



DISEGNO DI LEGGE

d’iniziativa dei senatori ZAFFINI, ZULLO e LIRIS

COMUNICATO ALLA PRESIDENZA IL 23 OTTOBRE 2025

Disposizioni per la promozione dell’accesso equo, sostenibile e tempestivo alle terapie avanzate e per il rafforzamento della ricerca, dello sviluppo e della produzione nazionale di farmaci

ONOREVOLI SENATORI. — Negli ultimi anni il panorama della medicina ha vissuto una profonda trasformazione grazie all'affermarsi delle terapie avanzate (*Advanced Therapy Medicinal Products* – ATMP), una nuova generazione di trattamenti biotecnologici ad alto impatto clinico, in grado di modificare in modo sostanziale e duraturo la storia naturale di patologie gravi, rare e prive di alternative terapeutiche efficaci.

Le terapie avanzate, per le loro caratteristiche, sono trattamenti altamente innovativi e differenti, sia da un punto di vista clinico che economico, dai farmaci tradizionali, spesso a somministrazione unica (*one-shot*), destinati alla cura di patologie gravi, rare e prive di alternative terapeutiche, e si caratterizzano per la capacità di modificare in modo duraturo la storia clinica del paziente, generando potenziali risparmi per il Servizio sanitario nazionale (SSN) nel medio-lungo periodo.

Si tratta di terapie geniche, cellulari e tissutali che, a differenza dei trattamenti convenzionali, agiscono direttamente sulla causa della malattia e non solo sui sintomi. Grazie alle terapie avanzate si possono ottenere risultati terapeutici di lunga durata, riducendo sensibilmente il bisogno di assistenza continuativa, ricoveri e terapie farmacologiche croniche.

Questa evoluzione scientifica e tecnologica rappresenta una svolta epocale per il SSN, che si trova oggi di fronte a una duplice sfida: da un lato, garantire ai pazienti l'accesso tempestivo, equo e sostenibile a trattamenti curativi di patologie gravi prive di alternative terapeutiche, in grado di restituire prospettive di salute laddove prima non ve ne erano; dall'altro, adattare l'architettura

normativa, finanziaria e regolatoria alle specificità di queste terapie, superando un modello ancora ancorato a parametri tradizionali di valutazione e rimborso.

L'Italia, con la sua eccellenza nella ricerca accademica, nelle sperimentazioni cliniche e nella biotecnologia industriale, ha tutte le potenzialità per assumere un ruolo guida in Europa nel settore degli ATMP. Tuttavia, queste potenzialità rischiano di essere compromesse in assenza di un'azione legislativa strutturale che affronti le criticità emerse negli anni, tra cui: disomogeneità regionali nell'accesso ai trattamenti e nella presenza di centri erogatori; ritardi procedurali nell'approvazione e nella rimborsabilità da parte delle autorità competenti; mancanza di percorsi di cura codificati e multidisciplinari per i pazienti eleggibili; assenza di meccanismi di pagamento innovativi e di strumenti contabili adeguati a riconoscere il valore trasformativo degli ATMP.

Esperti e istituzioni, in molteplici occasioni, hanno evidenziato l'urgenza di un cambio di paradigma: non si può più considerare la spesa per gli ATMP come un costo netto, bensì come un investimento strategico per la salute, la sostenibilità del SSN e la competitività del sistema Paese. Infatti è ormai comprovato che, pur richiedendo un investimento iniziale rilevante, gli ATMP generano benefici economici significativi nel medio e nel lungo periodo, attraverso: la riduzione dei costi sanitari diretti (per esempio ricoveri, farmaci, assistenza domiciliare); l'aumento dell'autonomia dei pazienti e il loro ritorno alla vita attiva e alla produttività lavorativa; il sollievo per i *caregiver* e le famiglie.

