- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.28.48 Mon, 29 Apr 2024, 06:08:26

Francesco Enrico Bernardini, Alessandro Renzetti, Andrea Zovi, Carmela Rosa Borino, Claudia Hasa, Giovanni Blandini, Lorella Magnani, Manola Peverini, Paolo Baldo, Valentina Drago e Andrea Marinozzi

Testo Unico sulle malattie rare: primi appunti di lettura per il farmacista ospedaliero

La legge 10 novembre 2021, n. 175 dal titolo "*Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani*" - Testo Unico delle malattie rare – ha lo scopo di ribadire fondamentali concetti inerenti le Malattie Rare ed inoltre introduce importanti novità in merito alla presa in carico comunitaria delle persone affette da malattie rare, con interventi che favoriscono l'inserimento del paziente stesso nei diversi ambenti di vita e di lavoro, oltre a prevedere la riorganizzazione della Rete delle Malattie Rare.
La legge è costituita da 16 articoli suddivisi in 5 capi di seguito riportati:
Capo I Finalità e ambito di applicazione (artt. 1-3);
Capo II Prestazioni e benefici per le persone affette da malattie rare (artt. 4-6);
Capo III Centro nazionale, comitato nazionale e rete nazionale per le malattie rare (art. 7-10);
Capo IV Ricerca e informazione in materia di malattie rare (art. 11-14);
Capo V Disposizioni finanziarie e finali (artt. 15-16).

Gli articoli del provvedimento in sintesi hanno i seguenti argomenti:
L'articolo 1 enuncia le finalità del disegno di legge.
L'articolo 2 e i commi 4 e 5 dell'articolo 4 concernono l'individuazione delle malattie rare (nonché di quelle ultra rare).
L'articolo 3 reca la nozione di farmaco orfano.
I commi da 1 a 3 **dell'articolo 4** riconducono ad un piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato le prestazioni ed i trattamenti già garantiti ai pazienti affetti da malattie rare, mentre il suddetto comma 4 del medesimo articolo demanda ad un decreto ministeriale l'aggiornamento delle prestazioni necessarie al trattamento delle stesse malattie.
L'articolo 5 riguarda l'erogazione dei farmaci concernenti malattie rare.
L'articolo 6 istituisce il Fondo di solidarietà per le persone affette da malattie rare, con una dotazione - a decorrere dal 2022 - di 1 milione di euro annui.
L'articolo 7 concerne il Centro nazionale per le malattie rare (organo già istituito presso l'Istituto Superiore di Sanità).
L'articolo 8 prevede l'istituzione del Comitato nazionale per le malattie rare.
L'articolo 9 demanda ad accordi periodici, da concludersi in sede di Conferenza permanente per i rapporti tra lo Stato, le Regioni e le Province Autonome, l'adozione dei Piani nazionali per le malattie rare e la definizione del riordino della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare.
L'articolo 10 concerne i flussi informativi dalle reti - regionali e interregionali - per le malattie rare al suddetto Centro nazionale per le malattie rare.
L'articolo 11 prevede, a decorrere dal 2022, ulteriori risorse, a valere su un incremento dei versamenti da parte delle aziende farmaceutiche, per la ricerca nel settore delle malattie rare e dei farmaci orfani e per lo sviluppo di questi ultimi (ad integrazione delle risorse previste dalla disciplina vigente a valere su analoghi versamenti).

