

ÜNIAMO

Rari, mai soli



BILANCIO SOCIALE 2024

BILANCIO SOCIALE 2024



Alleanza Nazionale Eurordis
Rare Disease Italy



Coordinatore Nazionale
Rare Disease Day



2 milioni di persone con malattia rara.
UNIAMO, la loro voce

BILANCIO SOCIALE 2024

DATI SALIENTI

158

EVENTI PARTECIPATI DALLA FEDERAZIONE

RIUNIONI DEI TAVOLI ISTITUZIONALI

193

14

TAVOLI ISTITUZIONALI PARTECIPATI,
DIVISI IN 23 SOTTOGRUPPI

GRUPPI DI LAVORO E COMITATI
SCIENTIFICI

15

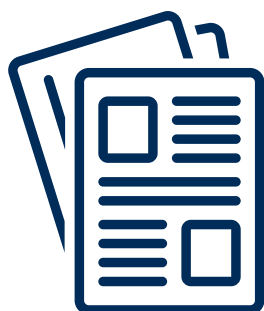


28 MILIONI DI PERSONE RAGGIUNTE
DURANTE LA CAMPAGNA PER LA
GIORNATA DELLE MALATTIE RARE

DATI SALIENTI



11 PROGETTI SEGUITI NEL 2024



6 EFFEMERIDI PUBBLICATE



OLTRE **100** ASSOCIAZIONI, FEDERATE E NON,
COINVOLTE ATTIVAMENTE NELL'ATTIVITÀ
DELLA FEDERAZIONE



€69.334,60 RACCOLTI GRAZIE A
DONAZIONI E EROGAZIONI LIBERALI

DATI SALIENTI



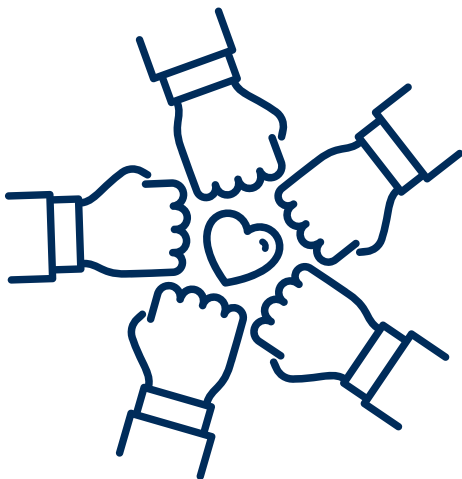
**FINANZIAMENTI DIRETTI ALLE
ASSOCIAZIONI FEDERATE**

€ 12.450



**FINANZIAMENTI ALLE ASSOCIAZIONI
FEDERATE ATTRAVERSO I BANDI**

€ 210.570



LE ORE DI VOLONTARIATO NEL 2024

€ 3.826

DATI SALIENTI

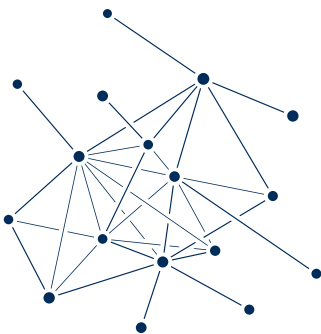
PRINCIPALI RICONOSCIMENTI NEL 2024:



La Campagna #UNIAMOleforze ha vinto il **Rare Disease Award**, promosso da Eurordis, nella categoria Media. La partecipazione a **Fantasanremo**, insieme a tutte le altre attività, ha sicuramente aumentato la visibilità delle malattie rare a tutti i livelli.



E' stata coniata una **moneta celebrativa** per i 25 anni di UNIAMO: il riconoscimento arriva dall'Istituto Poligrafico di Stato "per riconoscere l'importante lavoro della federazione a sostegno delle persone con malattie rare"



A luglio 2024 siamo stati riconosciuti **Rete Associativa** del Terzo Settore, avendo fra i propri aderenti più di 100 Associazioni.

INDICE

INTRODUZIONE

Premessa.....	10
Lo Scenario.....	13
Nota Metodologica.....	23

IDENTITÀ E MISSIONE

Identità: Informazioni Generali.....	27
La Missione, Valori e Strategie.....	35

STRUTTURA, GOVERNO E AMMINISTRAZIONE

Struttura.....	42
Gli Organi Sociali.....	44
Personale e Collaborazioni.....	47

STAKEHOLDERS E RETI

Stakeholders	53
Il Sistema di Reti di Uniamo.....	57

OBIETTIVI E ATTIVITÀ

Le attività di UNIAMO.....	64
Advocacy.....	66
Rapporto MonitoRare.....	76
La sensibilizzazione.....	80
Altre attività.....	89
La comunicazione.....	97

DIMENSIONE ECONOMICA E SOCIALE

Le Raccolte Fondi.....	102
Prospetti Economico-Finanziari.....	105

INTRODUZIONE



PREMESSA

Nel 2024 la Federazione ha raggiunto il suo **venticinquesimo anno** di attività. Nata nel 1999 dall'idea di 20 associazioni, nel 2024 con oltre 200 associazioni continua ad operare per la tutela e la difesa dei diritti delle persone con malattia rara e delle loro famiglie.

In occasione di questo importante anniversario l'Istituto Poligrafico e Zecca di Stato ha coniato una **moneta celebrativa** per UNIAMO, per la Collezione Numismatica della Repubblica Italiana 2024. La moneta, dal valore nominale di 5 euro, ha una tiratura di 7.000 pezzi e si presenta in versione Fior di Conio ed è stata presentata in occasione del Rare Disease Day, il 29 febbraio 2024.



La **campagna per la Giornata delle Malattie Rare** ha coperto tutto il mese di febbraio. La Federazione ha organizzato eventi di sensibilizzazione e conferenze stampa sul territorio italiano (nello specifico Roma, Milano, Bologna e Venezia) e ha supportate le Associazioni nell'organizzazione di altri eventi locali.

In collaborazione con l'**Istituto Superiore di Sanità**, la **newsletter RaraMente** ha proseguito le uscite quindicinali dedicate al mondo delle malattie rare e alle iniziative delle Associazioni.

La presentazione del **Rapporto MonitoRare** ha raggiunto la sua **decima edizione** nel 2024. Presentato il 3 luglio durante la Convention MonitoRare 2024, alla presenza di numerosi rappresentanti delle Istituzioni nazionali ed europee ed autorevoli componenti della comunità scientifica e delle Associazioni. Ad aprire i lavori i saluti del **Ministro per le Disabilità** Alessandra Locatelli e il **Sottosegretario di Stato alla Salute con delega alle malattie rare** Marcello Gemmato.

Nel corso dell'anno c'è stato un filo conduttore legato al tema **musica**:

- in occasione del Festival di Sanremo, la Federazione ha attivato una collaborazione con il **Fantasanremo**. Oltre 60.000 utenti hanno aderito alla Lega UNIAMO sull'app del famoso fantasy game. Inoltre nella serata duetti del venerdì gli artisti in gara e il conduttore Amadeus hanno mimato con le mani il simbolo della comunità rara globale.
- UNIAMO è stata partner del **Concerto del 1° maggio**, organizzato annualmente a Roma in occasione della Festa dei Lavoratori, nel 2024 si è tenuto a Circo Massimo. La Federazione ha avuto la possibilità di allestire uno stand nel Villaggio e, grazie alla collaborazione con Radio Aldel22, la web radio che vede protagonisti i ragazzi con malattia rara, ha intervistato artisti e influencer durante le prove.

Sono stati approfonditi, attraverso survey dedicate, alcuni aspetti specifici, quali la condizione lavorativa delle persone con malattia rara, l'utilizzo di integratori e nutraceutici, l'attenzione alla salute della donna, la diagnosi e la gestione delle malattie metaboliche rare.

ChiacchieRare ha continuato il suo percorso di miglior visibilità di patologie rare e ultrarare, attraverso un format leggero e di grande diffusione sui social.

Il percorso di **supporto alle Associazioni** è proseguito durante tutto l'anno, anche attraverso consulenze gratuite riguardo il passaggio al Runts, cambiamento nella forma giuridica e altro. Inoltre sono stati erogati oltre 12.500 euro di finanziamento per attivare o proseguire percorsi di supporto psicologico, con donazione alle singole Associazioni che ne hanno fatto richiesta. 9 Associazioni hanno potuto partecipare al bando Avviso2/2023 del Ministero del Lavoro e delle politiche sociali e altre 11 hanno partecipato all'analogo bando del 2024.

E' proseguita l'attività istituzionale della Federazione, con la partecipazione ai Tavoli, gruppi e coordinamento nei quali è presente un rappresentante nominato e con audizioni, invio di lettere e richieste di sostegno ed adesione ai rappresentanti politici.

La presenza dei Consiglieri a oltre 158 eventi (di persona e on line), con un totale di 412 ore impegnate, ha permesso di continuare ad aumentare la sensibilità sulle malattie rare.

L'attività dei gruppi di lavoro e tavoli ha riguardato 147 appuntamenti, per un totale di 320 ore dedicate.

PREMESSA

Il Piano strategico, incentrato su 4 grandi aree di attenzione (percorso diagnostico, presa in carico olistica, terapie accessibili e disponibili, sviluppo della ricerca e del ruolo dei pazienti), senza perdere di vista l'attività di supporto alle Associazioni e la sensibilizzazione/informazione, ha dato anche quest'anno le direttrici sulle quali impostare le progettualità federative.

Nel 2024 l'attività federativa è ulteriormente cresciuta, permettendo un consolidamento della posizione unica e leader nel mondo delle malattie rare. Non esistono, infatti, altre Federazione e/o Associazioni che possano eguagliare UNIAMO nel mondo rare. Inoltre sono state implementate le attività e la presenza in settori legati alle malattie rare da un punto di vista sociale: il terzo settore, l'area disabilità, l'area scuola/lavoro, la salute mentale.

Siamo certi che la lettura delle prossime pagine farà capire il grande impegno che la Federazione profonde per la tutela delle persone con malattia rara.

Il Consiglio Direttivo di UNIAMO al 31 dicembre 2024

12

Annalisa Scopinaro - Presidente (dal 13 aprile 2019, rinnovata 21 ottobre 2023)

Marco Sessa - Vice presidente (dal 26 novembre 2022, rinnovato 21 ottobre 2023)

Marcello Bettuzzi - Tesoriere (dal 16 ottobre 2021)

Barbara D'Alessio - Segretario (dal 26 novembre 2022)

Fabrizio Farnetani - consigliere (dal 5 ottobre 2019, rinnovato 21 ottobre 2023)

Verena Caetano da Silveira - consigliere (dal 26 ottobre 2024)

Patrizia Ceccarani - consigliere (dal 26 ottobre 2024)

A maggio 2024 si sono dimesse le consigliere Eva Pesaro e Rita Treglia. Nella prima Assemblea utile (quella di ottobre) sono state sostituite da Patrizia Ceccarani e Verena Caetano da Silveira.

LO SCENARIO

da MonitoRare - X Rapporto (2024) - UNIAMO

Sono anche quest'anno numerosi gli spunti di riflessione che emergono dalla lettura del rapporto "MonitoRare" e, come di abitudine, ben si prestano a successivi e più articolati approfondimenti. In queste prime pagine ci cimentiamo con l'arduo compito di provare a fare efficacemente sintesi della fotografia di questa decima edizione del rapporto con l'unico intento di offrire alla riflessione di tutti i portatori di interesse del settore delle malattie rare alcuni elementi che, più di altri, assumono, in questo momento, un ruolo strategico per il futuro dell'assistenza alle persone con malattia rara (PcMR) e alle loro famiglie a livello internazionale, nazionale e locale. Alcuni esempi dei punti di forza del sistema delle malattie rare in Italia che la decima edizione di MonitoRare conferma sono:

L'ACCESSIBILITÀ DEL FARMACO

- nel 2022 sono state erogate **11,4 milioni di dosi di farmaci orfani** (3 mln in più dell'anno precedente), vale a dire **appena lo 0,04% del consumo farmaceutico totale**;
- **la spesa per i farmaci orfani nel 2022 è stata pari a 1.982 milioni di €** con un'incidenza del **6,0% sul totale della spesa farmaceutica**;
- **il numero di farmaci per le malattie rare compresi nell'elenco della Legge n. 648/1996 è cresciuto dai 31 del 2018 ai 57 del 2023** (erano appena 13 nel 2012);
- **il numero di persone con malattia rara che hanno usufruito del fondo AIFA** (di cui alla Legge 326/2003, Art. 48) prosegue la discesa avviata nel 2021 arrivando nel **2023 a 149**, dopo aver assistito ad un aumento esponenziale negli anni precedenti, **passando dalle 20 persone del 2016 alle 1.361 del 2020**;
- ben 8 delle 18 Advanced Therapy Medicinal Product (ATMP) con approvazione europea (dato aggiornato ad agosto 2023), sono attualmente rimborsate in Italia, 9 ATMP sono in corso di valutazione e 4 non hanno ottenuto la rimborsabilità;

13

L'ACCESSO ALLE INFORMAZIONI

- sono **15 le Regioni/PPAA** che hanno **un sistema istituzionale di informazione specificatamente dedicato alle malattie rare**: oltre 9.000 le PcMR con le quali sono entrate in contatto nel 2023, alle quali si devono aggiungere le oltre 2.200 PcMR entrate in contatto con il Telefono Verde Malattie Rare del Centro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità (CNMR-ISS);

LO SCENARIO

LA FORMAZIONE

- il numero di corsi ECM dedicati alle malattie rare si assesta a **84** nel 2023 , (di cui 23, il 30%, con la presenza di un rappresentante di Uniamo fra i relatori) trend in continuo aumento (erano 49 del 2021); si registra positivamente un ritorno alla **formazione in presenza**;

DIAGNOSI, SCREENING NEONATALE E LABORATORI CLINICI

- a fine 2023 il **programma di screening neonatale esteso è attivo a pieno regime in tutte le Regioni/Province Autonome** e si può considerare raggiunta l'omogeneizzazione delle malattie metaboliche ereditarie inserite nei pannelli di screening a livello regionale ai sensi della Legge 167/2016. Più della metà delle Regioni/PPAA, inoltre, hanno ampliato, spesso nell'ambito di progetti sperimentali, il panel di malattie considerate anche ad alcune altre patologie;
- il DPCM 12 gennaio 2017 "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza" all'art. 38 garantisce a tutti i neonati le prestazioni necessarie alla diagnosi precoce della sordità congenita e della cataratta congenita. **A fine 2023 lo screening audiologico neonatale è attivo in tutto il territorio nazionale. Analogamente lo screening oftalmologico neonatale è attivo in tutto il Paese con la sola eccezione di due Regioni in cui è in via di attuazione;**
- **costante crescita nell'ultimo quinquennio del numero di malattie rare testate nei laboratori clinici italiani** considerati nel database di Orphanet che, a fronte della sostanziale stabilità del numero di laboratori (n=278), **aumentano di quasi 450 unità nel giro di 5 anni: da 2.282 nel 2018 a 2.723 nel 2023;**
- si consolida l'esperienza dei vari programmi implementati per le malattie senza diagnosi;
- è da ricordare, inoltre, che la legge di bilancio 2024 ha disposto a) l'**istituzione di un Fondo per i test Next-Generation Sequencing**, con una dotazione di 1 milione di euro per il 2024, per il potenziamento dei test di profilazione genomica) e b) il rifinanziamento, con 1 milione di euro per l'anno 2024, del Fondo istituito con la manovra 2022 per consentire il potenziamento e l'accesso ai test NextGeneration Sequencing di profilazione genomica dei tumori per i quali sono disponibili farmaci prescrittibili con significativi livelli di evidenza e appropriatezza;

LA QUALITÀ E LA COPERTURA DEI SISTEMI DI SORVEGLIANZA

- **aumenta la copertura dei registri regionali delle malattie rare (RRMR): la prevalenza stimata sulla popolazione delle persone inserite nei RRMR al 31.12.2022 sale a 0,83% (0,87% nei minori di 18 anni) dallo 0,30% della prima edizione del Rapporto MonitoRare nel 2015;**

- **i dati contenuti nei RRM** sono relativi a tutte le malattie rare di cui all'Allegato 7 del DPCM 12.01.2017: sulla base delle oltre 468.000 PcMR registrate nei RRM a fine 2022 (+ 43.000 unità rispetto all'anno precedente). Il gruppo più presente è quello delle **“Malattie del sistema nervoso centrale e periferico” con il 15,8%**, seguito dal gruppo **“Malformazioni congenite, cromosomopatie e sindromi genetiche” con il 15,3%** e dal gruppo **“Malattie del sangue e degli organi ematopoietici” con il 12,4%**. Tutti gli altri gruppi di patologie fanno registrare un peso percentuale sul totale minore del 10%;
- **molto significative le differenze per età: nei bambini/ragazzi il 39% delle malattie rare sono ascrivibili al gruppo delle “Malformazioni congenite, cromosomopatie e sindromi genetiche”,** il cui peso percentuale si riduce a poco più del 10% negli adulti per i quali la classe modale risulta, invece, essere il gruppo delle **“Malattie del sistema nervoso centrale e periferico” (di poco inferiore al 18%)**;
- **poco meno di 1 persona con malattia rara su 6 di quelle inserite nei RRM ha meno di 18 anni mentre circa una 1 su 3 ha più di 60 anni**;
- **rilevante il fenomeno della mobilità sanitaria:** la stima della mobilità fra Regioni sui dati dei RRM è pari al **20% nella popolazione complessiva** e arriva al **29% nei minori**;
- sulla base dei dati **attualmente** inseriti nei RRM il **numero di persone con malattia rara esenti** nel nostro Paese dovrebbe arrivare a superare le **585.000 unità**;
- secondo gli studi più recenti⁹, la prevalenza delle malattie rare sarebbe compresa tra il 3,5% e il 5,9% della popolazione a livello mondiale: **il numero complessivo di persone con malattia rara in Italia sarebbe di conseguenza compreso fra i 2,0 e i 3,5 milioni di persone, un dato di gran lunga superiore a quello delle sole PcMR esenti**;

LA RICERCA

- **stabile**, dopo il leggero aumento fatto registrare nell'anno 2021, **il peso degli studi clinici autorizzati sulle malattie rare sul totale delle sperimentazioni cliniche (30,6%)**. Gli studi clinici autorizzati sulle malattie rare nel 2023 si assestano a 187 dopo l'aumento del biennio precedente (erano 260 nel 2021 e 230 nel 2022);
- nel 2022 le **sperimentazioni cliniche sulle malattie rare in Fase I e II superano abbondantemente la soglia del 50% del totale (56,1%)**;
- relativamente alle sperimentazioni cliniche sulle malattie rare, **i principi attivi di natura chimica permangono prevalenti (5,5% del totale)**, in linea con l'anno precedente (56,5% nel 2022);
- gli **ATMP (Advanced Therapy Medicinal Products) risultano più diffusi nelle sperimentazioni cliniche sulle malattie rare (9,8%)** rispetto alla media complessiva (5,3%);

