

## Nasce l'Alleanza italiana malattie rare



Nasce, con un accordo siglato alla Camera dei Deputati tra l'Intergruppo parlamentare Malattie Rare e l'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR), l'Alleanza Italiana per le Malattie Rare. Promotori dell'iniziativa l'On. Paola Binetti e la Sen. Laura Bianconi, coordinatrici dell'Intergruppo nelle due ali del Parlamento. Obiettivo dell'Alleanza, secondo il Memorandum d'Intesa appena firmato, è favorire un circolo virtuoso di collaborazione tra la società civile ed il mondo politico istituzionale finalizzato a una migliore organizzazione dell'intero settore delle malattie rare e dei farmaci orfani. «Tutto il lavoro dell'Alleanza sarà basato sull'esperienza e sulla competenza delle associazioni di pazienti che fin da oggi chiamiamo ad aderire al progetto ed a partecipare ai tavoli di confronto su priorità e modalità di lavoro – ha dichiarato l'On. Paola Binetti, Presidente dell'Intergruppo Parlamentare – La collaborazione con l'Osservatorio Farmaci Orfani ci consentirà di ottenere analisi tecniche, dati e strumenti utili ad aprire un dialogo a più voci e cercare insieme soluzioni efficaci ed efficienti per il settore».

«In un anno di attività Osservatorio Farmaci Orfani ha coinvolto ai suoi tavoli di lavoro tutti gli stakeholder del sistema malattia rare, dai Ministeri competenti alle Regioni, dalle organizzazioni nazionali ed europee dei pazienti fino agli enti regolatori - ha dichiarato Francesco Macchia, coordinatore di OSSFOR – ora, grazie all'Alleanza, riusciremo ad avere un rapporto continuo e collaborativo con il legislatore nazionale e ci auguriamo che questo porti a delle soluzioni importanti, capaci di migliorare e uniformare la presa in carico, i tempi e modi di accesso alle cure in tutto il paese, senza difformità territoriali».

«Gli ultimi anni hanno registrato notevoli successi nella cura delle Malattie Rare ed, in particolare, nella scoperta di nuove opportunità terapeutiche farmacologiche; i Farmaci Orfani, per definizione considerati un settore di scarso interesse economico, anche grazie agli incentivi riconosciuti a livello internazionale al settore, stanno attirando un crescente interesse e quindi investimenti. La crescita delle opportunità, insieme alle caratteristiche proprie del settore (pochi pazienti e alti prezzi delle tecnologie) hanno evidenziato la difficoltà di una corretta governance del settore, che sia capace di coniugare il diritto all'accesso alle cure per tutti ai problemi di efficienza legati alla sostenibilità e alla concentrazione degli oneri. Per questo è necessario che le decisioni politiche (e anche l'attività di advocacy delle Associazioni dei Pazienti) siano supportate da una rigorosa analisi

scientifiche delle informazioni disponibili: compito che ci siamo assunti come C.R.E.A. Sanità, insieme ad Osservatorio Malattie Rare, dando vita ad OSSFOR», hanno dichiarato Federico Spandonaro e Barbara Polistena di C.R.E.A. Sanità.

«Per creare un sistema favorevole alle persone colpite da una malattia rara è necessario che le associazioni pazienti abbiano ruolo attivo in questa Alleanza – ha detto Ilaria Ciancaleoni Bartoli, direttore dell'Osservatorio Malattie Rare - Vogliamo che siano loro a suggerire orientamenti di lavoro e che partecipino direttamente ai tavoli di incontro con i referenti istituzionali e con i tecnici. Siamo consapevoli che il mondo delle malattie e dei tumori rari è variegato e le priorità talvolta diverse, ma siamo altrettanto certi che si possano individuare tematiche di interesse trasversale sulle quali aprire degli specifici focus e identificare soluzioni che, grazie all'Alleanza con l'Intergruppo, avranno concrete possibilità di trasformarsi in un reale miglioramento del sistema. Le associazioni che vorranno partecipare ai lavori, che partiranno dopo la pausa estiva, possono scrivere alla segreteria di OSSFOR all'indirizzo [collet@osservatoriofarmaciorfani.it](mailto:collet@osservatoriofarmaciorfani.it)».

Alla presentazione dell'Alleanza ha preso parte anche la presidente della LIFC – Lega Italiana Fibrosi Cistica, Gianna Puppo Fornaro, che per l'occasione ha presentato il Portale Lavoro [www.trovoilmiolavoro.it](http://www.trovoilmiolavoro.it), progetto pilota per le persone affette da Fibrosi Cistica da estendere poi a tutte le persone affette da malattie rare.

L'Intergruppo Parlamentare per le Malattie Rare è composto da parlamentari della Camera dei Deputati e del Senato della Repubblica uniti dalla comune sensibilità al tema delle malattie rare.

L'Intergruppo nasce nel 2012 per promuovere un dibattito a livello parlamentare nel quale convergano aspetti scientifici, clinici e sociali, economici e politici.

L'Osservatorio Farmaci Orfani (OSSFOR) è il primo centro studi e think-tank interamente dedicato allo sviluppo di policy innovative per la governance e la sostenibilità del settore delle cure per malattie rare. Nasce nel 2016 da una iniziativa congiunta del centro di ricerca C.R.E.A. Sanità (consorzio per la ricerca economica applicata in sanità) e della testata giornalistica Osservatorio Malattie Rare (OMAR) con l'obiettivo di colmare la lacuna di conoscenze e informazioni sul settore e per favorire su tali informazioni un confronto aperto e diretto tra istituzioni e principali stakeholder.