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.28.48 Mon, 29 Apr 2024, 06:08:26

I commi da 1 a 4 e 7 **dell'articolo 12** introducono, a decorrere dal 2022, un credito d'imposta per le spese relative all'avvio e alla realizzazione di progetti di ricerca per lo sviluppo di protocolli terapeutici sulle malattie rare o per la produzione di farmaci orfani, in favore di soggetti, pubblici o privati, che svolgano tali attività di ricerca o che finanzino i progetti in oggetto, svolti da enti di ricerca, pubblici o privati. I commi 5 e 6 dell'articolo 12 prevedono che, a decorrere dal 2022, le imprese farmaceutiche e biotecnologiche che intendano svolgere studi finalizzati alla scoperta, alla registrazione e alla produzione di farmaci orfani o di altri trattamenti altamente innovativi possano beneficiare degli interventi di sostegno alla ricerca oggetto dei bandi o avvisi emessi dal Ministero dell'Università e della Ricerca.
L'articolo 13 prevede che il Ministero della Salute, il Ministero dell'Università e della Ricerca e le Regioni e le Province Autonome promuovano la tematica delle malattie rare nell'ambito della ricerca indipendente.
L'articolo 14 prevede diverse attività di informazione e di comunicazione, con riferimento alle malattie rare, nonché una relazione annua alle Camere sull'attuazione della presente legge.
L'articolo 15 reca le norme di copertura finanziaria.
L'articolo 16 specifica che le disposizioni della presente legge sono applicabili nelle regioni a statuto speciale e nelle province autonome compatibilmente con i rispettivi statuti e con le relative norme di attuazione".[1]

Il presente lavoro si concentrerà nell'esame in dettaglio degli articoli da 1 a 5, i quali investono principalmente le attività in cui il Farmacista è interessato e dalle quali andremo ad effettuare considerazioni e spunti che si generano dalle disposizioni messe in campo dalla Norma, nella pratica Clinica ed Operativa del Farmacista stesso sia esso Ospedaliero o Territoriale.

Articolo 1. Finalità "*1. La presente legge ha la finalità di tutelare il diritto alla salute delle persone affette da malattie rare, attraverso misure volte a garantire:*
a) *l'uniformità dell'erogazione nel territorio nazionale delle prestazioni e dei medicinali, compresi quelli orfani;*
b) *il coordinamento e l'aggiornamento periodico dei livelli essenziali di assistenza (LEA) e dell'elenco delle malattie rare;*
c) *il coordinamento, il riordino e il potenziamento della Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare, istituita dall'articolo 2 del regolamento di cui al decreto del Ministro della Sanità 18 maggio 2001, n. 279, di seguito denominata «Rete nazionale per le malattie rare», comprendente i centri che fanno parte delle Reti di riferimento europee «ERN», per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare;*
d) *il sostegno della ricerca."*

L'articolo ha un carattere meramente dichiaratorio indicando le finalità generali il cui perseguimento viene puntualizzato nei successivi articoli della Legge.
La finalità del provvedimento si identifica nella tutela del diritto alla salute delle persone affette da malattie rare. È utile sottolineare che questo è il primo intervento normativo avente per argomento le malattie rare dall'emanazione del

[1] Da Dossier giugno 2021 n. 404 Servizio studi del Senato -ufficio ricerche sulle questioni del lavoro e della salute a cura di M. Bracco.

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.28.48 Mon, 29 Apr 2024, 06:08:26

D.M. 18 maggio 2001, n. 2791[2] che istituisce La Rete Nazionale delle Malattie Rare. In questo articolo si evince pertanto la necessità di tutelare il paziente affetto da malattia rara a 360 gradi durante tutto il suo percorso assistenziale, che deve essere costruito e attuato in modo uniforme, su tutto il territorio Nazionale.