LO SCENARIO

- cresce, in valore assoluto, il numero di **progetti di ricerca sulle malattie rare con la presenza di gruppi di ricerca italiani** - che passano dai 900 del 2018 ai 1.131 del 2023 - ma, in termini percentuali, il dato conferma il trend decrescente dei cinque anni precedenti;

I CENTRI DI RIFERIMENTO

- sono **260 i centri di riferimento per le malattie rare** identificati da Regioni/PPAA (4,4 per 1 milione di abitanti) in crescita rispetto ai 235 del 2022 probabilmente per effetto dell'intervenuto recepimento dell'Accordo CSR n. 121 del 24 maggio 2023 sul documento "Riordino della Rete Nazionale Malattie Rare"; **80 di questi centri sono parte almeno di una ERN** (erano 66 fino a fine 2021);
- per quanto attiene all'**assistenza sanitaria transfrontaliera**, l'Italia si **caratterizza per un livello decisamente più elevato di mobilità attiva** - dato che si conferma in aumento anche nel 2022 con **19.737 pazienti in entrata (+35% rispetto al 2021)** - **rispetto alla mobilità passiva** (pazienti in uscita, 118 nel 2022);
- nel corso del 2023 sono stati approvati altri 33 **Percorsi Diagnostico Terapeutico Assistenziali (PDTA)** da parte di Regioni/PPAA (erano stati 12 nel 2022) portando il numero complessivo a oltre **320 PDTA** definiti a fine 2023;

16

L'ATTIVA PARTECIPAZIONE DELLE PERSONE CON MALATTIE RARE E DEI LORO RAPPRESENTANTI ASSOCIATIVI

- **718** il numero di **associazioni italiane di persone con malattia rara** (1,2 ogni 100.000 abitanti);
- **16 le Regioni/PPAA** che dichiarano di prevedere la **presenza dei rappresentanti delle associazioni delle persone con malattia rara negli organismi di partecipazione a livello regionale sulle malattie rare**;
- **3 rappresentanti delle persone con malattia rara sono componenti del "Centro di coordinamento sugli screening neonatali"** previsto dall'art. 3 della Legge n. 167 del 19 agosto 2016 "Disposizioni in materia di accertamenti diagnostici neonatali obbligatori per la prevenzione e la cura delle malattie metaboliche ereditarie";
- **un rappresentante delle persone con malattia rara è componente del centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali** previsto dalla Legge 11 gennaio 2018, n. 3 "Delega al Governo in materia di sperimentazione clinica di medicinali nonché disposizioni per il riordino delle professioni sanitarie e per la dirigenza sanitaria del Ministero della salute";
- **un rappresentante delle persone con malattia rara è stato individuato fra i componenti del Gruppo di Lavoro SNE**;
- **due rappresentanti delle persone con malattia rara sono stati individuati fra i componenti del Comitato Nazionale Malattie Rare**;

- **UNIAMO** figura anche, da luglio 2023, fra gli invitati permanenti dell'Osservatorio Nazionale sulla condizione delle persone con disabilità. Da ultimo, nell'autunno 2023, un rappresentante di **UNIAMO** è stato chiamato a far parte del **"Tavolo tecnico per l'analisi e la definizione di elementi utili per una legge statale sui caregiver familiari"** che si è insediato in data 17 gennaio 2024;

Da registrare positivamente anche il fatto che, a fine 2023, **sono 17 le Regioni/PPAA che hanno inserito il tema delle malattie rare nell'ambito degli strumenti generali di programmazione sanitaria** (vigenti o in via di approvazione nel 2023) o che hanno definito un Piano Regionale Malattie Rare.

Un altro importante segnale positivo per il mondo delle malattie rare viene dal processo di **implementazione del Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza che, non solo ha portato all'avvio della riforma finalizzata alla riorganizzazione della rete degli Istituti di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico (IRCCS), ma ha anche promosso il potenziamento delle attività di ricerca sulle malattie rare attraverso la realizzazione di due bandi di ricerca su base competitiva che hanno portato al finanziamento di n. 126 progetti (74 sulle malattie rare e 52 sui tumori rari) con un contributo di 100 milioni di euro.**



LO SCENARIO

L'altra faccia della medaglia è rappresentata dalle criticità che persistono, come i **tempi lunghi di attuazione dei provvedimenti relativi alle persone con malattia rara. Al riguardo è sufficiente ricordare quanto segue:**

- **il panel delle patologie oggetto di screening neonatale non è ancora stato oggetto di aggiornamento, rendendo di fatto ancora “inefficace” la Legge 30 dicembre 2018, n. 145** che aveva previsto l'allargamento dello screening neonatale alle malattie neuromuscolari di origine genetica, alle immunodeficienze congenite severe e a malattie da accumulo lisosomiale;
- **ad oggi buona parte dei provvedimenti attuativi delle misure specifiche previste dalla Legge n. 175/2021** - sostegno alla ricerca sulle malattie rare e allo sviluppo dei farmaci orfani e il fondo di solidarietà per il sostegno del lavoro di cura e assistenza delle persone affette da malattie rare - non è ancora stata approvata;
- **l'entrata in vigore delle nuove tariffe dell'assistenza specialistica ambulatoriale** previste dal Decreto del Ministero della Salute del 23 giugno 2023 - che ha, finalmente, recepito l'aggiornamento dei LEA previsti ancora dal DPCM del 2017 - **è stata differita al 1 aprile 2024 e, poi, da ultimo, rimandata ulteriormente al 1 gennaio 2025.**

Permangono, inoltre, ancora anche rilevanti disomogeneità territoriali nell'accesso ai servizi sanitari, socio-sanitari e sociali di cui sono esemplificazione:

- **l'eterogeneità nella distribuzione geografica degli ospedali italiani che partecipano alle ERN:** 7 Regioni/PPAA non hanno alcun centro di riferimento partecipante alle ERN e 2/3 degli ospedali che partecipano ad almeno una ERN si trova nelle regioni settentrionali. Si tratta di un aspetto non irrilevante anche alla luce del documento di riordino della Rete nazionale malattie rare e del potenziale ruolo, al suo interno, dei cd. “centri di eccellenza” (i centri di riferimento che partecipano alle ERN);
- la difficoltà di accesso alle cure come testimoniano i dati sulla **mobilità sanitaria**, soprattutto dei minori con malattia rara esente evidenziati dai RRMR;
- **le differenze riscontrabili nella distribuzione territoriale delle strutture sanitarie abilitate alla somministrazione delle ATMP** (0,7 centri per 1 milione di abitanti nelle Regioni del Sud vs. 1,4 al Nord);
- la mancata definizione dei Percorsi Diagnostico Terapeutico Assistenziali delle persone con malattia rara in alcuni territori e la diversità dei modelli adottati per la definizione;
- **l'ancora parziale copertura dell'intera popolazione delle persone con malattia rara esenti di alcuni dei Registri Regionali delle Malattie Rare.**

A questi aspetti si aggiunge anche un altro elemento di preoccupazione legato alla tenuta economica del sistema con particolare riferimento alla sostenibilità economica delle ATMP che pone seriamente a rischio, per le persone con patologie rare e ultra-rare, l'accesso a cure che hanno dato prova di enorme vantaggio clinico.

L'intervenuta approvazione del **Piano Nazionale delle Malattie Rare 2023 - 2026** in data 24 maggio 2023, rappresenta, da un lato un **importante traguardo** (anche per l'attenzione dedicata in maniera molto più ampia rispetto al precedente piano al tema dei trattamenti, farmacologici e non), da lungo atteso dalla comunità delle PcMR, ma al tempo stesso rappresenta un nuovo punto di partenza per altri, importanti, obiettivi - ben 77 - da raggiungere attraverso l'implementazione delle azioni previste (n=115).

- Ad oggi, **tutte le Regioni/PPAA, con una sola eccezione, hanno provveduto a recepire con proprio atto formale il “Piano Nazionale Malattie Rare 2023 - 2026” e il documento per il “Riordino della rete nazionale delle malattie rare”**

Sono, però, solo 16 le Regioni che hanno già provveduto, generalmente entro il termine previsto del 31 gennaio 2024 **all'individuazione di centro di coordinamento regionale, centri di riferimento e centri di eccellenza per le malattie rare** in accordo ai contenuti del documento di riordino della rete nazionale malattia rare.

19

Infine, sono ad oggi appena 6 (su 16, in quanto dal riparto sono escluse le Regioni a Statuto Speciale e le Province Autonome con la sola eccezione della Sicilia) le Regioni che hanno già provveduto ad **impegnare con atto formale le risorse assegnate per l'anno 2023** per l'attuazione del “Piano nazionale malattie rare 2023-2026” e del documento “Riordino della rete nazionale delle malattie rare”. Ad oggi quindi risultano già formalmente impegnati poco più di 1/4 delle risorse - 25 milioni di euro - rese complessivamente disponibili per l'anno 2023 a sostegno dell'attuazione del PNMR 2023-2026; non solo dall'esame dei primi relativi provvedimenti si possono già evidenziare alcuni segnali di criticità legati ai limiti della frammentazione osservata nella distribuzione delle risorse e alla dispersione delle risorse su più obiettivi.

Ad un anno dalla sua approvazione, il PNMR 2023-2026 sembra, di fatto, essere ancora ai nastri di partenza ma le azioni intraprese di recepimento del PNMR e di individuazione dei centri da parte delle Regioni/PPAA sono, di fatto, prodromiche alla sua piena implementazione: ora serve l'impegno di tutti per mettere a terra le numerose e articolate previsioni contenute nel Piano.

• **L'ATTIVA PARTECIPAZIONE DELLE PERSONE CON MALATTIE RARE E DEI LORO RAPPRESENTANTI ASSOCIATIVI**

- sale a **718** il numero di **associazioni italiane di persone con malattia rara** (1,2 ogni 100.000 abitanti); di queste molte, ad oggi, non sono ancora transitate nel sistema del RUNTS. La Federazione sta attivamente coinvolgendole e sostenendole anche attraverso i propri consulenti per poter effettuare, laddove richiesto, questo passaggio fondamentale per la continuazione delle attività.
- **15 le Regioni/PPAA** che dichiarano di prevedere la **presenza dei rappresentanti delle associazioni delle persone con malattia rara negli organismi di partecipazione a livello regionale sulle malattie rare**; la Federazione ha propri rappresentanti diretti in Sicilia, Lombardia, Abruzzo, Lazio, Liguria; indirettamente in Toscana (attraverso il Forum Toscano MR) e in Campania (partecipando alla cabina istituita fra Forum Campano MR, Cittadinanzattiva Campania e UNIAMO).
- **3 rappresentanti delle persone con malattia rara sono componenti del "Centro di coordinamento sugli screening neonatali"** previsto dall'art. 3 della Legge n. 167 del 19 agosto 2016 "Disposizioni in materia di accertamenti diagnostici neonatali obbligatori per la prevenzione e la cura delle malattie metaboliche ereditarie"; uno di questi, in rappresentanza di UNIAMO, è Alessandro Segato.
- **un rappresentante delle persone con malattia rara è componente del centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali** previsto dalla Legge 11 gennaio 2018, n. 3 "Delega al Governo in materia di sperimentazione clinica di medicinali nonché disposizioni per il riordino delle professioni sanitarie e per la dirigenza sanitaria del Ministero della salute"; il ruolo è attualmente ricoperto da Tommasina Iorno, past president di UNIAMO.
- **un rappresentante delle persone con malattia rara è stato individuato fra i componenti del Gruppo di Lavoro SNE** (il ruolo è stato affidato ad Annalisa Scopinaro);
- **due rappresentanti delle persone con malattia rara sono stati individuati fra i componenti del Comitato Nazionale Malattie Rare**: Annalisa Scopinaro in rappresentanza di UNIAMO e Simona Bellagambi in rappresentanza di EURORDIS.

• DA REGISTRARE POSITIVAMENTE

Da registrare positivamente anche il fatto che, a fine 2022, sono **16 le Regioni/PPAA che hanno inserito il tema delle malattie rare nell'ambito degli strumenti generali di programmazione sanitaria** (vigenti o in via di approvazione nel 2022) o che hanno definito un Piano Regionale Malattie Rare.

• CRITICITÀ

L'altra faccia della medaglia è rappresentata dalle criticità, alcune delle quali accennate anche sopra, che persistono, come i tempi lunghi di attuazione dei provvedimenti relativi alle persone con malattia rara e le disomogeneità territoriali nell'accesso ai servizi sanitari, socio-sanitari e sociali di cui sono esemplificazione:

- la disomogeneità nella distribuzione geografica degli ospedali italiani che partecipano alle ERNs: 7 Regioni/PPAA non hanno alcun centro partecipante alle ERNs e 2/3 degli ospedali che partecipano ad almeno una ERN si trova nelle regioni settentrionali. Si tratta di un aspetto non irrilevante anche alla luce del documento di riordino della Rete nazionale malattie rare e del potenziale ruolo, al suo interno, dei cd. "centri di eccellenza" (i centri di riferimento che partecipano alle ERNs);
- la disomogeneità nella distribuzione geografica dei centri idonei a prescrivere le terapie avanzate (ATMP);
- il problema di mancata sostenibilità economica delle ATMP che pone seriamente a rischio, per le persone con patologie rare e ultra-rare, l'accesso a cure che hanno dato prova di enorme vantaggio clinico;
- la difficoltà di accesso alle cure come testimoniano i dati sulla mobilità sanitaria, soprattutto dei minori con malattia rara esente evidenziati dai RRMR;
- l'ancora incompleta attivazione dello screening neonatale esteso di cui alla Legge n. 167/2016 e il mancato aggiornamento del pannello delle patologie da includere;
- la mancata definizione dei provvedimenti attuativi delle misure specifiche di sostegno alla ricerca sulle malattie rare e allo sviluppo dei farmaci orfani e del fondo di solidarietà per il sostegno del lavoro di cura e assistenza delle persone affette da malattie rare previsti dalla L. n. 175/2021;

LO SCENARIO

- la mancata definizione dei Percorsi Diagnostico Terapeutico Assistenziali delle persone con malattia rara in alcuni territori e la diversità dei modelli adottati per la definizione;
- l'ancora parziale copertura dell'intera popolazione delle persone con malattia rara esenti di alcuni dei Registri Regionali delle Malattie Rare.

L'intervenuta recente approvazione del **Piano Nazionale delle Malattie Rare 2023 - 2026**, sopra ricordata, rappresenta, da un lato un importante traguardo (anche per l'attenzione dedicata in maniera molto più ampia rispetto al precedente piano al tema dei trattamenti, farmacologici e non), da lungo atteso dalla comunità delle PcMR, ma al tempo stesso rappresenta **un nuovo punto di partenza che richiede ora di essere declinato operativamente individuando il sistema di responsabilità, i tempi di realizzazione, le risorse necessarie e i risultati attesi da "MonitoRare" nel tempo.**



NOTA METODOLOGICA

Motivazioni – obiettivi della realizzazione del Bilancio Sociale

Gli obiettivi della Federazione per la stesura del bilancio sociale sono molteplici, ma tutti accumulati dall'esigenza di rendere conto, in maniera trasparente e diffusa, a quanti ne hanno interesse e diritto del grado di perseguimento della propria missione sociale.

Speriamo, con questo strumento, di offrire ai lettori gli strumenti per valutare:

- l'efficacia dei risultati sociali ottenuti
- l'efficienza dell'attività, non sempre misurabile in termini di costi-benefici di tipo economico soprattutto per un'organizzazione senza scopo di lucro
- l'effettivo perseguimento della missione
- le relazioni e i rapporti con tutti i portatori di interesse e la capacità di comunicare con essi, ponendo particolare attenzione alla qualità dello scambio

Percorso di rendicontazione sociale

Data la mole delle attività della Federazione, non è sempre facile esplicitare la rendicontazione sociale. Questo è il nostro quinto bilancio sociale: il primo è stato realizzato per l'anno 2010/2011, gli altri nel 2021 e 2022.

Sempre di più la Federazione rende esplicita la sua azione e misura i risultati degli sforzi quotidiani.

23

Relazione tra bilancio sociale e altri strumenti

Il bilancio sociale si integra in maniera organica con gli strumenti di programmazione e di amministrazione che la Federazione utilizza nel suo lavoro.

Mission, strategia, obiettivi e rendicontazione (il bilancio finanziario corredato dalla nota esplicativa) ne fanno parte integrante.

Principi utilizzati per la redazione

Per la redazione del presente bilancio sociale sono stati seguiti i principi enunciati nelle linee Guida del Ministero del Lavoro e delle Politiche sociali approvate con il Decreto del 4 luglio 2019, pubblicato in Gazzetta ufficiale n. 186 del 09/08/2019 (Adozione delle Linee Guida per la redazione del bilancio sociale degli enti del Terzo Settore).

NOTA METODOLOGICA

Periodo di riferimento della rendicontazione

Il periodo di riferimento è l'anno fiscale, dal 1° gennaio al 31 dicembre. In alcuni casi sono state aggiunte, per completezza di informazione, anche alcune note sull'anno precedente o successivo.

Ampiezza della rendicontazione

Nell'ambito del periodo considerato sono state prese in considerazione le attività / iniziative sviluppate su tutto il territorio nazionale e le collaborazioni europee.

Processo di elaborazione del bilancio sociale e coinvolgimento degli stakeholder interni ed esterni

Abbiamo coinvolto la struttura operativa, i volontari e i membri del Consiglio Direttivo per la raccolta dei dati e delle informazioni; la Presidente Annalisa Scopinaro ha coordinato la raccolta, collazionato le informazioni, e elaborato la strutturazione metodologica.

I consulenti esterni, collaboratori sui progetti realizzati nell'anno, sono stati chiamati ad esprimere un parere sulla congruità e la completezza delle informazioni presentate.

Piano di comunicazione del Bilancio sociale

Il bilancio sociale verrà pubblicato in formato sfogliabile sul sito della Federazione, oltre che inviato ai nostri stakeholders istituzionali.

Ne verrà inoltre data notizia sui social.

Le copie cartacee saranno inviate ai Soci come lo scorso anno .

Obiettivi di miglioramento per le prossime edizioni

Il bilancio sociale richiede una raccolta sistematica dei dati, che è stata messa a punto in questi anni. Siamo consapevoli che sia un lavoro molto impegnativo; lo sforzo dei prossimi anni sarà di rendere sempre più fruibili le informazioni anche attraverso un sunto e infografiche.

