

Comunicato stampa

Appuntamento in programma alle 10.30 presso il Centro Congressi Roma Eventi
Fontana di Trevi

Salute, il 6 luglio UNIAMO presenta l'VIII 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, 30 giugno 2022 - Si terrà **mercoledì 6 luglio alle ore 10.30**, presso il Centro Congressi Roma Eventi Fontana di Trevi (piazza della Pilotta, 4), la presentazione dell'**VIII Rapporto MonitoRare sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia**.

Quest'anno la presentazione del Rapporto MonitoRare torna in presenza e si inserisce nella cornice della **"Convention MonitoRare"**: una giornata ricca di appuntamenti rivolti ai professionisti del sistema malattie rare, alle Associazioni, ai pazienti e alle famiglie.

La giornata prevede la plenaria di apertura della "Convention MonitoRare" alla presenza del Sottosegretario alla Salute, **sen. Pierpaolo Sileri**, del Vicepresidente Intergruppo parlamentare sulle disabilità del Parlamento europeo, **on. Brando Benifei**, del CEO di EURORDIS – Rare Diseases Europe **Yann Le Cam** e di: **Sen. Paola Binetti, sen. Annamaria Parente, on. Paolo Tiramani, on. Marcello Gemmato, sen. Maria Domenica Castellone, Romano Astolfo** e la Presidente di UNIAMO, **Annalisa Scopinaro**.

Nel pomeriggio si terranno una serie di workshop plenari e paralleli dedicati all'approfondimento dei dati pubblicati dal Rapporto e all'individuazione di percorsi virtuosi per arrivare ad una equità di trattamento in tutto il Paese.

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, sulla ricerca, oltre che sull'organizzazione socio-sanitaria, giuridica ed economica nazionale e regionale.

"Il Rapporto MonitoRare 2022, oltre alla sistematizzazione di tutti i dati, dà spazio a molti approfondimenti. Le novità di quest'anno riguardano un intero capitolo dedicato alla galenica, protagonista anche nella L. 175/2021, e vari esempi di esperienze regionali specifiche, una per sezione. Gli spunti offerti dal Rapporto e dall'Executive Summary che riassume le variazioni salienti potranno essere approfonditi nel corso delle sessioni parallele del pomeriggio. La Convention MonitoRare è un'occasione unica per mettere a confronto stakeholder pubblici e player privati a partire dal punto di vista delle persone con malattia rara, vere protagoniste dell'evento - afferma

UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

Annalisa Scopinaro, Presidente di UNIAMO. *“In continuità con la variazione di brand identity iniziata nel 2021, la veste grafica è stata conseguentemente uniformata e studiato per questa edizione il nuovo logo del Rapporto. La versione on line sarà resa fruibile grazie all’apertura a pop-up dei vari approfondimenti, che non appesantiranno quindi la lettura”.*

Il Rapporto MonitoRare è realizzato con il contributo dei dati dei Coordinamenti regionali per le malattie rare (Abruzzo, Basilicata, Campania, Emilia-Romagna, Friuli-Venezia Giulia, Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, P.A. Bolzano, B.A. Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Valle d’Aosta, Veneto), Agenzia Italiana del Farmaco - Area pre-autorizzazione, ATMP Forum, BBMRI.it - Biobanking and BioMolecular resources Research Infrastructure Italy, Fondazione Telethon, Istituto Superiore di Sanità - Centro Nazionale Malattie Rare, Ministero dell’Istruzione - Ufficio IV Disabilità. Scuola in ospedale e istruzione domiciliare. Integrazione alunni stranieri - Direzione generale per lo studente, l’integrazione e la partecipazione, Ministero della Salute - Ufficio 2 Riconoscimento e conferma IRCCS - Direzione Generale della ricerca e dell’innovazione in sanità, Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare - Unità Produttiva Agenzia Industrie Difesa AID.

UFFICIO STAMPA UNIAMO Federazione Malattie Rare

Flaminia Serra cell. 379 1640188

comunicazione@uniamo.org - www.uniamo.org

COSA SONO 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 almeno 2.200.000 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, inaggravante e spesso invalidante. Per questo motivo è necessaria l’integrazione tra assistenza sanitaria e l’assistenza sociale: le persone che

UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

Via Nomentana, 133 – 00161 Roma | Tel. 06 4404773 | www.uniamo.org - segreteria@uniamo.org

P. I. 08844231004 C.F. 92067090495

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.** (cfr: [I costi sociali delle malattie rare: il peso economico per le famiglie, Uniamo 2021](#)).

I TUMORI RARI

I tumori rari sono quei tumori maligni la cui incidenza è inferiore a 6 individui su 100.000 all'anno (definizione RARECARE). Si tratta di un gruppo eterogeneo di patologie estremamente diverse tra di loro per presentazione clinica, sede di insorgenza, terapia e prognosi.

Sono 5,1 milioni le persone ancora vive in Europa che hanno ricevuto una diagnosi di tumore raro. Con 650.000 nuove diagnosi di tumori rari ogni anno in Europa, questi costituiscono il 24% della prevalenza totale dei casi di cancro.*

Ci sono circa 200 tipologie di tumori rari che vengono raggruppate in 12 “famiglie”. Alcuni di questi sono estremamente rari, con un'incidenza inferiore a 0,2/100.000 per anno.

In Europa, la mortalità per i tumori rari è molto più alta di quella per i tumori comuni. La sopravvivenza a 5 anni è del 65% per i tumori frequenti e del 47% per i tumori rari (RARECARENet, 2017).

I tumori pediatrici presentano importanti differenze rispetto a quelli degli adulti sia in termini di tipologia, sia in merito alla diagnosi e ai trattamenti disponibili.

Ogni anno in Europa più di 6.000 giovani pazienti muoiono e 20.000 bambini ricevono una diagnosi. Di questi fino al 30% soffrono di gravi conseguenze a lungo termine.

* Fonti:

EU Joint Action on Rare Cancers, RARECARE, RARECAREnet
Gatta G, Capocaccia R, Botta L, et al. Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet—a population-based study. *Lancet Oncol* 2017;18(8):1022-39

Gatta G, van der Zwan JM, Casali PG, et al. Rare cancers are not so rare: the rare cancer burden in Europe. *Eur J Cancer* 2011;47(17):2493-2511

UNIAMO FEDERAZIONE ITALIANA MALATTIE RARE

UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare è l'ente di rappresentanza della comunità delle persone con malattia rara. Opera da oltre 20 anni per la tutela e la difesa dei diritti delle persone con malattia rara e delle loro famiglie, ha oltre 160 associazioni affiliate in continua crescita. La Federazione sviluppa un dialogo costante con gli esponenti delle Istituzioni, ricercatori, player privati rappresentando le istanze delle persone con malattia rara e le possibili soluzioni. Dà voce a tutte le persone hanno una malattia rara o ultra-rara, oltre che a quelli che sono ancora in cerca di una diagnosi. Il senso di disorientamento, incertezza, solitudine, il dolore che si prova quando si impatta con una diagnosi di malattia rara sono alleviati dalla consapevolezza che la Federazione, insieme a tutte le Associazioni, compie ogni sforzo possibile per migliorare la qualità di vita della persona e dei suoi familiari e caregiver. Rari, mai soli.