

CHAMPIONING THE RARE

- COSTRUIRE IL MOTORE DI
UN'UNIONE SANITARIA
EUROPEA INCLUSIVA

#ACTRARE2024



ÜNIAMO
Federazione Italiana Malattie Rare





EURORDIS - Rare Diseases Europe e le sue oltre 1.000 organizzazioni di pazienti affetti da malattie rare chiedono che le malattie rare diventino una priorità per i candidati al Parlamento Europeo, alla futura Commissione Europea e a tutti gli altri decisori politici rilevanti.

Mentre ci avviciniamo alle elezioni del Parlamento Europeo, 30 milioni di persone che vivono con una malattia rara in Europa chiedono un mondo in cui possano avere una vita migliore e più lunga e raggiungere il loro pieno potenziale, in una società che valorizzi il loro benessere e non lasci nessuno indietro.

Riteniamo che le seguenti raccomandazioni siano fondamentali per costruire un'Unione sanitaria europea inclusiva che non lasci indietro nessuno:

QUADRO POLITICO EUROPEO
SULLE MALATTIE RARE 01

DIAGNOSI PRECOCE, PIÙ
VELOCE E PIÙ ACCURATA 02

PERCORSI SANITARI
INTEGRATI NAZIONALI ED
EUROPEI 03

ACCESSO TEMPESTIVO A
TRATTAMENTI ACCESSIBILI E
INNOVATIVI 04

CURA OLISTICA INTEGRATA,
INCENTRATA SULLA
PERSONA E PER TUTTA LA
VITA 05

RICERCA E SVILUPPO
INNOVATIVI E ORIENTATI AI
BISOGNI 06

DATI OTTIMIZZATI PER IL
BENEFICIO DEL PAZIENTE E
DELLA SOCIETÀ 07

SVILUPPO SOSTENIBILE E
RESILIENTE DI TRATTAMENTI 08



QUADRO POLITICO EUROPEO SULLE MALATTIE RARE

Nessun quadro o strategia globale attualmente affronta le sfide della comunità delle malattie rare e le politiche del passato non tengono più il passo con le esigenze delle persone che vivono con una malattia rara. Basandosi su un solido consenso politico [1], chiediamo all'Unione Europea di creare un Piano d'Azione Europeo per le Malattie Rare globale e basato su obiettivi per affrontare gli attuali bisogni insoddisfatti delle persone che vivono con una malattia rara e per rompere i silos di diversi atti legislativi in materia di dati, ricerca, cura, assistenza sanitaria, protezione sociale e benessere, nonché iniziative nazionali e comunitarie.

[1] Si veda ad esempio l'appello degli eurodeputati per un piano d'azione dell'UE per le malattie rare e i 21 Stati membri che sostengono l'appello all'azione della presidenza ceca del Consiglio dell'UE sulle malattie rare





DIAGNOSI PRECOCE, PIÙ VELOCE E PIÙ ACCURATA

A causa della complessità e della rarità di queste malattie, la ricerca di diagnosi accurate spesso diventa una “odissea diagnostica”, causando notevoli difficoltà mentali, finanziarie e sociali. Le differenze nelle capacità nazionali e negli approcci alla diagnosi creano disuguaglianze in tutta Europa. Esortiamo l'Unione Europea a coordinare un approccio unificato, promuovendo la collaborazione tra operatori sanitari specializzati, condividendo le migliori pratiche tra gli Stati membri per garantire diagnosi di malattie rare più tempestive, più rapide e più accurate in tutta Europa. Inoltre, approcci a livello europeo allo screening neonatale e il sostegno alla migliore ricerca e alle tecnologie diagnostiche avanzate sono fondamentali per offrire a tutti i bambini pari opportunità in tutta Europa.