In questo scenario, il presente disegno di legge si pone obiettivi ambiziosi ma necessari: garantire un pronto accesso da parte dei pazienti a queste terapie, istituire un Fondo nazionale sperimentale per il rimborso degli ATMP, ancorato a modelli di pagamento pluriennali legati agli esiti clinici e ai risparmi generati; intervenire per prevedere la riclassificazione della spesa per ATMP come investimento strategico, rilevante anche ai fini delle politiche economiche e fiscali nazionali e comunitarie; rafforzare la capacità del sistema sanitario italiano di accogliere, somministrare e monitorare tali terapie, attraverso l'organizzazione di reti cliniche, la formazione degli operatori e l'adeguamento dei centri di somministrazione; promuovere la ricerca e la produzione

nazionale di ATMP, valorizzando il ruolo degli enti accademici, delle biotecnologie italiane e dei partenariati pubblico-privati; garantire percorsi di cura omogenei e codificati per i pazienti, includendo strumenti di diagnosi precoce e la presa in carico integrata sul territorio.

Con questa iniziativa legislativa il Parlamento è chiamato a dare una risposta concreta a un bisogno urgente di salute pubblica, ma anche a una straordinaria opportunità per il futuro della medicina e dell'economia nazionale. Non si tratta solo di curare malattie: si tratta di costruire un nuovo modello di sanità pubblica capace di accogliere e valorizzare l'innovazione, mettendo al centro i pazienti e il loro diritto a una vita piena, dignitosa e libera dalla malattia.

DISEGNO DI LEGGE

Art. 1.

(Ambito di applicazione e finalità)

1. La presente legge reca disposizioni volte a promuovere l'accesso equo, tempestivo e sostenibile alle terapie avanzate, come definite ai sensi del regolamento (CE) n. 1394/2007 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 13 novembre 2007, valorizzandone l'impatto terapeutico, economico e strategico per il Servizio sanitario nazionale (SSN) e per l'intero sistema Paese.

2. Tenuto conto delle peculiarità delle terapie avanzate, che si differenziano dai farmaci tradizionali dal punto di vista clinico ed economico, la presente legge persegue le seguenti finalità:

a) garantire un accesso tempestivo, uniforme e non discriminatorio alle terapie avanzate sull'intero territorio nazionale;

b) sostenere la ricerca, lo sviluppo, la sperimentazione clinica e la produzione nazionale, pubblica e privata, delle terapie avanzate, anche attraverso il rafforzamento del partenariato tra soggetti pubblici e privati;

c) individuare meccanismi regolatori, valutativi e di rimborso adeguati alle caratteristiche cliniche ed economiche delle terapie avanzate, anche prevedendo che l'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) elabori metodologie e strumenti di valutazione delle terapie medesime ai fini della procedura di classificazione e di rimborsabilità, in applicazione del regolamento (UE) n. 2021/2282 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 15 dicembre 2021, e nell'ambito dell'autonomia riconosciuta agli Stati membri, te-

nendo conto che, per talune tipologie di medicinali per terapie avanzate, i dati clinici disponibili possono risultare limitati e che, in tali casi, può essere giustificato il ricorso a modalità di valutazione diverse dallo studio clinico randomizzato, incluso l'utilizzo di evidenze provenienti dal mondo reale;

d) assicurare la sostenibilità della spesa sanitaria, anche mediante la misurazione dei benefici economici e sociali generati dalle terapie avanzate;

e) promuovere la riclassificazione della spesa per i prodotti medicinali per le terapie avanzate (*advanced therapy medicinal product-ATMP*) come investimento strategico, da valutare ai fini della programmazione economica e delle regole di finanza pubblica, anche in relazione alla riforma del coordinamento delle politiche di bilancio degli Stati membri dell'Unione europea ai sensi dei regolamenti (UE) n. 1263/2024 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 29 aprile 2024, e n. 1264/2024 del Consiglio, del 29 aprile 2024, nonché della direttiva 2024/1265/UE del Consiglio, del 29 aprile 2024.

Art. 2.

(Misure per il contenimento della spesa farmaceutica e per la competitività del settore dei medicinali per terapie avanzate)

1. Al fine di promuovere il contenimento della spesa farmaceutica e la competitività del settore farmaceutico nazionale ed europeo, con particolare riferimento al settore dei medicinali per terapie avanzate di cui all'articolo 1, a decorrere dal 1° gennaio 2026 è istituito, presso il Ministero della salute, in via sperimentale per la durata di cinque anni, un Fondo per il rimborso dell'acquisto dei medicinali per terapie avanzate, con una dotazione iniziale pari a 250.000.000 euro.

