

INTERGRUPPO PARLAMENTARE SULLA FIBROSI CISTICA

DOCUMENTO PROGRAMMATICO

La Fibrosi Cistica

La Fibrosi Cistica (FC) è la malattia genetica grave più diffusa: si stima che ogni 2.500-3.000 dei bambini nati in Italia, 1 è affetto da fibrosi cistica (circa 200 nuovi casi all'anno). Oggi quasi 6.000 bambini, adolescenti e adulti affetti da FC vengono curati nei Centri di Cura specializzati in Italia. Si tratta di una patologia multiorgano che colpisce soprattutto l'apparato respiratorio e quello digerente, in modo indifferente maschi e femmine.

Per merito dei continui progressi terapeutici, assistenziali, nonché diagnostici, la prevalenza dei pazienti FC in Italia, con età uguale e superiore ai 18 anni, è del 62.7%.

Nella maggior parte dei casi la Fibrosi Cistica viene diagnosticata alla nascita attraverso un semplice prelievo di sangue a cui vengono sottoposti tutti i neonati. La FC rientra, infatti, nello screening di base delle malattie genetiche e viene identificata in un primo momento con il test della tripsina e successivamente confermata con il test del sudore, fondamentale per la diagnosi della malattia poiché identifica la quantità di sale presente nel sudore.

Nel 1980, quando la fibrosi cistica era ancora una malattia poco conosciuta, nasce la Lega Italiana Fibrosi Cistica (LIFC).

L'Associazione prende vita grazie alla determinazione di gruppi di genitori che, unendo le forze, hanno trovato coraggio, sostegno reciproco e la consapevolezza di non essere soli.

Quello spirito di unione e solidarietà è ancora oggi il motore che guida LIFC: un'associazione che ascolta e dà voce ai bisogni di pazienti e famiglie, impegnandosi ogni giorno per migliorare la qualità della vita, le cure disponibili, tutelare i diritti, ampliare le opportunità sociali di ogni persona colpita da fibrosi cistica – una malattia genetica cronica e grave per la quale, ancora oggi, non esiste una cura definitiva.

LIFC promuove anche programmi di ricerca centrati sul paziente e sostiene percorsi di cura innovativi, per rendere il futuro delle persone con FC sempre più vivibile.

Come associazione composta da pazienti adulti, familiari e stakeholder, ci impegniamo a realizzare progetti concreti e servizi di supporto: siamo accanto alle famiglie per affrontare le difficoltà quotidiane legate alla malattia e le accompagniamo nel percorso di vita. Lo facciamo dialogando con le istituzioni, promuovendo iniziative e progetti mirati a migliorare la qualità della vita e delle cure per tutti i pazienti con fibrosi cistica.

La Legge quadro sulla fibrosi cistica

Il **23 dicembre 1993** veniva approvata la **Legge 548** “*Disposizioni per la Prevenzione e la Cura della Fibrosi Cistica*” un provvedimento lungimirante e di fondamentale importanza per la cura e l’assistenza dei pazienti affetti dalla malattia. Grazie alla Legge, ed alla successiva circolare attuativa del 15 aprile 1994 Prot. 500.4/D M. 1 – 407, sono stati istituiti **in ogni Regione Centri specializzati per la cura della Fibrosi Cistica**; è stata garantita la gratuità dei farmaci prescritti dai Centri; è stato implementato il ricorso allo screening neonatale per la diagnosi precoce della malattia e sono stati stanziati fondi per la ricerca scientifica. Ogni azione ha contribuito a migliorare la diagnosi e la presa in carico dei piccoli pazienti che oggi sono cresciuti e diventati adulti: uno scenario impensabile all’epoca dell’approvazione della Legge.

La mozione

XIX Legislatura – Allegato B ai Resoconti – seduta del 27 marzo 2023.

Riprendendo quanto già contenuto nella mozione del 27 marzo 2023, su richiamata e che ad ogni buon modo si allega alla presente, si sottopongono all’attenzione dell’Intergruppo Parlamentare alcune riflessioni utili e necessarie che integrano quanto già posto all’attenzione del Governo.

• Accesso equo e tempestivo alle terapie innovative:

- Garantire che tutti i pazienti, indipendentemente dalla regione di residenza, abbiano accesso immediato ai farmaci modulatori di ultima generazione, che possono rallentare significativamente la progressione della malattia.
- Semplificare le procedure di approvazione e rimborso dei farmaci, riducendo i tempi di attesa e le disparità regionali.
- È necessaria una linea guida per facilitare i processi di approvazione e rimborso dei farmaci necessari affinché in tutte le Regioni vengano garantite le stesse possibilità di approvvigionamento dei nuovi farmaci modulatori di ultima generazione.