Articolo 2. Definizione di malattie rare
"1. Sono definite rare le malattie, comprese quelle di origine genetica, che presentano una bassa prevalenza. 2. Ai fini della presente legge, per bassa prevalenza delle malattie rare si intende una prevalenza inferiore a cinque individui su diecimila. Nell'ambito delle malattie rare sono comprese anche le malattie ultra rare, caratterizzate, ai sensi di quanto previsto dal regolamento (UE) n. 536/2014 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 aprile 2014, da una prevalenza inferiore a un individuo su cinquantamila.
3. I tumori rari, la cui identificazione deriva dal criterio d'incidenza, in conformità ai criteri internazionali e concordati a livello europeo nonché all'intesa 21 settembre 2017, n. 158/CSR, tra il Governo, le regioni e le Province autonome di Trento e di Bolzano per la realizzazione della Rete nazionale dei tumori rari, rientrano tra le malattie rare disciplinate dalla presente legge".
L'articolo definisce la malattia rara in relazione al criterio di prevalenza della malattia stessa e vengono inoltre inclusi anche quei tumori definiti rari, che definiti tali in base al criterio d'incidenza, nel rispetto dei criteri dell'Intesa.
Deve essere comunque va considerato che l'intesa citata al comma 3 non reca la nozione di tumori raro, facendo implicitamente riferimento ai tumori compresi nell'elenco vigente di malattie rare. In ottemperanza all'articolo 2 del Testo Unico (TU), nuove malattie rare, anche oncologiche, possono entrare a far parte del novero delle malattie rare riconosciute dal SSN. Ne deriva la necessità da un lato di ampliare periodicamente l'elenco 7 dei LEA[3] e dall'altro di dover prevedere clausole di salvaguardia nelle more dell'aggiornamento dell'elenco. Infatti attualmente le patologie rare sono tassativamente quelle individuate nell'allegato 7 del D.P.C.M. 12 gennaio 2017 – LEA, sebbene le malattie rare dell'elenco siano individuate per gruppi aperti, in modo da garantire che tutte le malattie rare afferenti a un determinato gruppo vengano comprese nell'elenco. Questa metodica, però, non consente il riconoscimento tacito di nuove malattie rare, da qui la necessità di aggiornare l'elenco 7 dei LEA. Occorre sottolineare la presenza di un'incongruenza poiché mentre secondo questo TU una determinata malattia rara o uno specifico tumore raro, dovrebbe essere inserito a carico del SSN, laddove gli stessi non fossero presenti nell'elenco 7 dei LEA, essi non possono essere a carico del SSN. Questa incongruenza fa sorgere la necessità, affinché ci sia un aggiornamento dello stesso art.7, di far sì come Società Scientifica in collaborazione con le associazioni delle Malattie Rare e con un'ipotetica Rete delle Malattie Rare più o meno costituita, di caldeggiare le Istituzioni Ministeriali ad aggiornare ed implementare il più possibile l'art.7 dei LEA sulla scia dell'applicazione del testo unico.
Il Legislatore, ben consapevole, ha fornito le indicazioni al Ministero della Salute e al Ministero dell'Economia e delle Finanze al comma 4 dell'articolo 4 del TU per quanto attinente alla clausola di salvaguardia – vedasi oltre.

[2] Regolamento del Ministro della salute "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".

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.28.48 Mon, 29 Apr 2024, 06:08:26

Articolo 3. Definizione di farmaco orfano

"1. In conformità ai criteri stabiliti dall'articolo 3 del regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, un farmaco è definito orfano se:

a) è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita o la debilitazione cronica e che colpisce non più di cinque individui su diecimila nel momento in cui è presentata la domanda di assegnazione della qualifica di farmaco orfano, oppure se è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita, di un'affezione seriamente debilitante, o di un'affezione grave e cronica, ed è poco probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione di tale farmaco sia tanto redditizia da giustificare l'investimento necessario;

b) non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, di profilassi o di terapia delle affezioni di cui alla lettera a) autorizzati o, se tali metodi esistono, il farmaco ha effetti benefici significativi per le persone colpite da tali affezioni."