2. Entro sessanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, con de-

creto del Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'economia e delle finanze, previa intesa con la Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, sono stabilite le modalità di erogazione delle risorse del Fondo di cui al comma 1 a favore delle regioni e delle province autonome di Trento e di Bolzano nelle quali sono presenti centri dei medicinali per terapie avanzate.

3. Con il decreto di cui al comma 2 è definito altresì un modello sperimentale per la misurazione dei risparmi generati per il SSN dalla somministrazione dei medicinali per le terapie avanzate che accedono al Fondo di cui al comma 1, calcolati sulla base del monitoraggio degli effetti del loro utilizzo sul costo complessivo dei percorsi terapeutici assistenziali.

4. L'AIFA, con propria determinazione, stabilisce i criteri di accesso al Fondo di cui al comma 1, tenendo conto in particolare dei seguenti elementi:

a) riduzione del ricorso ad altre prestazioni rese da enti e professionisti del SSN, con conseguente riduzione dei costi;

b) riduzione delle perdite di produttività per i soggetti in età lavorativa, con relativi benefici per il sistema previdenziale e il sistema economico in generale;

c) effetti positivi sull'organizzazione delle strutture sanitarie derivanti da modifiche significative dei processi assistenziali;

d) miglioramento della qualità della vita dei pazienti, delle loro famiglie e dei *caregiver*.

5. I medicinali per le terapie avanzate sono rimborsati tramite il Fondo di cui al comma 1, tenuto conto dei criteri di cui al comma 3, previa definizione di accordi tra l'AIFA e il titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio nel corso della procedura negoziale, mediante modelli nego-

ziali di pagamento pluriennali condizionati ai risultati clinici attesi, in conformità a quanto previsto all'articolo 4, comma 5, del decreto del Ministro della salute del 2 agosto 2019.

6. In via sperimentale e in deroga alle disposizioni vigenti, per l'anno 2026 l'impegno di spesa per l'acquisto delle terapie avanzate nell'ambito del Fondo di cui al comma 1 è imputato agli esercizi nei quali sono previsti i pagamenti, secondo le scadenze contrattualmente stabilite nell'ambito di modelli negoziali innovativi di cui al comma 4. Analogamente, gli enti di cui all'articolo 19, comma 2, lettera *b*), punto *i*), e lettera *c*) del decreto legislativo 23 giugno 2011, n. 118, ripartiscono i costi sostenuti per l'acquisto delle terapie avanzate tra gli esercizi nei quali sono previsti i relativi pagamenti, in misura corrispondente agli stessi. Le medesime disposizioni si applicano al bilancio consolidato del Servizio sanitario regionale, di cui all'articolo 32 del decreto legislativo n. 118 del 2011.

7. Al fine di garantire un accesso tempestivo, uniforme e non discriminatorio alle terapie avanzate su tutto il territorio nazionale, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano assicurano l'immediata disponibilità agli assistiti delle terapie avanzate che hanno accesso al Fondo di cui al comma 1, indipendentemente dall'inserimento dei medicinali nei prontuari terapeutici ospedalieri o in altri analoghi elenchi predisposti dalle competenti autorità regionali e locali ai fini della razionalizzazione dell'impiego dei farmaci da parte delle strutture pubbliche.

8. Le terapie avanzate che hanno accesso al Fondo di cui al comma 1 sono escluse, in deroga a quanto previsto dai commi 577 e 578, dell'articolo 1 della legge 30 dicembre 2018, n. 145, dal calcolo dell'ammontare complessivo della spesa farmaceutica per acquisti diretti ai fini del rilevamento del superamento del tetto di spesa e della determi-

nazione della quota di ripiano a carico dell'azienda farmaceutica titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

9. Agli oneri derivanti dall'istituzione del Fondo di cui al comma 1 si provvede mediante corrispondente riduzione del Fondo per interventi strutturali di politica economica di cui all'articolo 10, comma 5, del decreto-legge 29 novembre 2004, n. 282, convertito, con modificazioni, dalla legge 27 dicembre 2004, n. 307.

