



Executive summary

Le malattie rare:

Il settore biotecnologico dell'industria farmaceutica è profondamente impegnato nella ricerca e nello sviluppo di nuove soluzioni terapeutiche volte a migliorare la vita delle persone affette da malattie rare. Delle circa 8.000 malattie rare identificate, meno di 300 dispongono di terapie specifiche approvate.

In Italia, si stima che circa 2 milioni di persone siano affette da malattie rare, il 70% delle quali sono bambini al di sotto dei 14 anni.¹

L'accesso immediato alle terapie, spesso l'unico trattamento disponibile, è un diritto innegabile per i pazienti con malattie rare.

L'accesso alle terapie: un diritto per il Paziente

L'accesso immediato ai farmaci, spesso l'unica opzione terapeutica per le persone affette da malattie rare, è un diritto non differibile che viene troppo spesso violato da ostacoli nazionali e/o locali. È fondamentale che venga rispettato il termine di 100 giorni per la conclusione della procedura di rimborso e di determinazione del prezzo dei farmaci orfani e di eccezionale rilevanza terapeutica.

L'accesso alla terapia farmacologica, autorizzata a livello nazionale dall'Agenzia Italiana del Farmaco, non è sempre omogeneo o ugualmente tempestivo sull'intero territorio. Spesso valutazioni di tipo economicistico da parte delle strutture competenti a livello locale possono arrivare a limitarne o a ritardarne l'uso.

Le norme a tutela della ricerca e dei pazienti rari

Grazie al Regolamento sui farmaci orfani, sono stati raggiunti risultati importanti: in Europa i farmaci orfani che hanno ottenuto l'autorizzazione per l'immissione in commercio sono passati da 8 nel 2000 a oltre 250 nel 2022, di cui 21 nel 2022. Nuove terapie che hanno avuto un impatto positivo sulla salute e sulla vita di 6,3 milioni di malati rari.

Il Parlamento Europeo ha da poco approvato Direttiva e Regolamento, che però dovranno aspettare le nuove istituzioni europee per finirne l'esame e approvazione definitiva.

L'iniziale proposta della Commissione andava a colpire in modo importante la market exclusivity e la durata del brevetto, ma nonostante le diverse modifiche apportate durante l'esame in Parlamento, la struttura complessiva continua ad essere negativa nei confronti della ricerca e degli investimenti.

Diagnosi precoce: strumento fondamentale

Il ritardo nella diagnosi e nel trattamento di una malattia rara che ha una terapia a disposizione può generare eventi fatali o disabilità permanenti che hanno un importante impatto anche socio-economico che si ripercuote sulla famiglia per intere generazioni.

lo screening neonatale è di fondamentale importanza per consentire la presa in carico tempestiva dei pazienti affetti da patologie per le quali la ricerca ha messo a disposizione terapie efficaci ed in grado di evitarne la degenerazione.

¹ Stéphanie Nguengang Wakap, Deborah M. Lambert, Annie Olry, Charlotte Rodwell, Charlotte Gueydan, Valérie Lanneau, Daniel Murphy, Yann Le Cam, Ana Rath "Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database", European Journal of Human Genetics, 16 September 2019

L'Italia ha dimostrato di essere leader a livello europeo nel campo degli screening neonatali. Si auspica che la recente approvazione del decreto sulle tariffe dei nuovi LEA possa consentire un'accelerazione della conclusione formale del primo aggiornamento dello screening neonatale, che dovrà poi essere effettivamente implementato a livello regionale.

PSP e Prossimità territoriale

La ricerca nel campo delle malattie rare si sta specializzando su terapie innovative sempre più mirate ed efficaci.

Contemporaneamente, le aziende farmaceutiche già da tempo hanno attivato *Patient Support Program* (tra cui *home therapy*) che presentano numerosi benefici per la persona con malattia rara e la sua famiglia, tra cui, attraverso una migliore fruibilità, garantire l'aderenza e l'appropriatezza del trattamento.

Patient Support Program (tra cui *home therapy*), rafforzando l'assistenza domiciliare, possono inoltre consentire di concentrare le strutture ospedaliere per il trattamento di pazienti affetti da altre patologie che richiedono necessariamente il ricovero.

Da anni le associazioni dei pazienti chiedono una maggiore diffusione della terapia domiciliare, che però non viene consentita in maniera uniforme in tutte le Regioni.

