

# SENATO DELLA REPUBBLICA

————— XIV LEGISLATURA —————

## 12<sup>a</sup> COMMISSIONE PERMANENTE

(Igiene e sanità)

---

### INTERROGAZIONI

7° Resoconto stenografico

SEDUTA DI MERCOLEDÌ 2 LUGLIO 2003

---

**Presidenza del presidente TOMASSINI**

**I N D I C E****INTERROGAZIONI**

PRESIDENTE: . . . . .	Pag. 3, 5
* CURSI, <i>sottosegretario di Stato per la salute</i> . . . . .	3, 5
* BETTONI BRANDANI ( <i>DS-U</i> ) . . . . .	4, 5
ALLEGATO ( <i>contiene i testi di seduta</i> ) . . . . .	6

---

**N.B. I testi di seduta sono riportati in allegato al Resoconto stenografico.**

*Gli interventi contrassegnati con l'asterisco sono stati rivisti dagli oratori.*

*Sigle dei Gruppi parlamentari: Alleanza Nazionale: AN; Democratici di Sinistra-l'Ulivo: DS-U; Forza Italia: FI; Lega Padana: LP; Margherita-DL-l'Ulivo: Mar-DL-U; Per le autonomie: Aut; Unione Democratica e di Centro: UDC; Verdi-l'Ulivo: Verdi-U; Misto: Misto; Misto-Comunisti italiani: Misto-Com; Misto-Lega per l'autonomia lombarda: Misto-LAL; Misto-Libertà e giustizia per l'Ulivo: Misto-LGU; Misto-Movimento territorio lombardo: Misto-MTL; Misto-MSI-Fiamma Tricolore: Misto-MSI-Fiamma; Misto-Nuovo PSI: Misto-NPSI; Misto-Partito repubblicano italiano: Misto-PRI; Misto-Rifondazione Comunista: Misto-RC; Misto-Socialisti democratici italiani-SDI: Misto-SDI; Misto Udeur Popolari per l'Europa: Misto-Udeur-PE.*

*I lavori hanno inizio alle ore 15,50.*

#### INTERROGAZIONI

PRESIDENTE. L'ordine del giorno reca lo svolgimento dell'interrogazione 3-00615, presentata dai senatori Bettoni Brandani, Boldi, Tatò, Semeraro, Carella, Baio Dossi, Tonini e Bianconi.

CURSI, *sottosegretario di Stato per la salute*. Le malattie rare sono attualmente definite, in base ai criteri indicati nel regolamento CE n. 141 del 2000 del Parlamento europeo e del Consiglio dell'Unione europea, come affezioni caratterizzate da una prevalenza non superiore a 5 casi su 10.000 individui.

Una delle più rilevanti problematiche ingenerate dalle malattie rare è costituita dalla difficoltà connessa al reperimento dei farmaci efficaci per la terapia. Tali patologie, infatti, laddove considerate singolarmente, colpiscono un numero esiguo di persone e, di conseguenza, il mercato non risulta sufficientemente ampio per lo sviluppo dei farmaci necessari.

Per fronteggiare questa situazione, si è provveduto, in ambito europeo, mediante il regolamento CE n. 141 del 2000 ed il successivo regolamento CE n. 847 del 2000 della Commissione europea, ad individuare taluni incentivi destinati all'industria farmaceutica per la ricerca, lo sviluppo e l'immissione in commercio dei farmaci denominati «orfani», nonché le disposizioni per l'assegnazione della qualifica di «medicinale orfano».

Per quanto riguarda il nostro Paese, sono in vigore specifiche disposizioni che garantiscono un'efficace tutela ai pazienti affetti da malattie rare. In particolare, il decreto ministeriale 18 maggio 2001, n. 279 («Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare e di esenzione dalla partecipazione al costo delle relative prestazioni sanitarie ai sensi dell'articolo 5, comma 1, lettera b), del decreto legislativo 29 aprile 1998, n. 124»), realizza una integrazione fra le azioni previste dal Piano sanitario nazionale e quelle connesse alla disciplina dell'esenzione dalla partecipazione al costo.

