



ALLEGATO 1

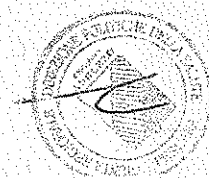
MALATTIE RARE E ACCESSO AI FARMACI - Riferimenti normativi

Il Decreto Legislativo 29 aprile 1998, n. 124, avente ad oggetto "Ridefinizione del sistema di partecipazione al costo delle prestazioni sanitarie e del regime delle esenzioni, a norma dell'art. 59, comma 50, della L.27 dicembre 1997, n.449" ed, in particolare, l'art.5, comma 1, lettera b) prevede che il Ministro della Sanità, con distinti regolamenti da emanarsi ai sensi dell'art. 17, comma 3, della legge 23 agosto 1988, n.400, individui, rispettivamente le condizioni di malattia croniche o invalidanti e le malattie rare che danno diritto all'esenzione dalla partecipazione per le prestazioni di assistenza sanitaria indicate dai medesimi regolamenti.

Il Regolamento di istituzione della rete nazionale delle malattie rare

In esecuzione del precitato D.lgs. n. 124/1998, con Decreto Ministeriale n. 279 del 2001 recante "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.", nell'istituire la Rete Nazionale delle malattie rare, sono state fornite le prime indicazioni sul percorso diagnostico-terapeutico-assistenziale dei soggetti portatori di malattie rare. In particolare il decreto:

- al fine di assicurare specifiche forme di tutela ai soggetti affetti da malattie rare, istituisce la Rete nazionale per la prevenzione, la sorveglianza, la diagnosi e la terapia delle malattie rare. La Rete è costituita da Presidi accreditati, preferibilmente ospedalieri, appositamente individuati dalle Regioni, aventi documentata esperienza in attività diagnostica o terapeutica specifica per le malattie rare e da Centri interregionali che, oltre a coordinare i Presidi della Rete, gestiscono il Registro interregionale delle malattie rare (in coordinamento con il Registro nazionale istituito



presso l'Istituto superiore di sanità), lo scambio delle informazioni con gli altri Centri e con organismi internazionali competenti, l'informazione ai cittadini ed alle associazioni dei malati e dei loro familiari in ordine alle malattie rare ed alla disponibilità dei farmaci;

- reca all'allegato 1 l'elenco delle malattie rare per le quali è riconosciuto il diritto all'esenzione, dalla partecipazione al costo per le correlate prestazioni di assistenza sanitaria. Tale elenco ne prevede circa 600, classificate per branca patologica. Per consentire l'identificazione univoca delle malattie rare ai fini dell'esenzione, a ciascuna malattia o gruppo di malattie è associato uno specifico codice identificativo.
- stabilisce, all'articolo 5, il percorso per la diagnosi e il riconoscimento del diritto all'esenzione per i soggetti portatori di patologia rara ricompresa nell'allegato 1

“Art. 5 - Diagnosi della malattia e riconoscimento del diritto all'esenzione

1. L'assistito per il quale sia stato formulato da un medico specialista del Servizio sanitario nazionale il sospetto diagnostico di una malattia rara inclusa nell'allegato 1 è indirizzato dallo stesso medico, in base alle informazioni del competente Centro interregionale di riferimento, ai presidi della Rete in grado di garantire la diagnosi della specifica malattia o del gruppo di malattie.

2. I presidi della Rete assicurano l'erogazione in regime di esenzione dalla partecipazione al costo delle prestazioni finalizzate alla diagnosi e, qualora necessarie ai fini della diagnosi di malattia rara di origine ereditaria, le indagini genetiche sui familiari dell'assistito. I relativi oneri sono a totale carico dell'azienda unità sanitaria locale di residenza dell'assistito.

3. I presidi della Rete comunicano ogni nuovo caso di malattia rara accertato al Centro di riferimento competente, secondo le modalità stabilite in appositi disciplinari tecnici predisposti dall'Istituto Superiore di Sanità.

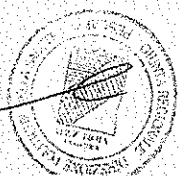
4. L'assistito cui sia stata accertata da un presidio della Rete una malattia rara inclusa nell'allegato 1 può chiedere il riconoscimento del diritto all'esenzione all'azienda unità sanitaria locale di residenza, allegando la certificazione rilasciata dal presidio stesso.