Misure che possono contribuire a migliorare la vita di molte persone con malattie rare

- Attuazione del programma di Horizon Scanning prevista dal PNMR 2023-2026, nella prospettiva di giungere ad una valutazione tempestiva del valore aggiunto e dell'impatto finanziario delle nuove terapie di cui si prevede l'ingresso in commercio nei prossimi 3-5 anni;
- Promuovere la creazione di una infrastruttura istituzionale per lo scambio di informazioni tra AIFA, Regioni e Reti assistenziali, che metta nelle condizioni tutti i livelli istituzionali competenti di anticipare le decisioni relative all'adozione delle nuove terapie;
- Attuare la riorganizzazione delle Reti, prevista dal PNMR 2023-2026;
- Uniformare i percorsi diagnostico-terapeutici regionali attraverso l'elaborazione di linee Guida nazionali;
- Introdurre dal 2025 un finanziamento dedicato all'acquisto delle terapie avanzate, programmato secondo un orizzonte pluriennale;
- Introdurre modelli di pagamento pluriennali e promuovere accordi di prezzo innovativi, che tengano conto delle caratteristiche delle terapie avanzate;
- Aggiornare il panel delle patologie sottoposte a screening neonatale nelle more della definizione dei nuovi LEA e prevedere lo stanziamento di risorse adeguate a coprire i relativi oneri per il futuro, aggiornamento annuale del panel;
- Promuovere in sede europea le modifiche alla proposta di Regolamento farmaceutico per ripristinare ed eventualmente rafforzare gli incentivi alla ricerca e sviluppo di farmaci orfani, in particolare per quanto riguarda gli strumenti di protezione della proprietà intellettuale;
- Rendere operativo il credito d'imposta previsto dal TU Malattie Rare, attraverso una tempestiva adozione del Decreto attuativo;

- Promuovere un quadro normativo chiaro che permetta l'adozione di modelli di sanità di prossimità basati sull'assistenza domiciliare in maniera omogenea su tutto il territorio nazionale, anche attraverso forme di partnership pubblico-privato (es. patient support programmes) e valorizzando le risorse già esistenti sul territorio, a partire dai medici e dalla rete delle farmacie .

Premessa

Il settore biotecnologico dell'industria farmaceutica è intensamente impegnato nella ricerca e sviluppo di nuove soluzioni terapeutiche, mirate a migliorare la qualità della vita di persone affette da malattie rare. Globalmente, le malattie rare sono stimate tra le 5.000 e le 8.000, influenzando circa 300 milioni di individui, prevalentemente bambini, con il 50%-75% dei casi diagnosticati in età pediatrica.

La rarità di queste condizioni rende complessa la ricerca e lo sviluppo di trattamenti efficaci. **Delle circa 8.000 malattie rare identificate, meno di 300 dispongono di terapie specifiche approvate.**

In Italia, si stima che circa 2 milioni di persone siano affette da malattie rare, il 70% delle quali sono bambini al di sotto dei 14 anni. Per questi pazienti, l'accesso a un farmaco efficace non solo può trattare la loro condizione, ma può anche ritardarne le conseguenze, migliorando significativamente la loro qualità di vita e riducendo le sofferenze causate dalle malattie rare.

L'accesso tempestivo a queste terapie, spesso l'unica opzione disponibile, è un diritto fondamentale per i pazienti con malattie rare, essendo un cambiamento vitale che incide positivamente sulla loro prospettiva di vita.

Negli ultimi venti anni, per garantire l'accesso a opzioni terapeutiche prima inesistenti, cruciale è stata l'adozione, a livello europeo, del Regolamento sui Farmaci Orfani (CE n. 141/2000) nello stimolare investimenti e innovazioni nel settore. Tuttavia, la revisione attuale della legislazione farmaceutica europea rischia di ridurre gli incentivi essenziali per lo sviluppo di nuovi trattamenti, minacciando così l'attrattiva dell'UE per gli investimenti futuri nel campo delle malattie rare.