IDENTITÀ E MISSIONE



#UNIAMOLAVOCE

RadioAid122

IDENTITÀ: INFORMAZIONI GENERALI

UNIAMO F.I.M.R. è un'Associazione di Promozione Sociale (APS) iscritta al Registro Nazionale del Terzo Settore (RUNTS).

Fondata nel luglio 1999 grazie alla volontà di 20 associazioni di pazienti con l'obiettivo primario di **migliorare la qualità di vita delle persone colpite da malattia rara**, attraverso l'attivazione, la promozione e la tutela dei diritti vitali dei malati rari, nella ricerca, nella bioetica, nella salute, nelle politiche sanitarie e socio-sanitarie.

Opera non solo nell'interesse dei pazienti ma anche dei medici, dei ricercatori e delle istituzioni attraverso un'attività critica che per questo diventa indispensabile.

La sede è a Roma; il Consiglio Direttivo conta 7 consiglieri, le associazioni affiliate a fine 2024 erano 179. L'organo di controllo è composto da 1 persona nominata in Assemblea. Le fonti di finanziamento sono quote, contributi, donazioni, progetti finanziati da enti pubblici e aziende private.

A fine 2024 le persone assunte erano tre, tutti contratti indeterminati. Quattro professionisti hanno collaborato al Servizio SAIO. Una volontaria segue alcune specifiche attività amministrative in maniera continuativa. Un'altra volontaria si occupa dei rapporti con Eurordis e in generale dell'attività estera. Quattro volontari seguono altrettanti Tavoli di lavoro a nome di Uniamo.

È registrata al RUNTS dal 2022. Precedentemente era iscritta al **Registro Nazionale delle APS** (n. 102) e **Onlus di diritto** (ai sensi dell'art.4, comma 2 del DM 18 luglio 2003, n. 266). **Da luglio 2024 ha ottenuto il riconoscimento di Rete del Terzo Settore.**

In Italia rappresenta la comunità delle **persone con malattia rara, oltre due milioni** di persone, per un totale di oltre **8000 patologie rare**, con i seguenti riconoscimenti:

- **dal 2007** - Legittimazione ad agire per la tutela giudiziaria delle persone con disabilità, vittime di discriminazioni ai sensi del Decreto 21 giugno 2007, art. 4 c.2. della Presidenza del Consiglio dei Ministri
- **dal 2010** - ha acquisito la Personalità Giuridica registrata presso la Prefettura di Roma (n. 726/2010) ai sensi del DPR 361/2000
- **dal 2012** - ha ottenuto il riconoscimento di Evidente funzione sociale ai sensi delle leggi n.476 del 1897 e n. 438 del 1998 dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali

UNIAMO è **Alleanza Nazionale di EURORDIS-Rare Diseases Europe** (l'organizzazione europea che raggruppa oltre 1000 organizzazioni di malati in 70 paesi in rappresentanza di oltre 30 milioni di pazienti).

Dal 2005 è componente in EURORDIS sia del Consiglio Direttivo che del Consiglio delle Alleanze (CNA), per il tramite di Simona Bellagambi.

Partecipa a progetti europei: Rapsody, Polka, Europlan, Burql, Rare Impact, Rare 2030 per Eurordis, Eurogentest ed Euorphan, Recon4IMD, Erasmus.

Entra nel 2008 a far parte del CNAMC di Cittadinanzattiva.

Dal 2008 coordina per l'Italia la giornata delle malattie rare promossa da EURORDIS che viene celebrata ogni anno l'ultimo giorno di Febbraio.

IDENTITÀ E MISSIONE

Incontra regolarmente membri del Parlamento, stende emendamenti, partecipa alle consultazioni pubbliche europee sulle malattie rare, redige proposte ed opinioni.

Ha collaborato alla stesura del Libro Verde del Ministro Sacconi, del Piano Nazionale Malattie Rare, del Testo Unico di Legge sulle Malattie Rare approvato a novembre 2021.

È parte attiva nei tavoli istituzionali dedicati alle Malattie Rare nelle Regioni Lombardia, Abruzzo, Lazio, Campania, Calabria, Liguria, Marche, Sicilia e Veneto.

Nel luglio 2009 firma un patto d'intesa, rinnovato nel 2014, finalizzato alla realizzazione di un progetto triennale per la formazione sulle Malattie Rare dei MMG e dei PdLS in collaborazione con le società scientifiche SIM, SIP, SIMGePeD e SIGU, e le federazioni FIMMG e FIMP e realizzato grazie al sostegno economico di FARMINDUSTRIA: **Conoscere per Assistere** ha proseguito la sua formazione per quasi 7 anni, toccando tutte le Regioni italiane.

Nel luglio 2010, fino al 2015 e poi di nuovo dalla fine del 2023, viene nominata membro dell'Osservatorio sulla condizione delle persone con disabilità, ai sensi della Legge 3 marzo 2009, n. 18.

Nel novembre 2010 organizza la conferenza italiana del Progetto Europeo **EUROPLAN “The European Project for Rare Diseases National Plans Development”**, che ha riunito tutti i principali attori del settore per un momento di approfondimento sullo stato dell'arte delle Malattie Rare in Italia e di valutazione sulla trasferibilità della Raccomandazione del Consiglio Europeo e delle Raccomandazioni di Europlan. Il documento finale della Conferenza è stato conglobato quasi interamente nel Piano Nazionale per le Malattie Rare approvato per il triennio 2013 - 2016.

Con lo stesso format e sempre supportata da EURORDIS, si è tenuta la terza Conferenza (Febbraio 2018) all'interno della Joint Action Europea RD-ACTION (2015-2018), in cui i partecipanti si sono confrontati su tre priorità individuate come le più pressanti da affrontare: le ERN - Reti Europee di Riferimento e i Centri di competenza, i PDTA – Percorsi Diagnostico Terapeutico Assistenziali e l'integrazione delle malattie rare nelle Politiche e nei Servizi Sociali (il report finale è consultabile su <http://www.rd-action.eu/europlan-rd-national-plans-conferences-reports/>).

Nel dicembre 2010 ha definito alla fine di un percorso formativo con i rappresentanti delle Associazioni federate il **“Modello Assistenziale ideale dei pazienti affetti da patologia rara”**.

Nel febbraio 2011 sigla un Patto d'Intesa con l'Ospedale Bambino Gesù per il progetto “Costruzione di percorsi diagnostico-assistenziali per le malattie oggetto di screening neonatale allargato”.

Dal 2015 pubblica **MonitoRare**, il rapporto sulla condizione di vita delle persone con malattia rara, arrivato nel 2023 alla IX edizione. Il Rapporto può contare ogni anno sul contributo di dati da parte di: Ministero della Salute, Centri di coordinamento regionale per le Malattie Rare, AIFA, Centro Nazionale Malattie Rare dell'Istituto Superiore di Sanità, Ministero dell'Istruzione, Presidenza del Consiglio dei Ministri, Orphanet, Fondazione Telethon, Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare, Società Scientifiche e tanti enti altri che ogni anno si aggiungono.

Sempre dal 2015, comincia a diffondere in Italia il **Play to Decide**, un gioco-dibattito certificato dalla Commissione Europea realizzato per conoscere, discutere e decidere sui temi caldi del biotech, della scienza e della medicina, dal forte impatto individuale e sociale per le loro implicazioni etiche, scientifiche ed economiche. Nel 2018 il gioco sullo Screening Neonatale Esteso è stato completamente rinnovato e aggiornato da UNIAMO, grazie al supporto scientifico di Sara Casati, bioeticista.

Il 20 febbraio 2015 firma il "**Patto di intesa a favore della cura e della ricerca dei bambini e delle persone con malattia rara**", di concerto con Regione Puglia, l'Università e il Politecnico di Bari, l'Università di Foggia e quella del Salento, la libera Università del Mediterraneo Jean Monnet, la FIMMG (Federazione Italiana Medici di Medicina Generale), la SMI (Sindacato Medici Italiani), ARTI Puglia, H Bio, l'Azienda Università Policlinico di Bari, l'A.Re.S Puglia.

A giugno 2016 stipula un Protocollo di Intesa per la realizzazione di attività di comunicazione e di promozione in tema di salute e prevenzione con **Eiphas, European Institute Prevention Health Analysis Security**.

A settembre 2016 stipula un **accordo di collaborazione con UMANA**, agenzia interinale, per promuovere l'integrazione delle persone disabili affette da malattia rara e realizzare percorsi di accompagnamento al lavoro individualizzati.

A dicembre 2019 stipula un **Protocollo di Intesa con la Rivista Diagnosi & Terapia (D&T)**, per un'opera di divulgazione mirata alla diffusione delle tematiche sanitarie e psicologico-sociali che riguardano le persone con malattie rare e i loro familiari e per la realizzazione di progetti di informazione e formazione degli operatori.

A febbraio 2020 stipula un accordo con l'**Agenzia DIRE**, per la pubblicazione sulla rivista on line di articoli sulla sezione "La voce del terzo settore".

A ottobre 2020 stipula un accordo di collaborazione scientifica con l'**Istituto Superiore di Sanità**, per la realizzazione di iniziative comuni verso la comunità delle persone con malattia rara e tutti gli altri attori di sistema.

A giugno 2021 entra nel Consiglio Nazionale del Terzo Settore, in qualità di rappresentante delle reti associative.

Nel 2021 ha collaborato con **StartMag**, con la pubblicazione di alcuni articoli e la copertura in qualità di media partner di diversi eventi.

A luglio 2021 stipula un accordo di collaborazione triennale con **Rai Com S.p.A** per la promozione delle iniziative UNIAMO e delle Associazioni federate sui canali di Rai Pubblica Utilità.

Il 7 aprile 2021 stipula un protocollo di intesa con la **SIPPED - Società Italiana di Psicologia Pediatrica**.

IDENTITÀ E MISSIONE

L'11 febbraio 2022 stipula un protocollo d'intesa con **FAVO - Federazione Italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia**, realtà con la quale UNIAMO ha realizzato iniziative istituzionali concordate.

Il 30 settembre dello stesso anno stipula l'ultimo protocollo d'intesa con **Special Olympics Italia Onlus**.

A dicembre 2023 UNIAMO stipula un accordo con **Rai Pubblica Utilità** per la fornitura dati di pubblica utilità fino al 2026.

L'attività di **advocacy** della Federazione è condotta attraverso il continuo confronto con le istituzioni politiche, la stipula di patti e protocolli di intesa, le relazioni con tutti gli stakeholder del settore e la partecipazione istituzionalizzata a: Tavoli e gruppi di lavoro, Comitati tecnici e scientifici, Coordinamenti Regionali per le malattie rare e conferenze ed eventi periodici.

A sostegno di ciò, UNIAMO svolge un ruolo attivo di rappresentanza dei pazienti in moltissimi tavoli istituzionali:

- Comitato Nazionale Malattie Rare
- Gruppo di lavoro per l'ampliamento del panel dello screening neonatale esteso (SNE)
- Coordinamento nazionale SNE
- Coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali
- Coordinamenti regionali malattie rare delle regioni: Sicilia, Abruzzo, Lombardia, Toscana, Liguria, Lazio, Calabria.
- Osservatorio Sperimentazioni Cliniche Regione Lombardia
- Rete interaziendale Malattie Rare Bologna
- Tavolo Tecnico sulle modalità di attuazione della valutazione multidimensionale ed elaborazione del progetto individuale (attivo per il 2023, chiuso a settembre)
- Tavolo Misto Permanente della Partecipazione Policlinico Tor Vergata
- Tavolo Tecnico nell'ambito della Rete Regionale Malattie Rare
- Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali di uso umano e sui dispositivi medici
- Gruppo di lavoro sulla questione della violenza contro le donne con disabilità
- Osservatorio Nazionale sulla condizione delle persone con disabilità

Numerosi sono anche i Comitati e Gruppi di lavoro nei quali la Federazione porta il suo contributo.

Nel 2020 ha anche partecipato al Gruppo di Lavoro per l'implementazione delle tecniche omiche nella pratica clinica istituito presso il Consiglio Superiore di Sanità; nel 2023/4 ha partecipato ad un gruppo di lavoro per emanare "Raccomandazioni di buona pratica sulla diagnosi prenatale genetica in feti con condizioni patologiche riscontrate in epoca avanzata di gravidanza" con SIGU-Citogenomica, Genetica Prenatale e Riproduttiva; Genetica Clinica; Scienze Omiche; SIGU- Sanità, SIEOG, UNIAMO

I PRINCIPALI PROGETTI IN 20 ANNI



2024 Osservatorio NU.RA.: progetto di UNIAMO, realizzato con l'obiettivo di promuovere la conoscenza del vissuto e percepito di pazienti e familiari con Malattie rare, in real world evidence, relativamente alla loro esperienza con i Nutraceutici affinché venga valutato e garantito il profilo di sicurezza.



2024 JARDIN: progetto triennale di riferimento europeo, cofinanziato dall'Unione Europea e dagli Stati membri nell'ambito del programma EU4Health, progettato per aumentare l'impatto delle ERN e migliorare l'integrazione nei sistemi sanitari.



2023 S.M.A.R.T. Sviluppare i Modelli di Assistenza per i Rari nel Territorio : progetto finanziato dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali. Si sviluppa principalmente all'interno delle iniziative funzionali al raggiungimento dell'obiettivo di sviluppo sostenibile n. 3 "per assicurare la salute e il benessere per tutti e per tutte le età" dell'Agenda ONU 2030.



2023 RiUniamoCI: Respiriamo Insieme e UNIAMO: Collaborazione Integrata per le malattie rare. Il progetto ha l'obiettivo di dare supporto ai caregiver e alle persone con fibrosi polmonare idiopatica nella gestione delle problematiche relative alla patologia, da un punto di vista extra-clinico, assistenziale, legale, fiscale e previdenziale.



2023 Recon4IMD: progetto finanziato dall'Unione Europea con l'obiettivo di accelerare il percorso diagnostico delle malattie metaboliche, con focus sulle lisosomiali.



2023 Donne, Salute e Rarità: progetto di sensibilizzazione che intende riportare l'attenzione sulla medicina di genere e sulla necessità di prestare attenzione alla salute della donna in quanto colonna portante della società e per la sua importanza cruciale nel tema sanità.



2023 WomenInRare: progetto di approfondimento, conoscenza e sensibilizzazione sulla condizione delle donne nelle malattie rare.



2023 T@lent Hub: progetto cofinanziato da Fondazione CR Firenze, nato per facilitare ed innovare l'incontro tra la domanda lavorativa delle persone con disabilità sia cognitive che fisiche che vivono in provincia di Firenze, Arezzo e Grosseto e l'offerta lavorativa presente sul mercato



2023 UNIAMO Academy. Nel 2023 è stata strutturata sotto un unico logo la formazione della Federazione. E' stato lanciato un corso su Ricerca e Sperimentazioni cliniche che ha avuto più di 80 iscrizioni.



2023 Pro4All, teso a valorizzare l'apporto dei pazienti attraverso lo sviluppo di Pros e Prems.



2022 RINGS Sequenziamento del genoma del neonato per individuare malattie genetiche rare: progetto cofinanziato da Regione Lombardia, coordinato da Fondazione Telethon e svolto in partenariato con l'ASST Papa Giovanni XXIII, Bergamo e UNIAMO. L'iniziativa ha lo scopo di valutare la fattibilità dell'utilizzo della tecnologia Whole Genome Sequencing (WGS) nello screening neonatale.



YOUTH
COURAGE

2022 Youth with Courage / The value of facing school: progetti Erasmus+ cofinanziati dall'Unione Europea dedicati rispettivamente alla diffusione di testimonianze di persone con malattia rara e alla realizzazione di strumenti per insegnanti di studenti con malattia rara.



Servizio di Ascolto, Informazione e Orientamento per le malattie rare (dal 2017): supporto psicologico, informativo e di orientamento legale gratuito, rivolto a persone affette, familiari, caregiver e Associazioni, svolto da personale qualificato che opera anche in sinergia con le helpline istituzionali ed europee per le malattie rare e che si avvale - per l'area legale - anche del supporto di Pro Bono Italia.

2021 Tavolo di lavoro sulle **terapie avanzate e innovative**

2021 Tavolo di lavoro sul **Regolamento Europeo Farmaci Orfani**

2021 Premio **Rare Disease Award** nell'ambito del Forum Sistema Salute

2021 La **Compliance fra Associazioni e Aziende farmaceutiche**: sviluppo di un consensus paper



2020 **Rari&Smart** una piattaforma digitale dedicata alle Associazioni. All'interno si possono trovare servizi di consulenza, condividere notizie su propri progetti e iniziative, letteratura scientifica e documenti di posizione, per promuovere una azione sempre più trasversale e di rete.

32



2020 **Chiacchierare**, un format innovativo di presentazione delle Associazioni e delle patologie tutelate, con il supporto di clinici di riferimento. Le puntate sono trasmesse in diretta Facebook e rese disponibili sul canale YouTube della Federazione.



2020 **Rare2030**: progetto Europeo che ha individuato gli scenari auspicabili per le politiche sulle malattie rare nel decennio 2020-2030 (dal 2019 al 2021)



2019 **IntegRare** l'assistenza sanitaria e sociale: progetto finanziato dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali.



2019 **RareImpact**: progetto Europeo di analisi sulle terapie avanzate e innovative: punti di criticità, possibili soluzioni.



2018 **NS2 Nuove Sfide per Nuovi Servizi**: Il progetto ha sviluppato sul territorio nazionale incontri sui diritti esigibili e sulla presa in carico della persona con malattia rara; formazione sugli operatori delle help line; open day nei centri screening, incontri di supporto fra persone con malattia rara. Nell'ambito del progetto sono state sviluppate la consensus paper sulle Help Line Istituzionali e la position paper sullo screening neonatale esteso.



2018 **Vociferare**: finanziato da Fondazione con il Sud, il progetto ha promosso interventi di sensibilizzazione, formazione, accompagnamento e comunicazione per favorire l'azione delle organizzazioni dei pazienti e migliorare la situazione dei malati rari nelle regioni del Sud attraverso un processo di empowerment individuale, organizzativo e di comunità.



2017 **Social Rare**: finanziato dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali, anno 2016, ha migliorato le conoscenze sul tema delle tutele sociali e dell'abitare sociale per le persone con malattia rara e gravi disabilità, favorendo la conoscenza delle opportunità offerte dalla approvazione della L. 112/2016 "Disposizioni in materia di assistenza in favore delle persone con disabilità grave prive del sostegno familiare". A fine percorso è stato pubblicato un volume con le istanze per il miglioramento della legge, compilato anche grazie alla collaborazione con il Consiglio Nazionale del Notariato.



2016 **RINGS - Rare Information Network Generating Solutions**.

Lo sviluppo di una piattaforma di videoconsulto per la comunità delle persone con malattia rara.



2009/2017 **Conoscere per Assistere**: segni e sintomi per le malattie rare.

