



Malattie rare: Uniamo e Crea Sanit  insieme per â??MonitoRareâ?? farmaci e screening neonatale

Descrizione

(Adnkronos) â?? Approfondire gli aspetti economici, organizzativi e sociali che influenzano la vita delle persone con malattia rara, contribuendo a migliorare le politiche di accesso ai farmaci e ai servizi essenziali, incluse le attivit  di screening neonatale. Sono gli obiettivi di â??MonitoRare â?? Focus farmaci per malattie rare e screening neonataleâ??, un nuovo progetto di ricerca realizzato da Uniamo, la Federazione italiana malattie rare, in collaborazione con Crea Sanit  , Centro per la ricerca economica applicata in sanit  .

Il progetto â?? informa una nota â?? amplia e rafforza lâ??impegno di Uniamo nel monitoraggio del sistema italiano dedicato alle malattie rare e rappresenta un tassello fondamentale del percorso verso un accesso pi  equo e omogeneo alle terapie e alle opportunit  di diagnosi precoce. La ricerca, condotta da Crea Sanit  , prevede un lavoro articolato su pi  piani, tra cui: analisi desk, ricerche bibliografiche e revisioni sistematiche della letteratura scientifica; sviluppo di banche dati dedicate a consumi, accesso e regolamentazione dei farmaci per malattie rare; modelli di valutazione quantitativi, con particolare attenzione agli impatti economici e sociali. Inoltre: somministrazione di survey per raccogliere evidenze dirette da persone con malattia rara e professionisti del settore e consultazioni con metodo Delphi, per favorire consenso scientifico e multidisciplinare. La pubblicazione finale conterr  una sintesi dei risultati che confluir  nel â??Rapporto MonitoRareâ??, documento annuale che presenta lo stato dellâ??arte delle politiche e dei servizi dedicati alle malattie rare in Italia.

Il progetto si concentra su 5 aree principali: consumi e spesa per i farmaci destinati alle malattie rare; tempi di accesso ai farmaci e ai dispositivi medici; benchmarking regionale, sia quantitativo che qualitativo, relativo alle differenze di regolamentazione e accesso alle terapie; revisioni della letteratura su economia e farmaci orfani (costo-efficacia, innovativit  , costi evitati?); modelli di costo-efficacia e budget impact relativi allo screening neonatale. Un capitolo specifico sar  dedicato proprio allo screening neonatale, tema chiave per garantire diagnosi precoci e interventi tempestivi. Il progetto   realizzato con il contributo non condizionato di Alexion Pharma Italy Srl, Takeda Italia, Sanofi Italy, Roche Pharma Italy.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Dicembre 12, 2025

Autore

redazione

default watermark