



Malattie rare: le richieste dei pazienti nell'evento di chiusura della campagna Uniamoleforze

Descrizione

(Adnkronos) L'obiettivo è la riduzione delle disuguaglianze regionali nell'accesso ai farmaci, trattamenti riabilitativi e ausili, aggiornamento tempestivo dello screening neonatale esteso (Sne) e piena attuazione della legge 175/2021. Sono solo alcune delle richieste che Uniamo, la Federazione italiana malattie rare, ha portato all'attenzione delle istituzioni questa mattina a Roma, nel corso dell'evento conclusivo della campagna #UNIAMOleforze 2026, dedicata quest'anno al tema dell'accesso equo, tempestivo e omogeneo a terapie e trattamenti, anche non farmacologici.

L'iniziativa di oggi, in occasione della Giornata mondiale delle malattie rare che si celebra il 28 febbraio, spiega la Federazione in una nota, ha rappresentato il momento di sintesi di un mese di confronti, incontri e approfondimenti che hanno coinvolto istituzioni, società scientifiche, industria e associazioni di pazienti. Un percorso partecipato con più di 70 iniziative segnalate sul calendario ufficiale della Giornata disponibile sul sito di Uniamo, che ha permesso di raccogliere istanze, criticità e proposte concrete per migliorare l'accesso alle cure per gli oltre 2 milioni di persone con malattia rara in Italia. In apertura dell'evento, dopo i saluti istituzionali del presidente di Federsanità, Fabrizio D'Alba, del neo presidente di Fiaso, Giuseppe Quintavalle, e della presidente di Eurordis Rare Diseases Europe Avril Daly, è stato trasmesso un videomessaggio di Sandra Gallina, direttore generale Dg Salute alla Commissione europea. Il contesto europeo è stato illustrato in seguito da Valentina Bottarelli, Head of Policy and Public Affairs di Eurordis Rare Diseases Europe.

In occasione del Rare Disease Day 2026 vogliamo ribadire con forza che le malattie rare, che riguardano più di 30 milioni di persone in Europa, devono restare una priorità per l'Unione europea, ha affermato Bottarelli. L'Italia, anche grazie al grande lavoro di Uniamo, in questi anni si è affermata come modello virtuoso per la gestione delle malattie rare, in termini di screening neonatali, accesso alle terapie e percorsi di presa in cura. Eurordis si impegna ogni giorno per garantire queste stesse opportunità anche ai pazienti degli altri Stati membri, ma per continuare a farlo è necessario che nel Quadro finanziario pluriennale 2028-2034 il budget europeo attualmente in discussione siano ancora garantiti i finanziamenti alle associazioni pazienti, alle Ern e ad altre azioni chiave per le malattie rare. Solo se la salute rimane al centro delle politiche di investimento europee potremo continuare a coniugare la rappresentanza dei pazienti con una presa in carico eccellente, al fine

di garantire gli stessi diritti a tutti gli europei che convivono con una malattia rara?•.

Nel corso dell'evento, Uniamo ha consegnato ai decisori politici e ai rappresentanti delle istituzioni un volume con la sintesi delle istanze raccolte durante la campagna, indicando con chiarezza alcune priorità non rinviabili, ribadendo anche quanto scritto nella mozione presentata in Parlamento 2 anni fa. A questo lavoro hanno partecipato 11 società scientifiche, che hanno raccolto le sollecitazioni di Uniamo e indicato una serie di nodi cruciali dove il sistema di assistenza per le persone con malattia rara si inceppa. Al centro della discussione riporta la nota la richiesta di garantire un accesso equo e tempestivo alle cure su tutto il territorio nazionale, ma anche la riduzione dei tempi tra approvazione delle terapie e la loro effettiva disponibilità per le persone, erogazione di trattamenti riabilitativi con cicli continuativi, la fornitura di ausili personalizzati e di ultima generazione anche in ottemperanza alla legge 175/2021.

