



DISEGNO DI LEGGE

d’iniziativa dei senatori BINETTI, RIZZOTTI, SICLARI, STABILE, DE POLI, ALDERISI, SACCONI, FANTETTI, BERUTTI, QUAGLIARIELLO, PEROSINO, MANGIALAVORI, BATTISTONI e MODENA

COMUNICATO ALLA PRESIDENZA IL 26 FEBBRAIO 2019

Disposizioni a sostegno delle famiglie con bambini affetti da malattie rare

ONOREVOLI SENATORI. - Da qualche tempo è stata rivolta una particolare attenzione alle malattie rare da parte della scienza medica e giuridica. Sul concetto di malattia rara si può accettare la definizione di malattia rara come quella patologia che colpisce non più di 5 persone ogni 10.000 abitanti. La ridotta prevalenza nella popolazione non equivale ad affermare che le malattie rare sono poche: al contrario esse sfortunatamente colpiscono milioni di persone in Italia e in Europa. Il numero delle malattie rare è preoccupante e oscilla tra le 7.000 e le 8.000. Le comuni problematiche assistenziali costringono a progettare interventi di sanità mirati e non frammentati; gli interventi già intrapresi a livello legislativo e ministeriale mostrano lo sviluppo di una particolare sensibilità delle istituzioni nei confronti di una problematica la cui gravità chiama in causa azioni coordinate, responsabili e non più procrastinabili, al fine dell'approntamento di idonee dotazioni di strutture di supporto e di servizi principali e complementari, di servizi di emergenza e di diagnostica, nonché della formazione specialistica di personale dedicato.

Accanto alla rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, a mezzo dei presidi di riferimento, il coordinamento interregionale per lo scambio di informazioni e il riscontro di protocolli, altre concrete iniziative sono state finora intraprese per un approccio risolutivo: dal regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, al regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279 e alla decisione n. 1350/

2007/CE del Parlamento europeo e del Consiglio, del 23 ottobre 2007.

Nella finalità degli strumenti adottati si conviene sulla necessità di garantire il coordinamento e l'operatività in rete dei presidi regionali incaricati per la diagnosi e per la cura delle malattie rare, di sviluppare percorsi diagnostico-terapeutici condivisi per orientare e per supportare gli operatori e le strutture sanitarie, di assicurare la collaborazione con le associazioni dei malati e con i loro familiari per agevolare l'avvio e la prosecuzione dei percorsi assistenziali. In Italia si stima che ci siano circa 2 milioni di malati, moltissimi dei quali in età pediatrica. L'80 per cento di queste malattie è di origine genetica, pertanto il problema si presenta dalla nascita. Per il restante 20 per cento dei casi si tratta di malattie acquisite.

Per la quasi totalità, le malattie rare sono anche croniche e invalidanti e l'individuo che ne è affetto deve convivere con i sintomi e con le difficoltà che ne conseguono per tutta la vita, spesso fin dalla nascita. In molti casi si tratta di patologie che mettono ripetutamente in pericolo la sopravvivenza, che limitano la durata e la qualità di vita e che determinano gravi *deficit*. Durante il decorso della malattia il paziente si trova spesso a soffrire l'isolamento o l'indifferenza della comunità in cui vive, a causa della mancanza di informazione e di conoscenza sulla patologia e sulle sue manifestazioni, nonché su tutti gli aspetti problematici sotto il profilo psico-fisico.

Tra le malattie rare quelle di tipo lisosomiale rappresentano oggi un gruppo di patologie ad elevata complessità, fortemente invalidanti, che richiedono particolare attenzione sul piano della diagnosi precoce, sul

piano della ricerca specifica in campo farmacologico, e soprattutto sul piano dell'assistenza familiare, perché impegnano nella relazione di cura un'assistenza qualificata e continuativa