La suddivisione dell'articolo in lettera A e in lettera B rende di non immediata la comprensione della definizione di medicinale orfano. Nell'intento del Legislatore un medicinale si dice orfano quando:

- è destinato alla diagnosi, alla profilassi od alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita o la debilitazione cronica e che colpisce non più di cinque individui su diecimila nel momento in cui viene presentata la domanda di assegnazione della qualifica di farmaco orfano;
- è destinato alla diagnosi, alla profilassi o alla terapia di un'affezione che comporta una minaccia per la vita, di un'affezione seriamente debilitante, o di un'affezione grave e cronica, ed è poco probabile che, in mancanza di incentivi, la commercializzazione di tale farmaco sia così redditizia da giustificare l'investimento necessario;
- non esistono metodi soddisfacenti di diagnosi, profilassi o di terapia delle affezioni descritte autorizzati;
- pur sussistendo metodi autorizzati si può dimostrare che il farmaco ha effetti benefici significativi per le persone colpite dalle affezioni descritte.

Considerato che nella definizione di medicinale orfano alla lettera A, il medicinale si considera commercializzato, cioè dotato di AIC in quanto farmaco industriale, i farmaci di preparazione galenica magistrale possono essere considerati "medicinali orfani", quando i preparati di origine industriale o non sono soddisfacenti o hanno benefici superiori. Questo riconoscimento della formulazione galenica magistrale quale farmaco orfano avrà sicuramente un impatto sulla terapia delle malattie rare. La formulazione galenica per Legge può essere adesso considerata farmaco orfano, con tutto ciò che ne consegue. Sempre in relazione alla preparazione galenica il legislatore prevede nel successivo articolo 5 del TU la fornitura anche di preparati galenici per tramite della farmacia convenzionata, vincolando, però, il processo ai protocolli Regionali che dovranno essere approvati. La realtà professionale della Galenica Clinica Magistrale è una realtà in cui il Farmacista sia esso Ospedaliero o Territoriale potrebbe dare un serio contributo e valore aggiunto nella realizzazione di formulazioni e preparati, laddove fattibile e possibile, che vanno a soddisfare quelle esigenze terapeutiche e colmare quelle mancanze assistenziali che all'interno del percorso di un paziente con malattia rara si possono presentare.

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.28.48 Mon, 29 Apr 2024, 06:08:26

Articolo 4. Piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato e livelli essenziali di assistenza per le malattie rare

"*1. I centri di riferimento individuati ai sensi del regolamento di cui al decreto del Ministro della Sanità 18 maggio 2001, n. 279, definiscono il piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato, compresi i trattamenti e i monitoraggi di cui la persona affetta da una malattia rara necessita, garantendo anche un percorso strutturato nella transizione dall'età pediatrica all'età adulta. Il piano, corredato di una previsione di spesa, è condiviso con i servizi della Rete nazionale per le malattie rare, i quali hanno il compito di attivarlo, dopo averlo condiviso, tramite consenso informato, con il paziente o chi esercita la responsabilità genitoriale e con i familiari.*

2. Sono posti a totale carico del Servizio sanitario nazionale i trattamenti sanitari, già previsti dai LEA o qualificati salvavita, compresi nel piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato e indicati come essenziali, appartenenti alle seguenti categorie:

a) le prestazioni rese nell'ambito del percorso diagnostico a seguito di sospetto di malattia rara, compresi gli accertamenti diagnostici genetici sui familiari utili per la formulazione della diagnosi, anche in caso di diagnosi non confermata;

b) le prestazioni correlate al monitoraggio clinico;

c) le terapie farmacologiche, anche innovative, di fascia A o H, i medicinali da erogare ai sensi dell'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, i prodotti dietetici e le formulazioni galeniche e magistrali preparate presso le farmacie ospedaliere e le farmacie pubbliche e private convenzionate con il Servizio sanitario nazionale, per quanto riguarda queste ultime nel rispetto di specifici protocolli adottati dalle regioni;

d) le cure palliative e le prestazioni di riabilitazione motoria, logopedica, respiratoria, vescicale, neuropsicologica e cognitiva, di terapia psicologica e occupazionale, di trattamenti nutrizionali, in regime ambulatoriale, semiresidenziale, residenziale e domiciliare;

e) le prestazioni sociosanitarie di cui al capo IV del decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, pubblicato nel Supplemento ordinario alla Gazzetta Ufficiale n. 65 del 18 marzo 2017.