PERCORSI SANITARI INTEGRATI NAZIONALI ED EUROPEI

Le malattie rare pongono sfide uniche non solo a causa della loro bassa prevalenza, ma anche a causa della scarsità e della dispersione degli esperti sanitari. Ciò ha creato una “lotteria geografica” che limita l’accesso di molti pazienti alle cure ottimali. Per affrontare queste disuguaglianze all’interno e tra i paesi, chiediamo all’UE di garantire un accesso tempestivo ed equo all’assistenza sanitaria altamente specializzata per le persone affette da patologie rare o complesse. Ciò può essere raggiunto attraverso l’integrazione delle reti di riferimento europee (ERN) nei sistemi sanitari sia transfrontalieri che nazionali. Esortiamo inoltre l’UE a definire e attuare soluzioni specifiche e a fornire sostegno per una migliore cooperazione e un’assistenza sanitaria specializzata, in particolare per le malattie ultra rare che colpiscono meno di 500 persone nell’UE.





ACCESSO TEMPESTIVO A TRATTAMENTI ACCESSIBILI E INNOVATIVI

Attualmente, solo il 6% delle malattie rare ha trattamenti approvati, mentre il 69% dei pazienti affetti da malattie rare riceve solo cure sintomatiche. [2] Nonostante il successo del regolamento OMP, l'accesso ai trattamenti approvati rimane difficile. Nella creazione di un percorso europeo dallo sviluppo all'accesso, esortiamo l'UE a impegnarsi sistematicamente con i pazienti e i loro rappresentanti in tutte le fasi dei processi di ricerca e sviluppo e di regolamentazione. L'UE dovrebbe istituire un quadro solido, concentrandosi sui bisogni insoddisfatti dei pazienti, promuovendo l'innovazione e l'accesso a trattamenti trasformativi e convenienti, anche attraverso l'accesso precoce, l'uso compassionevole, i dialoghi tempestivi e una maggiore cooperazione in materia di prezzi e rimborsi, sostenuta da metodi di acquisto europei unificati.

[2] Rare Barometer 2019, EURORDIS





CURA OLISTICA INTEGRATA, INCENTRATA SULLA PERSONA E PER TUTTA LA VITA

Le persone affette da malattie rare devono affrontare sfide uniche, tra cui ottenere adeguate valutazioni della disabilità e affrontare un rischio più elevato di problemi di salute mentale. Per affrontare questi problemi, l'Unione Europea dovrebbe riconoscere le esigenze di assistenza permanente delle persone che vivono con una malattia rara e delle loro famiglie e assistere gli Stati membri nello sviluppo di percorsi assistenziali completi, che comprendano fornitori di servizi sanitari e sociali ben formati. Inoltre, l'UE dovrebbe sostenere gli Stati membri nella condivisione di buone pratiche per migliorare i quadri nazionali di valutazione della disabilità, per garantire che non vi siano lacune nell'integrazione delle malattie complesse che causano disabilità e per riconoscere la comunità delle malattie rare come una popolazione vulnerabile con specifiche condizioni di salute mentale. Esigenze nelle sue politiche in materia.





RICERCA E SVILUPPO INNOVATIVI E ORIENTATI AI BISOGNI

La ricerca migliora la nostra comprensione delle malattie rare, portando a diagnosi più rapide, trattamenti innovativi e una migliore assistenza sanitaria. Persistono sfide come finanziamenti inadeguati, popolazioni di pazienti limitate per gli studi e registri di pazienti non coordinati, con conseguenti ritardi nella diagnosi e nello sviluppo del trattamento. L'UE dovrebbe continuare a promuovere la collaborazione transfrontaliera a lungo termine nella ricerca sulle malattie rare, concentrandosi sulla scienza normativa adattata alle malattie rare, sfruttando la tecnologia e le terapie avanzate. Nello specifico, esortiamo l'UE a rafforzare la capacità di ricerca delle ERN, a sostenere i partenariati intersettoriali nella ricerca sulle malattie rare nell'ambito di Orizzonte Europa, a garantire la continuità del Programma congiunto europeo per le malattie rare e a facilitare il coinvolgimento dei pazienti nella ricerca.





