Uniamo, la Giornata delle malattie rare e le sfide del nuovo regolamento Eu Hta

Dal 2008 Uniamo organizza varie iniziative per la Giornata delle malattie rare, tradizionalmente fissata al 29 febbraio, “giorno raro per i malati rari” e che, negli anni non bisestili, è spostata al 28. Gli hashtag ufficiali sono #rarediseaseday, #uniamoleforze e #rarimaisoli. “Da tre anni abbiamo deciso di estendere la durata di queste celebrazioni a tutto il mese di febbraio perché le iniziative cominciavano ad essere tante, quindi era giusto che ciascuna avesse un proprio risalto - dice **Annalisa Scopinaro**, presidente Uniamo, la Federazione italiana malattie rare - Anche quest'anno il lancio è stato il 31 di gennaio, con il video girato con **Beppe Vessicchio**”. Il famoso direttore d’orchestra “ha fatto da testimonial, quest'anno, insieme ai nostri ragazzi che esprimevano i loro talenti musicali perché - aggiunge **Scopinaro** - ci siamo legati al **Fantasanremo** con la costituzione di una lega con la quale abbiamo **coinvolto oltre 60 mila persone**”. Inoltre, durante una delle serate sanremesi, “da molti cantanti, è stato fatto il gesto delle mani che si sovrappongono, che è il simbolo della giornata delle malattie rare, proprio a richiamare l'attenzione sulla comunità rara”. Oltre a questo c’è anche una **campagna ‘out-of -home’** (fuori da casa) “con la brandizzazione di autobus, tram, metro e pensiline in quattro città italiane (Roma, Milano, Bologna e Venezia) con i colori della giornata - elenca la presidente di Uniamo - una pagina intera nel Frecciarossa magazine e una serie di altre iniziative. A ogni tappa dell'out-of-home c'è un convegno, un incontro, con le principali istituzioni, dei rappresentanti della regione, del comune e dei pazienti del centro di coordinamento per un approfondimento sulle malattie rare”. Tra le regioni coinvolte ci sono: Friuli Venezia Giulia, Lombardia, Liguria, Campania, Puglia e Sicilia. Inoltre, “l'Istituto superiore di sanità ci ha accompagnato con un **contest Instagram** rivolto ai ragazzi, proprio con un premio speciale Uniamo. Una grande gara di solidarietà e di concordanza rispetto a questa giornata”.

Pazienti coinvolti e formati per l’Hta su dispositivi medici e trattamenti

A livello europeo sono in corso una serie di cambiamenti e soprattutto c’è l’emanazione di **regolamenti** che cambieranno in maniera anche sostanziale tutte modalità di procedure e di approccio sia alle malattie rare che in generale alla salute. “Fra i vari regolamenti in corso - da quello sulla farmaceutica a quello sulla European Health Data Space, quindi la creazione di repository per i dati sanitari che potranno essere usati anche a fini di ricerca - illustra **Scopinaro** - un altro che cattura la nostra attenzione è quello sull'Hta, cioè **Health Technology Assessment**, che valuterà dispositivi medici e trattamenti e darà una modalità scientifica, quindi non soggettiva, dei trattamenti. È fondamentale la parte riservata ai rappresentanti dei pazienti e ai pazienti. Noi ne abbiamo già avuto testimonianza **durante le valutazioni degli screening neonatali estesi**. Proprio quello sulla **Sma** (atrofia muscolare spinale, Ndr) è stato sottoposto a una valutazione Hta. Siamo **molto interessati a questo particolare regolamento** tanto che il ministero della Slaute, nei mesi scorsi, ha fatto una ‘**call for proposal**’, cioè ha chiesto quali rappresentati dei pazienti dovessero essere coinvolti nelle future commissioni di Hta. Molti dei nostri rappresentanti, su nostra spinta, si sono proposti. Su questo argomento - informa - faremo **azioni specifiche, anche di formazione** perchè la partecipazione a queste commissioni richiede un'esperienza, un'expertise, una preparazione che non è quella media del rappresentante dei pazienti. Sarà importante cercare di focalizzare l'attenzione su questo aspetto”.

Strutturare la presenza dei pazienti ai tavoli Aifa

Rispetto alla presenza dei pazienti ai tavoli dell'Agenzia del farmaco, "abbiamo chiesto a più riprese che ci fosse la possibilità di un confronto con le principali associazioni e/o federazioni di pazienti - sottolinea la presidente di Uniamo - in modo che questo **confronto diventasse strutturale** - quindi non solo in occasione di eventi come gli **'Open Aifa' o 'Aifa incontra'** - ma qualcosa che possa essere strutturato all'interno dell'ente, in modo che non sia qualcosa di saltuario, ma, appunto, sistematizzato. Ad oggi ci sono dei segnali positivi in Ema, l'Agenzia europea dei medicinali, dove la situazione è già diversa rispetto all'Italia. Stiamo proseguendo l'azione su due direttrici - chiarisce **Scopinaro** - La prima è quella di convincere anche le aziende farmaceutiche a **coinvolgere i rappresentanti dei pazienti fin dalle prime fasi delle ricerche** e in tutte le fasi successive, in modo da comporre già nel dossier **Prems** (Patient-Reported Experience Measures) e **Proms** (Patient-Reported Outcome Measures) che misurano la qualità dell'assistenza, per arrivare alle commissioni Aifa già preparati su queste tematiche. La seconda - conclude - è cercare di avere questa **presenza strutturata in Aifa** per poter contribuire e portare il punto di vista dei pazienti anche in quella sede. Sarà poi successivamente anche altrettanto importante raccogliere i cosiddetti **real world data** in modo da completare anche tutto quello che riguarda i trattamenti, i farmaci, quello che viene in supporto alla persona con malattia rara, in modo da avere un quadro completo sulla reale efficacia ed efficienza di questi trattamenti".

Source URL: *https://www.novartis.com/it-it/il-paziente/area-dedicata-ai-pazienti-e-alle-associazioni-pazienti/hta-nuovo-regolamento/uniamo-la-giornata-delle-malattie-rare-e-le-sfide-del-nuovo-regolamento-eu-hta*

List of links present in page

- https://www.novartis.com/it-it/it-it/il-paziente/area-dedicata-ai-pazienti-e-alle-associazioni-pazienti/hta-nuovo-regolamento/uniamo-la-giornata-delle-malattie-rare-e-le-sfide-del-nuovo-regolamento-eu-hta