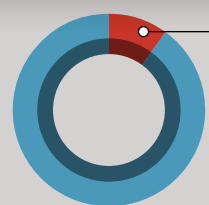


delle malattie rare genetiche ha un esordio nella **prima infanzia**

oltre 780 mila

I malati rari **in Italia** secondo i Registri regionali delle malattie rare



10,61% (2010)

Il tasso di mortalità più alto, nella provincia autonoma di Bolzano



1.400

I casi in Emilia R. (periodo 2007-2018) Al secondo posto tra le patologie rare più certificate presso il registro regionale



2 mila-5 mila €

I costi medi dei ricoveri generici

Corriere della Sera

ci sono ancora Regioni in cui i pazienti non possono usufruirne gratuitamente. Inoltre, in caso di sospetto diagnostico, i medici non possono utilizzare dappertutto il codice provvisorio di esenzione "R99" sulla ricetta del Servizio sanitario, quindi i pazienti devono pagare ticket costosi. L'anno scorso abbiamo calcolato che si spendono dai 300 ai 500 euro per fare uno screening completo che comprende esami specifici del sangue per la ricerca degli anticorpi e la capillaroscopia. Per fare quest'esame strumentale, poi, si può attendere anche un anno, come accade in Calabria dove viene eseguito solo in 3 centri pubblici in tutta la Regione. L'alternativa è farlo a pagamento».

Altra nota dolente, secondo l'associazione dei pazienti, è la carenza di percorsi diagnostici terapeutici assistenziali (Pdta) per la presa in carico del paziente, dal sospetto diagnostico ai trattamenti, fino alla riabilitazione e all'assistenza domiciliare. «Il Pdta per la sclerosi sistemica è stato approvato nel 2015 dall'Intesa Stato-Regioni proprio per assicurare cure adeguate ai pazienti su tutto il territorio nazionale, ma in molti casi è rimasto sulla carta» incalza Aloise.

«Essendo la malattia sistemica, è prevista l'assistenza di diversi specialisti, ma non c'è dappertutto. Non è chiaro, poi, quali siano stati i criteri di certificazione dei centri ospedalieri regionali di riferimento, istituiti in seguito al riconoscimento di malattia rara: per esempio, ci sono strutture che, pur effettuando terapie infusionali, non sono centri prescrittori. Occorrerebbero criteri condivisi a livello nazionale per l'accREDITAMENTO di queste strutture» conclude Aloise.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

Giornata mondiale

I malati «rari» chiedono più equità per le cure, il lavoro e la vita sociale

Sono oltre 6 mila le malattie rare a oggi conosciute, la maggior parte senza cure; ciascuna colpisce poche persone, meno di una ogni 2mila, ma ce ne sono di rarissime, che colpiscono una decina di pazienti al mondo. Immagina l'odissea che vivono queste persone, spesso fin dai primi anni di vita, alla ricerca di una diagnosi, della speranza di una cura, a volte addirittura del nome stesso della malattia, sconosciuta persino ai medici.

«Mostraci il tuo supporto» è l'appello dei malati rari e delle loro famiglie rivolto alla comunità internazionale in occasione della giornata mondiale delle malattie rare, che quest'anno ricorre in un giorno anch'esso raro, il 29 febbraio. «Equità» è il tema chiave scelto da Eurordis, Federazione europea delle associazioni, promotrice della campagna di sensibilizzazione per far crescere, da qui ai prossimi an-

ni, la consapevolezza che i pazienti devono affrontare, oltre la malattia, anche disuguaglianze nell'accesso a diagnosi, cure, lavoro, vita sociale.

