

#Pledge4RD
#EUElections2019



Ai Deputati e Candidati alle prossime
elezioni del Parlamento Europeo

Impegno per supportare le Malattie Rare

Un'opportunità rara per mostrare il valore
aggiunto dell'Europa!

Per garantire che i **25-30 milioni di persone che vivono con una malattia rara** in Europa e le loro famiglie non siano lasciati indietro e che possano godere delle migliori soluzioni possibili in termini di salute e benessere, può impegnarsi a sostenere un **nuovo quadro politico** che:

1



Permetta a tutte le persone che vivono con una malattia rara di ricevere una diagnosi e delle cure adeguate entro un anno dal primo consulto medico

2



Supporti la presa in carico globale e sistemi sociali improntati alla piena inclusione dei pazienti rari durante tutto il loro percorso di vita

3



Colga le opportunità offerte dalla scienza e dall'innovazione che rappresentano una speranza per le persone che vivono con una malattia rara e per coloro che li assistono, e che possano cambiare la loro vita

Le persone affette da malattia rara e i loro rappresentanti devono partecipare ai forum in cui vengono prese decisioni che riguardano le loro vite

Le chiediamo di impegnarsi a sviluppare un nuovo quadro politico, con una maggiore collaborazione a livello europeo e un maggiore sostegno per gli Stati membri.

Scopra come contribuire a

#Pledge4RD

Cosa è una **Malattia Rara**?

Le malattie rare colpiscono 25-30 milioni di persone in Europa, quasi il 5% della sua popolazione, o come la popolazione del Belgio e dei Paesi Bassi messi insieme. Questa stima aumenta se si considerano i familiari e gli amici che si prendono cura dei propri cari affetti da malattia rara.

“Raro è comune”: molte persone sono affette da una malattia rara o conoscono qualcuno che lo è.

Più di 6000 diverse malattie rare colpiscono circa il 5% della popolazione nel corso della loro vita

Ogni malattia si manifesta in meno di una persona su 2000

Complessivamente, secondo una stima, 25/30 milioni di persone in Europa e 300 milioni in tutto il mondo vivono con una malattia rara

NON C'È NESSUNA CURA
per la maggior parte delle malattie e poche sono le terapie disponibili

Qual è la **posta in gioco**?

A causa della loro bassa prevalenza, si sa poco della maggior parte delle malattie rare. Di conseguenza, sono mal diagnosticate e i loro sintomi sono sottostimati nei nostri sistemi sanitari e sociali.

Anche quando la diagnosi è possibile, la stragrande maggioranza delle malattie rare non ha una cura o addirittura una terapia, e la ricerca per farle progredire e sviluppare è limitata.

In definitiva, i 25-30 milioni di persone che vivono con una malattia rara in Europa rappresentano un gruppo significativo di cittadini che hanno bisogno del suo sostegno per essere integrati nella società.

Come l'Europa sta affrontando **la sfida delle malattie rare**

Le strategie più efficaci per le malattie rare sono quelle transfrontaliere o che coinvolgono tutta l'Unione Europea.

L'Europa consente alla comunità delle malattie rare di creare la massa critica di pazienti, esperti, conoscenze, linee guida e risorse necessarie coordinando e aggiungendo valore agli sforzi nazionali.

Le malattie rare sono un'area con un alto valore aggiunto europeo, dove l'azione coordinata dall'UE ha dato i suoi frutti.

Grazie all'impegno collaborativo dei responsabili politici europei e nazionali, delle persone che vivono con una malattia rara, delle loro famiglie e delle associazioni di pazienti, la situazione è cambiata drasticamente negli ultimi anni.

Come società, siamo passati dalla quasi ignoranza al riconoscimento delle malattie rare come una priorità di salute pubblica in Europa.

Il valore aggiunto

dell'Europa per le Malattie Rare:

25 Piani Nazionali sulle Malattie Rare
nel 2018 rispetto ai 4 nel 2008

Numerose raccomandazioni e normative europee
sulle malattie Rare

24 Reti di Riferimento Europee (ERN)
per malattie rare e complesse

Più di 1 miliardo di finanziamenti
alla ricerca sulle malattie rare

154 farmaci orfani presenti ora
sul mercato, 62 utilizzati sui bambini, a partire dal 2000

Il suo #Pledge4RD

Avrà la rara opportunità di migliorare la vita di **milioni di persone affette da malattia rara, le loro famiglie e i loro carers** attraverso un'azione collettiva europea. **Per garantire che i 25 -30 milioni di persone che vivono con una malattia rara in Europa, le loro famiglie e carers, non siano lasciati indietro e che possano godere delle migliori soluzioni possibili in termini di salute e benessere, può impegnarsi a supportare un nuovo quadro politico che:**



1

Permetta a tutte le persone che vivono con una malattia rara di ricevere una diagnosi e delle cure adeguate entro un anno dal primo consulto medico

