022 è tenuto ad adottare il regolamento attuativo.

L'**articolo 7** definisce le funzioni del Centro nazionale per le malattie rare.

L'**articolo 8** prevede l'istituzione presso il Ministero della salute del Comitato nazionale per le malattie rare che assicuri la partecipazione di tutti i soggetti portatori di interesse del settore.

**link per partecipare:** <https://youtu.be/l-0q5a2ZxR4>

L'**articolo 9** prevede che ogni tre anni venga approvato il Piano nazionale per le malattie rare. In sede di prima attuazione, il Piano dovrà essere adottato entro il 12 marzo 2022.

L'**articolo 10** prevede che le regioni assicurino, attraverso i Centri regionali e interregionali di coordinamento, il flusso informativo delle reti per le malattie rare al Centro nazionale per le malattie rare.

L'**articolo 11** dispone che il fondo nazionale per l'impiego di farmaci orfani per malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di cura, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie, venga integrato con un ulteriore versamento pari al 2 per cento sull'ammontare complessivo della spesa sostenuta nell'anno precedente per le attività di promozione rivolte al personale sanitario da parte delle aziende farmaceutiche.

L'**articolo 12** concede, un contributo, sotto forma di credito d'imposta pari al 65 per cento delle spese sostenute per l'avvio e per la realizzazione di progetti di ricerca, fino all'importo massimo annuale di euro 200.000 per ciascun beneficiario, nel limite di spesa complessivo di 10 milioni di euro annui. Secondo quanto previsto dal comma 3 il Ministero della Salute è chiamato a stabilire i criteri e le modalità di attuazione attraverso regolamento da emettersi entro il 12 giugno 2022.

L'**articolo 13** prevede che i Ministeri della Salute, dell'Università e della Ricerca e le Regioni e le Province Autonome di Trento e Bolzano, promuovano il tema delle malattie rare nell'ambito della ricerca indipendente.

L'**articolo 14** prevede che il Ministero della salute promuova azioni utili per dare un'informazione tempestiva e corretta ai pazienti e ai loro familiari e sensibilizzare l'opinione pubblica sulle malattie rare. Le modalità devono essere definite entro il 12 marzo 2022.

L'**articolo 15** prevede che i Centri di Coordinamento Regionali e Interregionali, entro il 12 giugno 2022, mettano a disposizione le informazioni utili sulle Reti regionali ed interregionali e mettano in evidenza le offerte assistenziali organizzate da tutte le regioni.

*Ecco il “conto alla rovescia” per l'applicazione dei decreti, dei regolamenti e degli accordi da parte del Governo e delle Regioni attraverso i quali sarà possibile dare concreta applicazione alle disposizioni di Legge:*

### **ENTRO IL 10 FEBBRAIO**

ART. 8: DECRETO MINISTERIALE PER L'ISTITUZIONE DEL COMITATO NAZIONALE PER LE MALATTIE RARE

### **ENTRO IL 12 MARZO**

ART.2 c.6: DECRETO MINISTERIALE PER IL REGOLAMENTO DI ATTUAZIONE DEL FONDO DI SOLIDARIETÀ

### **ENTRO IL 12 MARZO**

ART. 9: ACCORDO TRA STATO E REGIONI PER L'ADOZIONE DEL PIANO MALATTIE RARE

### **ENTRO IL 12 MARZO**

ART. 14: ACCORDO TRA STATO E REGIONI PER PROMUOVERE LE AZIONI INFORMATIVE ALLE PERSONE CON MALATTIA RARA

### **ENTRO IL 12 GIUGNO**

ART. 12 c.3: REGOLAMENTO MINISTERIALE RELATIVO AGLI SGRAVI FISCALI PER RICERCA E SVILUPPO

### **ENTRO IL 12 GIUGNO**

ART. 14: ACCORDO TRA REGIONI E PROVINCE AUTONOME DI TRENTO E BOLZANO PER LA DEFINIZIONE DELLE MODALITÀ DI CONDIVISIONE DELLE INFORMAZIONI SULLE DIVERSE OFFERTE ASSISTENZIALI

**link per partecipare:** <https://youtu.be/l-0q5a2ZxR4>

# PROGRAMMA

## APERTURA LAVORI

Andrea Sonaglia, Direttore responsabile [www.INFORARE.it](http://www.INFORARE.it)