Assobiotech evidenzia quattro punti cruciali per i pazienti e le loro famiglie:

1. Attuazione e monitoraggio del Testo Unico sulle Malattie Rare e del Piano Nazionale Malattie Rare 2023-2026 (PNMR), con l'obiettivo di garantire un accesso omogeneo e tempestivo alle terapie su tutto il territorio nazionale, un monitoraggio efficace dell'uso delle risorse da parte delle Regioni e un finanziamento continuo e adeguato del PNMR attraverso un capitolo di spesa specifico.
2. Immediata attuazione della normativa in tema di New Born Screening (NBS);
3. Legislazione incentivante allo sviluppo e tutela dei farmaci orfani sia a livello nazionale che europeo. A livello europeo, con la riforma in corso della legislazione farmaceutica (EU Pharma Legislation), è cruciale garantire il sostegno all'innovazione e allo sviluppo, preservando i progressi conseguiti negli ultimi venti anni.
4. Rafforzare l'Assistenza domiciliare a 360° dando possibilità per i pazienti su tutto il territorio nazionale dell'utilizzo di Programmi di Supporto al Paziente (PSP) e dell'Home Therapy.

1. Accesso omogeneo e tempestivo alla terapia

L'accesso immediato al farmaco, spesso unico trattamento disponibile, per le persone affette da una patologia rara rappresenta un diritto non rinviabile che troppo spesso viene leso da ostacoli di carattere nazionale e/o locale.

Questo nonostante le norme attualmente in vigore prevedano, al fine di garantire accesso tempestivo per farmaci orfani e di eccezionale rilevanza terapeutica, strumenti quali la “**procedura dei 100 giorni**” e che l'accesso regionale debba essere contestuale alla pubblicazione della rimborsabilità in Gazzetta Ufficiale, e la **norma sui 60 giorni** collegata alla Legge n.175/21, volta a favorire il rapido inserimento dei farmaci per le malattie rare nei prontoari locali.

A oggi questo non avviene, per tematiche anche amministrative, che di fatto rallentano sostanzialmente l'accesso alle cure (a volte fino a 6 mesi ulteriori per terapie caratterizzate da alto bisogno clinico).

L'Italia è al terzo posto in Europa per il tempo medio di accesso ai farmaci, pari a 436 giorni, dopo Germania e Inghilterra. Tuttavia i confronti internazionali necessitano di una lettura attenta, considerando strumenti messi in campo in Paesi come la Francia per un accesso precoce a carico del sistema sanitario pubblico a farmaci ritenuti altamente prioritari (che di fatto dimezza i tempi medi del Paese da 497 a 240).²

Dalla diagnosi all'effettiva erogazione del farmaco, quando disponibile, possono trascorrere anche molti mesi (fino a 9-12 mesi) e in alcuni casi, come sopra detto, la terapia non viene addirittura riconosciuta.

Tra gli interventi normativi e di programmazione adottati in anni recenti, ci sono elementi che vanno indubbiamente nella direzione di rafforzare quella cultura della programmazione, nella quale sarebbe auspicabile investire per realizzare il principio della tempestività e uniformità di accesso.

Si propone dunque:

- Di dare attuazione al PNMR che prevede l'adozione del **primo documento di Horizon Scanning entro luglio 2024** (entro 12 mesi dall'adozione del Piano);
- Di dare **pronta attuazione al Regolamento HTA**, con le necessarie modifiche organizzative in seno all'AIFA per **contribuire alle valutazioni cliniche congiunte e ad ogni forma di condivisione precoce di evidenze**, prevista dal Regolamento;
- Considerando quanto sopra e valorizzando al massimo la condivisione di evidenze a livello europeo è necessario, a livello nazionale, strutturare un'architettura istituzionale e codificare procedimenti che consentano all'AIFA e alle Regioni di **elaborare stime del bisogno clinico al quale le nuove terapie rispondono e, conseguentemente, dell'impegno finanziario complessivo per farvi fronte, già prima dell'avvio del confronto negoziale**. Ciò richiederà verosimilmente anche un coordinamento costante e sistematico con le Reti di patologia e con gli altri stakeholder rilevanti;
- Che gli *scoping meetings* già previsti dalla normativa italiana potrebbero rappresentare il contesto ideale per raggiungere un accordo sui parametri fondamentali della valutazione, prima ancora della presentazione della domanda;

Tutto questo contribuirebbe a mettere l'AIFA nelle condizioni di attuare finalmente il fast-track.