Il presente disegno di legge si fonda sulla consapevolezza che l'esperienza della malattia rara è un'esperienza fortemente destabilizzante soprattutto per il bambino e per le famiglie. L'obiettivo è quello di fornire strumenti previdenziali assistenziali a sostegno dei genitori affidatari e garanti del bambino affetto da malattia rara con disabilità grave, fornendo il massimo supporto al nucleo familiare. Spesso le famiglie si trovano ad affrontare spese molto onerose per raggiungere i centri specializzati di cura e sono costrette a provvedere personalmente alle cure in assenza di personale dedicato reperibile, con conseguente diminuzione dell'attività lavorativa da cui necessariamente sono distolte per attendere alle incombenze continue che l'assistenza assidua al malato impone. Appare indispensabile integrare le famiglie nel percorso assistenziale attraverso la più profonda « alleanza terapeutica » tra medici, personale sanitario e genitori, o altri affidatari del malato, specie se minore. Solo attraverso il coordinamento e l'integrazione tra servizi e professionalità distinte si può costruire un'assistenza rispondente e adeguata alle esigenze del bambino affetto da una malattia rara e della sua famiglia che ne soffre le dolorose conseguenze in termini di stress e di sovraccarico di impegno fisico e morale.

Con la legge 5 febbraio 1992, n. 104, si dettano i principi dell'ordinamento in materia di diritti, integrazione sociale e assistenza delle persone disabili, ossia di soggetti che presentano una disabilità fisica, psichica o sensoriale, stabilizzata o progressiva, che a causa di difficoltà di apprendimento, di relazione o di integrazione lavorativa determina un processo di svantaggio sociale o di emarginazione. Dal momento che

la centralità della famiglia nella cura della malattia e nella tutela della salute risulta essere un dato consolidato, ai sensi della legge 8 novembre 2000, n. 328, è opportuno tenere conto delle difficoltà di relazione e comunicazione, della fatica e del logoramento delle persone sulle quali grava l'onere di accudire quotidianamente disabili, nonché le difficoltà di natura economica che possono derivare dalla necessità di fare fronte ad impegni prolungati nel tempo.

A queste finalità risponde il presente disegno di legge che si compone di un solo articolo ed introduce la possibilità per i lavoratori che assistono figli invalidi con totale e permanente inabilità lavorativa di chiedere, limitatamente ad un genitore per ogni figlio disabile, di accedere al pensionamento anticipato a condizione di aver raggiunto il requisito di venticinque annualità di contribuzione. Al fine di evitare una eccessiva generalizzazione della concessione del privilegio pensionistico, il presente disegno di legge si riferisce unicamente al caso di invalidità di maggiore gravità quale risulta essere quello dell'inabile al 100 per cento con necessità di assistenza continua, non in grado di compiere gli atti quotidiani della vita (leggi 11 febbraio 1980, n. 18, 21 novembre 1988, n. 508, e 5 febbraio 1992, n. 104). Dall'attuazione di queste misure possono derivare indubbi vantaggi economici per lo Stato. Tra i vari vantaggi economici si annovera, per quanto riguarda il settore pubblico, il risparmio derivante dall'eliminazione dei costi dovuti per supplenze e per sostituzioni che, nella realtà attuale, si producono a causa delle necessarie assenze dal posto di lavoro in cui incorre il dipendente pubblico per assistere il familiare disabile.

Il presente disegno di legge ha come obiettivo il riconoscimento della particolarità delle malattie rare pediatriche al fine di tutelare il più possibile i diretti interessati e le famiglie che si trovano ad affrontare i problemi quotidiani che tali patologie compor-

tano. Il termine « rarità », con riferimento a tali malattie, non deve essere sinonimo di « invisibilità », che troppo spesso vuol dire sottovalutazione e indifferenza. Il bambino

malato non è un soggetto « invisibile » e dare « visibilità » alla malattia è il primo doveroso atto responsabile di solidarietà ispirato ai valori costituzionali.

DISEGNO DI LEGGE

Art. 1.

(Finalità)

1. Nel rispetto degli articoli 3, 31 e 32 della Costituzione e dei principi contenuti nella Convenzione delle Nazioni Unite sui diritti delle persone con disabilità, fatta a New York il 13 dicembre 2006, ratificata ai sensi della legge 3 marzo 2009, n. 18, la presente legge prevede iniziative volte alla tutela delle famiglie con bambini affetti da malattie rare con disabilità grave.

2. Ai sensi del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, sono considerate rare le malattie la cui incidenza non è superiore a cinque soggetti su diecimila abitanti dell'Unione europea, nonché le malattie inserite nell'elenco previsto dal regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare, di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279.