5. Al momento del rilascio dell'attestato di esenzione l'azienda unità sanitaria locale fornisce all'interessato l'informativa ai sensi degli articoli 10 e 23 della legge 31 dicembre 1996 n. 675, e successive modificazioni, e acquisisce il consenso scritto al trattamento dei dati da parte di soggetti erogatori di prestazioni, pubblici, convenzionati o accreditati dal Servizio sanitario nazionale, con riguardo alla prescrizione ed erogazione delle prestazioni sanitarie in regime di esenzione.....”;

- fornisce, all'articolo 6, le prime indicazioni sulle modalità di erogazione delle prestazioni sanitarie, comprese le modalità di erogazione dei farmaci ponendo in capo alle Regioni il compito di predisporre le modalità di acquisizione e distribuzione dei farmaci.

“Art. 6-Modalità di erogazione delle prestazioni

1. L'assistito riconosciuto esente ha diritto alle prestazioni di assistenza sanitaria, prescritte con le modalità previste dalla normativa vigente, incluse nei livelli essenziali di assistenza, efficaci ed appropriate per il trattamento ed il monitoraggio della malattia dalla quale è affetto e per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti.



2. *Gli assistiti esenti dalla partecipazione al costo ai sensi del presente regolamento e ai sensi del decreto ministeriale 28 maggio 1999, n. 329, sono altresì esentati dalla partecipazione al costo delle prestazioni necessarie per l'inclusione nelle liste di attesa per trapianto.*
3. *Ferme restando le competenze della Commissione unica del farmaco di cui all'articolo 7 del decreto legislativo 30 giugno 1993 n. 266 e successive modificazioni, le regioni, sulla base del fabbisogno della propria popolazione, predispongono modalità di acquisizione e di distribuzione agli interessati dei farmaci specifici, anche mediante la fornitura diretta da parte dei servizi farmaceutici pubblici."*

L'assistenza sanitaria finalizzata alla diagnosi e al trattamento delle malattie rare è ricompresa nei Livelli Essenziali di Assistenza (di seguito definiti LEA), giusto Allegato 1 del D.P.C.M. del 29 novembre 2001, siccome modificato con D.P.C.M. del 28 novembre 2003; nella fattispecie ai soggetti affetti da malattie rare sono garantite in regime SSN le prestazioni di assistenza sanitaria finalizzate alla diagnosi, al trattamento ed al monitoraggio della malattia ed alla prevenzione degli ulteriori aggravamenti.

Purtuttavia l'assistenza farmaceutica destinata ai pazienti portatori di malattie rare può comprendere farmaci non ricompresi nei LEA; detti farmaci, che possono costituire una valida alternativa terapeutica per i pazienti affetti da malattie rare, possono essere ricompresi nei LEA aggiuntivi riconosciuti dalle Regioni secondo le indicazioni date dallo stesso D.M. n. 279/2001.

La Circolare del Ministero della Salute n.13 del 13 dicembre 2001

Con propria Circolare n.13 del 13 dicembre 2001 recante "Indicazioni per l'applicazione dei Regolamenti relativi all'esenzione per malattie croniche e rare" il Ministero della Salute:

- ha precisato che il D.M. n.279/2001 "non definisce le prestazioni erogabili in esenzione, ma prevede che siano erogate in esenzione tutte le prestazioni appropriate ed efficaci per il trattamento e il monitoraggio della malattia rara accertata e per la prevenzione degli ulteriori aggravamenti";
- ha specificato che l'esenzione per malattia rara non include le prestazioni di assistenza protesica, integrativa e farmaceutica le quali sono regolamentate dal complesso di norme specifiche e provvedimenti emanati dall'Autorità Regolatoria Nazionale (Agenzia Italiana del Farmaco, di seguito definita AIFA) e dal Ministero della Salute.

Va precisato a tale proposito che

- i farmaci ricompresi nei LEA sono inseriti dall'AIFA nel Prontuario Terapeutico Nazionale (farmaci di fascia A e farmaci di fascia H) e quindi farmaci erogabili in regime SSN;
- in aggiunta ai farmaci A e H possono essere erogati a carico del SSN – ai sensi della L. 23 dicembre 1996, n. 648 - farmaci destinati a patologie che non dispongono di valida alternativa terapeutica, purchè inseriti in appositi elenchi predisposti ed

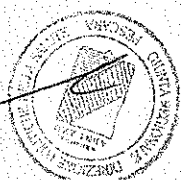


aggiornati periodicamente dall'AIFA. In tali elenchi possono essere inclusi i seguenti farmaci, alcuni dei quali destinati alla cura di patologie rare:

- medicinali innovativi la cui commercializzazione è autorizzata in altri Stati ma non in Italia (farmaci acquistati all'estero);
- medicinali non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica di cui siano già disponibili risultati di studi clinici di fase seconda (fast-track);
- medicinali da impiegare per un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata in Italia (off-label).