² Report “Efpia Patients Wait (Waiting to Access Innovative Therapies) Indicator Survey”
(https://www.efpia.eu/media/676539/efpia-patient-wait-indicator_update-july-2022_final.pdf)

- Una condivisione tempestiva delle informazioni con le Regioni prima della pubblicazione della determina AIFA in GU che consentirebbe alle Regioni di anticipare le decisioni principali riguardo all'accesso alla nuova terapia: inserimento nei prontuari, individuazione dei centri, attivazione dei registri, allocazione delle risorse finanziarie, organizzazione della Rete;

In Italia sono stati da anni introdotti diversi strumenti normativi per anticipare l'accesso nel mercato locale di farmaci approvati in Europa (Legge n.648/96, Legge n. 326/03) e che a oggi risultano superati e non in grado di rispondere alle necessità attuali, né garantire un approccio governato e sostenibile da parte del regolatore. In particolare:

- È auspicabile una comprensione di quanto avviene nel contesto europeo, in particolare relativamente ai programmi AAP (Autorizzazione di Accesso Anticipato) e AAC (Autorizzazione di Accesso Compassionevole) adottati in Francia. Tali programmi possono essere adattati al contesto italiano per definire con chiarezza il perimetro di accesso agli stessi e contemporaneamente definire delle modalità di accesso sostenibili;
- l'utilizzo del Fondo del 5% per casi specifici non coperti dal nuovo meccanismo di accesso anticipato, garantendo una componente residuale per situazioni rare ed eccezionali;
- l'evoluzione dei modelli di finanziamento e rilancio per ridurre incertezza costo/beneficio per terapie ad alto valore aggiunto come le terapie avanzate (ATMPs).

2. Screening Neonatale e innovazione diagnostica

Il 72% delle malattie rare ha origini genetiche, le restanti hanno origini ambientali, infettive o allergiche ed il 70% insorge in età pediatrica, anche quando la patologia non ha origini genetiche.

Le Malattie rare sono patologie complesse e fortemente invalidanti con sintomi e manifestazioni che variano da persona a persona, ne consegue che la diagnosi precoce e la cura sono sicuramente difficili ma molto importanti per cercare di ridurre i disturbi e le complicanze legate alla progressione naturale della patologia e/o anche la sua mortalità.

Purtroppo, ancora oggi la diagnosi di molte malattie rare spesso richiede un lungo periodo, il **tempo medio per una diagnosi è di oltre 4 anni, ma può arrivare fino a 7 e in alcuni casi anche molto di più.**

Per non parlare delle frequenti diagnosi errate (4 pazienti su 10 ricevono almeno una diagnosi errata, prima di giungere a quella corretta).

In questo contesto lo screening neonatale diventa uno strumento fondamentale per la presa in carico tempestiva dei pazienti e uno strumento indispensabile per evitare tutti quei costi che andrebbero a pesare in maniera significativa sul SSN ma anche sull'economia del paese più in generale, **in tal senso lo screening neonatale dovrebbe essere considerato come una forma di investimento.**

L'Italia è il Paese europeo con la politica più avanzata di screening neonatale, gratuito e obbligatorio sin dal 1992. Lo SNE attualmente comprende 49 patologie di cui 47 metaboliche.

Il Ministero della Salute ha istituito una Commissione per aggiornare il panel delle patologie come indicato dalla legge di Bilancio 2018 che prevedeva di aggiornare il panel delle patologie oggetto di screening neonatale, a partire dalle malattie neuromuscolari di origine genetica, dalle immunodeficienze congenite severe e dalle malattie da accumulo lisosomiali.

Appare **indispensabile l'implementazione di una normativa che consenta un aggiornamento tempestivo del panel dello Screening Neonatale** in coerenza con i progressi tecnologici, per garantire che gli screening possano tenere il passo con le evoluzioni tecnologiche nella diagnosi e trattamento delle malattie rare.

Inoltre, è essenziale il consolidamento e l'ampliamento dei fondi per test genetici, per assicurare risorse adeguate per preparare il Paese ad affrontare la sfida sanitaria dei prossimi anni.

Si auspica che la recente approvazione del decreto sulle tariffe dei nuovi LEA possa consentire un'accelerazione della conclusione formale del primo aggiornamento dello screening neonatale, che dovrà poi essere effettivamente implementato a livello regionale.

Importante anche che i fondi per gli screening siano vincolati e si prevede l'aggiornamento del panel anche in deroga all'aggiornamento dei LEA

3. Mantenimento della legislazione incentivante lo sviluppo e la tutela dei farmaci orfani

La ricerca nel settore delle malattie rare è caratterizzata da lunghe e rischiose attività sperimentali precliniche e cliniche nonché da procedure complesse di autorizzazione, volte ad assicurare terapie farmacologiche di qualità, sicure ed efficaci.