Il consiglio direttivo di Uniamo, in una sessione specifica dedicata, ha espresso una sintesi di queste richieste: L'arrivo sul mercato di terapie innovative ad alto costo impone a tutto il sistema una riflessione circa la necessità di rispettare il principio di equità e al contempo garantire la sostenibilità economica del Ssn. Se da un lato serve individuare meccanismi innovativi di finanziamento per questi farmaci, al contempo è necessario che, a ogni livello decisionale, soprattutto quello regionale, sia realizzata un'attività sistematica di Horizon Scanning, al fine di valutare al meglio l'impatto economico e organizzativo delle terapie innovative. In questo ambito, i rappresentanti dei pazienti possono svolgere un ruolo cruciale ha evidenziato Uniamo grazie alla loro conoscenza dei bisogni, la loro expertise e le competenze specifiche, e dunque devono essere coinvolti nelle procedure di Health Technology Assessment. In termini di accesso a queste terapie, inoltre, risulta sempre più urgente accelerare l'aggiornamento su tutto il territorio nazionale dello screening neonatale esteso, strumento decisivo per garantire diagnosi precoce e pari opportunità di trattamento fin dalla nascita. La sostenibilità del sistema deve essere sempre all'attenzione dei decisori politici: solo per il 5% delle malattie rare, infatti, esiste una cura. Dunque la programmazione, sia in termini economici sia organizzativi e di personale, deve riguardare ugualmente anche l'accesso agli ausili e ai trattamenti non farmacologici come riabilitazione, fisioterapia, logopedia e diete specifiche. Il percorso di una persona con malattia rara, che richiede una molteplicità di competenze, interventi e prestazioni erogate in setting assistenziali diversi, non si esaurisce nella terapia•.

Dopo la ricognizione delle attività del Comitato nazionale malattie rare a cura di Marina Urpis del ministero della Salute, ampio spazio è stato riservato al contributo delle società scientifiche che hanno collaborato attivamente con Uniamo durante questa campagna garantendo un punto di vista autorevole rispetto alle istanze presentate alla politica. Tra le priorità organizzative sottolineate: l'adozione di percorsi Pdta nazionali omogenei; la formalizzazione e remunerazione della presa in carico multiprofessionale; la garanzia di continuità nella transizione dall'età pediatrica a quella adulta. Infine, per la politica, sono intervenuti i deputati e senatori dell'Intergruppo parlamentare Malattie rare e oncoematologiche.

La presidente, onorevole Maria Elena Boschi, si è soffermata sul tema dello Ssn, sottolineando la necessità di rendere presto disponibile per le Regioni il Fondo di recente istituito in legge di Bilancio. L'evento conclusivo della campagna per la Giornata delle malattie rare testimonia ancora una volta il grande lavoro che Uniamo svolge in termini di sensibilizzazione, sostegno e rappresentanza della propria comunità. Le persone con malattia rara ha illustrato Boschi chiedono alla politica un accesso equo, a prescindere dalla propria residenza, a diagnosi precoci, terapie, trattamenti

riabilitativi e percorsi di cura personalizzati. In questo senso, in legge di Bilancio siamo riusciti a far approvare un emendamento a nome di Italia Viva che garantisce alle Regioni risorse dedicate allo sviluppo di progetti pilota per nuove patologie da ricercare tramite screening neonatale. L'obiettivo di lungo termine Ã¨ garantire un aggiornamento annuale del panel Sme nazionale senza aspettare i Lea, ma intanto le Regioni hanno giÃ questo strumento al quale attingere per garantire subito diagnosi precoci laddove possibile. Ora serve velocemente il decreto attuativo del ministero e il passaggio in Conferenza delle Regioni per rendere subito disponibili le risorseâ••.

La campagna #UNIAMOLEFORZE conclude la nota â•• stata non solo un momento di sensibilizzazione, ma un'occasione di responsabilitÃ condivisa: un impegno comune per garantire alle persone con malattia rara diritti esigibili, tempi certi e percorsi di cura realmente accessibili su tutto il territorio nazionale.

â••

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Febbraio 26, 2026

Autore

redazione