

Comunicato stampa

Appuntamento in programma alle 10 presso l’Auditorium del Ministero della Salute

Salute, domani UNIAMO presenta il VII Rapporto MonitoRare

Report sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia:
quadro di riferimento su epidemiologia, accesso a diagnosi, terapie e assistenza,
oltre che su organizzazione socio-sanitaria, giuridica ed economica nazionale e regionale

Roma, 5 luglio 2021 - Si terrà domani, **martedì 6 luglio alle ore 10**, presso il Ministero della Salute (Auditorium Cosimo Piccinno), la presentazione del **VII Rapporto MonitoRare sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia**. Il Rapporto, redatto da Uniamo – Federazione Italiana Malattie Rare, intende **fornire il quadro di riferimento** sull’epidemiologia, sull’accesso alla diagnosi, alle terapie, all’assistenza, oltre che sull’organizzazione socio-sanitaria, giuridica ed economica nazionale e regionale. L’evento sarà trasmesso in diretta sulle pagine Facebook del Ministero della Salute, di Uniamo FIMR e dei Media Partner: Rai Pubblica Utilità e StartMagazine. Tra gli altri, previsto l’intervento del sottosegretario alla Salute **Pierpaolo Sileri**.

Il Rapporto MonitoRare 2021 è realizzato con il contributo di dati di: Ministero della Salute, Centri di coordinamento Regionale per le Malattie Rare, AIFA – Agenzia Italiana del Farmaco, Centro Nazionale Malattie Rare dell’Istituto Superior di Sanità, Ministero dell’Istruzione, Orphanet Italia, Fondazione Telethon, Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare Unità Produttiva Agenzia Industrie Difesa AID e altri partner.

*“MonitoRare è molto di più di un Rapporto e del suo evento di presentazione, è l’occasione per la Federazione di promuovere un modo di fare sistema, tra stakeholder pubblici e privati, una cultura della collaborazione che ogni anno si estende e cresce in qualità – spiega **Annalisa Scopinaro**, Presidente UNIAMO - L’esigenza di razionalizzazione dei contenuti destinati a target diversi ha guidato il restyling del Rapporto MonitoRare che nella versione digitale potrà contare di nuove funzionalità che permetteranno al lettore di approfondire i contenuti correlati attraverso un percorso di navigazione fruibile e intuitivo”.*

LE MALATTIE RARE

A livello europeo una patologia è definita rara se colpisce **meno di 1 persona ogni 2000**.

Le persone con malattie rare possono essere poche per singola patologia, ma si stimano oltre **300 milioni di persone nel mondo, 30 milioni in Europa**.

La stima in Italia è di quasi **2 milioni di persone**. Di queste **1 su 5 ha meno di 18 anni**.

Le malattie rare ad oggi conosciute sono tra le 6.000 e le 8.000.

Tra queste:

- **l'80% ha origini genetiche**
- **il 20% ha origini ambientali, infettive o allergiche**
- **il 70% insorge in età pediatrica**, anche quando la patologia non ha origine genetica

Solo per il 6% delle persone con una malattia rara esiste una cura. La maggioranza non ha accesso a trattamenti. Oltre ad essere raramente riscontrate, queste malattie hanno sintomi e manifestazioni che variano anche da persona a persona, rendendole per questo motivo ancor più difficili da diagnosticare e curare. Il tempo medio per una diagnosi è di 4 anni, ma può arrivare fino a 7.

Le malattie rare hanno un andamento cronico, ingravescente e spesso invalidante. Per questo motivo è necessaria l'integrazione tra assistenza sanitaria e l'assistenza sociale: le persone che vivono con una malattia rara e le loro famiglie si trovano spesso a sostenere costi sociali ed economici gravosi. 8 su 10 hanno difficoltà a gestire gli aspetti "ordinari" della vita della persona affetta e della famiglia.

In Italia è presente la Rete nazionale dei Centri di Riferimento per la prevenzione, la diagnosi e il trattamento delle malattie rare, rinforzata dalle Reti europee di Riferimento. Se da una parte queste ultime permettono alle cure di raggiungere il paziente – per non caricare i pazienti e le famiglie dell'ulteriore peso di spostarsi in Europa o nel mondo per trovare cure adeguate – in Italia ancora molto lavoro è necessario affinché ogni regione possa offrire Percorsi diagnostico terapeutico assistenziale (PDTA) efficienti ed efficaci (240 in Italia al 2019).

I "farmaci orfani" rappresentano la principale classe di farmaci utilizzati per il trattamento delle patologie rare. Sono detti orfani poiché il loro "raro" utilizzo scoraggerebbe la loro produzione da parte delle aziende farmaceutiche. Per fortuna, sono sempre di più le aziende farmaceutiche che investono in questi farmaci, anche grazie agli incentivi pubblici previsti. Al 2019 sono **109 i farmaci orfani approvati da AIFA** (su 135 approvati da EMA).

Le **Terapie avanzate e innovative** costituiscono una nuova frontiera di cura di alcune patologie rare. Le sperimentazioni in corso sono moltissime (**oltre 67 a fine 2019**), il costo delle terapie che ne deriveranno è molto elevato. Occorre una forte azione di sistema perché queste terapie siano messe a disposizione dei pazienti appena entreranno sul mercato, trovando modalità di rimborso alle aziende farmaceutiche innovative sostenibili per evitare il collasso dei singoli sistemi sanitari da una parte, e percorsi diagnostici più rapidi ed efficaci per permetterne una somministrazione tempestiva.



UNIAMO

FEDERAZIONE ITALIANA
MALATTIE RARE

ONLUS

Rare Diseases Italy

UFFICIO STAMPA UNIAMO Federazione Malattie Rare

Flaminia Serra cell. 379 1640188

comunicazione@uniamo.org - www.uniamo.org

Aleanza Nazionale di