La complessità dello sviluppo dei farmaci orfani e della conduzione degli studi clinici del caso è strettamente connessa al limitato numero dei pazienti, alle difficoltà diagnostiche e alla scarsità di dati scientifici.

Da tale quadro emerge l'alto livello di rischiosità e l'incertezza per l'azienda produttrice di ottenere in primis l'autorizzazione all'immissione in commercio e, in secondo luogo, un ritorno sugli investimenti effettuati, da cui dipende largamente la possibilità di reinvestire parte dei ritorni al fine di stimolare nuove attività di ricerca. Tutto ciò ha generato una mancanza di interesse da parte delle aziende farmaceutiche ad investire in detto settore.

Al fine di sopperire a tale fallimento del mercato, il legislatore europeo, nell'adottare il Regolamento (CE) n. 141/2000 concernente i medicinali orfani, ha inteso prevedere una serie di incentivi che potessero incoraggiare l'innovazione nell'ambito delle malattie rare. Inoltre, la legislazione europea ha previsto per i medicinali orfani l'accesso alla procedura centralizzata di autorizzazione all'immissione in commercio e, incentivo più rilevante, l'esclusività di mercato per 10 anni.

Alla luce della revisione in corso con la proposta della Commissione Europea che ha ricevuto una prima valutazione dal Parlamento Europeo, mentre è attesa per i prossimi mesi la valutazione da parte del Consiglio dell'UE alla conclusione del quale si terrà il c.d. trilogico per il raggiungimento di una posizione comune, occorre puntualizzare, partendo da una valutazione d'impatto, che tale quadro ha garantito la crescita degli investimenti e con essi lo sviluppo e la disponibilità di terapie prima inesistenti. Appare quindi fondamentale il perpetuarsi di una legislazione che favorisca lo sviluppo di farmaci orfani.

La risposta alle prossime sfide non è, a nostro avviso, la focalizzazione degli incentivi solo per le patologie senza alcuna opzione terapeutica che non avrebbe l'effetto di reindirizzare gli investimenti in queste aree terapeutiche, ma al contrario di ridurre le risorse agli investimenti del settore farmaceutico nel campo delle malattie rare. È necessario avere un quadro normativo prevedibile, ma che sappia modulare i criteri di ammissibilità per le misure a sostegno della Ricerca sulla base dei bisogni insoddisfatti che intendono affrontare.

Assobiotec auspica che, a livello europeo la discussione sulla revisione della normativa da parte delle nuove Istituzioni Europee porti alla creazione di un quadro incentivante per lo sviluppo e la tutela dei farmaci orfani, in linea con l'impianto precedente. A tal fine ritiene:

- **essenziale ripristinare un periodo base di esclusiva di mercato per i farmaci orfani (orphan market exclusivity) di 10 anni, come a legislazione vigente.** In questo modo sarebbe inoltre assicurato un livello minimo di competitività dell'UE rispetto al panorama internazionale, in un quadro generale che ha visto indebolirsi fortemente negli ultimi anni la capacità dell'Europa di attrarre investimenti nello sviluppo clinico di farmaci innovativi;
- **preoccupante che la proposta di Regolamento, confermata dal Parlamento Europeo, non ammetta più periodi distinti di esclusiva di mercato per ciascuna indicazione terapeutica autorizzata dall'EMA, anche in momenti diversi nel tempo, purché riferita a condizioni orfane: si tratta di un incentivo essenziale per lo sviluppo clinico di un farmaco orfano in aree terapeutiche diverse da quella per la quale è stato inizialmente autorizzato e può essere uno strumento molto efficace per favorire l'ingresso di terapie per malattie rare che ne sono prive.**

Un punto di partenza importante a livello nazionale è sicuramente la Legge Quadro sulle Malattie Rare e il Piano Nazionale Malattie Rare.

L'obiettivo principale del Piano dovrebbe essere lo sviluppo di una strategia integrata, globale e di medio periodo per l'Italia sulle malattie rare, centrata sui bisogni della persona e della sua famiglia e definita con il coinvolgimento di tutti i portatori di interesse, tenuto conto delle esperienze già maturate e nel quadro delle indicazioni europee.

Il Piano dovrà individuare gli obiettivi strategici per migliorare la prevenzione, diagnosi, cura e riabilitazione delle malattie rare, tenuto conto dei modelli organizzativi adottati dalle Regioni.