- Garantire l'accesso a una **diagnosi** tempestiva e accurata aumentando la consapevolezza e la conoscenza sulle malattie rare a livello di cure primarie, estendendo l'accesso ai test diagnostici e alla consulenza genetica.
- Facilitare un **accesso universale** a cure e trattamenti sanitari di elevata qualità.
- Promuovere la classificazione e la codificazione delle malattie rare per garantire un loro migliore **riconoscimento** e la loro integrazione nei sistemi sanitari nazionali.
- Ridurre le disuguaglianze nei paesi e nelle regioni dell'UE promuovendo la **condivisione transfrontaliera di competenze e dati**, coinvolgendo i rappresentanti dei pazienti a tutti i livelli e sostenendo la cooperazione tra le loro organizzazioni.
- Sostenere iniziative che promuovano la **parità di accesso alle terapie** per le malattie rare attraverso la collaborazione transfrontaliera, incluso il lavoro comune per valutare il valore delle terapie avanzate.

2

Supporti la presa in carico globale e sistemi sociali improntati alla piena inclusione dei pazienti con malattia rara durante tutto il loro percorso di vita

- Assicurare il rinnovo del supporto Europeo a **strategie nazionali complete per le Malattie Rare**, adeguatamente finanziate, e sostenere le operazioni dei centri di competenza per le malattie rare
- Stabilire **percorsi sanitari** per i pazienti che colleghino in modo fluido le cure primarie e le risorse di laboratorio ai centri specializzati e alle reti di riferimento europee (ERN).
- Assicurare il finanziamento e il sostegno europeo per le **ERN** e la loro **integrazione nei sistemi sanitari nazionali** per consentire loro di realizzare la promessa di fornire assistenza a persone con malattie rare o complesse.
- **Colmare il divario tra assistenza sociale e sanitaria**, assicurando che le persone che convivono con una malattia rara e i loro familiari abbiano accesso a cure sanitarie e sociali integrate e multidisciplinari².

3

Colga le opportunità offerte dalla scienza e dall'innovazione che rappresentano una speranza per le persone che vivono con una malattia rara e per coloro che li assistono, e che possono cambiare la loro vita

- Continuare a sostenere la **ricerca sulle malattie rare** con l'aumento dei finanziamenti europei e nazionali per garantire il ruolo dell'Europa nella collaborazione internazionale di ricerca.
- **Raccogliere risorse** per ottimizzare l'utilizzo di finanziamenti, infrastrutture e piattaforme tecnologiche che promuovono la ricerca sulle malattie rare, ottimizzando i finanziamenti pubblici sia a livello europeo che a livello nazionale.
- Garantire la cooperazione europea sui **registri dei pazienti e la raccolta dei dati** nel contesto delle ERN, per massimizzare il loro potenziale, promuovere nuovi standard di cura e linee guida cliniche.
- Dare priorità alla ricerca per affrontare le **esigenze insoddisfatte** nello sviluppo di terapie.
- Facilitare la ricerca e promuovere l'innovazione delle terapie e di **tecnologie all'avanguardia** che **incoraggino** le persone affette da malattia rara e che migliorino la loro **qualità di vita**.

Per raggiungere tutto questo

Le persone affette da malattia rara e i loro rappresentanti devono partecipare ai forum in cui vengono prese decisioni che hanno un impatto sulla loro vita ed essere coinvolti in modo significativo.

Le organizzazioni che li rappresentano devono essere riconosciute e sostenute finanziariamente, così da mantenere il ruolo dei pazienti come il principale fattore di cambiamento.

¹ In linea con la visione di IRDiRC (International Consortium for Rare Disease Research) per gli anni 2017-2027.

² In conformità con il Pilastro Europeo dei Diritti Sociali, gli obiettivi di sviluppo sostenibile delle Nazioni Unite e la Convenzione sui Diritti delle Persone con Disabilità.

Ai Deputati e Candidati alle prossime elezioni del Parlamento Europeo Impegno a supportare le Malattie Rare

Come aderire?

1



Scarichi il banner #Pledge4RD da: <http://www.eurordis.org/pledge4RD>

2



Carichi il banner e condivida la sua foto

La posti sui social media usando gli hashtag #Pledge4RD #EUelections2019 e taggando @eurordis e @uniamofimronlus

Condivideremo il suo #Pledge4RD con il grande pubblico attraverso i nostri social media e i canali di comunicazione, includendo le associazioni nazionali di malattia rara a noi federate.



Guardi le testimonianze delle
persone che vivono con una malattia
rara:

<http://rarediseaseday.org/videos>



Per informazioni:

Valentina Bottarelli,

Public Affairs Director

valentina.bottarelli@eurordis.org

+32 (2) 274 06 14 - @vbottarelli