La normativa in materia di prescrizioni di farmaci "off label" e l'applicazione a livello regionale

- ❖ Il decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito in legge 23 dicembre 1996, n. 648 che consente di erogare, a totale carico del SSN, *"qualora non esista valida alternativa terapeutica i medicinali innovativi la cui commercializzazione è autorizzata in altri Stati ma non sul territorio nazionale, i medicinali non ancora autorizzati ma sottoposti a sperimentazione clinica e i medicinali da impiegare per un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata inseriti in un apposito elenco predisposto e periodicamente aggiornato dalla Commissione Unica del Farmaco (CUF) "*, ora Commissione Tecnica Scientifica (CTS dell'AIFA);
- ❖ L'AIFA con proprie determinazioni aggiorna periodicamente l'elenco dei medicinali, istituito con il provvedimento della Commissione Unica del Farmaco (CUF) datato 20 luglio 2000, erogabili a totale carico del SSN, ai sensi dell'art. 1, comma 4, del D.L. 21.10.1996, n. 536, convertito dalla Legge 23.12.1996, n. 648.
- ❖ L'art. 3, comma 2, del D.L. 17.02.1998, n. 23, convertito con modificazioni, dalla Legge 08.04.1998, n. 94 dispone che *"in singoli casi il medico può, sotto la sua diretta responsabilità e previa informazione del paziente e acquisizione del consenso dello stesso, impiegare un medicinale prodotto industrialmente per un'indicazione o una via di somministrazione o una modalità di somministrazione o di utilizzazione diversa da quella autorizzata, ovvero riconosciuta agli effetti dell'applicazione dell'articolo 1, comma 4, del decreto legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648 qualora il medico stesso ritenga, in base a dati documentabili, che il paziente non possa essere utilmente trattato con medicinali per i quali sia già approvata quell'indicazione terapeutica o quella via o modalità di somministrazione e purché tale impiego sia noto e conforme a lavori apparsi su pubblicazioni scientifiche accreditate in campo internazionale"*;
- ❖ Il D.M. 08.05.2003 prevede la possibilità di richiedere all'impresa produttrice un medicinale sottoposto a sperimentazione clinica sul territorio italiano o in un Paese estero, per un uso al di fuori della sperimentazione clinica stessa, quando non esista valida alternativa terapeutica al



trattamento di patologie gravi, o di malattie rare o di condizioni di malattia che pongono il paziente in pericolo di vita;

