

“Malattie Rare”: un bando regionale di 1,6 milioni di euro per progetti di ricerca

Pubblicato: Giovedì 20 Ottobre 2022



La gestione integrata della persona affetta da patologia rara è stata questa mattina al centro del convegno ospitato a Palazzo Pirelli con l'obiettivo di sensibilizzare le istituzioni e l'opinione pubblica sui bisogni concreti dei pazienti e delle rispettive famiglie.

Al convegno, che ha visto la partecipazione e gli interventi di numerosi esperti scientifici, medici e docenti universitari di settore, hanno portato il loro contributo anche la Vice Presidente del Consiglio regionale Francesca Brianza e il Presidente della Commissione regionale “Sanità e assistenza” Emanuele Monti.

Ad oggi non esiste una definizione univoca di “malattia rara”: la Food and Drug Administration (FDA), l'agenzia che si occupa dell'approvazione dei farmaci negli USA, definisce “rara” una malattia che colpisce meno di 200mila persone negli Stati Uniti, mentre per la Commissione Europea sono “rare” le malattie che interessano 1 persona su 2mila.

In ogni caso la lista delle malattie rare comprende quasi 8mila patologie per un totale di circa 2 milioni di pazienti in Italia e di circa 36 milioni a livello europeo.

Nell'80% dei casi si tratta di malattie genetiche e, nonostante i grandi progressi della ricerca, per la stragrande maggioranza di queste non esiste purtroppo ancora una terapia approvata.

«In questo scenario – ha sottolineato Francesca Brianza – si impone l'importanza delle istituzioni che hanno il compito di fare in modo che venga tenuta alta l'attenzione non solo tra la popolazione in generale ma anche tra la comunità medica e scientifica. Uno dei nostri principali obiettivi deve essere quello di fare in modo che non ci siano pazienti di serie A e pazienti di serie B, soprattutto per quanto riguarda la ricerca scientifica. Succede infatti che, proprio a causa della rarità della malattia, i pazienti devono spesso aspettare diversi anni prima di ricevere una corretta diagnosi e di conseguenza una adeguata terapia che, purtroppo, spesso ancora non esiste. Consapevoli di questo – spiega la Vice Presidente Brianza – già nell'ottobre del 2018 avevo proposto di utilizzare e destinare per la ricerca sulle malattie rare 1,6 milioni di euro risparmiati dai gruppi consiliari nella legislatura precedente. Tale proposta aveva ottenuto il via libera unanime del Consiglio regionale e oggi ha trovato il suo compimento con l'approvazione in Giunta (DGR n. 2776 del 31/01/2020) dei criteri del bando per il finanziamento di progetti di ricerca».

Il bando, che sarà pubblicato nelle prossime settimane, è rivolto ai presidi della Rete regionale delle malattie rare che possono proporre progetti monocentrici o in collaborazione tra di loro e ha lo scopo di incrementare le conoscenze sulle malattie rare e sulle relative cure; sviluppare metodiche innovative per la diagnosi e lo studio delle malattie rare; migliorare l'appropriatezza diagnostica e terapeutica, consentendo un più razionale utilizzo delle risorse; stimolare il confronto tra professionisti; fornire informazioni potenzialmente utili a orientare le scelte del Servizio Sanitario Regionale; valutare l'impatto assistenziale dell'attuale organizzazione regionale in tema di malattie rare; proporre modelli di integrazione tra presidi della Rete regionale malattie rare e strutture territoriali.

L'agevolazione consiste in un contributo a fondo perduto pari al 100% delle spese ammissibili di ricerca

fondamentali.

«Fin dall’inizio di questa legislatura abbiamo definito percorsi di collaborazione con le associazioni dei pazienti anche nell’ambito delle malattie rare – ha aggiunto Emanuele Monti, Presidente della Commissione Sanità e Politiche Sociali -. Questa collaborazione ha portato i suoi frutti sia nell’approvazione della recente riforma sanitaria sia su altre importantissime iniziative come la richiesta ad Aifa, avanzata con una mozione approvata all’unanimità, di rifinanziare il Fondo nazionale per l’impiego di farmaci orfani per il trattamento di malattie rare che rappresentano una speranza di terapia per tantissimi pazienti».

In Lombardia la rete la Rete per le malattie rare, istituita a livello nazionale nel 2001, “mediante la quale sviluppare azioni di prevenzione, attivare la sorveglianza, migliorare gli interventi volti alla diagnosi e alla terapia, promuovere l’informazione e la formazione”, è attualmente costituita da 59 presidi.

È inoltre attivo un Centro di Coordinamento regionale: il Centro di Ricerche Cliniche per le Malattie Rare Aldo e Cele Daccò dell’Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, con sede a Ranica (BG).

Al 1 settembre 2022 i Percorsi Diagnostici Terapeutici Assistenziali (PDTA) attivi sono complessivamente 122: sono tuttora in fase di realizzazione 21 nuovi PDTA e in fase di revisione 20 PDTA già in essere. Nella redazione dei PDTA dal 2017 sono stati coinvolti 390 specialisti e 37 associazioni oltre alle Federazioni nazionale e lombarda (UNIAMO e FLMR).

In Regione Lombardia i soggetti iscritti al SSR, affetti da patologie rare, appartenenti ad un nucleo familiare con reddito complessivo non superiore a 46.600 euro, hanno diritto all’esenzione dal ticket farmaceutico per i farmaci correlati alla patologia (codice di esenzione: E40).

Come previsto dal documento regionale “Malattie rare: definizione di un percorso condiviso per la prescrizione e la fornitura dei trattamenti farmacologici e non farmacologici” ai pazienti lombardi affetti da malattie rare possono essere forniti gratuitamente anche i farmaci di fascia C.

[Redazione VareseNews](#)

redazione@varesenews.it