10. Le risorse del Fondo di cui al comma 1, non utilizzate per le finalità ivi indicate, sono riassegnate al medesimo Fondo per l'anno successivo.

Art. 3.

(Programmi di promozione delle terapie avanzate)

1. Al fine di contribuire al raggiungimento degli obiettivi di miglioramento della sostenibilità di bilancio e di rafforzamento del potenziale di crescita dell'economia prefissati dal Piano strutturale di bilancio di medio termine 2025-2029, con particolare riferimento alle misure volte al miglioramento della programmazione e del governo della spesa sanitaria, il Ministero della salute individua specifici programmi relativi all'accesso alle terapie avanzate di cui all'articolo 1 nell'ambito delle riforme e delle linee di investimento previste dal medesimo Piano strutturale di bilancio di medio termine 2025-2029.

Art. 4.

(Promozione della ricerca, dello sviluppo e della produzione nazionale di terapie avanzate)

1. Entro sei mesi dalla data di entrata in vigore della presente legge, con uno o più decreti del Ministro della salute, di concerto

con il Ministro dell'economia e delle finanze e con il Ministro delle imprese e del *made in Italy*, sono stabilite misure volte a incentivare la ricerca, lo sviluppo, la sperimentazione e la produzione nazionale di terapie avanzate, anche attraverso partenariati pubblico-privati, valorizzando il ruolo degli istituti universitari e degli istituti di ricovero e cura a carattere scientifico, in base ai seguenti principi :

a) rafforzamento delle misure per favorire il trasferimento tecnologico tra università, istituti di ricovero e cura a carattere scientifico, centri di ricerca e industria, anche attraverso specifiche sperimentazioni regolatorie;

b) creazione di una rete nazionale di centri di eccellenza per la ricerca e la produzione di terapie avanzate;

c) revisione delle procedure di accreditamento dei centri erogatori di terapie avanzate, in coerenza con i requisiti europei;

d) identificazione di procedure di accesso precoce;

e) potenziamento della formazione del personale tecnico e clinico, con programmi di alta specializzazione sulle terapie avanzate.

2. Le amministrazioni interessate provvedono all'attuazione delle disposizioni del presente articolo con le risorse umane, finanziarie e strumentali disponibili a legislazione vigente, senza nuovi o maggiori oneri per la finanza pubblica.

Art. 5.

(Percorsi diagnostico-terapeutico-assistenziali dedicati ai pazienti eleggibili per le terapie avanzate)

1. Entro sessanta giorni dalla data di entrata in vigore della presente legge, con de-

creto del Ministro della salute, sentita l'Agenzia italiana del farmaco, previa intesa in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le regioni e le province autonome di Trento e di Bolzano, sono adottate linee guida nazionali per la definizione dei percorsi diagnostico-terapeutico-assistenziali dedicati ai pazienti eleggibili per le terapie avanzate, tenendo conto:

a) della necessità di una diagnosi precoce;

b) dell'adeguata informazione ai pazienti e ai *caregiver* sui percorsi disponibili e sui diritti di accesso alle terapie;

c) della necessità di garantire una presa in carico dei pazienti attraverso l'attivazione di *équipe* multidisciplinari adeguate;

d) dell'organizzazione della rete ospedaliera e territoriale mediante percorsi di continuità assistenziale post-trattamento e protocolli di monitoraggio clinico a lungo termine.

2. Il Ministero della salute predispone annualmente una relazione sull'attuazione da parte delle regioni dei percorsi diagnostico-terapeutico-assistenziali dedicati ai pazienti eleggibili per le terapie avanzate, sulle criticità organizzative e sull'equità di accesso, che è trasmessa al Parlamento e pubblicata sul sito istituzionale del Ministero della salute.

3. Le amministrazioni interessate provvedono all'attuazione delle disposizioni del presente articolo con le risorse umane, finanziarie e strumentali disponibili a legislazione vigente, senza nuovi o maggiori oneri per la finanza pubblica.

