

Comunicato stampa

Presentato il Rapporto di monitoraggio sulle malattie rare, realizzato dalla Federazione UNIAMO. Pazienti costretti a mobilità sanitaria, confermata da dislocazione Centri europei ERN

MonitoRare 2022: Italia attrattiva per Ue, ma ancora disomogeneità Nord-Sud

Sileri: dal Rapporto emergono dati incoraggianti su ricerca, formazione e informazione. Ora è necessario mettere a terra quanto previsto nel Testo Unico e non solo

Roma, 6 luglio 2022 - Presentato oggi a Roma, dinanzi a numerosi rappresentanti del Parlamento e ad autorevoli componenti della comunità scientifica, il Rapporto **MonitoRare 2022**. Si tratta dell'unico esempio europeo di un Rapporto di monitoraggio integralmente realizzato da un'associazione di pazienti (**UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare**), con la collaborazione degli enti istituzionali e fonti primarie dei dati.

Il Rapporto. Dalla lettura del corposo documento, che include molti approfondimenti e da quest'anno, oltre ad un capitolo dedicato alla galenica - protagonista anche nella L. 175/2021 - un esempio di esperienza regionale specifica per ogni sezione, emergono molti spunti che dovranno essere approfonditi. Ne evidenziamo due. Il primo, la stima della mobilità sanitaria infra-regionale, basata sui dati dei registri MR, che è al 17% della popolazione complessiva, ma sale al 25% per i minori. Questo è indirettamente confermato dal fatto che i 223 centri Ern accreditati sono per i 2/3 nelle regioni settentrionali, e ben 7 regioni non hanno iniziato le pratiche per accreditarne neanche uno. Il secondo, sui dati della transfrontaliera, che evidenzia come il nostro Paese abbia accolto oltre 8.200 persone nel quinquennio 2016/2020, contro le 180 che hanno dovuto recarsi all'estero per le cure.

Un Paese quindi, che pur viaggiando a due velocità, è fortemente attrattivo. Del resto, sono aumentate le malattie rare testate nei laboratori clinici italiani (cresciute di 1200 unità in un quinquennio e arrivando a sfiorare le 3000 patologie testate); crescono in percentuale gli studi clinici autorizzati per MR sul totale delle sperimentazioni cliniche (da 25,5% a 31,8%), tenendo anche conto che per la Fase I e II la percentuale arriva alla soglia del 50% (49,2%).

La rete e il sistema costruito sulle malattie rare reggono, pur in assenza di finanziamenti dedicati: quasi tutti gli indicatori sono in crescita, dalla formazione (32 FAD contro 6) alla copertura dei registri regionali, ai centri ERN accreditati in Europa, ai progetti di ricerca degli IRCCS (492, pari al 13,6% del totale), i percorsi diagnostico terapeutico assistenziali (+17 portando il totale a 320 a fine 2021). Dalla lettura emerge anche come la somministrazione di terapie avanzate e innovative sia localizzata in pochi centri italiani, aumentando la necessità di migrazione sanitaria (un dato fra tutti, quello dell'ATMP CAR-T, che ha visto la Regione Lombardia accogliere il 52,2% dei pazienti che hanno ricevuto il trattamento).

Da sottolineare, infine, il mancato aggiornamento del panel delle patologie da inserire nello screening neonatale esteso, che ha portato molte Regioni ad attivare progetti pilota per sopperire al ritardo. L'analisi dei dati aiuta a capire dove dovrebbero essere indirizzati i fondi del PNRR e altri finanziamenti che dovessero rendersi disponibili: necessario creare centri ad alta specializzazione, specialmente per le ATMP, e trovare il modo di supportare i pazienti negli spostamenti; aumentare la specializzazione, anche attraverso il passaggio di competenze, dei centri più vicini ai luoghi di residenza, con speciale riguardo alle regioni del meridione.

Nel recente bando di ricerca a valere sui fondi PNRR, 50 milioni dedicati alle malattie Rare, un tentativo in questa direzione è stato fatto vincolando il 40% dei fondi disponibili proprio alla partecipazione di centri del Sud; molto altro dovrà essere pensato e realizzato.

Il Governo. *“Vorrei approfittare ancora una volta, e non è mai abbastanza, per ringraziare UNIAMO per il lavoro inestimabile che svolge a beneficio non solo dei pazienti, ma anche delle Istituzioni. Sono grato per l’impegno che mette quotidianamente per sollecitare i decisori politici ad individuare gli interventi più adeguati per i malati rari, che hanno senz’altro esigenze specifiche legate alle singole patologie, ma ai quali vanno date risposte di salute e di assistenza comuni e condivise”*, ha scritto il sottosegretario alla Salute, **Pierpaolo Sileri**, nel messaggio inviato alla Federazione italiana malattie rare.

“Sono incoraggianti i dati che emergono dal Rapporto MonitoRARE su ricerca, formazione e informazione, accesso ai farmaci, inclusione e partecipazione delle persone con malattia rara. Ora è necessario mettere a terra quanto previsto nel Testo Unico e non solo: dal Piano Nazionale Malattie Rare, che è pronto e da adottare con accordo in Conferenza Stato Regioni, a tutti i bandi di ricerca per far avanzare la conoscenza sulle singole patologie, con ricadute sulle terapie e sulle diagnosi”, ha concluso Sileri.

UNIAMO. *“In Italia abbiamo raggiunto risultati importanti, come lo screening neonatale più esteso (quasi 50 patologie), un Piano nazionale in corso di rinnovamento, una legge. Tanto c’è però ancora da fare per garantire una maggiore integrazione sociale, una effettiva presa in carica di qualità delle persone con malattia rara, per portare anche in Europa quello che l’Italia ha già raggiunto come traguardo, in modo che ci sia una maggiore equità anche a livello europeo”*, ha commentato **Annalisa Scopinaro**, presidente di UNIAMO – Federazione Italiana Malattie Rare.

“In Italia si stima ci siano circa due milioni e duecentomila persone con malattia rara e se aggiungiamo anche le loro famiglie si raggiunge un numero veramente importante. Il Rapporto MonitoRare dimostra come in 5 anni più di 8000 persone sono venute a curarsi nel nostro Paese e solo 180 hanno effettuato un percorso inverso. Un’altra evidenza importante, che si evince sempre nel Rapporto di UNIAMO, è la necessità di migrazione, in Italia, da Sud verso Nord. Nello specifico, almeno il 17% delle persone con malattia rara necessita di spostarsi dal proprio domicilio per cercare un centro di competenza, necessità che sale al 25% nel caso si tratti di bambini”, ha concluso Scopinaro.

UFFICIO STAMPA UNIAMO Federazione Malattie Rare

Flaminia Serra cell. 379 1640188

comunicazione@uniamo.org - www.uniamo.org