DATI OTTIMIZZATI PER IL BENEFICIO DEL PAZIENTE E DELLA SOCIETÀ

La condivisione dei dati sanitari è vitale per far avanzare la ricerca sulle malattie rare, data la dispersione di conoscenze, competenze e popolazioni di pazienti. Il regolamento sullo spazio europeo dei dati sanitari rappresenta un'opportunità per sfruttare il potenziale dei dati sanitari in Europa a beneficio dei pazienti affetti da malattie rare. L'UE deve bilanciare la sicurezza dei dati con la possibilità di consentire l'accesso ai dati per nuove terapie. Esortiamo l'UE a sostenere l'armonizzazione e l'ottimizzazione delle cartelle cliniche elettroniche per uno scambio transfrontaliero sicuro di dati, oltre a stabilire un quadro di governance affidabile che coinvolga le ERN per l'utilizzo etico dei dati. La collaborazione con i rappresentanti dei pazienti è fondamentale per comprendere le aspettative dei pazienti nella ricerca e nella condivisione dei dati durante lo sviluppo e la valutazione delle politiche.

COSTRUIRE IL MOTORE DI UN'UNIONE SANITARIA EUROPEA INCLUSIVA





SVILUPPO SOSTENIBILE E RESILIENTE DI TRATTAMENTI

Lo sviluppo di trattamenti e terapie, insieme alla fornitura di cure ad alta intensità di risorse, comporta un'ampia gamma di impegni, comprese le risorse organizzative, finanziarie, naturali, energetiche e persino biologiche. L'UE deve adottare un approccio più integrato e resiliente che bilanci e ottimizzi la salute e il benessere degli individui, degli animali e dell'ambiente attraverso l'intero ciclo di ricerca, sviluppo e accesso ai trattamenti e alle cure. Esortiamo l'Unione Europea a facilitare lo sviluppo di strumenti digitali, telemedicina e assistenza sanitaria mobile per migliorare l'accessibilità e la comodità per i partecipanti alla sperimentazione clinica. È essenziale implementare i principi 3R nei test medici regolatori, garantendo un uso ridotto e ripensato degli animali mantenendo la validità scientifica.





Abbiamo bisogno di una rinnovata azione europea per le malattie rare per ridare slancio ai piani e alle strategie nazionali, e a tutto ciò che vi è al loro interno. Nessuno può farcela da solo per le malattie rare.

”

VICTORIA, AVVOCATA DEL PAZIENTE

COSTRUIRE IL MOTORE DI UN'UNIONE SANITARIA EUROPEA INCLUSIVA

Le malattie rare colpiscono oltre 30 milioni di persone in Europa, colpendo le loro famiglie e coloro che se ne prendono cura. Queste condizioni sono spesso croniche, progressive, degenerative e pericolose per la vita e influenzano in modo significativo la vita quotidiana. Sebbene il numero collettivo sia considerevole, gli individui affetti da ciascuna delle 6.000 malattie rare sono pochi e dispersi nei vari paesi.

1 SU 2.000

è la soglia dell'UE per classificare una malattia rara che colpisce quel numero o meno di cittadini

30 MILIONI

le persone vivono con una malattia rara in 48 paesi europei

6.000+

è il numero stimato di malattie rare distinte

72%

delle malattie rare sono di origine genetica

Per migliorare la vita dei cittadini europei affetti da malattie rare, le strategie efficaci devono essere transfrontaliere e a livello europeo. Attualmente, persistono bisogni insoddisfatti per le persone affette da malattie rare in varie aree del mondo e in Europa. Resta ancora molto da fare per garantire un accesso equo alla diagnosi, al trattamento, all'assistenza sanitaria e al sostegno sociale, promuovendo al tempo stesso la piena inclusione delle persone affette da malattie rare nella società.

CHAMPIONING THE RARE

EURORDIS - Rare Diseases Europe è un'alleanza unica e senza scopo di lucro di oltre 1.000 organizzazioni di pazienti affetti da malattie rare provenienti da 74 paesi che lavorano insieme per migliorare la vita di oltre 300 milioni di persone che vivono con una malattia rara a livello globale.

Scansiona il codice QR per leggere la versione dettagliata delle nostre priorità o visita il nostro sito web: www.eurordis.org



#ACTRARE2024



2024