



Giornata mondiale delle malattie rare, Ucb conferma impegno su innovazione e percorsi cura

Descrizione

(Adnkronos) In Italia oltre 2 milioni di persone vivono con una patologia rara. Un universo eterogeneo di condizioni spesso gravi, accomunate da bisogni complessi e da un percorso assistenziale che può diventare frammentato. Per chi convive con una malattia rara la difficoltà non è solo trovare una terapia. È ottenere una diagnosi in tempi brevi, sapere a chi rivolgersi, non perdere punti di riferimento nel passaggio dall'infanzia all'età adulta, non dover cambiare regione per ricevere cure adeguate. In occasione della Giornata delle malattie rare che si celebra domani, 28 febbraio, Ucb Pharma conferma che l'innovazione non può limitarsi allo sviluppo di nuovi farmaci, ma deve tradursi in un sistema capace di garantire continuità, equità e prossimità nella presa in carico.

Le malattie rare rappresentano una sfida strutturale per il servizio sanitario: bassa prevalenza, alta complessità clinica, necessità di competenze multidisciplinari e percorsi personalizzati, spiega l'azienda in una nota. In questo scenario, accanto alla ricerca e allo sviluppo di soluzioni terapeutiche innovative nelle neuroscienze e nell'area immunologica, diventa centrale la capacità di costruire reti integrate tra ospedale e territorio, rafforzare i registri, definire percorsi, quindi Pdt condivisi e superare le disuguaglianze regionali. Ucb è attiva a livello di ricerca clinica o con terapie già approvate in Italia in diverse patologie rare ad alta complessità, tra cui sindrome di Dravet, sindrome di Lennox-Gastaut, deficit di Cdk15, miastenia gravis e TK2d. Ma la risposta ai bisogni dei pazienti non si esaurisce nella dimensione terapeutica. Per molte famiglie il nodo cruciale resta la continuità di cura lungo tutto l'arco della vita: dalla diagnosi alla gestione delle fasi più critiche, fino al delicato passaggio dall'età pediatrica a quella adulta, spesso caratterizzato da frammentazione e perdita di riferimenti clinici.

Proprio su questo fronte si inserisce il progetto DEEstrategy, promosso da Ucb in collaborazione con Edra, modello operativo orientato a garantire integrazione multidisciplinare e transizione strutturata nelle Encefalopatie dello sviluppo ed epilettiche. Nel 2025 il percorso ha trovato una declinazione concreta a livello regionale, in particolare nel Lazio, dove il confronto tra istituzioni, clinici e associazioni ha portato alla discussione di protocolli di transizione, attivazione di case manager dedicati e definizione di indicatori di qualità dei percorsi. Con il progetto DEEstrategy Ucb ha contribuito a

definire un modello operativo orientato alla continuità assistenziale e all'integrazione multidisciplinare. Il documento individua 4 ambiti prioritari di intervento: gestione strutturata della transizione pediatrico-adulta; rafforzamento dell'approccio multidisciplinare; potenziamento della rete socioassistenziale e sviluppo della telemedicina.

Parallelamente prosegue la nota nel corso dell'ultimo anno Ucb ha sostenuto insieme a Omar, Osservatorio malattie rare, momenti di dialogo dedicati alla miastenia gravis, coinvolgendo clinici, associazioni e rappresentanti istituzionali. Gli incontri hanno evidenziato criticità comuni a molte malattie rare: necessità di diagnosi più tempestive, rafforzamento delle reti regionali, aggiornamento dei registri e costruzione di percorsi assistenziali strutturati. Le esperienze territoriali dimostrano come il confronto tra pubblico, professionisti sanitari e associazioni possa trasformarsi in proposte operative concrete, con l'obiettivo di rendere il sistema più efficiente e vicino ai bisogni reali delle persone. Dal confronto sono emerse infatti priorità condivise: potenziamento dei registri di patologia, integrazione della rete dei centri di riferimento, maggiore sensibilizzazione della classe medica. Sono temi che riflettono una sfida nazionale: garantire uniformità di accesso alle cure e continuità assistenziale lungo tutto il percorso di malattia. In quest'ottica, Ucb conferma la volontà di continuare a collaborare con le Regioni, le associazioni e i professionisti sanitari per sostenere modelli organizzativi capaci di coniugare appropriatezza clinica e sostenibilità.

In questo percorso di responsabilità condivisa si inserisce anche il sostegno alle iniziative promosse da Uniamo Rare Diseases Italy in occasione della Giornata delle malattie rare 2026. L'azienda ha supportato la campagna nazionale #UNIAMOleforze, inaugurata il 29 gennaio al ministero della Salute e culminata nel convegno conclusivo che si è tenuto ieri, 26 febbraio, a Roma, con un momento di confronto tra istituzioni, professionisti sanitari, associazioni e comunità dei pazienti. Un ciclo di appuntamenti che ha rimesso al centro i temi dell'accesso equo, tempestivo e omogeneo alle terapie farmacologiche e non della qualità dell'assistenza e della costruzione di percorsi di presa in carico personalizzati.

Innovare nelle malattie rare significa assumersi una responsabilità che va oltre la ricerca scientifica afferma Federico Chinni, amministratore delegato di Ucb Pharma Italia. Vuol dire contribuire alla costruzione di modelli organizzativi che garantiscano continuità, appropriatezza ed equità. Per questo vogliamo essere partner delle istituzioni, delle associazioni e degli esperti nella progettazione di percorsi di cura capaci di fare davvero la differenza nella vita dei pazienti. L'impegno dell'azienda proseguirà nel 2026 con nuove iniziative di confronto e progettazione condivisa, nella consapevolezza che solo un'alleanza strutturata tra ricerca, governance sanitaria e comunità scientifica possa ridurre le disuguaglianze e offrire risposte tempestive a chi convive con una malattia rara.

?

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Febbraio 27, 2026

Autore

redazione

default watermark