- ❖ Con Part. 1, comma 796, lettera z) della Legge 27.12.2006, n. 296 (Legge Finanziaria per il 2007) è stato previsto che *“la disposizione di cui all'articolo 3, comma 2, del decreto-legge 17 febbraio 1998, n. 23, convertito, con modificazioni, in legge 8 aprile 1998, n. 94, non è applicabile al ricorso a terapie farmacologiche a carico del Servizio sanitario nazionale, che, nell'ambito dei presidi ospedalieri o di altre strutture e interventi sanitari, assuma carattere diffuso e sistematico e si configuri, al di fuori delle condizioni di autorizzazione all'immissione in commercio, quale alternativa terapeutica rivolta a pazienti portatori di patologie per le quali risultino autorizzati farmaci recanti specifica indicazione al trattamento. Il ricorso a tali terapie è consentito solo nell'ambito delle sperimentazioni cliniche dei medicinali di cui al decreto legislativo 24 giugno 2003, n. 211, e successive modificazioni. In caso di ricorso improprio si applicano le disposizioni di cui all'articolo 3, commi 4 e 5, del citato decreto legge 17 febbraio 1998, n. 23, convertito, con modificazioni, dalla legge 8 aprile 1998, n. 94”*. Le disposizioni previste dall'art. 1, comma 796, lettera z) della Legge Finanziaria 2007, non precludono l'impiego di medicinali per indicazioni diverse da quelle autorizzate (cosiddetto uso off-label), ma hanno lo scopo di prevenire un uso generalizzato dei farmaci al di fuori delle indicazioni terapeutiche a rischio della salute dei cittadini, evitando l'utilizzo indiscriminato di medicinali senza l'adeguata verifica delle indicazioni terapeutiche da parte delle Agenzie Regolatorie.
- ❖ Con D.G.R. N. 489 del 25.05.2007 avente ad oggetto *“Legge 27.12.2006, . 296, art. 1, comma 796, lett z) IMPIEGO DI MEDICINALI, NELL'AMBITO DEL SERVIZIO SANITARIO NAZIONALE, PER INDICAZIONI TERAPEUTICHE DIVERSE DA QUELLE AUTORIZZATE – DEFINIZIONE DELLE MODALITA' APPLICATIVE A LIVELLO REGIONALE”*, la Regione ha disciplinato l'erogazione a carico del SSR dei farmaci prescritti al di fuori delle condizioni di autorizzazione all'immissione in commercio (cd. modalità *“off label”*), in caso di somministrazione in regime di ricovero (ordinario o diurno) e in regime ambulatoriale.
- ❖ L'art. 2, comma 348, della Legge 24.12.2007, n. 244 (Legge Finanziaria per il 2008) stabilisce che *“in nessun caso il medico curante può prescrivere, per il trattamento di una determinata patologia, un medicinale di cui non è autorizzato il commercio quando sul proposto impiego del medicinale non siano disponibili almeno dati favorevoli di sperimentazioni cliniche di fase seconda. Parimenti è fatto divieto al medico curante di impiegare, ai sensi dell'articolo 3, comma 2, del decreto-legge 17 febbraio 1998, n. 23, convertito, con modificazioni, dalla legge 8 aprile 1998, n. 94, un medicinale industriale per un'indicazione terapeutica diversa da quella autorizzata ovvero riconosciuta agli effetti dell'applicazione dell'articolo 1, comma 4, del*



decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648, qualora per tale indicazione non siano disponibili almeno dati favorevoli di sperimentazioni cliniche di fase seconda?;

I farmaci per malati affetti da malattie rare

Dalla lettura dell'art. 6 del Decreto Ministeriale n. 279/ 2001 si evince che l'assistenza farmaceutica destinata ai pazienti portatori di malattie rare comprende:

- farmaci ricompresi nei LEA, il cui riconoscimento è di competenza della Commissione Tecnico Scientifica dell'AIFA;
- farmaci non ricompresi nei LEA, ma che possono costituire una valida alternativa terapeutica per i pazienti affetti da malattie rare e per tanto possono essere ricompresi nei LEA aggiuntivi riconosciuti dalle Regioni secondo le indicazioni date dallo stesso D.M. n. 279/2001.

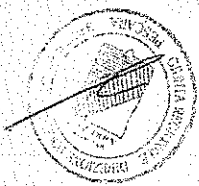
Farmaci ricompresi nei LEA

Sono i farmaci erogabili in regime SSN inseriti nel Prontuario Terapeutico Nazionale predisposto dalla Commissione Tecnico Scientifica dell'AIFA (farmaci di fascia A e farmaci di fascia H). L'AIFA inoltre predispone ed aggiorna, ai sensi della legge 648/96, appositi elenchi di farmaci destinati a patologie che non dispongono di valida alternativa terapeutica da erogarsi a totale carico del SSN. In tali elenchi predisposti ed aggiornati periodicamente dall'AIFA possono essere inclusi i seguenti farmaci, alcuni dei quali destinati alla cura di patologie rare.

Farmaci non ricompresi nei LEA

Sono farmaci, non erogabili in regime SSN, che spesso possono costituire una valida alternativa terapeutica per i pazienti affetti da malattie rare; allo stato attuale, infatti, vi è una scarsa disponibilità di terapie specifiche e di medicinali erogabili in regime di esenzione per il trattamento di pazienti affetti da malattia rara, per i quali tuttavia il bisogno di assistenza e cura è urgente e indispensabile.

In generale sono farmaci di fascia C, ma in questa categoria possono essere ricompresi anche i farmaci utilizzati con modalità off-label o acquistati all'estero non ricompresi negli elenchi della legge 648/96 e le preparazioni galeniche magistrali.