3. I dispositivi medici e i presidi sanitari, presenti nei piani diagnostici terapeutici assistenziali personalizzati, ai fini dell'assistenza dei pazienti affetti da malattie rare, sono posti a carico del Servizio sanitario nazionale, compresi la manutenzione ordinaria e straordinaria e l'eventuale addestramento all'uso. Ai fini del presente comma, si considerano i dispositivi e i presidi già oggetto di acquisto attraverso procedure di gara, ferma restando la possibilità della prescrizione di prodotti personalizzati ove ne sia dimostrata la superiorità in termini di benefici per i pazienti.

4. Per tutelare la salute dei soggetti affetti da malattie rare, nelle more del perfezionamento della procedura di aggiornamento dei LEA, il Ministro della salute, di concerto con il Ministro dell'Economia e delle Finanze, provvede, con proprio decreto, ad aggiornare l'elenco delle malattie rare individuate, sulla base della classificazione orpha code presente nel portale Orphanet, dal Centro nazionale per le malattie rare dell'Istituto Superiore di Sanità di cui all'articolo 7, nonché le prestazioni necessarie al trattamento delle malattie rare.

5. Per le finalità di cui al comma 4, le malattie rare sono individuate per gruppi aperti, in modo da garantire che tutte le malattie rare afferenti a un determinato gruppo siano comprese nell'elenco previsto dal medesimo comma 4."

L'articolo dispone che i centri di riferimento definiscano il piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato, che comprende sia trattamenti che i

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.28.48 Mon, 29 Apr 2024, 06:08:26

monitoraggi di cui necessita una persona affetta da malattia rara, garantendo anche un percorso strutturato nella transizione dall'età pediatrica all'età adulta. La parte più delicata della strutturazione del piano riguarda i trattamenti sanitari in regime SSN. Si ricorda che nella relazione del disegno di legge il RT[4] ricorda che tali prestazioni sono già - a legislazione vigente - a carico del SSN, mentre le altre prestazioni, inclusi i dispositivi medici, sono già attualmente garantite per effetto del DPCM 12 gennaio 2017 e, pertanto, la disposizione non assume alcun carattere innovativo ai fini degli effetti finanziari. Le disposizioni al comma 2, nella volontà del Legislatore, sembrano essere meramente una conferma che al paziente affetto da malattia rara debba essere fornita una prestazione in regime SSN che è ricompresa nei LEA. La congiunzione "o" andrebbe interpretata come esplicativa e non disgiuntiva. Del resto nel linguaggio giuridico, quando si vuole indicare un'alternativa si usa la congiunzione "ovvero", che non ha mai significato esplicativo, limitandosi ad essere disgiuntiva. Purtroppo non viene esplicitato nel dettaglio il percorso per l'attivazione del piano e le figure professionali coinvolte. Se l'Uniformità dei processi e delle raccomandazioni sarà garantita dal Comitato nazionale per le malattie rare, istituito con funzioni di indirizzo e di coordinamento per le politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare[5], con molta probabilità, nella logica del Legislatore, il percorso di approvazione dei piani è ex-ante con piani di trattamento già definiti per ogni patologia rara, o codice di esenzione. Per cui si evince che resta fondamentale l'Istituzione di una Rete dove l'applicazione e la lettura di tale articolo sia uniforme e capillarizzata in ambito Regionale.