La possibilità di avere il prima possibile la disponibilità dei nuovi farmaci mette i pazienti nella possibilità di iniziare i trattamenti

farmacologici necessari alla stabilizzazione della malattia. Questo riduce notevolmente le iscrizioni delle liste trapianto (i pazienti affetti dalla Fibrosi Cistica sono sottoposti a trapianto di polmoni nel momento in cui la terapia farmacologica non produce più i suoi effetti).

- **Potenziamento dei Centri di cura specializzati:**

- Assicurare che i finanziamenti giungano effettivamente nella disponibilità dei Centri di cura per la fibrosi cistica (talvolta le Direzioni Generali li usano per scopi vari, solo indirettamente connessi alle attività del Centro FC), e garantendo personale medico e paramedico specializzato, attrezzature all'avanguardia e ambienti adeguati.
- Promuovere la creazione di centri di riferimento per adulti, ovvero potenziare le risorse per adulti nei Centri "misti", per garantire sia una transizione efficace dall'età pediatrica all'età adulta ovvero l'adattamento del Centro alle esigenze dei pazienti di diverse età e istituendo che in ogni Centro siano previste le figure professionali come Nutrizionisti/Dietisti, Psicologi, Fisioterapisti, Assistenti sociali necessarie per una corretta attività di gestione dei pazienti ed evitare in tal modo le difformità di fornitura di servizi di assistenza che risulterebbero differenti tra i Centri più grandi e quelli più piccoli o tra i vari Centri regionali sulla base delle organizzazioni di ogni singola Azienda Sanitaria di riferimento.

- **Tutela dei diritti dei pazienti:**

- Garantire che il riconoscimento della fibrosi cistica come malattia cronica e invalidante risulti nel conseguente accesso a benefici economici e sociali.
- Promuovere l'inclusione sociale e lavorativa dei pazienti, attraverso politiche di sostegno all'occupazione e all'istruzione.

- **Assistenza domiciliare e supporto psicologico:**

- Rafforzare i servizi di assistenza domiciliare, per consentire ai pazienti di gestire la malattia nel proprio ambiente familiare.
- Garantire l'accesso a un adeguato supporto psicologico, sia per i pazienti che per i loro familiari, per affrontare l'impatto emotivo della malattia.

- **Caregiver:**

- Riconoscere il ruolo fondamentale dei caregiver e dare un supporto concreto per il loro compito, in quanto il caregiver ha da sempre avuto un ruolo di rilievo nella cura dei propri figli/pazienti. Alla scoperta della malattia dei propri figli, in tenera età e con la difficoltà nella gestione del paziente, uno dei due genitori lascia il proprio

lavoro per prestare l'assistenza continua e necessaria di cui i piccoli affetti da questa malattia hanno bisogno. Oggi, con le nuove cure

sempre più personalizzate, di cui purtroppo non tutti possono godere essendo efficaci soltanto per alcune mutazioni del gene FC, la vita media dei pazienti si è alzata notevolmente. I/le ragazzi/e diventano adulti/e ed iniziano, nonostante le difficoltà, ad esser un po' più autonomi concedendo ai propri genitori la libertà personale che per anni li ha legati nel seguire il loro percorso di crescita e di cura. Tuttavia, l'età dei ragazzi aumenta ma quella dei caregiver non resta ferma lì e, pertanto, le difficoltà nell'entrare nuovamente nel mondo del lavoro sono tante ed il tempo impiegato per l'assistenza e la cura dei propri figli non riconosce loro nessun beneficio.

L'obiettivo delle nostre richieste è quello di garantire che ogni persona affetta da fibrosi cistica in Italia possa vivere una vita piena e dignitosa, con la migliore qualità possibile, grazie a cure all'avanguardia, supporto adeguato e tutela dei propri diritti.

In merito alla mozione su richiamata e allegata, la stessa contiene gli argomenti approvati, elencati e numerati. **Di particolare priorità per la Lega Italiana Fibrosi Cistica e per i pazienti tutti, risulta essere la trattazione e l'approfondimento urgente sui seguenti punti** indicati nella stessa:

- 3) **aggiornamento del Piano nazionale della cronicità**, inserendo nella parte seconda di esso la voce specifica «Fibrosi Cistica»;
- 5) **realizzazione di percorsi formativi per il personale** dei centri regionali di riferimento e di supporto;
- 6) **telemedicina** nei percorsi di gestione dei pazienti;
- 7) **agevolazioni fiscali** – riconoscimento in favore dei pazienti affetti da fibrosi cistica;
- 8) **patente di guida** – chiarire la corretta valutazione dei pazienti con fibrosi cistica.