Si ritiene che l'adozione delle misure di carattere organizzativo, basate sulla istituzione della rete dei presidi, sia in grado di consentire un significativo miglioramento del livello di assistenza nei confronti di tali malattie.

Sulle modalità di erogazione e la possibilità di attivare sperimentazioni cliniche, la decisione è rimessa alla competente Direzione generale del Ministero per la valutazione dei medicinali e la farmacovigilanza. Il decreto n. 279 del 2001 prevede la predisposizione, da parte delle Regioni, di modalità di acquisizione e di distribuzione dei farmaci specifici, anche

mediante la fornitura diretta da parte dei servizi farmaceutici pubblici, ferme restando le competenze della Commissione unica del farmaco, di cui all'articolo 7 del decreto legislativo del 30 giugno 1993, n. 266, e successive modificazioni.

Per quanto riguarda la terapia farmacologica sperimentale della glicogenesi di tipo 2, si segnala che importanti gruppi di ricerca nazionali stanno concentrando le loro risorse per sviluppare la sperimentazione di terapie enzimatiche utili anche ai pazienti affetti da glicogenesi di tipo 2.

Per quanto riguarda l'enzima alfa-gliconidasi, prodotto dall'azienda farmaceutica Genzyme, si precisa che esso è un farmaco non registrato, attualmente in corso di sperimentazione (*trial* con uso del prodotto), per verificare se possa essere utilizzato con efficacia nei casi di glicogenesi di tipo 2. La ditta Genzyme ha assicurato l'impegno a sviluppare ricerche cliniche con l'enzima alfa-gliconidasi, ma ha segnalato, al momento attuale, l'indisponibilità alla fornitura del prodotto per uso nominale, perché la produzione è particolarmente complessa ed i limitati quantitativi disponibili vengono impiegati esclusivamente nei *trial* sperimentali.

Mi sono interessato personalmente della questione e mi è stato riferito che probabilmente ulteriori quantitativi di farmaco potranno essere messi a disposizione nei prossimi mesi di settembre-ottobre.

BETTONI BRANDANI (*DS-U*). Innanzitutto desidero ringraziare il Sottosegretario per la sua risposta, che condivido in gran parte nonostante non sia positiva, perché capisco che anche il Ministero della salute non può intervenire in questa situazione. Vorrei tuttavia fare qualche osservazione.

Per coloro che hanno dimestichezza con il mondo sanitario è facile comprendere le difficoltà esistenti nelle fasi di produzione e sperimentazione dei farmaci, prima della loro immissione in commercio. Ciò risulta molto più difficile invece per i malati e le loro famiglie, che non hanno alcuna possibilità terapeutica e tuttavia devono constatare che ad alcuni questa possibilità è concessa.

Con grande risalto sui *media* il Ministro della salute ha consegnato il farmaco a cui si fa riferimento alla bambina di Napoli, che aveva le caratteristiche per rientrare nella sperimentazione. Ne siamo stati felici, però altre 27 persone in età molto giovane (anche se più grandi di quella bambina) si vedono negare la stessa possibilità. Ciò fa sorgere un problema etico per tutti noi, che ci chiediamo cosa sia più giusto fare. Per tale motivo abbiamo presentato l'interrogazione in titolo.

Chiedo quindi al Ministero della salute di seguire con attenzione la sperimentazione che sta effettuando l'azienda farmaceutica Genzyme, in modo che siano rispettati i tempi di produzione previsti e sia garantito almeno l'uso compassionevole del farmaco.