Interessante per le conseguenze che può portare, è la disposizione del comma 2 lettera E per quanto attiene ai servizi territoriali e alla possibilità di poter prevedere forme alternative alla somministrazione dei farmaci in ambito ambulatoriale. L'articolo conferma che alla malattia rara possono applicarsi le disposizioni del Capo IV dei Lea. ll Capo IV del citato D.P.C.M. dispone in merito alle norme riguardanti l'assistenza sociosanitaria, come ambito dell'assistenza distrettuale, che comprende l'erogazione di percorsi assistenziali integrati, che sono a carattere territoriale - domiciliare, semiresidenziale e residenziale - e prevedono l'erogazione congiunta di attività e prestazioni rientranti nell'area sanitaria. Tale attività Assistenziale sarà anche sviluppata nell'ambito del PNNR con l'implementazione delle "case di comunità", ossia strutture sanitarie, promotrici di un modello di intervento multidisciplinare, nonché luoghi privilegiati per la progettazione di interventi di carattere sociale e di integrazione sociosanitaria, in cui sicuramente pazienti con malattie rare graviteranno.

Questa nuova modalità di somministrazione del farmaco era stata già tentata con la raccomandazione n. 341/2020 di AIFA dal titolo "Raccomandazioni a carattere eccezionale per la somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva – ERT"[6] impiegati per il trattamento di malattie rare.

Interessante inoltre per i colleghi che seguono l'assistenza integrativa e i dispositivi medici è la previsione del comma 3. Alle malattie rare viene concesso l'accesso ai dispositivi medici previsti dai LEA, questo porterà tutte le malattie rare ad accedere ai dispositivi medici previsti dai LEA e questo accesso non può

---

[4] Servizio del bilancio, (2021). Nota di lettura, «A.S. 2255: "Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani" (Approvato dalla Camera dei deputati)». NL227, luglio 2021, Senato della Repubblica, XVIII legislatura.

[5] Articolo 8 del TU.

[6] All'art. 2 si precisa che la determinazione ha validità limitata al periodo di durata dell'emergenza sanitaria causa dal COVID-19 e fino ad intervento di nuova determinazione che ne stabilisca la cessazione degli effetti, con automatico ripristino delle precedenti modalità di somministrazione delle specialità medicinali in oggetto.

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.28.48 Mon, 29 Apr 2024, 06:08:26

che avvenire secondo i criteri stabiliti dai LEA stessi[7]. Sebbene si tratti ancora una volta di una conferma di quanto già in essere, ciò porterà ad ampliare la platea dei soggetti richiedenti. Si ricorda, a titolo di esempio che l'allegato 3 - Presidi per persone affette da patologia diabetica e da malattie rare - del citato D.P.C.M. 12 gennaio 2017 individua un insieme, nell'ambito delle malattie rare di cui all'allegato 7, quelle per le quali siano garantite - a carico del SSN e nei termini di cui all'articolo 13 dello stesso D.P.C.M. - le prestazioni che comportano l'erogazione dei presìdi indicati nel nomenclatore di cui al medesimo allegato 3. Ad oggi quell'insieme di malattie rare individuato nell'allegato 3 non è più totalmente vincolante.
In ultimo il comma 4 dello stesso articolo 4, come detto, prevede che, nelle more dell'aggiornamento dei LEA, si provveda, con decreto del Ministro della Salute di concerto con il Ministro dell'Economia e delle Finanze ad ampliare l'elenco delle Malattie Rare individuate, sulla base della classificazione orphan code presente nel portale Orphanet[8], dal Centro Nazionale per le Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità. Il decreto potrà ampliare anche le prestazioni necessarie al trattamento delle malattie rare. Detti decreti hanno funzione attuativa e sono necessari per rendere attuali le disposizioni dell'articolo 4, generando un assistenzialismo sia terapeutico che di presidi e materiale sanitario sempre più esaustivo, completo e a totale carico del SSN.

