

## Comunicato stampa

*La Federazione esprime gratitudine ai membri delle Commissioni che hanno recepito, secondo i diversi ruoli, le istanze trasmesse*

# Malattie rare, UNIAMO: bene legge, ora sostegni a famiglie e chiarezza su Lea

**Roma, 3 novembre 2021** - *“Arriva al termine di un percorso durato più di tre anni l’approvazione finale del Testo Unico sulle malattie rare, legge attesa da più di 2 milioni di persone con malattia rara e dalle loro famiglie. Siamo quindi soddisfatti del via libera parlamentare, ringraziando i membri delle Commissioni che hanno recepito, secondo i diversi ruoli, le istanze trasmesse. E guardiamo con favore innanzitutto alla creazione del Comitato nazionale per le malattie rare, una sorta di ‘cabina di regia’, con la presenza di tutti gli attori del sistema (Ministeri, Aifa, Inps, società scientifiche, associazioni dei pazienti)”. È quanto dichiara **Annalisa Scopinaro**, presidente di UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare.*

*“È importante avere un luogo di confronto istituzionale e strutturato, ora bisogna lavorare sui decreti attuativi, ma non ci illudiamo di aver risolto così tutti i problemi”, sottolinea Scopinaro. “Permangono infatti disparità territoriali. Ad esempio, molte prestazioni non sono inserite nei Lea (i farmaci di fascia C, gli integratori e cosmetici). E pur non essendo salvavita, per le persone con malattia rara – puntualizza - possono essere decisivi per un miglioramento della qualità della vita. Ora dobbiamo fare chiarezza anche sui ruoli nella presa in carico e sostenere le famiglie nei percorsi di vita”.*

**La legge.** La legge (Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione di farmaci orfani) è finalizzata alla tutela del diritto alla salute e a garantire le medesime misure adeguate alla presa in carico, ai fini dei trattamenti di prevenzione e cura, superando le ricorrenti e diversificate situazioni regionali destinate alla cura delle malattie rare. Inoltre, la legge disciplina gli interventi dedicati al sostegno della ricerca e alla produzione dei farmaci orfani, nonché della cura delle malattie rare.

**I numeri.** 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 almeno **1.200.000 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.

**Otto su 10 hanno difficoltà a gestire gli aspetti "ordinari" della vita della persona affetta e della famiglia.**

**UFFICIO STAMPA UNIAMO Federazione Malattie Rare**  
Flaminia Serra cell. 379 1640188  
comunicazione@uniamo.org - [www.uniamo.org](http://www.uniamo.org)