



*Ministero della Salute*  
*Il Sottosegretario di Stato*

Prot. n. 2021/SS/0067

Dott. Francesco Macchia

Managing Director

Rarelab

[macchia@rarelab.eu](mailto:macchia@rarelab.eu)

Egregio Dott. Macchia,

ho ricevuto con piacere l'invito ad intervenire alla sesta edizione dell'Orphan Drug Day, in programma il prossimo 8 novembre, e sono davvero dispiaciuto di non potervi prendere parte, a causa di concomitanti e improrogabili impegni istituzionali.

A pochi giorni dall'approvazione unanime in Senato del Testo Unico sulle Malattie Rare, l'evento organizzato dall'Osservatorio Malattie Rare cade favorevolmente per introdurre ora la discussione su come rendere concrete le disposizioni previste nella norma e per dare quindi risposte efficaci e celeri ai malati rari e alle loro famiglie.

Come ho espresso a margine della conclusione dell'iter parlamentare del disegno di legge, esso costituisce non certo il punto di arrivo ma, al contrario, il dito premuto sullo start del timer per scandire i tempi della definizione e della emanazione dei relativi decreti attuativi.

In una precedente occasione ho detto che l'assistenza e la presa in carico dei malati rari deve diventare la "buona routine": credo che questo disegno di legge, con tutto ciò che rappresenta il suo iter e la partecipazione costruttiva che ha generato, possa costituire un modello da seguire nell'ordinario. Un paradigma per altre tematiche analoghe.

E in effetti le malattie rare sono paradigmatiche di un approccio che dovrebbe essere applicato in molti ambiti: nella ricerca clinica, nell'accesso equo ai trattamenti, nella definizione dei percorsi di cura personalizzati, nella formazione, nella prevenzione, nella comunicazione.

*Segreteria del Sottosegretario di Stato Sen. Prof. Pierpaolo Silvi - 39.0659945778 - [silvi.office@sanita.it](mailto:silvi.office@sanita.it)*  
*Ministero della Salute Lungotevere Papia n. 1 00153 Roma (P.M.)*



*Ministero della Salute*  
*Il Sottosegretario di Stato*

Abbiamo adesso un impianto normativo che ci consentirà anche di allocare le necessarie risorse e provare quindi a mettere in atto concretamente le iniziative necessarie, governative e di programmazione sanitaria, per sostenere nel modo sempre più presente e continuo i malati rari e i loro *caregivers*.

Il mio personale impegno non mancherà, sia governativo, sia in primis come medico e ricercatore, per tradurre in azione quanto previsto dalla norma.

Su questo è già al lavoro il Tavolo tecnico sulle malattie rare, da me fortemente voluto e istituito presso il Ministero della Salute, e animato nelle idee e proposte da molti dei rappresentanti che si confronteranno nell'evento da Voi promosso.

Nel ringraziarVi ancora per il Vostro impegno, auguro a tutti buon lavoro e invio i miei più cordiali saluti.

Roma, 5 novembre 2021

  
Sen. Prof. Pierpaolo Sileri

*Segreteria del Sottosegretario di Stato Sen. Prof. Pierpaolo Sileri - 39.0659945778 - sileri.ufficio@sanita.it*  
*Ministero della Salute Lungotevere Papia n. 100153 Roma (P.M.)*