Art. 2.

(Definizioni)

1. Ai fini della presente legge si intende per:

a) malattia rara pediatrica: una patologia potenzialmente letale, cronica o invalidante, caratterizzata da una bassa prevalenza e da un elevato grado di complessità, riscontrata nel periodo compreso tra zero e diciotto anni di età, anche di origine genetica, inserita nell'elenco delle malattie e dei gruppi di malattie rare previsto dall'allegato 1 annesso al regolamento di cui al decreto

del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279;

b) farmaco orfano: un farmaco destinato, sulla base di quanto previsto dal citato regolamento (CE) n. 141 del 2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia delle malattie rare, come definite dall'articolo 1 della presente legge, ovvero destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di affezioni che comportano una minaccia per la vita o che siano seriamente debilitanti o gravi e croniche e per le quali è probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione del farmaco non sia così redditizia da giustificare l'investimento necessario;

c) lavoratore: il genitore, il fratello, la sorella, il familiare, l'affidatario, il tutore, il curatore o l'amministratore di sostegno che convive con il soggetto affetto da malattia rara pediatrica per il periodo per il quale si richiede il beneficio di cui all'articolo 3 e che svolge un'attività lavorativa. Il periodo di convivenza deve essere attestato mediante un'apposita certificazione rilasciata dal comune di residenza del minore.

Art. 3.

(Tipologie di benefici e soggetti legittimati al loro riconoscimento)

1. Ai lavoratori che si dedicano a minori affetti da malattie rare pediatriche aventi una percentuale di invalidità pari al 100 per cento, che assume connotazione di gravità ai sensi dell'articolo 3, comma 3, della legge 5 febbraio 1992, n. 104, e che necessitano di assistenza continua in quanto non in grado di compiere gli atti quotidiani della vita, ai sensi di quanto previsto nella tabella di cui al decreto del Ministro della sanità 5 febbraio 1992, pubblicato nel supplemento ordinario alla *Gazzetta Ufficiale* n. 47 del 26

febbraio 1992, è riconosciuto, su richiesta, il diritto all'erogazione anticipata del trattamento pensionistico, indipendentemente dall'età anagrafica del soggetto beneficiario, a seguito del versamento di almeno venticinque anni di contributi previdenziali, con decorrenza immediata nel momento in cui il minore è dichiarato disabile grave dalle commissioni mediche preposte.

2. Ai fini della determinazione del trattamento pensionistico, limitatamente al soggetto che assiste un minore affetto da malattia rara pediatrica, è riconosciuta una contribuzione figurativa di tre mesi per ogni anno di contribuzione effettiva, per un massimo di quattro anni versati in costanza di assistenza al minore disabile in situazione di gravità, ai sensi di quanto stabilito dal comma 1.

3. Ai fini della determinazione del trattamento pensionistico, limitatamente al genitore che assiste un minore affetto da malattia rara pediatrica, è riconosciuta un'ulteriore contribuzione figurativa di sei mesi ogni cinque anni di contribuzione effettiva, versati in costanza di assistenza al minore disabile in situazione di gravità ai sensi di quanto previsto dal comma 1.

4. Per le finalità di cui alla presente legge un'*équipe* multidisciplinare operativa presso l'azienda sanitaria locale competente per il territorio di residenza del minore affetto da malattia rara pediatrica redige, in collaborazione con il lavoratore che assiste il minore medesimo, un piano di assistenza individuale che tiene conto delle criticità e dei bisogni individuali del minore al fine di preservarne e di migliorarne le abilità residue e di intervenire tempestivamente per curare le fasi acute della malattia. Il piano è aggiornato in base alle condizioni fisiche, psicologiche e neurologiche del minore ed è adattato alle esigenze emergenti nel medio o nel lungo periodo.

5. I lavoratori che assistono figli invalidi con totale e permanente inabilità lavorativa, per la cui gravità, ai sensi dell'articolo 3

della legge 5 febbraio 1992, n. 104, è riconosciuta una percentuale di invalidità pari al 100 per cento, e che sono gestiti totalmente nell'ambito della famiglia, con necessità di assistenza continua, non essendo in grado di compiere gli atti quotidiani della vita, possono chiedere, limitatamente ad un genitore per ogni figlio disabile, di accedere al pensionamento anticipato quando hanno raggiunto il requisito di venticinque annualità di contribuzione.