2014 **Determinazione Rara**: finanziato dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali. Il progetto ha sviluppato un importante percorso formativo di grande respiro che ha previsto 3 sessioni principali (ciascuna di un giorno e mezzo), articolate in 6 tappe, in calendario dall'8 novembre 2013 fino ad aprile 2014 sulle nuove frontiere della ricerca.



2014 **Carosello**: finanziato dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali, anno 2013, finalizzato a sviluppare un percorso di empowerment delle persone con malattia rara e dei loro rappresentanti associativi che, muovendo da una preliminare analisi degli assetti istituzionali e organizzativi dei servizi per persone con malattia rara nelle diverse regioni, favorisca la formulazione di proposte per il miglioramento delle reti

regionali di assistenza per promuovere l'equità di accesso ai servizi sanitari, socio-sanitari e sociali e favorire, di conseguenza, la piena inclusione sociale delle persone con malattia rara.



2013 **Attivamente insieme per la ricerca**: è un'iniziativa che nasce per rispondere al forte bisogno di conoscenza sulla sperimentazione e ricerca scientifica rilevato da precedenti progetti federativi ma soprattutto per costruire degli spazi di empowerment reciproco e di confronto diretto tra associazioni e professionisti della ricerca e della sua governance, nei luoghi stessi della ricerca (biobanche, fondazioni, laboratori...).



2011 **Diaspro Rosso**: la creazione di un modello di rilevazione dei costi sociali conseguenti ad una malattia rara. Ha esitato in una valutazione dei costi medi per le famiglie con una persona con malattia rara.



2010/2011 **Il Codice di Atlantide**, progetto cofinanziato dal MLPS (anno 2008), in partnership con Fondazione Telethon, per la promozione di una cultura di ricerca sulle malattie rare e la costruzione di una rete tra ricercatori e pazienti, ascoltando priorità di ricerca emergenti da bisogni di questi ultimi.



2010 **Momo - L'empowerment che fa la differenza**, progetto cofinanziato dal Ministero del lavoro e delle politiche sociali (anno 2009), finalizzato alla progressiva regionalizzazione della Federazione per consentire ad ogni territorio di riunione in una voce unica le istanze dei diversi gruppi di malattie rare.



2010 **Dumbo, il valore di essere Raro**, progetto cofinanziato dal Ministero del Lavoro e delle Politiche Sociali (anno 2010): una serie di incontri, organizzati su tutto il territorio nazionale per aumentare la possibilità di partecipazione, che hanno portato alla creazione di un indice condiviso di Bilancio Sociale, che tiene conto delle peculiarità delle Associazioni.



2010 **Una Community per le Malattie Rare**: un linguaggio comune, la definizione dei centri di competenza, i criteri di qualità per i centri.
Un progetto biennale con una verifica pilota.



2009 **Mercurio, l'indispensabile conoscenza per i professionisti e i Malati Rari**.
L'iniziativa Mercurio, realizzata in collaborazione con le Società Scientifiche già partner di Uniamo (FIMP, FIMMG, SIMG, SIGU, SiMGePed), e con Orphanet e Farindustria, intende consolidare l'indispensabile conoscenza per i professionisti e i malati rari, attraverso una sempre più stretta collaborazione e il contributo diretto di tutti gli attori in gioco.

2007 **UNIAMOci e clicchiamo**, iniziativa finalizzata alla realizzazione del sito internet dell'associazione UNIAMO

2006: **Fantasia** - organizzati due incontri seminariali nelle città di Pavia e Roma . Le tematiche fondamentali dei due seminari compresi nel progetto sono state: "Dal sospetto clinico all'accertamento diagnostico" e "Dalla diagnosi alla terapia".



2006 **Dado Magico** - il progetto prevedeva l'organizzazione di quattro eventi di formazione legislativa sanitaria, socio - sanitaria e sociale, in quattro regioni diverse (Sardegna, Calabria, Lazio e la provincia autonoma di Trento).



2006 **Pollicino**, progetto cofinanziato dal Ministero del lavoro e delle politiche sociali (l.383/2000, art. 12 comma 3 lett. d - anno 2005) per la creazione di una piattaforma (malatirari.it) nella quale far confluire dati e informazioni navigabili relativi a tutti gli aspetti delle malattie rare, da paziente a paziente e con il contributo e la verifica delle istituzioni e della comunità scientifica.

Progetti di EURORDIS sostenuti da UNIAMO:

2007 **Rapsody - Rare Disease Patients Solidarity**.

2006/2008 **Capoira- Capacity Building for Patient Organizations in Research Activities**

2005/2007 **EuOrpha - Service for the support of the European Orphan Medicine Market**

LA MISSIONE, VALORI E STRATEGIE

MIGLIORARE LA QUALITÀ DI VITA DELLE PERSONE COLPITE DA MALATTIA RARA, ATTRAVERSO L'ATTIVAZIONE, LA PROMOZIONE E LA TUTELA DEI DIRITTI VITALI DEI MALATI RARI NELLA RICERCA, NELLA BIOETICA, NELLA SALUTE, NELLE POLITICHE SANITARIE E SOCIO-SANITARIE.

Scopo, finalità ed attività (art. 3 dello Statuto)

La Federazione è apartitica, non ha scopo di lucro e persegue il fine esclusivo della solidarietà ed utilità sociale.

Ferma restando l'autonomia delle singole Associazioni federate, sia nell'organizzarsi sia nel raggiungere le rispettive finalità, la Federazione si propone di perseguire i comuni interessi delle Associazioni federate nella tutela dei diritti delle persone affette da Malattie Rare:

- applicando protocolli diagnostici, terapeutici ed assistenziali;
- diffondendo e usando delle conoscenze acquisite;
- sensibilizzando l'opinione pubblica e le istituzioni nazionali, europee e internazionali;
- promuovendo ed applicando iniziative legislative a favore dei malati rari, delle loro famiglie e di chi le assiste;
- promuovendo ed organizzando corsi di formazione ed informazione a favore dei malati rari;
- promuovendo lo sviluppo di una cultura di presa in carico - individuale e globale, multidisciplinare e multidimensionale - del paziente;
- incentivando lo sviluppo di prodotti medicinali orfani;
- promuovendo l'Empowerment.

La Federazione opera nei seguenti ambiti di attività di interesse generale:

- interventi e servizi sociali ai sensi dell'articolo 1, commi 1 e 2, della legge 8 novembre 2000, n. 328, e successive modificazioni, e interventi, servizi e prestazioni di cui alla legge 5 febbraio 1992, n. 104, e alla legge 22 giugno 2016, n.112, e successive modificazioni (lett. a), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione organizza convegni e incontri specifici sui diritti esigibili, struttura linee telefoniche di supporto (help line) per l'indirizzo dei pazienti alla miglior presa in carico; collabora con enti pro bono per l'assistenza legale; struttura un sito on line dove poter richiedere supporto psicologico personalizzato;
- interventi e prestazioni sanitarie (lett. b), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione costruisce modelli di presa in carico sanitaria; supporta le istituzioni nella costruzione di PDTA; incentiva l'utilizzo dell'HTA per la valutazione delle prestazioni e l'efficientamento del sistema;

IDENTITÀ E MISSIONE

- prestazioni socio-sanitarie di cui al decreto del Presidente del Consiglio dei Ministri 14 febbraio 2001, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale n. 129 del 6 giugno 2001, e successive modificazioni (lett. c), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione supporta la presa in carico a distanza per l'indirizzo e il sostegno delle persone con la malattia rara;
- educazione, istruzione e formazione professionale, ai sensi della legge 28 marzo 2003, n. 53, e successive modificazioni, nonché le attività culturali di interesse sociale con finalità educativa (lett. d), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione organizza corsi di formazione per i rappresentanti dei pazienti, specifici sia sulle attività associative che finalizzati alla migliore comprensione del Sistema Sanitario e Sociale italiano; interventi di sensibilizzazione nelle scuole, all'interno delle istituzioni, nei territori; partecipa a tavoli di lavoro tematici; formazione universitaria e post-universitaria (lett. g), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione promuove azioni anche in ambito universitario per quanto riguarda la formazione di persone specializzate nell'ambito delle patologie rare; sostiene l'inserimento di corsi specifici sulle malattie rare in tutti i corsi di laurea in qualche modo attinenti alla tematica (Medicina, professioni sanitarie, psicologia, ecc.);
- ricerca scientifica di particolare interesse sociale (lett. h), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione potrà finanziare ricerche sulle malattie rare, sostenere ricercatori, supportare le Associazioni che, anche in forma associata, raccolgono fondi per ricerche sulle malattie rare; stipulare accordi con industrie farmaceutiche che possano favorire la ricerca su farmaci o altri tipi di terapie o supporti per le malattie rare;
- organizzazione e gestione di attività culturali, artistiche o ricreative di particolare interesse sociale, incluse attività, anche editoriali, di promozione e diffusione della cultura e della pratica del volontariato e delle attività di interesse generale di cui al presente articolo (lett. i), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione potrà promuovere mostre fotografiche o con altra tecnica artistica sui malati rari; promuovere attività culturali legate alle malattie rare quali rappresentazioni teatrali, filmati, racconti, fumetti, cartoon, libri e quant'altro;
- servizi strumentali ad enti del Terzo settore (lett. m), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione potrà fornire servizi ai propri associati, in forma gratuita o con rimborso spese, a titolo esemplificativo proponendo convenzioni e accordi per la gestione della contabilità, degli archivi informatici, della strutturazione di registri di patologia, anche cercando di coinvolgere Enti pubblici; offrendo servizi di consulenza psicologica e di supporto; consulenze legali e fiscali ecc.;
- beneficenza o erogazione di denaro, beni o servizi a sostegno di persone svantaggiate o di attività di interesse generale a norma del presente articolo (lett. u), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione potrà sostenere attività di supporto a singoli pazienti per l'indirizzo verso una presa in carico corretta nel luogo di residenza o a livello europeo nel caso in cui non esistano nella sua Regione e in Italia competenze specifiche; potrà in casi eccezionali contribuire anche finanziariamente a particolari casi meritevoli di tutela, sostenendo anche raccolte fondi specifiche;

promozione e tutela dei diritti umani, civili, sociali e politici (lett. w), co. 1, art. 5 del Codice del Terzo settore); in particolare, la Federazione potrà supportare azioni legali collettive o singole per tutelare i diritti delle persone con malattia rara; sostenere azioni di governo tese a emanare leggi specifiche sulle MR (vedi ad esempio il Piano Sanitario Nazionale per le Malattie Rare); sostenere l'inserimento delle rappresentanze dei pazienti negli organi decisori, anche a livello regionale, sulle Malattie Rare (a titolo esemplificativo Commissioni Nazionali, Coordinamenti Regionali, ecc.).

La Federazione, per perseguire le proprie finalità solidaristiche e di utilità sociale e per svolgere adeguatamente le proprie attività di interesse generale:

- 1.promuove azioni giurisdizionali e interviene nei giudizi promossi da terzi, a tutela dell'interesse della Federazione e delle Associazioni federate;
- 2.interviene in giudizi civili e penali per il risarcimento dei danni derivanti dalla lesione di interessi collettivi dei malati rari concernenti le finalità generali perseguite dalla Federazione;
- 3.interviene nei procedimenti amministrativi ai sensi dell'articolo 9 della legge 7 agosto 1990, n. 241;
- 4.attiva, cura e mantiene relazioni con le massime Istituzioni di Stato, la Pubblica Amministrazione, le Autorità sanitarie nazionali e locali del Servizio Sanitario Nazionale, le Università, e comunque con tutte quelle Istituzioni ed Enti pubblici e privati, il cui rapporto sia funzionale al conseguimento delle finalità della Federazione;
- 5.promuove il continuo sviluppo della conoscenza e della sensibilità della classe medica, degli operatori sanitari e amministrativi nelle strutture del Servizio Sanitario Nazionale territoriali, distrettuali e ospedaliere nonché degli operatori delle strutture di riabilitazione anche attraverso la promozione e cura di raccolta fondi da destinare a borse di studio o altra attività di alta formazione;
- 6.collabora, istituisce alleanze ovvero aderisce ad altre istituzioni, enti od organizzazioni internazionali, europee o nazionali, coerenti col perseguimento degli scopi statuari, degli interessi comuni delle persone affette da malattie rare, delle loro famiglie e di chi le assiste e compatibili col presente Statuto.

La Federazione non può svolgere attività diverse da quelle su menzionate, ad eccezione di quelle ad esse direttamente connesse che, a norma dell'art. 6 del Codice del Terzo settore, sono qualificate attività diverse da quelle di interesse generale, secondarie e strumentali rispetto a queste ultime, secondo criteri e limiti definiti con apposito Decreto ministeriale. La loro individuazione sarà successivamente operata da parte del Consiglio Direttivo.

La Federazione può invece esercitare, a norma dell'art. 7 del Codice del Terzo settore, anche attività di raccolta fondi - attraverso la richiesta a terzi di donazioni, lasciti e contributi di natura non corrispettiva - al fine di finanziare le proprie attività di interesse generale e nel rispetto dei principi di verità, trasparenza e correttezza nei rapporti con i sostenitori e con il pubblico.

La Federazione ha inoltre un Regolamento, per i rapporti con le Associazioni, i delegati e gli incaricati e per altri aspetti organizzativi interni, e un Codice Etico.

Tutti i documenti sono pubblicati sul sito nella sezione "Trasparenza".

REGOLAMENTO

CODICE ETICO

persone con malattia rara sono milioni. **UNIAMO**, la loro voce.



**RARI,
MAI SOLI**

UNIAMO
Share your colours, share your story



VAI SU:
UNIAMO.ORG
#UNIAMOLEFORZE



#UNIAMOLA VOCE

UNIAMO

UNIAMO



STRUTTURA, GOVERNO E AMMINISTRAZIONE



STRUTTURA

Gli Organi della Federazione sono: l'Assemblea dei soci; il Consiglio Direttivo, in qualità di Organo di amministrazione; il Presidente; l'Organo di Controllo.

ASSEMBLEA DEI SOCI

Composta dai rappresentanti delle Associazioni, approva la Relazione di missione sull'attività Federativa, il Bilancio consuntivo e preventivo, elegge il Consiglio Direttivo e indirizza le attività della Federazione.

L'Organo di controllo, nominato come da art. 19 dello Statuto, ha compiti di certificazione annuale del Bilancio e vigilanza su tutta l'attività federativa.

ORGANO DI CONTROLLO

CONSIGLIO DIRETTIVO

Il Consiglio Direttivo, in qualità di Organo di amministrazione della Federazione, opera in attuazione delle volontà e degli indirizzi generali dell'Assemblea alla quale risponde direttamente.

PRESIDENTE

Nominato in seno al Direttivo, è il rappresentante legale dell'Ente. È il garante della democraticità della Federazione e della trasparente ed etica amministrazione.

Figure esterne al Consiglio Direttivo, operano secondo il Regolamento di Uniamo (approvato dall'Assemblea) per rappresentare la comunità dei malati rari in armonia con le scelte e le decisioni concordate con il Direttivo.

RAPPRESENTANTI ESTERNI

STAFF

I membri dello Staff sono dipendenti di Uniamo, coordinati dal Presidente che ne è il responsabile (Art. 17 Statuto); garantiscono lo svolgimento dell'attività operativa della Federazione operando in linea con gli obiettivi definiti.

RIUNIONI DEL CONSIGLIO DIRETTIVO

**233 ORE DI
RIUNIONI**

**19 SEDUTE DEL
CONSIGLIO**

ASSEMBLEE

13 APRILE

26 OTTOBRE

43

**76 SOCI
PARTECIPANTI**

**43 SOCI
PARTECIPANTI ***

*** L'assemblea del 26 ottobre, per volontà del consiglio direttivo, si è svolta solo in presenza per tornare a conoscersi di persona.**

GLI ORGANI SOCIALI

I SOCI

I soci della Federazione sono le Associazioni federate.

Come da Statuto, possono essere soci tutte le Associazioni costituite da malati rari, familiari e da coloro che li assistono moralmente e materialmente che, mosse da spirito di solidarietà, condividano i principi e le finalità della Federazione.

Sono regolarmente federate le Associazioni che, salvo diversa determinazione del Consiglio Direttivo, dopo aver fatto richiesta scritta di affiliazione, fornita la documentazione prescritta e ricevuta la delibera di approvazione, abbiano infine proceduto al pagamento della quota di affiliazione. Tutti i soci sono sottoposti ad una uniforme disciplina nei rapporti tra loro e la Federazione, informata ai principi di trasparenza, democraticità ed uguaglianza, che garantisce per i soci il possesso dei medesimi diritti e doveri, nonché il libero accesso alle cariche elettive associative.

I soci partecipano a pieno titolo alla vita della Federazione contribuendo a determinarne le scelte e gli orientamenti nelle molteplici modalità previste, oltre che durante l'Assemblea.

IL NUMERO DEI SOCI HA RAGGIUNTO UNA NUMEROSITA' RAGGUARDEVOLLE.

44



**A LUGLIO 2024 LA
FEDERAZIONE E' STATA
RICONOSCIUTA RETE
DEL TERZO SETTORE.**



Inoltre, è rilevante notare che alcuni soci sono a loro volta federazioni. Molti degli affiliati ai nostri soci hanno dichiarato l'appartenenza alla Rete.

In particolare:

- FEDEMO : 31 Associazioni affiliate
- Federazione Prader Willi: 11 Associazioni territoriali
- Retina Italia: 7 sezioni territoriali.

IL CONSIGLIO DIRETTIVO

Il consiglio direttivo si compone di sette membri, incluso il Presidente :

- **Annalisa Scopinaro, Presidente:** Presidente da aprile 2019, rieletta nel consiglio e confermata nel ruolo di presidente a ottobre 2023, fino a ottobre 2027. Precedentemente, Vice presidente (2018-2019), consigliere con ruolo di tesoriere (2009-2013). Fa parte dell'Associazione Persone Williams Italia.
- **Marco Sessa, Vice Presidente:** eletto a novembre 2022, riconfermato a ottobre 2023. Fa parte dell'AISAC, Associazione per l'Informazione e lo Studio dell'Acondroplasia.
- **Barbara D'Alessio, Segretario:** eletta a novembre 2022, scadrà nel 2025. Fa parte della Fondazione Italiana Ricerca Huntington.
- **Marcello Bettuzzi, Tesoriere:** eletto a ottobre 2021, scadrà nel 2025. Ha ricoperto la carica di membro dell'Organo di controllo, fa parte dell'Associazione HHT Onilde Carini.
- **Verena Caetano da Silveira, Consigliera:** eletta a ottobre 2024, scadrà nel 2027. Fa parte dell'Associazione Assi Gulliver.
- **Patrizia Ceccarani, Consigliera:** eletta a ottobre 2024. Fa parte della Lega del Filo D'oro.
- **Fabrizio Farnetani, Consigliere:** eletto nel 2019, rinnovato a ottobre 2023, già consigliere dal 2017. Fa parte dell'Associazione MITOCON - Insieme per lo studio e la cura delle malattie mitocondriali OdV.