Inoltre, dal momento che il ministro Sirchia ha risposto, seppure con ritardo, ai genitori della bambina di cui facciamo menzione nell'interrogazione, e poiché era stato promesso un incontro per riferire sull'esito del viaggio del Ministro negli Stati Uniti per discutere di questa problematica,

chiedo che il Ministero della salute promuova un incontro con le famiglie dei malati, anche per testimoniare la vicinanza delle istituzioni, il nostro interessamento al problema, e per annunciare che c'è la prospettiva di un incremento della produzione del farmaco da parte della ditta Genzyme.

CURSI, *sottosegretario di Stato per la salute*. Il ministro Sirchia, a suo tempo, ha convocato direttamente il presidente della ditta Genzyme. L'indisponibilità del farmaco era dovuta al fatto che alcuni malati avevano un'età adulta e la quantità a disposizione non era sufficiente per la sperimentazione. La ditta ha affermato che, invece, a settembre-ottobre riuscirà a disporre di una quantità sufficiente di farmaco per effettuare la sperimentazione anche per persone di età più avanzata.

BETTONI BRANDANI (*DS-U*). Questa sperimentazione potrebbe essere fatta in Italia.

PRESIDENTE. Ringrazio il sottosegretario Corsi per l'ulteriore precisazione fornita in risposta agli interroganti.

Lo svolgimento dell'interrogazione 3-00615 è così esaurito.

*I lavori terminano alle ore 16,05.*

ALLEGATO

**INTERROGAZIONI**

BETTONI BRANDANI, BOLDI, TATÒ, SEMERARO, CARELLA, BAI DOSSI, TONINI, BIANCONI. – *Al Ministro della salute.*– Premesso che:

nei giorni scorsi lo stesso ministro Sirchia, con grande rilievo dei mezzi informativi, ha finalmente consegnato alla piccola Rossella e ai suoi genitori, che per questo si erano battuti con forza, una molecola enzimatica in via di sperimentazione, nella speranza che essa possa giovare al miglioramento del suo quadro clinico determinato da glicogenosi di tipo II;

che tale molecola, prodotta dalla azienda farmaceutica Genzyme, è attualmente sperimentata – sembra con effetti positivi – in diversi paesi europei tra cui l’Olanda, sui bambini e gli adolescenti affetti, appunto, da glicogenosi di tipo II, una patologia rara che, in alcune condizioni, provoca gravi conseguenze invalidanti e porta infine alla morte chi ne è affetto e che non ha, attualmente, una terapia farmacologica specifica;

che in Italia risultano colpite da tale malattia circa 26 persone, alcune in giovane età. Tra queste, a parte Rossella, si trova in condizioni critiche una ragazza sedicenne toscana, oggi legata ad un respiratore per la sua sopravvivenza, mentre è purtroppo, di recente, deceduto un altro bambino;

considerato che:

in via generale occorre al più presto definire in Parlamento una strategia di adeguata tutela dei pazienti affetti da malattie rare, su cui sono attualmente già in discussione alcuni disegni di legge il cui *iter* va accelerato, per affermare il principio che il diritto alla salute e alla vita è diritto soggettivo incompressibile, prioritario e prevalente rispetto ad ogni altra questione di compatibilità commerciale, economica o finanziaria;

compito elettivo delle Autorità pubbliche, soprattutto di quelle dedicate al governo del sistema sanitario, è quello di corrispondere in via generale ai diritti delle persone, predisponendo strumenti efficaci ed equi, la cui fruizione sia resa agibile a tutti coloro che abbiano necessità di ricorrervi se posti nelle stesse situazioni;

tale possibilità deve essere garantita quindi anche in condizioni di eccezionalità (uso compassionevole) come è accaduto per la piccola Rossella;

considerato inoltre quale possa essere lo stato d’animo di chi, come la ragazza toscana, vede ad altri concessa la possibilità a lei negata,

si chiede di sapere:

se non si ritenga doveroso dare eguale possibilità di cura e certezza di diritto a chi si trova nelle condizioni di Rossella, come nel caso della citata ragazza;

se non si ritenga di attivare anche in Italia una sperimentazione clinica controllata per il farmaco in questione.

(3-00615)

