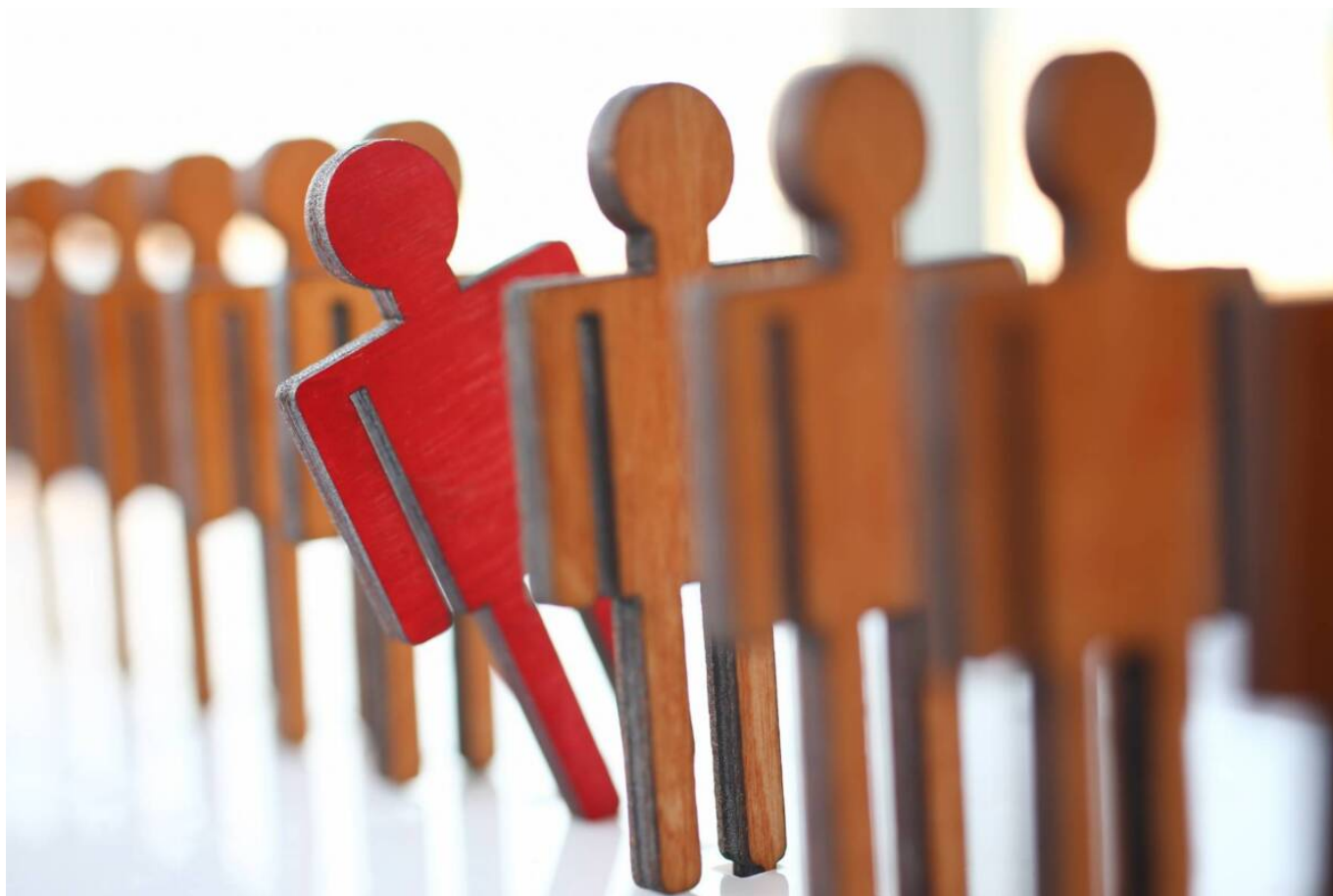


MALATTIE RARE, CRESCONO CASI IN ABRUZZO. ITALIA AL TOP SU SCREENING NEONATALE MA CALA RICERCA

20 Luglio 2021



L'AQUILA - Sono 2.767 le persone con malattie rare in Abruzzo, secondo i dati raccolti nel 2020, erano 1.592 nel 2019: una variazione annuale del 73.81%, l'incremento più alto di tutta Italia.

Dati in chiaroscuro sulle malattie rare in Italia: "A fronte di dati positivi e dell'eccellenza italiana rappresentata dallo Screening neonatale esteso, che speriamo di portare in Europa, è necessario segnalare una flessione sulle attività di ricerca, nonostante gli oltre 11 milioni di euro investiti dal ministero negli Irccs. Dobbiamo individuare le cause e agire prontamente per evitare di lasciare di nuovo neglette le malattie rare".

Lo ha spiegato Annalisa Scopinaro, presidente Uniamo - Federazione italiana malattie rare, alla presentazione del VII Rapporto MonitoRare sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia, redatto da Uniamo.

Il report è realizzato con il contributo di dati di molti partner tra cui: ministero della Salute, Centri di coordinamento regionali per le malattie rare, Agenzia italiana del farmaco, Centro nazionale malattie rare dell'Istituto superiore di sanità, ministero dell'Istruzione, Orphanet Italia, Fondazione Telethon, Stabilimento chimico farmaceutico militare.

Dai dati emerge che è stata completata nel nostro Paese l'adesione al programma Screening neonatale esteso, anche con l'ultima Regione che lo ha attivato ad aprile 2021.

Per quello che concerne le terapie, che riguardano solo per il 6% delle malattie rare, è aumentato il numero di farmaci orfani disponibili (da 71 a 74).

I farmaci erogati tramite la legge 648/199 (terapie innovative ancora non autorizzate in Italia, o in fase di sperimentazione clinica, o con indicazioni off label) aumentano da 27 a 35 (nel 2012 erano 13); aumenta in maniera esponenziale l'accesso al Fondo istituito per l'impiego di farmaci orfani per il trattamento di malattie rare e di farmaci che rappresentano una speranza di terapia, in attesa della commercializzazione, per particolari e gravi patologie, passando da 20 persone nel 2016 a 1.361 nel 2020: il tasso di approvazione delle richieste ha raggiunto oltre l'82%.

Gli studi clinici autorizzati rimangono sostanzialmente stabili, evidenzia il rapporto. Ma diminuiscono le sperimentazioni cliniche in fase I e II (dal 58,3 al 43,6%), e diminuisce anche la presenza italiana nei progetti di ricerca inseriti nella piattaforma Orphanet.

Sono 15 le Regioni che hanno inserito il tema delle malattie rare nell'ambito degli strumenti generali di programmazione sanitaria o che hanno definito un Piano regionale malattie rare.

<https://uniampo.org/cosa-facciamo/monitorare/monitorare-2021//>