## SALUTI ISTITUZIONALI

### LE MALATTIE RARE IN UMBRIA

**Marco Squarta** Presidente Assemblea Legislativa, Regione Umbria

**Luca Coletto** Assessore alla salute e politiche sociali, Regione Umbria

**Piola Fioroni** Vice Presidente Assemblea Legislativa della Regione Umbria,  
Presidente Osservatorio sulla condizione delle persone con disabilità, Regione Umbria

**Michele Bettarelli** Vice Presidente Assemblea Legislativa della Regione Umbria

### PRESENTAZIONE DEL TEMA

#### IL NUOVO TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE:

**Testo Unico, PNRR e Piano Nazionale Malattie Rare un'occasione unica**

**Pietro Marinelli** Presidente Associazione SMITH-MAGENIS ITALIA

## INTERVENTI

#### IL NUOVO TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE:

**Malattie rare, organizzazione e PNRR, su cosa investire eventuali nuove risorse**  
**Onorevole Fabiola Bologna**

Camera dei deputati Parlamento della Repubblica

#### IL NUOVO TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE:

**come rispondono i rappresentanti del movimento associativo**

**Annalisa Scopinaro**

Presidente di UNIAMO, Federazione Italiana Malattie Rare

#### IL NUOVO TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE:

**per una diagnosi ed una presa in carico rapide**

**Dott. Paolo Prontera**

Centro di Riferimento Regionale di Genetica Medica,  
Azienda Ospedaliera di Perugia

## FESTIVAL UNO SGUARDO RARO

**Serena BarTEzzati** Vice direttore e Coordinatore Relazioni Esterne

### LE MALATTIE RARE VISTE ATTRAVERSO LALENTE DELLA BIOETICA

**Prof.ssa Assuntina Morresi**

Comitato Nazionale per la Bioetica

#### IL NUOVO TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE:

**un approccio collaborativo per una rete organizzata**

**Dott. Claudio Carta, Dott.ssa Domenica Taruscio**

Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità

#### IL NUOVO TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE:

**il modello italiano come avanguardia europea**

**Simona Bellagambi** Membro Consiglio Direttivo di EURORDIS

## L'INCONTRO È PROPOSTO DA

**Associazione X FRAGILE Umbria** Michela Minelli

**Popyontheroad** Giorgio Massoli

**Associazione MITOCON** Marco Cicchelli

**Associazione PARENT PROJECT** Maurizio Mezzanotte

**Associazione Un FILO per la VITA** Margherita Gregori

**SMA Annarita Mezzasoma**

**Associazione AICI** Serena BarTEzzati

**Associazione CIDP** Massimo Marra

**Associazione AIPI** Leonardo Radicchi

**Associazione sindrome di MARFAN** Valentina Ricci

**Insieme per la ricerca PCDH19** Maria Teresa Lattaioli

**Associazione HHT** Giulia De Santis

**Associazione RARE SPECIAL POWERS** Eleonora Passeri

**Associazione sindrome di SMITH-MAGENIS** Pietro Marinelli

**Associazione AIPI** Leonardo Radicchi

link per partecipare: <https://youtu.be/l-0q5a2ZxR4>

# Pronti per il Global Chain of Lights?



**I COMUNI UMBRI CHE HANNO ADERITO ALL'INIZIATIVA**

**PERUGIA, BASTIA UMBRA, CANNARA, CITERNA, CITTÀ DI CASTELLO, CORCIANO,  
DERUTA, GIANO DELL'UMBRIA, GUBBIO, LISCIANO NICCONE, MARSCIANO, SAN VENANZO,  
SCHEGGIA E PASCELUPO, SPELLO, SPOLETO, TODI, TORGIANO, TREVI E UMBERTIDE.**

Con il contributo di



AZIENDA AGRARIA  
**SCACCIADIAVOLI**  
*di Pambuffetti*



## ORGANIZZAZIONE:

Pietro Marinelli  
asm17italia@gmail.com  
339 1198097



@uniamomalattierare

@uniamofimronlus

link per partecipare: <https://youtu.be/l-0q5a2ZxR4>

Media partner