ORGANO DI CONTROLLO

L'Organo di controllo, diventato obbligatorio con l'entrata in vigore del RUNTS, è stato nominato in Assemblea e il ruolo è ricoperto al momento dalla Drssa Ilaria Ciampi.

La Drssa Ciampi partecipa di diritto a tutte le sedute del Consiglio Direttivo e alle Assemblee.

Per facilitare il suo compito, il Consiglio Direttivo ha diradato i propri incontri deliberativi.

IL REFERENTE ESTERO

Simona Bellagambi oltre al suo ruolo di membro del Board di Eurordis, svolge da anni il compito di referente estero di UNIAMO.

I RAPPRESENTANTI ESTERNI AL CONSIGLIO DIRETTIVO

La rappresentanza di oltre 8mila patologie diverse può rappresentare talvolta una sfida: come previsto dallo Statuto, dunque, la Federazione si avvale della competenza di figure esterne al consiglio direttivo.

46

Al fine di garantire una rappresentanza trasversale i rappresentanti, come previsto dal Regolamento che sono tenuti a sottoscrivere all'atto della loro nomina, riportano al Consiglio Direttivo gli esiti dei lavori, nel rispetto degli impegni di riservatezza richiesti. Inoltre, al fine di mantenere una coerenza generale delle posizioni federative, frutto dell'ascolto della comunità nelle sedi opportune, i rappresentanti condividono scelte e decisioni assunte per conto della Federazione.

I rappresentanti esterni al Consiglio Direttivo:

Tommasina Iorno, membro del Centro di coordinamento nazionale dei comitati etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici - AIFA; Referente Associazioni di pazienti nel Coordinamento per le malattie rare - Regione Lombardia

Alessandro Segato, membro del Centro di Coordinamento per gli screening neonatali istituito presso l'Istituto Superiore di Sanità

Claudio Ales, Referente Associazioni di pazienti nel Coordinamento per le malattie rare - Regione Sicilia.

Paola Riso, Referente Associazioni di pazienti nel Coordinamento per le malattie rare - Regione Liguria.

Antonio Vigoroso, Referente Associazioni di pazienti nel Coordinamento per le malattie rare - Regione Calabria

Cristina Bolzonella, Referente Associazioni di pazienti nel Coordinamento per le malattie rare - Regione Veneto (dal 2025).

PERSONALE E COLLABORAZIONI

PERSONALE DIPENDENTE

Lo Staff di Uniamo durante il 2024 si è avvalso sia di personale dipendente che di consulenti esterni, all'interno di un processo di evoluzione della struttura e di una ricerca del migliore assetto possibile.

La Federazione continua a crescere, sviluppando molte attività che richiedono impegno non solo al Consiglio Direttivo ma anche a tutto il personale dipendente e agli altri volontari.

Al 31 dicembre lo staff si è attestato su tre risorse assunte con contratto a tempo indeterminato. Nel corso del 2024 la Federazione ha inserito una risorsa in stage proveniente dalla Università di Roma Lumsa.

COLLABORATORI ESTERNI

Nel 2024 i collaboratori esterni alla Federazione sono stati:

Giusy Calandrino, psicologa e psicoterapeuta.

Erika Ciano, ufficio stampa.

Stefania Cirelli, assistente sociale.

Raffaella Cungi, avvocato.

Vincenzo La Manna, giornalista.

Luca Librandi, grafico.

Cristina Anselmi, consulente paghe e contributi.

Michele Gelli e **Veronica Baggiani**, commercialisti.

ALTRE COLLABORAZIONI CONTINUATIVE

La Federazione, per l'attività di ricerca bandi e progettazione, si avvale ormai da anni della collaborazione di **Sinodé Srl**, che attraverso l'opera specialmente di Romano Astolfo e Paola Bragagnolo, supporta le attività ordinarie.

Si deve a Sinodé la sistematizzazione e l'interpretazione dei dati raccolti per MonitoRare, grazie alle competenze statistiche presenti al proprio interno.

Inoltre dal 2023 è stata instaurata una collaborazione con lo **Studio E-lus**, per offrire consulenze fiscali alle Associazioni Federate e per strutturare al meglio il lavoro di rete della Federazione.

VOLONTARIATO

La Federazione si avvale, per il perseguimento dei propri fini, delle attività di volontariato dei propri soci o delle persone aderenti agli enti federati. L'attività dei volontari deve essere svolta in modo personale, spontaneo e gratuito, senza fini di lucro, neanche indiretti, ed esclusivamente per fini di solidarietà.

Durante tutto l'anno la Federazione accoglie offerte di disponibilità per l'implementazione di attività di supporto e di collaborazione a questo titolo.

VOLONTARI CONTINUATIVI

Per tutto il 2024 la Federazione ha potuto contare sull'apporto professionale, continuativo e volontario, di **Gloria Nardini**, in particolare a supporto dell'attività di rendicontazione dei progetti e di procedure amministrative di varia natura.

Gloria è inoltre referente interno per la privacy di Uniamo e disponibile come consulente privacy per le Associazioni federate.

Sono volontari continuativi **Simona Bellagambi**, referente estero, **Tommasina Iorno**, **Claudio Ales**, **Alessandro Segato**, **Paola Risso**, **Antonio Vigoroso**, **Roberta Giodice** e **Cristina Bolzonella** per i tavoli di loro competenza.

TRASPARENZA

48

Il Bilancio della Federazione, dopo l'approvazione dell'Assemblea, è disponibile online sul sito della Federazione e viene inviato a tutti i soci per email e in copia cartacea.

I verbali delle Assemblee vengono spediti in copia a tutti i soci.

La Federazione opera in completa trasparenza e responsabilità nei confronti degli stakeholder: gli obiettivi e la strategia definiti dal Consiglio Direttivo sono condivisi attraverso i seguenti strumenti:

- con l'esplicazione durante le sedute Assembleari (e quindi riportate nei verbali di Assemblea)
- nei documenti ufficiali prodotti (documento di programmazione annuale, piano strategico, nota esplicativa al bilancio).



STAKEHOLDERS E RETI



reDiseases



Simona BELLAGAMBI
EURORDIS



STAKEHOLDERS

I NOSTRI INTERLOCUTORI



2 MILIONI

PERSONE CON MALATTIA RARA



1 SU 5

HA MENO DI 18 ANNI

Consideriamo parte della comunità in senso ampio anche gli attori del settore pubblico che si occupano a vario titolo di malattie rare.



ASSOCIAZIONI

DI PERSONE CON
MALATTIA RARA



RAPPRESENTANTI

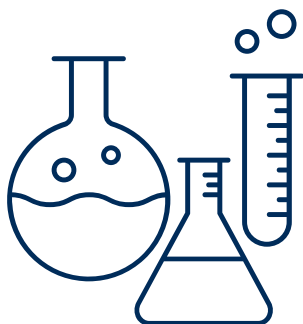
DELLE PERSONE CON
MALATTIA RARA

53



**PAZIENTI, FAMILIARI,
CAREGIVER**

IL MONDO SALUTE



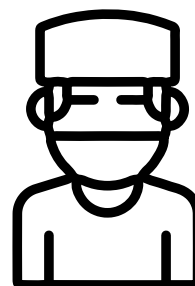
COMUNITÀ SCIENTIFICA



RICERCATORI



CLINICI



**PROFESSIONISTI
DELLA SANITÀ**



**FARMACISTI
OSPEDALIERI E
TERRITORIALI**

LE ISTITUZIONI



PARLAMENTO ITALIANO

MINISTERI

- SALUTE
- DISABILITÀ
- LAVORO E POLITICHE SOCIALI
- ISTRUZIONE E MERITO
- ECONOMIA E FINANZE
- UNIVERSITÀ E RICERCA



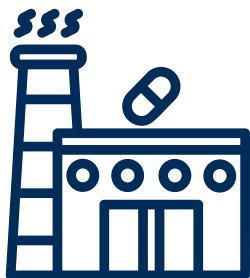
ISTITUZIONI VARIE

AIFA, REGIONI, ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ,
AGENAS, INPS, SCUOLE E UNIVERSITÀ ECC.

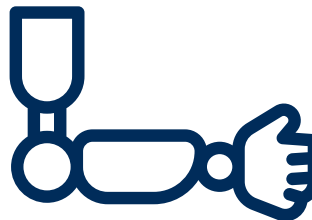


**PARLAMENTO
EUROPEO E
COMMISSIONE**

LE INDUSTRIE



FARMACEUTICHE



AUSILI E PROTESICA



NUTRACETICI E ALIMENTI
SPECIALI

56

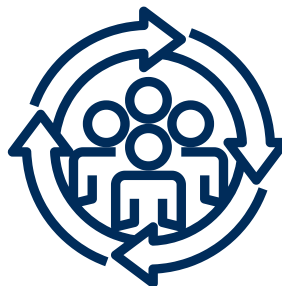
LA SOCIETÀ CIVILE



CITTADINANZA



GIORNALISTI



MONDO
DELL'ASSOCIAZIONISMO E
DEL VOLONTARIATO

IL SISTEMA DI RETI DI UNIAMO

LE RELAZIONI ISTITUZIONALI FORMALIZZATE



E-IUS TAX E LEGAL

Il 7 novembre 2022 è stato stipulato un accordo per assistenza giuridica e tributaria con lo studio e-IUS. La consulenza è disponibile per tutte le Associazioni federate a UNIAMO.

ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ

Il 17 ottobre 2020, rinnovato nel 2023, è stato stipulato fra l'Istituto Superiore di Sanità e UNIAMO un accordo di collaborazione scientifica, con una panoramica a 360° sulle possibili aree di sviluppo comune



SAPIENZA
UNIVERSITÀ DI ROMA

UNIVERSITÀ LA SAPIENZA - ROMA

Nel 2024 la Federazione ha attivato una collaborazione con l'Università La Sapienza di Roma per l'avvio di tirocini curriculari.

UNIVERSITÀ LUMSA - ROMA

Ad inizio 2021 è stato stipulato fra l'Università LUMSA e UNIAMO un accordo quinquennale di collaborazione su iniziative di sensibilizzazione sulle malattie rare.



LUMSA
UNIVERSITÀ



SIPPED - SOCIETÀ ITALIANA DI PSICOLOGIA PEDIATRICA

Il 10 Aprile 2021 è stato stipulato un accordo di collaborazione scientifica fra la Federazione e la SIPPED.

Il protocollo di intesa ha consentito di realizzare un progetto di ricerca con la collaborazione di 16 Associazioni, una presa in carico personalizzata per le famiglie dell'Associazione Glut1 e altre progettualità.

FAVO - FED. IT. ASSOC. VOL. ONCOLOGIA

UNIAMO e FAVO, a seguito dell'approvazione della Legge 175/2021 che è stata pensata per malattie rare e tumori rari, hanno stipulato un protocollo di intesa specifico per la realizzazione degli obiettivi previsti dalla legge.



FAVO.
Federazione italiana
delle Associazioni
di Volontariato in Oncologia

LE RELAZIONI ISTITUZIONALI SVILUPPATE NEL CORSO DEL TEMPO

PRO BONO ITALIA

Dal 2019 siamo nella rete di Pro Bono Italia, una associazione di avvocati a livello europeo, con una rete di Associazioni a scopo fattivo molto estesa.



FORUM III SETTORE

Dal 2022 siamo soci del Forum del Terzo Settore e abbiamo partecipato attivamente alla Consulta Welfare e al gruppo APS.

Nel 2022 UNIAMO è affiliata a Terzjus, Osservatorio di diritto per il Terzo Settore.



Nel 2022 UNIAMO ha stipulato un protocollo di intesa con Special Olympics.

ANFFAS NAZIONALE

Storicamente vicina per molte trasversalità di bisogni, la collaborazione con Anffas si è consolidata in adesione a progetti comuni.



Con Fondazione Allianz UmanaMente si è sviluppata una collaborazione che ha portato al sostegno di molte famiglie nel corso degli anni.

COLLABORAZIONI CON ENTI PUBBLICI

Presidenza del Consiglio dei Ministri
 Ministero della Salute
 Ministero della Salute - Dipartimento Ricerca
 Ministero della Salute - Dipartimento Programmazione Sanitaria
 Ministero dell'Istruzione
 Istituto Superiore di Sanità
 Centro Nazionale Malattie Rare - ISS
 AIFA - Agenzia Italiana del Farmaco
 INPS - Istituto Nazionale Previdenza Sociale
 Coordinamenti malattie rare di tutte le Regioni
 Coordinatori ERN BOND - Luca Sangiorgi, METABERN - Maurizio Scarpa, ERN
 RECONNET - Marta Mosca
 Telefono Verde Malattie Rare
 Help Line di tutte le Regioni
 Istituto Chimico Farmaceutico Militare
 FISM Federazione Italiana Società Medico Scientifiche
 Fnopi Federazione Nazionale Ordini Professioni Infermieristiche
 SIFO - Società Italiana di Farmacia Ospedaliera e dei servizi farmaceutici delle
 Aziende Ospedaliere
 SIMEN Società Italiana di Medicina Narrativa
 SIOH Società Italiana Ortodonzia per l'Handicap
 SIGU Società Italiana di Genetica Umana
 SIN Società Italiana di Neurologia
 SIN Società Italiana di Neonatologia
 SIPPED Società Italiana di Psicologia Pediatrica
 SIMGePeD Società Italiana Malattie Genetiche Pediatriche e Disabilità Congenite
 SiMMeSn Società Italiana per lo Studio delle Malattie Metaboliche Ereditarie e lo
 Screening Neonatale
 SIP - Società Italiana Pediatria



COLLABORAZIONI CON ENTI PRIVATI



60



I NOSTRI SOSTENITORI



Pierre Fabre



OBIETTIVI E ATTIVITÀ



LE ATTIVITÀ DI UNIAMO

Funzioni della Federazione



Advocacy



Sensibilizzazione



Supporto alle Associazioni

64

Obiettivi



1. Diagnosi Precoce
2. Presa in Carico Olistica
3. Terapie Accessibili e Disponibili
4. Implementazione nella Ricerca

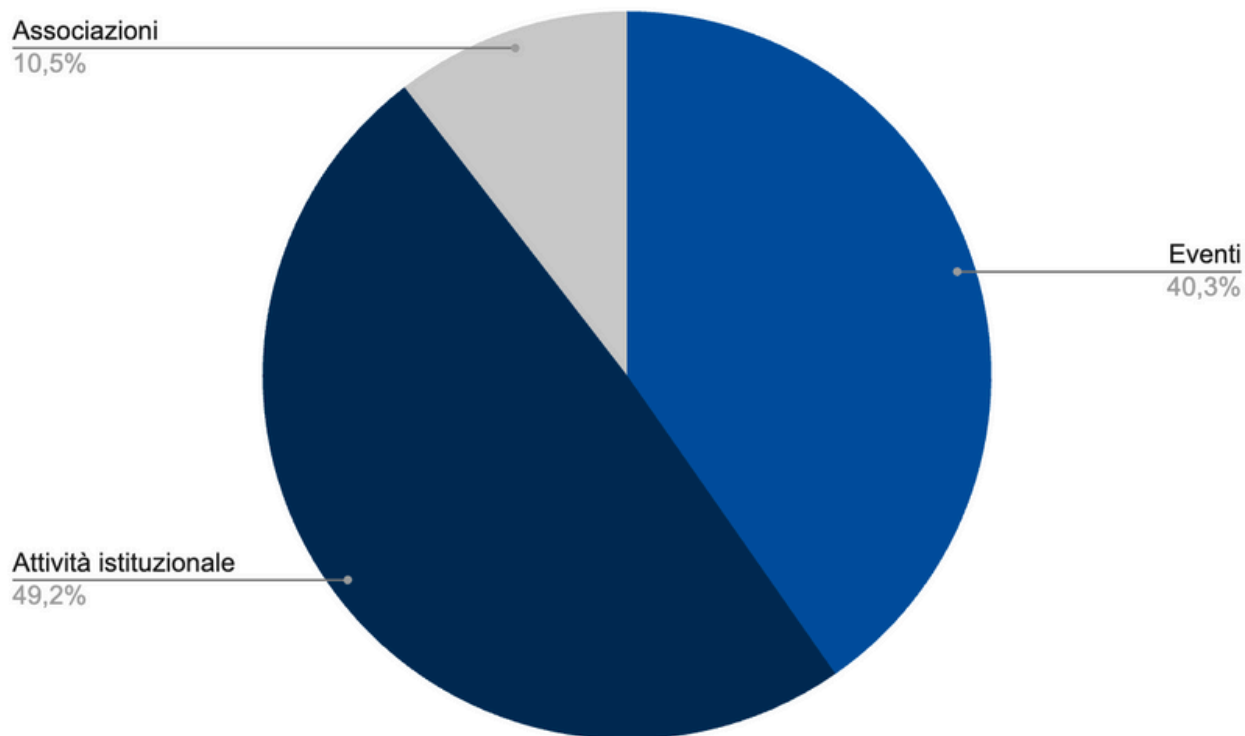
Aree Trasversali



Formazione



Informazione



TIPOLOGIA	NUMERO	ORE DEDICATE
EVENTI	158	412
ATTIVITÀ ISTITUZIONALE	193	387
ASSOCIAZIONI	41	53
TOTALE	392	852

LEGENDA

- **Eventi:** tutti i convegni e gli webinar pubblici, realizzati da Uniamo o da altri
- **Attività Istituzionali:** gli appuntamenti con i parlamentari, quelli istituzionali, la partecipazione a gruppi di lavoro e tavoli interistituzionali.
- **Associazioni:** tutte gli appuntamenti con le federate e non di Uniamo.

ADVOCACY





14

**I TAVOLI
ISTITUZIONALI
PARTECIPATI**

320

**LE ORE DI
RIUNIONE**

ATTIVITÀ ISTITUZIONALE

CONSIGLIO NAZIONALE DEL TERZO SETTORE

Il Consiglio è stato rinnovato nel mese di giugno nel 2021 ed è presieduto dal Ministro del lavoro e delle politiche sociali. UNIAMO era designato tra i rappresentanti delle Reti Associative nazionali.

Nel corso dell'anno 2024 è stata **1** la riunione, per un totale di **4** ore, precedute da altrettante riunioni preparatorie con il Forum, per altre **2** ore di riunione. A maggio 2024 il CNTS è stato rinnovato ma UNIAMO, non avendo un numero sufficiente di associazioni con dichiarata affiliazione, non ha potuto fare domanda.