Importante che il Ministero della Salute completi l'attuazione della Legge n. 175/2021 attraverso la rapida adozione dei decreti attuativi previsti, in particolare dell'articolo 5 relativo all'immediata disponibilità dei farmaci orfani e degli articoli 11 e 12 relativi agli incentivi alla ricerca fondamentali per lo sviluppo delle PMI biotecnologiche impegnate nella ricerca sui farmaci orfani.

Infine, appare sempre più opportuna la necessità di prevedere misure per lo sviluppo di un ecosistema produttivo biotecnologico italiano direttamente collegato con le necessità insoddisfatte della popolazione e che possa rispondere con prontezza alle richieste del nostro territorio.

In questo senso l'Italia, attraverso le sue PMI Biotech con capacità produttive GMP, possiede uno strumento di eccezionale flessibilità per rispondere alle esigenze dei pazienti il cui sviluppo rappresenta un volano strategico di crescita per tutto il sistema Paese.

4. Patient Support Programme (PSP)

L'industria biofarmaceutica ha ormai intrapreso, da diversi anni, quello che viene definito l'approccio "beyond the pill" (oltre il farmaco) consapevole che i sistemi sanitari – come in Italia, dove è garantita l'assistenza universale – stiano affrontando una crisi di sostenibilità, che riguarda la coesistenza di bisogni insoddisfatti, capacità effettiva di erogare prestazioni e la necessità di riorganizzare gli obiettivi strategici.

In questa ottica l'industria vuole essere partner delle istituzioni e contribuire non solo alla discussione su quali modelli possano essere adottati nel prossimo futuro per poter garantire erogazioni di prestazioni effettive ed efficaci per i pazienti, ma anche – adottando un approccio empirico – con lo sviluppo di Programmi di supporto ai pazienti (PSP) che vanno dalla messa a disposizione di test diagnostici innovativi a servizi di sostegno integrati che contemplano trattamenti non farmacologici (come supporto psicologico o fisioterapico), trasporto di pazienti o di campioni diagnostici e, soprattutto dopo l'esperienza del Covid, assistenza domiciliare integrata per dimostrare la praticabilità di nuove soluzioni di presa in carico.

L'Home Therapy, che rappresenta il più classico dei PSP, presenta numerosi vantaggi per il paziente, necessità ancora più forte per le persone con malattia rara.

L'Home therapy, che deve essere sempre valutata e decisa dal medico del Centro di riferimento, infatti presenta diversi benefici:

- garantisce l'aderenza al trattamento e l'appropriatezza della cura;
- determina un miglioramento anche da un punto di vista psicologico che aiuta il paziente ad affrontare al meglio la propria malattia;
- consente la somministrazione della terapia nell'ambiente familiare, garantendo il diritto alla riservatezza sulla condizione patologica del paziente;
- permette di scegliere il giorno del trattamento;
- evita di perdere una giornata di lavoro o di scuola.

Durante la pandemia, riconoscendo la fragilità delle persone con malattia rara, AIFA ha ritenuto opportuno allargare l'accesso all'home therapy, con la Determinazione del 30 marzo 2020 contenente le raccomandazioni per la somministrazione domiciliare dei farmaci per terapia enzimatica sostitutiva.

Da anni le associazioni dei pazienti chiedono una maggiore diffusione della terapia domiciliare, che però non viene consentita in maniera uniforme in tutte le Regioni.

L'assistenza domiciliare ai pazienti con malattie rare andrebbe ripensata non solo con il riferimento al farmaco, ma anche alla diagnosi di secondo livello, al supporto psicologico, alla fisioterapia e ai vari supporti che la tecnologia oggi consente di fornire. Al riguardo, i PSP avrebbero opportunità di consolidarsi nel più ampio quadro del potenziamento della medicina di prossimità, ad integrazione delle Reti assistenziali: questa linea di azione è peraltro in linea con gli investimenti previsti dal PNRR – missione 6, soprattutto per quanto riguarda la telemedicina, le centrali operative territoriali e l'infrastruttura digitale per realizzarle.

Inoltre, sarebbe auspicabile innovare le **procedure pubbliche di acquisto dei farmaci orfani** affinché contemplino la possibilità per i SSR di avvalersi di **servizi aggiuntivi**, che integrino la semplice fornitura del prodotto con il **supporto organizzativo e logistico per assicurare la somministrazione domiciliare** laddove prevista dall'AIC o consentita dalla Regione.