6. Al fine di favorire la ricerca clinica e preclinica finalizzata alla produzione dei farmaci orfani, ai soggetti pubblici e privati che svolgono tali attività di ricerca o che investono in progetti di ricerca sulle malattie rare o sui farmaci orfani svolti da enti di ricerca pubblici o privati si applica un sistema di incentivi e di agevolazioni fiscali per le spese sostenute per l'avvio e la realizzazione di progetti di ricerca.

Art. 4.

(Acquisto di farmaci)

1. L'acquisto dei farmaci di fascia C necessari per il trattamento delle malattie rare, nonché dei trattamenti considerati non farmacologici, quali alimenti, integratori alimentari, dispositivi medici, presidi sanitari, e la fruizione di prestazioni di riabilitazione motoria, logopedica, neuropsicologica e cognitiva e di interventi di supporto e di sostegno sia per il paziente sia per la famiglia, prescritti dai presidi della Rete individuati dalle regioni ai sensi dell'articolo 2 del citato regolamento di cui al decreto del Ministro della sanità 18 maggio 2001, n. 279, di seguito denominati « presidi della Rete » sono inclusi nei livelli essenziali di assistenza (LEA) previsti per i soggetti affetti da malattie rare dal decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 29 novembre 2001, pubblicato nel supplemento ordinario alla *Gazzetta Ufficiale* n. 33 dell'8 febbraio

2002. Nel caso di acquisto di dispositivi medici o di presidi sanitari, l'esenzione dal costo è prevista anche per la manutenzione ordinaria e straordinaria degli stessi.

2. I farmaci commercializzati in Italia che abbiano ottenuto riconoscimento di farmaco orfano dalla Agenzia europea per i medicinali (EMA) sono forniti gratuitamente ai soggetti portatori delle patologie a cui la registrazione fa riferimento e possono pertanto essere inseriti nel prontuario nazionale dei farmaci nelle fasce esenti da compartecipazione alla spesa. Le regioni, in attuazione di quanto previsto dal presente articolo, assicurano:

a) l'inserimento, nei prontuari terapeutici territoriali, dei farmaci e dei trattamenti non farmacologici di cui al comma 1, nonché la loro immediata disponibilità e gratuità;

b) le prestazioni strumentali e riabilitative previste dai protocolli e dalle linee guida stabiliti a livello nazionale.

3. 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 ad una malattia rara il numero di pezzi prescrivibili per ricetta può essere superiore a tre. Il Ministro della salute, con proprio decreto da adottare entro sei mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, definisce, per ciascuna categoria di farmaci destinati alla cura delle malattie rare, le modalità ed i criteri di attuazione delle disposizioni di cui al presente comma.

4. Entro tre mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, il Ministro della salute definisce l'elenco dei farmaci e dei trattamenti non farmacologici di cui al comma 1.

Art. 5.

*(Contributi per il sostegno
della genitorialità)*

1. Limitatamente a uno dei genitori che assiste stabilmente il figlio disabile ai sensi dell'articolo 3, comma 1, oltre ai benefici di cui al medesimo articolo 3, è previsto un contributo pari a 1.000 euro per tredici mensilità.

2. Limitatamente a uno dei genitori che assiste il figlio affetto da malattia rara pediatrica, in attesa di prima occupazione, è previsto un contributo pari a 500 euro per tredici mensilità.

3. In caso di separazione legale dei genitori, in favore del genitore affidatario che assiste il figlio disabile in situazione di gravità, ai sensi dell'articolo 3, comma 1, è previsto un contributo pari a 500 euro per tredici mensilità.

Art. 6.