Purtuttavia, al di fuori delle condizioni d'uso off-label già regolamentate dal decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito in legge 23 dicembre 1996, n. 648 così come aggiornate dalle determinazioni AIFA succitate, possono verificarsi le seguenti situazioni:

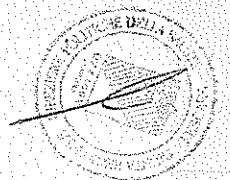
- gli adempimenti amministrativi per l'aggiornamento dell'elenco di medicinali, di cui al punto precedente, possono determinare un ritardo nel riconoscimento dell'efficacia di un trattamento rispetto alle evidenze scientifiche disponibili;
- le motivazioni terapeutiche per cui può essere necessario ricorrere a un impiego off-label possono essere difficilmente standardizzabili;
- non è possibile richiedere il farmaco gratuitamente all'impresa produttrice ai sensi del DM 08.05.2003.

Si rappresenta inoltre che, a causa della frammentazione delle singole patologie e della bassa frequenza con cui le malattie rare si presentano nella popolazione, anche quando la fisiopatologia è ben conosciuta, nella maggior parte dei casi non esistono farmaci specifici per la loro terapia. Altre volte, pur essendoci un trattamento disponibile, i pazienti non vi hanno accesso in quanto il farmaco non è disponibile sul territorio nazionale o è escluso dalle liste di rimborsabilità, perché generalmente impiegato nel trattamento di patologie di lieve entità e pertanto considerato non "essenziale" o "salvavita" e quindi classificato C ai fini della rimborsabilità o C-bis in caso di farmaci di automedicazione. In altri casi ancora il farmaco, classificato in fascia A e quindi rimborsabile dal SSN, viene prescritto per patologie diverse da quelle per le quali ha ottenuto l'autorizzazione all'immissione in commercio (AIC) – in modalità cd. "off label" ed in quanto tale non rimborsabili dal SSN.

L'erogazione dei farmaci di fascia C per malati affetti da malattie rare

In base al citato D.M. n. 279/2001 le Regioni da un lato sono tenute a garantire l'assistenza sanitaria per il trattamento delle malattie rare – tra cui l'assistenza farmaceutica – dall'altro non possono imputare la spesa derivante dall'erogazione di taluni farmaci sul Fondo Sanitario.

In numerose Regioni (quali ad esempio Veneto, Emilia Romagna, Lombardia, Friuli Venezia Giulia, Toscana), con oneri a carico del bilancio regionale, è stata disposta l'erogazione gratuita dei farmaci di fascia C e di altri prodotti non classificati come farmaci, ai cittadini affetti dalle malattie rare residenti nel proprio territorio, previa regolamentazione della prescrivibilità e concedibilità.



Nella Regione Abruzzo, alla luce dei rilievi del Tavolo di monitoraggio LEA, il Commissario ad acta per il Piano di Risanamento, con propria nota prot. n. 25994/Comm del 20.11.2009, disponeva affinché le AA.SS.LL. revocassero tutti i provvedimenti che consentivano l'erogazione gratuita di farmaci di fascia C a favore di pazienti affetti da malattie rare.

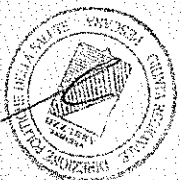
Successivamente, con nota del Ministero del Lavoro, della Salute e delle Politiche Sociali – acquisita agli atti della Direzione Politiche della salute in data 10.12.2009 con prot. 27388 – avente ad oggetto “Certificazione adempimenti LEA 2008” la Regione Abruzzo viene invitata ad adottare un atto formale con il quale venisse disposta la sospensione dell'erogazione dei farmaci di fascia C a soggetti affetti da malattie rare.

Al fine di sanare il giudizio di inadempienza e ottemperare a quanto disposto dal Comitato LEA, nelle more dell'adozione di un provvedimento regionale relativo ai livelli essenziali aggiuntivi che individuasse le modalità di erogazione di tali prestazioni a soggetti affetti da malattie rare, unitamente alle risorse e regionali utilizzate per far fronte ai relativi oneri, ai sensi dell'art. 4, comma 1 lettera h) dell'Intesa Stato-Regioni 23 marzo 2005, la Regione Abruzzo, con deliberazione del Commissario ad acta n. 21/2010 del 25 Marzo 2010 avente ad oggetto “LEA AGGIUNTIVI – EROGAZIONE GRATUITA FARMACI DI FASCIA C A SOGGETTI AFFETTI DA MALATTIE RARE – DISPOSIZIONI”, disponeva, con decorrenza immediata, la sospensione dell'erogazione gratuita dei farmaci di fascia C a soggetti affetti da malattie rare con imputazione della spesa sul Fondo Sanitario Regionale.