COMITATO NAZIONALE MALATTIE RARE

Istituito nel mese di gennaio 2023, il Comitato nazionale per le malattie rare (CoNaMr) ha l'obiettivo di svolgere funzioni di indirizzo e di coordinamento. Tra i compiti principali, anche quello di definire le linee strategiche delle politiche nazionali e regionali in materia di malattie rare, al fine di coordinare sull'intero territorio nazionale le attività di implementazione della normativa. Nel corso del 2024 si è riunito **25** volte per un totale di **39** ore.

GRUPPO DI LAVORO SCREENING NEONATALE ESTESO (SNE)

68

Istituito nel 2020 presso il Ministero della Salute, Direzione generale della Prevenzione sanitaria, il Gruppo di lavoro per la **definizione del protocollo operativo** di presa in carico del paziente positivo al test e per l'**ampliamento del panel delle patologie** individuabili, è formato da Ministero della Salute, regioni, Istituto Superiore di Sanità, AGENAS, UNIAMO, Società Italiana di Neonatologia, Società Italiana di Pediatria, Società Italiana di Malattie Metaboliche e Screening Neonatali, Società Italiana di Genetica Umana.

Il gruppo si è riunito 1 volta nel corso dell'anno ed è scaduto al 30 novembre 2024. Al momento non ci sono notizie per il suo rinnovo.

CENTRO DI COORDINAMENTO NAZIONALE DEI COMITATI ETICI TERRITORIALI PER LE SPERIMENTAZIONI CLINICHE SUI MEDICINALI PER USO UMANO E SUI DISPOSITIVI MEDICI

Il Centro svolge funzioni di coordinamento, indirizzo e monitoraggio delle attività di valutazione degli esperti etici relativi alle sperimentazioni cliniche per uso umano demandate ai comitati etici territoriali.

UNIAMO è rappresentata da Tommasina Iorno. Nel 2024 gli incontri sono stati **29** per un totale di **105 ore**. Gli ordini del giorno sono consultabili sul [sito di AIFA](#).

RETE METROPOLITANA MALATTIE RARE DI BOLOGNA

I coordinatori della Rete si sono riuniti **2** volte nel 2024, per un totale di **2 ore** di riunione. La Rete è stata presentata due volte agli altri attori di sistema e sono state svolte successivamente anche riunioni operative per gli aspetti più tecnici del progetto.

CENTRI DI COORDINAMENTO REGIONALI

I rappresentanti direttamente nominati da UNIAMO all'interno dei gruppi e/o coordinamenti sono i seguenti:

Fabrizio Farnetani, **Regione Lazio**

Gli incontri sono stati **5**, per un totale di **15 ore**

Annalisa Scopinaro, **Regione Abruzzo e Regione Campania**

Non ci sono stati incontri del Coordinamento Abruzzo. Il sottogruppo per Regione Campania ha lavorato soprattutto on line.

Tommasina Iorno, **Regione Lombardia: 17** incontri per un totale di circa **35,5 ore**.

Paola Riso, **Regione Liguria: 8** incontri per un totale di **20** ore circa.

In **Calabria** si è tenuta **1** riunione con le Associazioni del territorio per un totale di **2** ore.

Antonio Vigoroso è referente per UNIAMO.

Claudio Ales, **Regione Sicilia: 5** incontri per un totale di **10 ore**.

Nel 2024 è stata istituita l'Assemblea Permanente delle Organizzazioni dei Cittadini e dei Pazienti in **Veneto**, per Uniamo referente Cristina Bolzonella. Si è tenuta **1** riunione per un totale di **2** ore.



CENTRO DI COORDINAMENTO SUGLI SCREENING NEONATALI

Dal 2017, anno della sua istituzione presso l'Istituto Superiore di Sanità, il rappresentante di UNIAMO presso il Centro è Alessandro Segato.

Non abbiamo riscontro dal rappresentante al tavolo rispetto al lavoro svolto.



UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

ATTIVITÀ PARLAMENTARE ED ISTITUZIONALE

21 FEBBRAIO

AUDIZIONE

Il 21 febbraio 2024 siamo stati auditi in rappresentanza del gruppo PRO4all – in XII Commissione Affari Sociali della Camera nell'ambito della discussione delle risoluzioni sull'utilizzo dei dati sanitari. L'audizione è stata un'occasione per inserirci all'interno del dibattito sull'impiego dei dati sanitari che si sta svolgendo in Parlamento, portando le istanze del Gruppo di Lavoro in materia di PROs e di PROMs.

6 NOVEMBRE

AUDIZIONE

Il 6 novembre 2024 siamo stati auditi in COMMISSIONE AFFARI SOCIALI, SANITÀ; LAVORO PUBBLICO E PRIVATO, PREVIDENZA SOCIALE: audizione nell'ambito dell'esame dei disegni di legge nn. 734, 938, 1171 e 1179 (disposizioni in materia di tutela della salute mentale).

18 SETTEMBRE

INCONTRO

UNIAMO, insieme a Eurordis, ha incontrato i Dr. Ruggi d'Aragona, Cicchetti, Mennini e Panci del Ministero della Salute per fare il punto rispetto alle priorità della comunità delle persone con malattia rara. È stata evidenziata la necessità di sensibilizzare la Presidente della Commissione europea Von der Leyen per lasciare il tema salute fra i prioritari nell'agenda europea sono state trattate anche altre tematiche.

14-15-16
OTTOBRE

G7 DISABILITÀ

In Umbria il primo G7 Inclusione e Disabilità della storia: UNIAMO presente con uno stand insieme alle Associazioni Federate. Per la prima volta nella storia di questo importante Summit c'è stata un'intera sessione dedicata alle persone con disabilità e il loro pieno diritto di cittadinanza, con un confronto a livello mondiale.

TUTTO L'ANNO

INCONTRI

Durante l'anno sono stati incontrati il sottosegretario Marcello Gemmato e diversi Parlamentari, in occasioni pubbliche e private



**GRUPPI DI LAVORO
E COMITATI
SCIENTIFICI**

ALTRI TAVOLI DI LAVORO E COMITATI SCIENTIFICI

GRUPPO DI LAVORO EUROPEO PER L'ANTIBIOTICO RESISTENZA (AMR PATIENT'S GROUP)

Uniamo fa parte dell'AMR Patient's Group, attraverso Health First Europe, per sostenere iniziative volte a contenere l'uso di antibiotici nel mondo. Le riunioni sono periodiche e sono previste una serie di azioni di comunicazione specifiche. Nel 2024 si è tenuta 1 riunione, a Marzo, per un totale di 1,5 ore.

COMITATO SCIENTIFICO NEWSLETTER RARAMENTE

La Newsletter ha iniziato le sue pubblicazioni da novembre 2020. Il Comitato Scientifico è composto da Domenica Taruscio e Annalisa Scopinaro; del Comitato di Redazione fanno parte, insieme a membri dell'ISS e del Ministero della Salute, persone dello staff di UNIAMO.

LABORATORIO HEALTH HUMANITIES

Il Laboratorio di Health Humanities progetta e sviluppa attività di ricerca, formazione e comunicazione nel contesto delle Health Humanities, sia per promuovere la partecipazione attiva dei pazienti e il miglioramento del funzionamento del sistema di cura sia per sensibilizzare la società sul tema delle malattie rare.

Le Health Humanities costituiscono un'area d'incontro tra le arti - e la cultura umanistica in generale - e le scienze della salute e sociali, al fine di promuovere la salute.

COMITATO SCIENTIFICO PROGETTO PERLA

PERLA è un progetto che nasce da alcune considerazioni: lo scenario metodologico e normativo relativo alla personalizzazione non solo clinica ma anche psico-sociale della cura in Italia mostra un crescente impegno di organizzazioni sanitarie, istituzioni, associazioni. Si ritiene fondamentale comprendere e analizzare quanto il cambiamento sia percepito dalle persone: chi accede a visite specialistiche, chi viene ricoverato e dimesso quanto percepisce di co-costruire la propria storia di cura, quanto sente di essere compreso come persona e non solo come portatore di una malattia?

PERLA ha l'obiettivo di affiancare la misurazione dell'efficacia clinica delle prestazioni, con il grado di personalizzazione psico-sociale della cura, favorendo la diffusione di un patto narrativo nella cura.

COMITATO TECNICO SCIENTIFICO E SOCIALE DELL' INTERGRUPPO PARLAMENTARE MALATTIA CELIACA, ALLERGIE ALIMENTARI E AFMS

Il nuovo Intergruppo parlamentare su malattia celiaca, allergie alimentari e Afms (Alimenti a fini medici speciali), nato su iniziativa della senatrice Elena Murelli con l'obiettivo di "aumentare la sensibilizzazione verso una patologia sistemica cronica che riguarda centinaia di migliaia di italiani". UNIAMO è membro del Comitato tecnico scientifico.

COLLABORAZIONE SCIENTIFICA ATMP FORUM

ATMP Forum è un'agorà virtuale con l'obiettivo di informare e discutere su progressi e tematiche cliniche, economiche e organizzative relative agli ATMP e alle terapie innovative che hanno il potenziale di offrire una terapia risolutiva a pazienti con condizioni patologiche per le quali ad oggi non esiste una terapia convenzionale adeguata (malattie rare, malattie genetiche, malattie neuromuscolari, metaboliche ...).

GRUPPO DI LAVORO SULLA VIOLENZA CONTRO LE DONNE CON DISABILITÀ

Il gruppo è stato istituito per poter fornire strumenti utili al Comitato tecnico scientifico dell'Osservatorio sulla violenza contro le donne, presieduto dalla Ministra per la Famiglia, la Natalità e le Pari Opportunità, per la redazione delle linee guida generali sulla violenza, per l'accessibilità della comunicazione e della diffusione effettivamente inclusiva delle informazioni e per gli standard minimi dei centri antiviolenza.

GRUPPO DI LAVORO BBMRI

Da diversi anni la Federazione segue i gruppi di lavoro aperti anche alla rappresentanza dei pazienti e organizzati dall'infrastruttura BBMRI.

Nel 2024 abbiamo partecipato alla Conferenza di Vienna nel workshop "Citizen/patient involvement in biobanking. Discuss the need and feasibility with us!"

Si è, inoltre, tenuta 1 riunione online di circa 2 ore.

GRUPPI DI LAVORO INTERNI ALLA FEDERAZIONE

Il GDL Presa in carico olistica, coordinato da Rita Treglia e Marcello Bettuzzi, si è riunito 2 volte per un totale di 3 ore.

Una volta si è riunito il GDL interno sulla violenza sulle donne, di supporto all'attività di Rita Treglia al tavolo principale.

Due volte si è riunito il GDL Caregiver, che ha lavorato sui documenti del tavolo principale convocato dalla Ministro sulle Disabilità soprattutto on line.

Il sottogruppo Ricerca, guidato da Barbara D'Alessio (e fino a maggio 2024 anche da Eva Pesaro), ha svolto diverse attività, compresa l'elaborazione finale di una Effemeride.

Il sottogruppo Diagnosi precoce, guidato da Simona Bellagambi, ha proseguito le sue attività di sensibilizzazione.

ALTRI GRUPPI DI LAVORO

GDL per un modello di transizione età pediatrica - età adulta, costituito all'interno di Metabern Italia

GDL per una Consensus Multisocietaria Sindrome Emolitico-Uremica Atipica

GDL costituito per un Expert Consensus on Digital Health Innovations for Lysosomal Storage Diseases

GDL costituito per stilare le "Linee di indirizzo per la gestione del paziente e dei percorsi assistenziali alla luce nel nuovo Piano Nazionale Malattie Rare, con particolare riferimento alle epilessie"

Garden Network, GDL internazionale sulle talassemie.

GDL Help Line con il TVMR ISS



I DOCUMENTI PRODOTTI



RAPPORTO MONITORARE

Giunto nel 2024 alla X edizione, il rapporto Monitorare, nato per rendicontare le attività previste dal Piano Nazionale Malattie Rare, si è arricchito nel tempo di nuove sezioni e approfondimenti, arrivando a oltre 500 pagine di dati sulle malattie rare.

I contributi:

- Ministero della Salute
- I Coordinamenti regionali per le malattie rare
- AIFA - Agenzia Italiana del Farmaco
- Istituto Superiore di Sanità - Centro Nazionale Malattie Rare
- INPS
- Ministero dell'Istruzione e del merito
- BBMRI
- Direzione generale della Salute e della sicurezza alimentare - UE
- Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare - Unità Produttiva Agenzia Industrie Difesa AID Orphanet Italia
- Fondazione Telethon
- Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare
- Società Scientifiche
- ATMP Forum
- Centro Nazionale Sangue
- Simmesn
- Società Italiana di Odontostomatologia per l'Handicap - SIOH
- Tutti i Coordinamenti regionali per le malattie rare (Abruzzo, Basilicata, Campania, Emilia-Romagna, Friuli-Venezia Giulia, Lazio, Liguria, Lombardia, Marche, Molise, PA Bolzano, PA Trento, Piemonte, Puglia, Sardegna, Sicilia, Toscana, Umbria, Valle d'Aosta, Veneto)

Per arricchire questa edizione sono state scelte le foto del contest fotografico "Rare Lives" della Federazione.

Il contest è stato aperto da Uniamo con l'obiettivo di dare l'opportunità alle persone con malattia rara, alle famiglie e alle associazioni di essere parte integrante del rapporto Monitorare.



L'Executive Summary del Rapporto, tradotto in inglese, viene inviato ogni anno a Eurordis - RareDisease Europe, per una opportuna diffusione a tutte le Alleanze Nazionali. Una delle due prefazioni è a cura di Eurordis.

ÜNIAMO
Federazione Italiana Malattie Rare

Convention **MonitoRare**

**Presentazione del X Rapporto sulla condizione
delle persone con malattia rara in Italia**

25° anniversario della fondazione di UNIAMO

**3 luglio 2024
ore 10.00**

**Sala Adalberto Libera
Hotel The Hive
Via Torino 6, Roma**



OBIETTIVI E ATTIVITÀ

ÜNIAMO

Presentazione X Rapporto **MonitoRare** sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia

Modera

Annalisa Scopinaro, Presidente Uniamo

ore 10.00

Saluti istituzionali

Alessandra Locatelli, Ministro per le Disabilità - in collegamento
Marcello Gemmato, Sottosegretario di Stato con delega alle Malattie Rare
Francesco Saverio Mennini*, Ministero della Salute

ore 10.30

Le Malattie Rare nel contesto Europeo

Simona Bellagambi, delegato estero UNIAMO - in collegamento
Stefano Vettorazzi - Policy officer DG SANTE - in collegamento

ore 11.00

Presentazione del X rapporto MonitoRare

Romano Astolfo, Sinodè - UNIAMO
Paola Bragagnolo, Sinodè - UNIAMO

ore 11.30

Gli Intergruppi parlamentari:

Malattie Rare e Oncoematologiche - Innovazione sostenibile in sanità - Celiachia

Sen. Daniele Manca, 5ª Commissione permanente Senato della Repubblica

Sen. Orfeo Mazzella, 10ª Commissione permanente Senato della Repubblica

Sen. Elena Murelli, 10ª Commissione permanente Senato della Repubblica

Sen. Elisa Pirro*, 10ª Commissione permanente Senato della Repubblica

On. Maria Elena Boschi, 1ª Commissione Camera dei Deputati

On. Elisabetta Gardini, 1ª Commissione Camera dei Deputati

On. Ilenia Malavasi, 12ª Commissione Camera dei Deputati



ÜNIAMO

ore 12.30

I focus 2024/2025 per i rappresentanti dei pazienti

Malattie rare

Marco Sessa, Vice Presidente UNIAMO

Marcello Bettuzzi, Tesoriere UNIAMO

Barbara D'Alessio, Segretario UNIAMO

Fabrizio Farnetani, Consigliere UNIAMO

Tumori rari

Francesco De Lorenzo, presidente della Federazione italiana delle Associazioni di Volontariato in Oncologia (FAVO)

ore 13.00

Lunch

Il percorso dei pazienti nel Sistema Sanitario

Modera

Andrea Pancani, Giornalista e conduttore televisivo

ore 14.00

Dalla Prevenzione all'esigenza di una diagnosi precoce e monitoraggio dei percorsi: discussant Marco Sessa

Le azioni dell'ISS su prevenzione e screening

Andrea Piccoli, Direttore Generale Istituto Superiore di Sanità

Lo screening genetico

Stefano Benvenuti, Responsabile relazioni istituzionali Fondazione Telethon

La Formazione

Giuseppe Limongelli, Direttore Centro di Coordinamento Malattie Rare Regione Campania e Direttore del Corso di Perfezionamento Malattie Rare Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli

Codifica

Bruno Dallapiccola*, Orphanet

La programmazione Sanitaria

Maria Diana Naturale, Ministero della Salute



ÜNIAMO

ore 14.30

La vita quotidiana e la presa in carico: discussant Marcello Bettuzzi e Fabrizio Farnetani

Il ruolo centrale delle Regioni nella presa in carico, anche attraverso i PDTAP

Paola Facchin, Coordinatrice del Tavolo Tecnico Interregionale Malattie Rare

Il supporto della specializzazione delle ERN nella rete

Luca Sangiorgi, Coordinatore Europeo ERN Bond, Delegato per la Competent Authority - Joint Action JARDIN

Il ruolo delle professioni sanitarie tecniche, riabilitative e della prevenzione

Teresa Calandra, Presidente Federazione nazionale Ordini tecnici sanitari di radiologia medica e delle professioni sanitarie tecniche, riabilitative e della prevenzione (FNO TSRM e PSTRP)

Il ruolo degli infermieri anche nella presa in carico domiciliare

Nicola Draoli, Federazione nazionale degli ordini delle professioni infermieristiche (FNOPI)

I percorsi di scuola in ospedale

Maria Grazia Corradini, Ufficio IV "Disabilità, scuola in ospedale e istruzione domiciliare e integrazione alunni stranieri" Ministero dell'Istruzione e del merito

I riconoscimenti giuridici e la riforma prossima

Alfredo Petrone, Segretario nazionale FIMM INPS

ore 15.00

L'accesso ai trattamenti: discussant Annalisa Scopinaro

La nuova organizzazione di AIFA e la semplificazione dei processi

delegato di Robert Giovanni Nisticò, Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Farmaceutico Militare: alcuni esempi virtuosi

Gabriele Picchioni, Direttore Stabilimento Chimico Farmaceutico Militare (SCFM)

Il ruolo delle Regioni

Maurizio Scarpa, Direttore, Centro Coordinamento Regionale Malattie Rare Friuli Venezia Giulia, Coordinatore European Reference Network For Hereditary Metabolic Diseases (MetabERN)

ore 15.30

Le speranze per il futuro: One Health e Ricerca: discussant Barbara D'Alessio

Giovanni Leonardi, Dipartimento One Health

Guido Scorza*, Componente del Garante per la protezione dei dati personali

Elena Mancini, CNR - Centro interdipartimentale per l'etica e l'integrità nella ricerca

Claudio Celeghin, Area Iniziative Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza Agenzia per l'Italia Digitale (AgID)

Antonio Romano, Dirigente Area Gestione servizi infrastrutturali Agenzia per l'Italia Digitale (AgID)



Fuori programma

ore 16.00

Firma del protocollo di intesa fra UNIAMO e FNO TSRM e PSTRP

Annalisa Scopinaro, Presidente Uniamo e Teresa Calandra, Presidente FNO TSRM e PSTRP



ÜNIAMO

25° Anniversario della fondazione di UNIAMO - Federazione Italiana Malattie Rare

Modera

Michela La Pietra, Vicedirettore Rai Pubblica Utilità

ore 16.00

Il viaggio di UNIAMO: dal 1999 a oggi

Testimonianze e riflessioni dei diretti protagonisti

Intervengono tra gli altri:

Paola Binetti, già Senatrice nelle legislature: XV, XVIII

Paola Taverna, già Vice Presidente del Senato della Repubblica

Lisa Noja, già Deputata nella legislatura XVIII, Consigliera regionale in Lombardia

Fabiola Bologna, già Deputata nella legislatura XVIII

Domenica Taruscio, già Direttrice del Centro Nazionale Malattie Rare

Paola Facchin, Coordinatrice del Tavolo Tecnico Interregionale Malattie Rare

Marta De Santis, Primo Ricercatore presso Istituto Superiore di Sanità

Tommasina Iorno, Past President UNIAMO

Loredana Nasta, Past Presidente UNIAMO, Presidente AICI, una delle Associazioni Fondatrici di UNIAMO

Fondatrici di UNIAMO

Fondatrici di UNIAMO

ore 19.00

Festa sulla Terrazza dell'Hotel

Un momento conviviale per festeggiare insieme l'anniversario della Federazione



L'evento di presentazione della mattina è stato trasmesso in diretta streaming sui canali social della Federazione Uniamo. Durante la mattina due interpreti LIS si sono alternate per garantire l'accessibilità alle persone della comunità segnante.