*(Istituzione del Fondo di solidarietà per le
famiglie dei minori affetti da malattie rare
pediatriche)*

1. Per le finalità di cui all'articolo 1 è istituito, presso il Ministero della salute, il Fondo di solidarietà per le famiglie dei minori affetti da malattia rare pediatriche, di seguito denominato «Fondo», destinato al finanziamento delle misure per il sostegno del lavoro di cura e assistenza dei minori alimentato da un contributo fisso dello Stato pari a 8 milioni di euro, da un contributo fisso a carico delle casse di previdenza e assistenza private pari a 2 milioni di euro, da una quota fissa derivante dalle scelte non espresse relativamente alla destinazione della quota del 5 per mille dell'imposta sul reddito delle persone fisiche, nonché da donazioni e da lasciti da chiunque effettuati, deducibili ai sensi del testo unico delle impo-

ste sui redditi, di cui al decreto del Presidente della Repubblica 22 dicembre 1986, n. 917.

2. Il Fondo è gestito da un comitato secondo le modalità definite dal decreto di cui al comma 4, designato dalla Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano. Il comitato è composto da due delegati del coordinamento della Commissione salute della Conferenza delle regioni e delle province autonome, da un delegato del Ministero della salute, da un delegato del Ministero del lavoro e delle politiche sociali, da un delegato dell'Istituto superiore di sanità con comprovata esperienza in materia di malattie rare e da due delegati delle organizzazioni dei pazienti affetti da malattie rare. I membri del comitato sono nominati con decreto del Ministro della salute.

3. Gli oneri relativi all'istituzione e alla gestione del Fondo sono posti integralmente a carico del Fondo stesso.

4. Con decreto del Presidente della Repubblica, da emanare entro sei mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge ai sensi dell'articolo 17, comma 1, lettera b), della legge 23 agosto 1988, n. 400, sono disciplinati l'organizzazione dell'attività e le modalità di gestione del Fondo, nel rispetto dei principi di cui alla presente legge, il contenuto e le modalità per la predisposizione dei moduli per la domanda di accesso ai benefici di cui agli articoli 3 e 4, la disciplina dell'erogazione di tali benefici e i sistemi di surrogazione dei soggetti tenuti ad anticipare agli aventi diritto i benefici di cui all'articolo 3.

Art. 7.

(Procedura di riconoscimento dei benefici)

1. La domanda di accesso ai benefici di cui alla presente legge deve essere compilata sul modulo prestampato predisposto dal

Fondo ai sensi dell'articolo 5, comma 4, della presente legge, comunque contenente in forma di autocertificazione, ai sensi della sezione V del capo III del testo unico delle disposizioni legislative e regolamentari in materia di documentazione amministrativa, di cui al decreto del Presidente della Repubblica 28 dicembre 2000, n. 445:

a) i dati anagrafici e fiscali del minore e del lavoratore, nonché la composizione del nucleo familiare;

b) la diagnosi di malattia rara pediatrica con l'indicazione della data del relativo accertamento mediante apposita certificazione sanitaria rilasciata dal centro di riferimento regionale delle malattie rare;

c) la posizione lavorativa del lavoratore e l'indicazione del soggetto che intende usufruire dei benefici;

d) la tipologia di beneficio al quale si richiede di accedere;

e) la documentazione fiscale del minore disabile in situazione di gravità ai fini della definizione dell'indicatore della situazione economica equivalente.

2. Il modulo di cui al comma 1 deve essere disponibile presso l'azienda sanitaria locale competente per il territorio in cui risulta residente il richiedente ed è consegnato ai lavoratori contestualmente alla comunicazione della diagnosi della struttura certificante, la quale la trasmette al comitato di cui all'articolo 6, comma 2.

3. I benefici di cui alla presente legge si applicano retroattivamente a decorrere dalla data della diagnosi della malattia rara pediatrica.

Art. 8.

(Copertura finanziaria)

1. Alla copertura degli oneri della presente legge, valutati in 15 milioni di euro a

decorrere dall'anno 2019, si provvede mediante corrispondente riduzione dello stanziamento del fondo speciale di parte corrente iscritto, ai fini del bilancio triennale 2019-2021, nell'ambito del programma « Fondi di riserva e speciali » della missione « Fondi da ripartire » dello stato di previsione del Ministero dell'economia e delle finanze per l'anno 2019, allo scopo parzialmente utilizzando l'accantonamento relativo al medesimo Ministero.

€ 1,00