Il convegno

Il 28 febbraio a Roma si terrà il convegno «Le malattie rare: una priorità per la sanità pubblica?», organizzato da Uniamo - Federazione italiana malattie rare con l'Intergruppo parlamentare malattie rare: sarà l'occasione per chiedere a decisori politici, ricercatori, operatori sanitari di rinnovare l'impegno a migliorare le condizioni di vita delle persone con malattia rara. «È tempo di agire per garantire pari opportunità ai malati rari dando loro un supporto concreto» afferma la presidente di Uniamo, Annalisa Scopinaro. «Equità nell'accesso alle cure significa abbreviare i tempi di approvazione dei farmaci orfani, renderli disponibili nei prontuari re-



In Italia Il 28 febbraio a Roma si terrà il convegno «Le malattie rare: una priorità per la sanità pubblica?», organizzato da Uniamo - Federazione italiana malattie rare con l'Intergruppo parlamentare malattie rare

gionali subito dopo l'autorizzazione dell'Agenzia italiana del farmaco (Aifa), senza ulteriori lungaggini» sottolinea Annalisa Scopinaro. «Inoltre, vanno introdotte quanto prima le terapie innovative e avanzate per le quali sia stata dimostrata l'efficacia: tenuto conto che alcuni di questi trattamenti devono essere somministrati nei primi mesi di vita, è necessario un continuo sforzo sia da parte dei ricercatori per avere test attendibili che individuino le malattie fin dalla nascita, sia da parte delle autorità sanitarie per ampliare in tempo reale il pannello dello screening neonatale esteso, via via che sono disponibili le nuove terapie».

Disparità di trattamento

C'è poi la nota dolente delle disparità di trattamento da Regione a Regione, a volte anche da Asl ad Asl. Dice la presidente di Uniamo: «Nel campo delle malattie rare, alcune funzioni dovrebbero essere accentrate a livello nazionale, per esempio, i farmaci in fascia C (a pagamento) e altri prodotti necessari, come creme dermatologiche e colliri, prescritti nel piano terapeutico dal centro di riferimento, sono forniti gratuitamente in alcune Regioni, mentre in altre tocca pagarli. Per garantirli a tutti i malati che ne hanno bisogno, indipendentemente dal luogo di residenza, dovrebbe

Il Piano Nazionale si attende dal 2016 e dovrebbe garantire le stesse tutele in ogni Regione

esserci una sorta di prontuario nazionale che stabilisca i prodotti indispensabili per ciascuna patologia, in modo che siano inseriti nei Livelli essenziali di assistenza (Lea) e garantiti su tutto il territorio».

Le persone con malattia rara attendono il nuovo Piano nazionale malattie rare, uno strumento per garantire le medesime tutele ai pazienti in tutta Italia. Il precedente Piano, mai del tutto applicato, è scaduto nel 2016; attualmente c'è un tavolo di lavoro presso il ministero della Salute, al quale partecipano anche i rappresentanti dei pazienti. «Vorremmo che il nuovo Piano nazionale fosse finanziato o, perlomeno, inserito nel Patto della Salute» afferma Scopinaro, che conclude: «Equità significa anche garantire ai malati pari opportunità nella vita, per questo occorre potenziare la rete dei servizi sociali di supporto alla persona, assicurare la corretta valutazione della malattia rara in sede di commissione di invalidità e handicap, tutelare il diritto al lavoro, rendere accessibili i luoghi pubblici e privati, approvare la legge a sostegno dei caregiver».

M.G.F.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

aiuta a

SMETTERE DI FUMARE

contribuendo alla **riduzione** della **dipendenza** da **tabacco**
SENZA NICOTINA

dropfeel
acetium®



30 pastiglie da 500 mg
a base di L-cisteina
€ 13,90*

www.dropfeel.it

**FAI CHE SIA SOLO
UN VAGO RICORDO**

**SENZA
GLUTINE**

**SENZA
LATTOSIO**

da Difar Consumer Care in FARMACIA e PARAFARMACIA. *Prezzo suggerito, può subire variazioni
È un dispositivo medico **CE**. Leggere attentamente le avvertenze e le istruzioni per l'uso. Aut. del 03/09/2019

30

**per cento di tutte
le malattie rare
non ha ancora un nome**