La convention ha visto la presenza di **50** relatori e circa **250** partecipanti.



UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

SENSIBILIZZAZIONE

IAMOLA VOCE

CONCETTO DI PRIMO MAGGIO CGIL CISL UIL 2024

UTOPIA
INDIPENDENZA

UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

SENSIBILIZZAZIONE

SIAMO LA VOCE

UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

SENSIBILIZZAZIONE

IAMOLA VOCE

CONCETTO DI PRIMO MAGGIO CGIL CISL UIL 2024

UTOPIA
INDIPENDENZA

UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

GIORNATA DELLE MALATTIE RARE #UNIAMOLEFORZE

La **Giornata delle Malattie Rare** è l'appuntamento più importante per le persone con malattia rara di tutto il mondo, per i loro familiari, per gli operatori sanitari e sociali. UNIAMO dal 2008 coordina la Giornata della Malattie Rare e le tante attività e iniziative pubbliche organizzate per focalizzare l'attenzione sulle necessità e i bisogni che la convivenza con una malattia rara comporta nel quotidiano.

In occasione della **17a edizione** del Rare Disease Day, UNIAMO ha promosso – per tutto il mese di febbraio - una campagna volta a **sensibilizzare il nostro Paese alle difficoltà che una persona con una patologia rara deve affrontare**. Insieme ad una sensibilizzazione out-of-home, con la brandizzazione di autobus, tram, metro, pensiline e schermi dell'aeroporto (Roma, Milano, Bologna, Venezia), sono stati organizzati eventi di sensibilizzazione con la presenza delle più alte cariche politiche e istituzionali, le associazioni dei pazienti e cittadini.

Inoltre la Federazione ha attivato una collaborazione con Poste Italiane, spedendo cartoline della giornata a oltre 20.000 famiglie di Bari, e con il Freccia Magazine, raggiungendo oltre 8 milioni di viaggiatori.



In occasione della Giornata, UNIAMO ha realizzato uno spot a tema musica, coinvolgendo i ragazzi delle associazioni e il noto direttore d'orchestra **Pepe Vessicchio**.



Papa Francesco durante l'Angelus tenutosi domenica 25 febbraio, ha ricordato la Giornata, salutando la rappresentanza dei pazienti presente, come di consueto, in piazza san Pietro.



ANSA

Sanremo 2024, record di ascolti
67,8% di share per la serata cover



Per l'edizione 2024 del Rare Disease Day, UNIAMO ha deciso di raggiungere un pubblico più giovane, stringendo una partnership con il **FantaSanremo**, il fantasy game basato sul Festival della canzone italiana che in questa edizione **ha coinvolto oltre 2 milioni e mezzo** di persone. Oltre ad avere una Lega dedicata, a cui **si sono iscritte più di 60.000 persone**, UNIAMO ha avuto un bonus giornaliero nella SERATA COVER venerdì 9 febbraio: il conduttore **Amadeus e 8 artisti** nella serata del venerdì **hanno replicato sul palco dell'Ariston il simbolo della comunità delle persone con malattia rara** di tutto il mondo, le mani intrecciate, dando un'eco incredibile alla campagna #UNIAMOleforze e facendo tantissimo rumore intorno alle malattie rare.

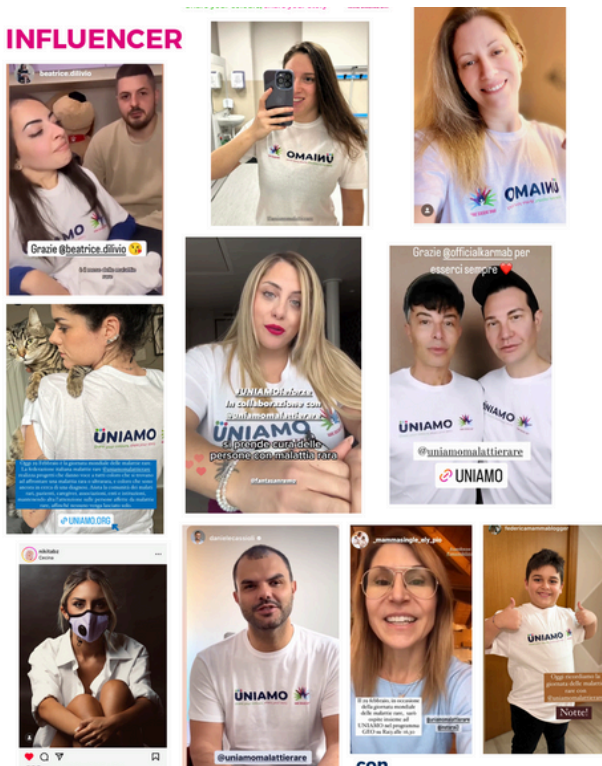
82

FantaSanremo x UNIAMO (Web + App + Social)	
impressions Uniamo su pagine sito/app FantaSanremo	177.760.489
Click sul logo Uniamo nel footer	13.273
Iscritti lega Uniamo	63.038
Click su CTA in Lega Uniamo	6.033
#assegnazioni bonus giornaliero Uniamo	8
Impressions contenuti Uniamo su canali social Fantasanremo	2.333.642

63.038 squadre iscritte alla LEGA



INFLUENCER



La campagna #UNIAMOleforze è stata veicolata da diversi personaggi del mondo dello spettacolo e della televisione che hanno coinvolto i propri follower invitandoli a condividere il messaggio di UNIAMO e ad indossare la maglietta della Giornata delle Malattie Rare.

Il coinvolgimento degli **influencer** ha permesso di aumentare la brand awareness e il tasso di conversione.

CONTATTI RAGGIUNTI
FEBBRAIO 2024

83

OSPITATE IN TV

16.378.000

FANTASANREMO

12.000.000

TOTALE

28.378.000

LA CAMPAGNA OUT OF HOME



Per tutto il mese di febbraio, grazie alla campagna **"Il Viaggio"**, che nel 2024 è entrata nel merito della seconda tappa la **presa in carico olistica**, UNIAMO ha sensibilizzato i cittadini di Roma, Milano, Bologna, Venezia, Bari.

84



Le inaugurazioni di tram, bus e metro si sono svolte alla presenza delle principali cariche istituzionali nazionali e regionali e sono state seguite da conferenze stampa e eventi di sensibilizzazione.

EVENTI ISTITUZIONALI

La campagna #UNIAMOleforze è partita il **1° febbraio 2024** dal Ministero della Salute alla presenza del Sottosegretario di Stato con delega alle malattie rare, **Marcello Gemmato**.



85

Dopo aver organizzato eventi e conferenze stampa a Milano, Bologna e Venezia il **29 febbraio 2024**, in occasione della Giornata delle Malattie Rare, si è tenuto l'evento finale presso il Centro Congressi Roma Eventi Fontana di Trevi di Roma. All'evento hanno partecipato, tra gli altri, i senatori **Daniele Manca**, **Orfeo Mazzella** e **Elisa Pirro**, e le deputate **Maria Elena Boschi**, **Elisabetta Gardini**, **Simona Loizzo**, **Ilenia Malavasi**



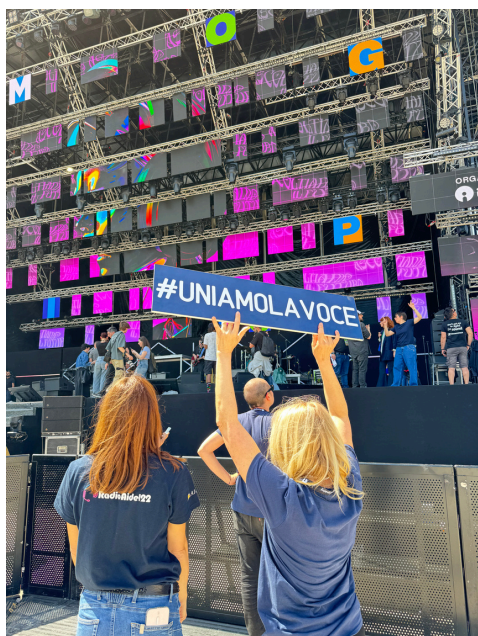
UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare

OBIETTIVI E ATTIVITÀ

CONCERTO DEL 1° MAGGIO 2024

Nel 2024 UNIAMO è stata Official Partner del Concerto del 1° maggio, organizzato ogni anno in occasione della Festa dei Lavoratori a Roma.

UNIAMO ha avuto la possibilità di allestire uno stand nel Villaggio e, grazie alla collaborazione con Radio Aldel22, la web radio che vede protagonisti i ragazzi con malattia rara, ha intervistato artisti e influencer durante le prove, da lunedì 29 aprile.





LA NEWSLETTER RARAMENTE DAL PORTALE DEL MINISTERO DELLA SALUTE

Direttore: Mirella Taranto - Capo Ufficio
stampa ISS

Responsabili scientifici: Domenica Taruscio -
Direttore del Centro Nazionale Malattie Rare,
ISS e Annalisa Scopinaro - Presidente
Federazione UNIAMO

15 NUMERI NEL 2024

INOLTRE

**14 ARTICOLI PUBBLICATI CON FOCUS
SULLA FEDERAZIONE E SULLE MALATTIE RARE
27 INTERVISTE E/O VIDEOMESSAGGIO**

87

CHIACCHIERARE



**FORMAT SOCIAL DI TALK NATO
DURANTE LA PANDEMIA, HA UNA
MODALITÀ FRESCA E NUOVA DI FAR
CONOSCERE LE ASSOCIAZIONI E LE
PATOLOGIE DI CUI SI OCCUPANO.**

ChiacchieRARE sulla mutazione del gene DHDDS, patologia genetica ultra-rara che in Italia non ha ancora un'Associazione di pazienti. Hanno partecipato alla puntata Serena Galosi, Neuropsichiatra Sapienza Università di Roma, Emanuele Bartolini, Neurologo Dirigente medico IRCCS Fondazione Stella Maris di Pisa, Mel Dixon, mamma di 2 ragazzi con DHDDS, Fondatrice di Cure DHDDS e Annalisa Scopinaro, Presidente di UNIAMO.



ALTRE ATTIVITÀ

I PREMI E I CONCORSI



Il Volo di Pegaso

Il Concorso è promosso dal Centro Nazionale Malattie Rare - CNMR -ISS in collaborazione con UNIAMO.



UNO SGUARDO RARO

Festival cinematografico che vuole essere un “portatore sano di emozioni” mettendo al centro le persone e non la malattia



Più Unici che Rari

Campagna di sensibilizzazione nelle scuole, insieme ad un concorso, sostenuta da Sanofi Genzyme con la collaborazione di Libri e UNIAMO.

Annalisa Scopinaro e Simona Bellagambi nella giuria.

90



IV edizione Rare Diseases Award

Nato dalla collaborazione tra Uniamo e Konzept srl, il Premio è un riconoscimento che arriva direttamente dalle persone con malattia rara per premiare i progetti sviluppati per il miglioramento della loro qualità di vita.



Le Eccellenze dell'Informazione Scientifica e la Centralità del Paziente

Premio mira a valorizzare i progetti che hanno generato un reale beneficio per la salute dei cittadini e un decisivo progresso verso l'affermazione della centralità del paziente.



Festival del Cinema Nuovo

Festival cinematografico che si svolge ogni due anni su cortometraggi e film di animazione interpretati e realizzati da persone con disabilità.

Il festival viene organizzato dall'Associazione Romeo Della Bella in collaborazione con Mediafriends e con la partnership di Fondazione Allianz Umana Mente.

ALTRE ATTIVITÀ PER LE ASSOCIAZIONI E LE FAMIGLIE

HOL4ALL



Progetto della Fondazione Allianz UMANA MENTE in collaborazione con UNIAMO. Dedicato alle famiglie con figli con malattia rara o disabilità complessa di età compresa tra i 5 ei 25 anni che ha l'obiettivo di offrire un'esperienza di benessere e di vacanza arricchente e rigenerante, attraverso attività ludico-terapiche pensate per tutti i componenti del nucleo familiare e occasioni di socializzazione e scambio tra i partecipanti.



PRONTI A SALPARE

Il progetto, finanziato della King Baudouin Foundation, ha come obiettivo primario la crescita personale delle persone affette da malattie rare scheletriche tramite l'utilizzo dell'attività velica come modalità di trattamento.



VENGO ANCH'IO

Progetto, finanziato da Enel cuore Onlus, he ha come obiettivo quello di garantire, entro la prossima stagione balneare, l'accessibilità piena al Lido di Tricase.



DYNAMO CAMP

Primo camp di Terapia Ricreativa in Italia appositamente strutturato per ospitare gratuitamente bambini e ragazzi malati e le loro famiglie per periodi di vacanza e divertimento.



OBIETTIVI E ATTIVITÀ

SERVIZIO DI ASCOLTO, INFORMAZIONE E ORIENTAMENTO

Sono state circa 500 le persone sostenute con un supporto psicologico, legale, amministrativo, ludico e economico dal servizio SAIO durante l'anno.

Lo sportello fa parte della Rete Europea delle Help Line. Le ore di assistenza erogate nel 2024 sono state circa 1000.



BIGLIETTI GRATUITI PER LE PARTITE DELLA FIORENTINA



Da ottobre 2023 Uniamo ha avuto la possibilità di distribuire biglietti gratuiti per le partite casalinghe della Fiorentina. A dicembre 2024 oltre 100 biglietti emessi, per un valore di €2.200,00.





A.F.A.D.O.C. APS - ASSOCIAZIONE FAMIGLIE DEFICIT ORMONE DELLA CRESCITA ED ALTRE PATOLOGIE RARE

ABC - Associazione Bambini Cri Du Chat

ACAR - Associazione Conto alla Rovescia

ACE ITALIA AS. CONQUISTANDO ESCALONES

ACMT ASSOCIAZIONE ITALIANA ACMT-RETE PER LA MALATTIA DI CHARCOT MARIE TOOTH

ACONDROPLASIA INSIEME PER CRESCERE

AETR Ass.Emofilici e Talassemici "Vincenzo Russo Serdoz" Ravenna

AFSW ASS. FAMIGLIE SINDROME DI WILLIAMS

AICCA - ASS. IT. DEI CARDIOPATICI CONGENTI ADULTI

AICI ASS. IT. CISTITE INTERSTIZIALE

AIDEL 22 - Associazione Italiana Delezione Cromosoma 22

AIF Ass. It. Fruttosemici

AILE ONLUS - Associazione Italiana Linfoistiocitosi Emofagocitica

AIMAKU - Associazione Italiana dei malati di Alkaptonuria

AIMAR ASS. IT. PER LE MALFORMAZIONI ANORETTALI

AIMEN 1 E 2 ASS. ITALIANA NEOPLASIE ENDOCRINE MULTIPLE DI TIPO 1 E DI TIPO 2

AIMFT ASS. IT. MALATTIA FRONTOTEMPORALE

AIN - Associazione Italiana Narcolettici e Ipersonni

AINMO - Associazione Italiana Neuromielite Ottica

AINP - Associazione Italiana Neuropatie Periferiche

AINP ASS. IT. NIEMANN PICK

AIP OdV - Associazione Immunodeficienze Primitive

AIPACUS ASS. IT. PAZIENTI CUSHING

AIPAD Associazione Italiana Pazienti Addison

AIPIT - Associazione Italiana Porpora Immune Trombocitopenica

AISAC ASS. PER L'INFORMAZIONE E LO STUDIO DELL'ACONDROPLASIA

AISAP - Associazione Italiana Ipotensione Liquorale Ipertensione Endocranica Siringomielia
Sindrome di Arnold-Chiari Project