Al fine di garantire le risorse necessarie per l'erogazione gratuita di farmaci di fascia C a favore dei soggetti affetti da malattie rare, in attuazione delle disposizioni di cui all'articolo 6 del D.M. n. 279/2001, la Regione Abruzzo - con propria L.R. 10 agosto 2010, n. 38 “Interventi normativi per l'anno 2010” - ha stabilito di integrare annualmente, con risorse proprie regionali, i fondi necessari a garantire, quali livelli essenziali di assistenza aggiuntivi, l'erogazione gratuita di farmaci di fascia C a soggetti affetti da malattie rare.

La predetta LR 38/2010, all'art. 11 recante “Finanziamento regionale per l'erogazione gratuita di farmaci di fascia C a soggetti affetti da malattie rare”:

- nell'istituire uno specifico capitolo di spesa 12.01.001 – 81551, di nuova istituzione, denominato “LEA aggiuntivi per l'erogazione gratuita di farmaci di fascia C a soggetti affetti da malattie rare” ha valutato per l'anno 2010 in € 200.000,00 lo stanziamento necessario per far fronte agli oneri derivanti dall'erogazione dei predetti farmaci;



- ha previsto che per gli esercizi successivi, lo stanziamento fosse determinato ed iscritto sul pertinente capitolo dalle annuali leggi di bilancio, ai sensi della legge regionale 25 marzo 2002, n. 3 (Ordinamento contabile della Regione Abruzzo).

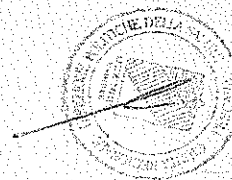
Dal 2011 ad oggi, pur avendo sempre previsto nel proprio bilancio regionale lo stanziamento necessario per far fronte agli oneri derivanti da tale LEA aggiuntivo, la Regione ha ottemperato a quanto disposto dal Tavolo di monitoraggio e non ha concesso l'erogazione gratuita, in nessun caso e condizione dei farmaci di fascia C a pazienti affetti da malattie rare.

Si evidenzia a tale proposito che, allo stato attuale, esiste sul territorio nazionale una difformità di trattamento per i pazienti affetti da malattie rare non accettabile e che determina una reale discriminazione del diritto alla cura.

La gestione delle malattie rare necessita di una direttiva chiara dell'Autorità centrale tesa ad uniformare a livello regionale le opportunità di assistenza in modo da assottigliare il margine della discriminazioni. Per i malati con patologie rare, i farmaci di fascia C - che in molti casi costituiscono l'unica opportunità terapeutica per la mancanza di cure specifiche - costituiscono uno degli esempi più evidenti di questa discriminazione.

Si segnala infine che:

- Il Ministro della salute ha inviato alla Conferenza Stato-Regioni in data 22 aprile 2014 lo schema di Piano nazionale sulle Malattie rare (PNMR) per il parere di competenza;
- detto Piano, che avrà durata triennale, illustra i temi che dovranno essere sviluppati nel triennio di validità, in particolare le azioni utili a ridurre la variabilità nella qualità dei servizi offerti ai pazienti e nella loro accessibilità, causata soprattutto da differenze in termini di conoscenza ed esperienza sulle singole malattie, che si riflettono inevitabilmente in differenti capacità di diagnosi e follow up nelle diverse realtà regionali e locali;
- lo schema di Piano analizza gli aspetti della diagnosi e dell'assistenza ai malati rari, focalizzando l'attenzione sull'organizzazione della rete nazionale dei Presidi e sulle azioni di coordinamento delle attività regionali, sulle problematiche legate alla nomenclatura e alla codifica delle malattie rare, sugli strumenti per l'innovazione terapeutica, sui farmaci (non solo "orfani") e le norme che regolano la loro erogazione, ma anche sulle misure che possono essere intraprese per migliorare la loro disponibilità.



Alla luce di quanto rappresentato nonché dell'equilibrio economico assicurato dalla Regione Abruzzo ed attestato dal Tavolo Tecnico per la verifica degli adempimenti regionali con il Comitato Permanente per la verifica dei Livelli Essenziali di assistenza, sussistono le condizioni per disporre l'erogazione gratuita dei farmaci di fascia C e C-bis nonché dei farmaci prescritti in modalità "off label" a pazienti affetti da malattie rare e residenti sul territorio regionale, con oneri a carico del bilancio regionale, nel rispetto di regole e disposizioni all'uopo definite che consentano di garantirne l'appropriatezza prescrittiva e verificarne l'infungibilità.

SM/allegato1_malattie rare_normativa