Articolo 5. Assistenza farmaceutica e disposizioni per assicurare l'immediata disponibilità dei farmaci orfani "*1. I farmaci di fascia A o H prescritti per l'assistenza dei pazienti affetti da una malattia rara sono erogati dai seguenti soggetti:*
a) le farmacie dei presidi sanitari, anche nel caso di somministrazione ambulatoriale del farmaco;
b) le aziende sanitarie territoriali di appartenenza del paziente, anche qualora la malattia rara sia stata diagnosticata in una regione diversa da quella di residenza;
c) le farmacie pubbliche e private convenzionate con il Servizio sanitario nazionale, nel rispetto di quanto prevedono gli accordi regionali stipulati ai sensi dell'articolo 8, comma 1, lettera a), del decreto-legge 18 settembre 2001, n. 347, convertito, con modificazioni, dalla legge 16 novembre 2001, n. 405. 2. 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 a una malattia rara il numero di pezzi prescrivibili per ricetta puo' essere superiore a tre quando previsto dal piano diagnostico terapeutico assistenziale personalizzato di cui all'articolo 4, comma 1, della presente legge.
3. Nelle more dei periodici aggiornamenti per il loro inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri o in altri elenchi analoghi predisposti dalle competenti autorità regionali o locali ai sensi dell'articolo 10, comma 5, del decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158, convertito, con modificazioni, dalla legge 8 novembre 2012, n. 189, i farmaci di cui al comma 1 del presente articolo sono resi comunque disponibili dalle regioni.
4. In deroga a quanto previsto dal decreto del Ministro della sanità 11 febbraio 1997, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 72 del 27 marzo 1997, è consentita

[7] Artt. 11-12-13-17-18-19 del D.P.C.M. 12 Gennaio 2017.
[8] Dal sito dell'istituzione" Orphanet è stato fondato in Francia dall'INSERM (Istituto nazionale francese per la salute e la ricerca medica) nel 1997, diventando un progetto europeo a partire dal 2000, mediante lo stanziamento di fondi dedicati da parte della Commissione Europea: Orphanet ha esteso gradualmente la sua rete a 40 paesi, in Europa e nel mondo" -www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php.

- Copyright - Il Pensiero Scientifico Editore downloaded by IP 3.17.28.48 Mon, 29 Apr 2024, 06:08:26

l'importazione di farmaci in commercio in altri Paesi anche per usi non autorizzati nei Paesi di provenienza, purché compresi nei piani di cui all'articolo 4, comma 1, della presente legge, nonché nell'elenco di cui all'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648. I farmaci di cui al presente comma devono essere richiesti da una struttura ospedaliera, anche se utilizzati per assistenze domiciliari, e sono posti a carico del Servizio sanitario nazionale."

In relazione all'assistenza farmaceutica il Legislatore prevede che possano essere forniti all'assistito farmaci che appartengono alla Fascia A, farmaci già classificati come essenziali, e i farmaci della Fascia H. Il Legislatore, poi, introduce importanti novità:

- si prevede che in farmacia essi siano immediatamente disponibili, in deroga al recepimento nel Prontuario dell'Azienda Sanitaria, che sempre più sta diventando unico ed incentrato e diffuso Regionalmente;
- si permette in modo esplicito l'erogazione dell'assistenza anche con la modalità della Distribuzione per Conto che si affianca al canale della Diretta e della Farmaceutica Convenzionata; non si escluderà l'ipotesi di realizzare anche una Distribuzione Home Delivery che può essere l'espressione di una Distribuzione sempre più capillare delle terapie anche nel paziente affetto da malattia rara.

In relazione a quanto esposto sopra, per le sole malattie rare è possibile prevedere la consegna in DPC anche del farmaco di Fascia H non OSP e per il farmaco di Fascia A non A-PHT; si prevede che in farmacia (a prescindere dalla classe di appartenenza) essi siano immediatamente disponibili, in deroga al recepimento nel Prontuario dell'Azienda Sanitaria.

Infine il comma 4 introduce la possibilità di importare dall'estero un medicinale che potrà essere utilizzato anche per un uso diverso da quello in scheda tecnica, purché detto uso sia previsto nell'elenco della Legge 648/1996.