OBIETTIVI E ATTIVITÀ

AIsmac - Associazione Italiana Siringomielia E Arnold Chiari
AISP ASS. IT. SINDROME DI POLAND
AISPH ASS. ITALIANA SINDROME DI PITT-HOPKINS
Aisphem ODV - Associazione Italiana per la Sindrome di Phelan-McDermid
AIVIPS - Associazione Italiana Vivere la Paraparesi Spastica
ALMA - Ass. Libera Malati Acalasia e Altre Malattie dell'Esofago
AMANTUM ASS. MALATI DI MICOBATTERIOSI NON TUBERCOLARE
AMARE Associazione Malattie Rare Ematologiche
AMMeC-Associazione Malattie Metaboliche Congenite ODV
AMMP - Associazione Morgagni Malattie Polmonari
AMORHI Famiglie con figli affetti da morbo di Hirschsprung
AMRI - Associazione Malattie Reumatiche Infantili
ANACC ASS. NAZ. ANGIOMA CAVERNOSO CEREBRALE
ANGELI NOONAN ASSOCIAZIONE ITALIANA SINDROME DI NOONAN
ANIRIDIA ITALIANA
APIC - Ass. Pazienti Italiani di Colangiocarcinoma
APW Italia - Associazione Persone Sindrome di Williams
ARCOIRIS ASS. ARCOIRIS ONLUS - DIAMO COLORE ALLA SPERANZA
ASM17 ASS. SMITH MAGENIS ITALIA
ASMARA ASS. MALATTIA RARA SCLERODERMIA E ALTRE MALATTIE RARE "ELISABETTA GIUFFRÈ"
ASS. OLTRE LE MURA
ASS. P63 Sindrome E.E.C. International Net Work Word Communication
ASS.IT. MOWAT WILSON
ASSAI - ASSOCIAZIONE SINDROME DI ALSTROM ITALIA
ASSI GULLIVER ASSOCIAZIONE SINDROME DI SOTOS ITALIA
ASSOCIAZIONE FSHD ITALIA
ASSOCIAZIONE POIC E DINTORNI
AST ASSOCIAZIONE SCLEROSI TUBEROSA
ATE ASS.TOSCANA EMOFILICI
ATISB ASS. TOSCANA IDROCEFALO E SPINA BIFIDA
BUTTERFLY BUTTERFLY È METAMORPHOSIS, LA CULTURA PER IL SOCIALE
CDLS ASS. NAZ. DI VOLONTARIATO CORNELIA DE LANGE
CFT - Comitato Famiglie Talassemici
CIDP ITALIA
COALA
CON GIACOMO CONTRO EHLERS DANLOS SYNDROME
Ctnnb1 Italia odv
DBA ITALIA
ESEO ITALIA ASS. ESOFAGITE EOSINOFILA ITALIA
FEDEMO Fed. delle Associazioni Emofiliaci
FEDERAZIONE ITALIANA PRADER-WILLI
FITHAD FONDAZIONE IT. "LEONARDO GIAMBRONE" PER LA GUARIGIONE DALLA THALASSEMIA
FONDAZIONE ALESSANDRA BISCEGLIA VIVA ALE
FONDAZIONE CEPIM
FONDAZIONE CHOPS MALATTIE RARE
Fondazione Lega del Filo d'Oro - E.T.S. - Ente Filantropico
FORUM TOSCANO ASS. MALATTIE RARE
GFD GRUPPO FAMIGLIE DRAVET ASSOCIAZIONE
GLUT 1 Associazione italiana Glut1
GRI ITALIA APS
HHT ITALIA APS - ASS. IT. TELEANGECTASIA EMORRAGICA EREDITARIA
HHT ONILDE CARINI

IAGSA ASSOCIAZIONE INTERNAZIONALE AICARDI GOUTIERES

Io raro

KSS Ass. Sindrome di Kearns Sayre

LIO Lipedema Italia Onlus Associazione Nazionale Pazienti affetti da Lipedema

LIRH FONDAZIONE LEGA ITALIANA RICERCA HUNTINGTON

LYME ASS. LYME ITALIA E COINFEZIONI

MITOCON - INSIEME PER LO STUDIO E LA CURA DELLE MALATTIE MITOCONDRIALI

NANa ETS

NISTAGMO ITALIA Ass. It. Nistagmo e Ipovisione

PANS PANDAS Italia APS

PIPO ASSOCIAZIONE UNITI PER LA PIPO

PKS ITALIA - Associazione Italiana della Sindrome di Pallister-Killian

Progetto Grazia

PTEN - Associazione Italiana per la lotta alle PHTS

RACGIUNGERE - Associazione Italiana per il sostegno alle famiglie di bambini nati con malformazioni agli arti o che hanno perso gli arti a seguito di un trauma

RARI MA SPECIALI

Respiriamo Insieme APS

RMR - Associazione Rete Malattie Rare

RTS Ass. di Volontariato R.T.S. "Una Vita Speciale"

SANFILIPPO FIGHTERS

SCN2A ITALIA FAMIGLIE IN RETE

SCN8A Associazione SCN8A Italia

SYNGAP1 Famiglie Syngap1 Italia

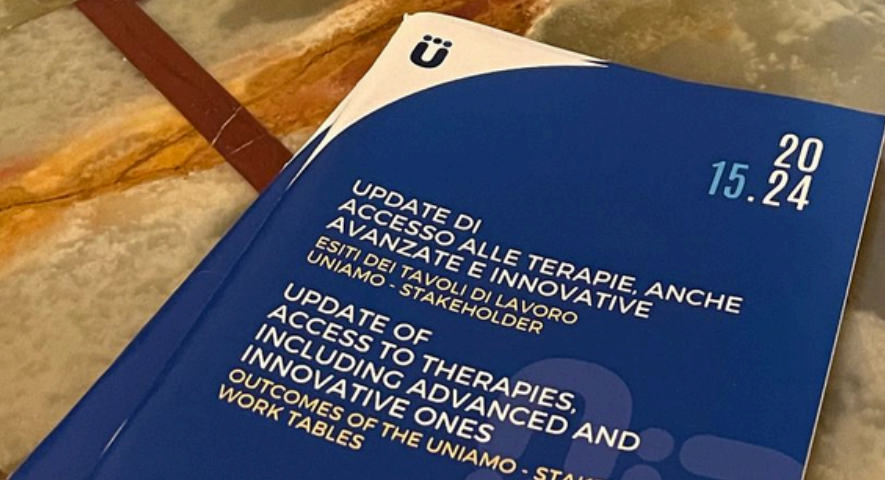
UJLDM - UNIONE ITALIANA LOTTA ALLA DISTROFIA MUSCOLARE

UNITI - Unione Italiana Ittiosi

MOLTO PIU' DI QUANTO IMMAGINI

In Italia le persone con malattia rara
sono oltre 2 milioni.
UNIAMO, la loro voce.

IO SOSTENGO
LA GIORNATA DELLE MALATTIE RARE
28 FEBBRAIO



COMUNICAZIONE



LA COMUNICAZIONE

Le attività di comunicazione hanno permesso alla Federazione di mantenere alta l'attenzione sulle malattie rare tutto l'anno e di ridurre le distanze con il pubblico interessato alla nostra missione.

Per questo nell'ultimo anno si è consolidata la presenza della Federazione su tutti i canali di comunicazione online e tutte le iniziative di comunicazione hanno avuto un importante risvolto digitale. In particolare si è lavorato per rafforzare il posizionamento di UNIAMO su LinkedIn, il sociale network "più professionale" dove interagiscono molti degli interlocutori della Federazione, come clinici o giornalisti.

Grazie ad un lavoro editoriale sulla ottimizzazione dei contenuti, la fan/follower base di tutti i canali social è cresciuta garantendo un alto livello di engagement e una interazione in tempo reale con le Associazioni e i principali stakeholder. Fondamentale in questo senso la grandissima visibilità ottenuta grazie alla partnership con il FantaSanremo e alla partecipazione al Concertone del 1° maggio.

I RISULTATI

- 26 COMUNICATI STAMPA
- 12 RARENEWS
- 11 PILLOLE DAL DIRETTIVO
- 65 ARTICOLI PUBBLICATI

98

Vite Rare

“

Anche se la sindrome ha portato con sé sacrifici e dolori, psicologicamente è stato davvero pesante, mi ha anche spinto maggiormente ad amare ciò che già amavo: la scienza. Spero, un giorno, di riuscire con il mio lavoro ad aiutare tutti i pazienti MEN a sentirsi un po' più speranzosi e meno soli.

CINZIA

UNIAMO
Rari, mai soli



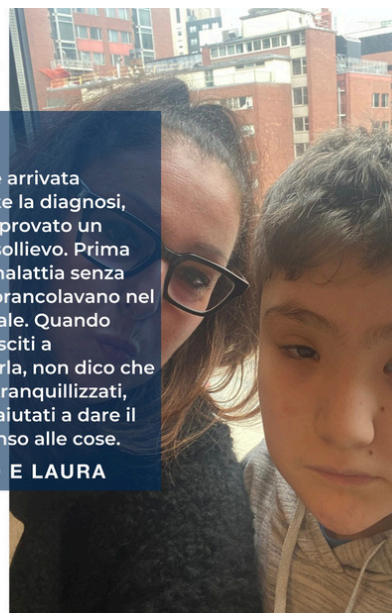
Vite Rare

“

Quando è arrivata finalmente la diagnosi, abbiamo provato un senso di sollievo. Prima era una malattia senza nome, e brancolavamo nel vuoto totale. Quando siamo riusciti a identificarla, non dico che ci siamo tranquillizzati, ma ci ha aiutati a dare il giusto senso alle cose.

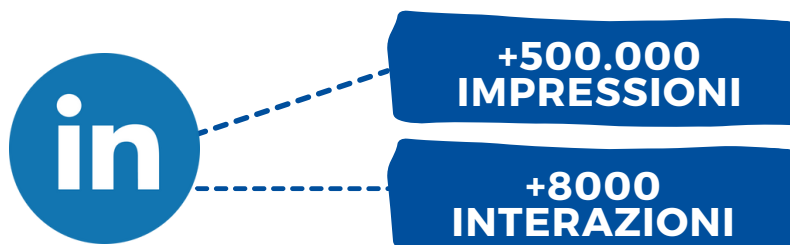
MATTEO E LAURA

UNIAMO
Rari, mai soli



La rubrica "**Vite Rare**", lanciata nel 2021, ha incoraggiato moltissime persone a raccontare la propria storia e a condividere la propria patologia rara. tantissime le **testimonianze raccolte**, 14 delle quali sono state pubblicate sui canali Facebook e Instagram della Federazione registrando un tasso di copertura superiore alla media.

ATTIVITÀ



DIMENSIONE ECONOMICA E SOCIALE



LE RACCOLTE FONDI

LE DONAZIONI DA PRIVATI e AZIENDE

La Federazione ha proseguito le raccolte fondi, in ottica di diversificazione delle fonti di finanziamento.



€ 40.974,60 RACCOLTI TRAMITE
DONAZIONI

In occasione della **Giornata delle Malattie Rare 2024** sono stati tanti i donatori che hanno scelto di sostenere l'attività della Federazione, acquistando i gadget di UNIAMO sul sito.

€1.360,00 RACCOLTI
NEL MESE DI
FEBBRAIO

102

La nostra riconoscenza va alle Aziende che hanno sostenuto l'attività della Federazione e hanno rinnovato il proprio impegno a favore di diverse progettualità.

Ringraziamo anche chi ha voluto ricordare le persone con malattia rara nel giorno del proprio matrimonio scegliendo le nostre pergamene solidali.

Un ringraziamento a chi ha scelto di destinare il proprio 5x1000 alle attività istituzionali di UNIAMO.

Raccolti € 69.334,60
per erogazioni liberali

LE EROGAZIONI LIBERALI - DONAZIONI - SPONSORIZZAZIONI

GIORNATA DELLE MALATTIE RARE

ALEXION
AMGEN
BIOGEN
BOEHRINGER INGELHEIM
CHIESI
CLS BEHRING
GSK
IPSEN
ITALFARMACO
JAZZ PHARMA
KYOWA KIRIN
MEDAC PHARMA
PFIZER
ROCHE
SANOFI
TAKEDA
TRAVERE THERAPEUTICS
VIFOR PHARMA

MONITORARE

BEIGENE
BLUEPRINT MEDICINES
BOEHRINGER-INGELHEIM
CHIESI
CSL BEHRING
IPSEN
JANSSEN
JAZZ THERAPEUTICS
ROCHE
SANOFI
NOVO NORDISK

ALTRI PROGETTI

KEDRION
IPSEN
MERO
PIERRE FABRE
SIFI

BANDI PUBBLICI

AVVISO 2 MLPS
FONDI EUROPEI
ENEL CUORE

DIMENSIONE ECONOMICA E SOCIALE

GIORNATA DELLE MALATTIE RARE

La Giornata delle Malattie Rare è il momento in cui storicamente la Federazione si rivolge alle aziende per sostenere la campagna, realizzata in maniera coordinata con quanto prodotto da Eurordis - Rare Disease Europe.

La necessità di una forte azione di sensibilizzazione sulle malattie rare, con lo spunto della ricorrenza, permette azioni sinergiche con tutti gli attori di questo sistema.

La possibilità di coinvolgimento degli attori istituzionali e politici nel momento in cui i riflettori sono puntati sulle malattie rare dà la possibilità anche di ottenere qualche finanziamento aggiuntivo rispetto alla normale raccolta fondi.

MONITORARE

La presentazione del Rapporto MonitoRare, per l'importanza crescente che i dati raccolti hanno nel panorama delle malattie rare, è un evento di sempre maggiore visibilità. Anche in questo caso diverse aziende, come evidenziato nella pagina specifiche, hanno sostenuto la presentazione del Rapporto, convinti della necessità di un'azione di advocacy forte da parte delle rappresentanze dei pazienti.

ALTRI PROGETTI e FINANZIAMENTI

104

Nel corso del 2024 sono proseguiti o completati una serie di altri progetti, alcuni con finanziamento pubblico e altri con finanziamento privato. Siamo partner del progetto europeo **Recon4IMD** (Reconstruction and Computational Modelling for Inherited Metabolic Diseases), progetto co-finanziato dalla European Union's Horizon Europe Framework Programme (101080997), dallo Swiss State Secretariat for Education, Research and Innovation (23.00232), e dallo United Kingdom Research and Innovation (10083717 & 10080153). L'obiettivo è trovare modelli computazionali per accelerare la diagnosi delle malattie metaboliche. Il progetto **SAIO**, nella sua forma rinnovata di supporto anche alle Associazioni, ha ricevuto alcuni sostegni specifici e ha continuato l'attività implementando i professionisti dedicati. Uniamo è stata anche coinvolta nel progetto "WomenInRare", promosso da Alexion, che ha visto nel 2024 la pubblicazione del libro bianco sulla condizione di donne malate rare e caregiver. E' proseguito il progetto di sensibilizzazione sulla medicina di genere e sull'importanza di prestare attenzione alla salute della donna "**Donne, Salute e Rarità**". A dicembre il bando Avviso 2 del Ministero del Lavoro e delle politiche sociali, dedicato espressamente alle attività di rete, ci è stato aggiudicato per il progetto **SMART 2**, in partenariato con ben 11 Associazioni, con erogazione dei fondi a partire dal 2025. Nel corso dell'anno il bando vinto con Fondazione Roche, insieme all'Associazione Respiriamo Insieme, ha visto la realizzazione di 10 webinar dedicati alle tematiche più sentite per i pazienti, un fine settimana con un laboratorio espressivo e un evento finale di presentazione dei risultati per il progetto **RiUniamoCi** sulla IPF.

PROSPETTI ECONOMICO-FINANZIARI

SITUAZIONE PATRIMONIALE

ATTIVO	2023	2024
Immobilizzazioni	303.119	820.965
Crediti	732.784	280.135
Disponibilità Liquide	1.220.006	888.268
Conti Erario/Ratei e risconti	651	415

PASSIVO	2023	2024
Fondo di dotazione	15.000	15.000
Patrimonio vincolato	546.489	0
Patrimonio libero	699.031	1.248.367
Fondo rischi	315.268	185.780
Debiti	225.078	163.465
Ratei e risconti passivi	471.407	378.803
Utile di Esercizio dopo accantonamenti	2.847	27.986

CONTO ECONOMICO - COSTI

A) COSTI DA ATTIVITÀ DI INTERESSE GENERALE			B) COSTI DA ATTIVITÀ DIVERSE		
	2023	2024		2023	2024
Costi materie di consumo	27.333	65.063	Costi per servizi	211.660	166.781
Costi per servizi	52.146	144.406	Oneri diversi di gestione	10681	13.747
Costi per godimento beni terzi	37.857	35.458	Materie prime suss.	76	
Costi per il personale	143.674	145.770	Godimento beni terzi	23.462	13.938
Ammortamenti	3.597	4.537			
Oneri diversi di gestione	233.410	33.532			

CONTO ECONOMICO - RICAVI

A) RICAVI DA ATTIVITÀ DI INTERESSE GENERALE			B) RICAVI DA ATTIVITÀ DIVERSE		
	2023	2024		2023	2024
Proventi da quote associative	15.850	17.600	Ricavi per prest.	538.161	398.520
Ricavi per prestazioni ad associati	36.894	16.271	Altri ricavi	48.502	240
Erogazioni liberali	72.004	96.273			
Proventi 5x1000	10.186	12.226			
Contributi privati	87.250	47.358			
Prestazioni e cessioni a terzi	-	79			
Altri ricavi e proventi	86.413	44.510			
Rimanenze finali	26.500	41.000			

ONERI FIGURATIVI

Acquisizione gratuita di servizi	534.433	596.014
Lavoro prestato dai volontari	43.555	101.555

LA VALORIZZAZIONE DELLE GRATUITA' E DEL LAVORO VOLONTARIO

2024		
Borse di studio	4 persone	13.000 euro
Cessioni gratuite o scontate servizi		483.859 euro
Valorizzazione lavoro volontario I liv	3.826 ore	101.555 euro
TOTALE VALORE CREATO		€598.414

Alcune notazioni:

Le borse di studio sono state distribuite per corsi di management presso Altems e per il corso ATMP organizzato da Roche.

Le cessioni gratuite o scontate di servizi sono state usufruite principalmente in occasione della Giornata delle Malattie Rare: sconti su tariffe ufficiali, passaggi gratuiti di spot e podcast su TV e radio; completano il totale le gratuità erogate da Associazioni, aziende e agenzie di servizi in occasione di partecipazione ad eventi specifici.

Gli oneri figurativi sono rendicontati a parte rispetto alla contabilità ordinaria, in cui confluiscono solo a fine periodo, con pezze giustificative specifiche e puntuali.

Le ore di volontariato sono valorizzate con il compenso orario da Contratto del Commercio, per la paga oraria di un quadro/I livello per l'apporto del Direttivo e per la gestione amministrativa.

I volontari censiti sono 18, fra i quali i membri del Direttivo, le persone delegate ai tavoli di lavoro e ai coordinamenti, la persona che da qualche anno segue tutta la parte amministrativa-contabile della Federazione.

Ideazione, Coordinamento e Realizzazione progetto a cura di
Annalisa Scopinaro

Grafica, impaginazione, supporto e raccolta dati:
Maria Elisa Coccia

Le foto sono state scattate in occasione degli eventi **UNIAMO**.



Via Nomentana 133, 00161 Roma

Tel. 064404773

segreteria@uniamo.org

www.uniamo.org



@uniamomalattierare



@uniamofimronlus



@uniamofimr

UNIAMO

Rari, mai soli

Uniamo Federazione Italiana Malattie Rare
Onlus Via Nomentana, 133 - 00161 Roma
tel. 064404773 - 3791640188
Codice fiscale: 92067090495

uniamo.org