



Mondosanità



COMUNICATO STAMPA

Malattie rare, l'appello di medici e associazioni pazienti: "È ora di concretizzare le promesse del PNRR"

"Il Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza (PNRR) rappresenta un'indubbia opportunità per quanto riguarda i pazienti affetti da malattie rare. Questi sono i mesi in cui deve tradursi in atti concreti il grande sforzo di "messa a terra" delle promesse del PNRR, che per quanto riguarda coloro coinvolti nel mondo delle malattie rare significa assumere un ruolo proattivo affinché i potenziali progetti iscrivibili alle opportunità di finanziamento rispondano effettivamente ai bisogni dei pazienti affetti da malattie rare".

Con queste parole **Giorgio Perilongo**, Professore Ordinario del Dipartimento di Salute della Donna e del Bambino dell'Università degli Studi di Padova, apre la sessione **"Malattie rare, organizzazione e PNRR: su cosa investire eventuali nuove risorse per una diagnosi ed una presa in carico rapide e con un approccio organizzativo di rete collaborativa"** della **Winter School 2022** di **Pollenzo**, organizzata da **Motore Sanità**, in collaborazione con l'**Università degli Studi di Scienze Gastronomiche**, evento di alto profilo in ambito sanitario, promosso e divulgato da **Mondosanità** e da **Dentro la Salute**.

"Gli elementi essenziali per questa azione proattiva – spiega il Professor Perilongo - sono la conoscenza del mondo dei malati rari, la visione sul futuro della medicina e del Sistema sanitario nazionale e la chiarezza sull'obiettivo finale da perseguire, che in estrema sintesi non è soltanto il fondamentale binomio "diagnosi e cura" ma deve essere "il ben-essere" globale del soggetto affetto".

"Nel settore delle malattie rare siamo in un momento magico: abbiamo l'opportunità che ci può offrire e che ci offrirà il PNRR, se lo sapremo costruire insieme, e abbiamo tutti gli strumenti in Italia, partendo proprio dalla approvazione del Testo Unico delle malattie rare, per creare davvero un'eccellenza nel nostro paese sul tema delle malattie, strumenti che ci potrebbero veramente

permettere di rinnovare, di realizzare una rete non solo per le malattie rare ma anche di rinforzare tutto il sistema sanitario nazionale, in particolare ovviamente a beneficio anche per i pazienti con malattie rare” aggiunge **Domenica Taruscio**, Direttore del Centro Nazionale Malattie Rare, Istituto Superiore di Sanità.

Secondo **Annalisa Scopinaro**, Presidente di UNIAMO, Federazione Italiana Malattie Rare, ***“la riorganizzazione della rete sanitaria proposta dal PNRR, accompagnata da investimenti strutturali in tecnologie e adeguamento delle strutture, punta ad un modello di presa in carico che partendo dal domicilio del paziente arrivi ai più specializzati centri di eccellenza. Per le persone con malattia rara, che più di tutte sperimentano sulla propria pelle la necessità di coordinamento fra le strutture del territorio e quelle sovra-regionali o sovra-nazionali, fondamentali saranno teleassistenza e telemedicina, interconnessioni fra i nodi della rete, “viaggio” delle informazioni invece che spostamenti fisici, strumentazioni adeguate e formazione dei professionisti dedicati”***.

Le malattie rare nel PNRR sono citate soltanto all’interno della **Missione 6 Sanità nell’intervento C2.2, investimento 2.1: “Valorizzazione e potenziamento della ricerca biomedica del SNN”**. Il testo detta: *“l’investimento ha l’obiettivo di potenziare il sistema della ricerca biomedica in Italia, rafforzando la capacità di risposta dei centri di eccellenza, presenti in Italia nel settore delle patologie rare, favorendo il trasferimento tecnologico tra ricerca e impresa. Per il perseguimento di questi obiettivi si prevedono tre tipi di intervento: i) il finanziamento di progetti “Proof of concept”...; ii) i finanziamenti di programmi di ricerca inerenti le MR e i tumori rari; iii) il finanziamento di progetti di ricerca su malattie altamente invalidanti”*.

Alla missione 6 sono destinate risorse complessive pari a 20.2 mld (che approssimativamente rappresenta l’incidenza della spesa sanitaria sul PIL nazionale). Di questa cifra, si stima che **circa 200 ml euro siano destinati alla ricerca nel campo delle malattie rare e dei tumori rari, da spendere fra il 2023 e il 2025** (una volta espletate gli opportuni bandi di gara). Anche per questi investimenti, al pari di tutti gli altri inerenti il PNRR, si pongono le questioni: a) della difficoltà di spendere le somme allocate alle specifiche voci di spesa nei tempi previsti (quindi con la necessità di prevedere delle vie preferenziali/semplificate di approvazione dei progetti, sulla scia dell’esperienza maturata per far fronte all’epidemia da Sars-Cov-2); b) l’importanza di coinvolgere il mondo delle malattie rare nell’esame dei progetti stessi e c) l’assenza di meccanismi premiali favorenti la partnership pubblico-privato. Tuttavia nell’ambito della missione 6 oltre a quanto sopra sono individuati altri ambiti di investimento di sicuro interesse per i malati rari che entrano nel merito dell’erogazioni

delle cure e in generale del “ben-essere” del paziente. Sinteticamente essi sono: i) la transizione digitale in Sanità; ii) il potenziamento dell’assistenza domiciliare; iii) il mantenimento dell’autosufficienza e iv), sebbene consapevoli che questa è una tematica da dover meglio coniugare per quanto riguarda i malati rari, gli ospedali di comunità.

Altri elementi di rilievo per le malattie rare, sono da cogliere anche nell’ambito della **Missione 4 “Istruzione e Ricerca”, componente 2 “Dalla Ricerca all’Impresa”** e più nello specifico nelle sessioni 1.3 *“Partenariati estesi alla università, ai centri di ricerca, alle aziende per il finanziamento di ricerca di base”* e 1.4 *“Rafforzamento delle strutture di ricerca per la creazione di “campioni nazionali” di R&S su alcune “Key Enabling Technologies”*. Per brevità si cita che nella prima sessione (1.3) tra le 15 tematiche su cui verteranno i partenariati estesi vi è anche quella che fa riferimento a: “Diagnostica e terapie innovative nella medicina di precisione”, mentre tra le 4 della seconda sessione (1.4) vi è quella rivolta al finanziamento di un “Centro Nazionale sullo sviluppo della terapia genica e farmaci con tecnologia a RNA”. **La dotazione economica per l’espletamento dell’intera Missione 4 è di €30.88 Mld**; il dimensionamento del finanziamento per ciascuno dei progetti rientranti della componente 1.3 è di 80-160 mL di euro mentre per quelli della componente 1.4 di 200-400 mL di euro.

Sito internet: www.motoresanita.it

Tutto quello che vuoi sapere sulla salute: www.mondosanita.it e www.dentrolasalute.it

Ufficio stampa Motore Sanità

comunicazione@motoresanita.it

Laura Avalle - Cell. 320 098 1950

Liliana Carbone - Cell. 347 2642114

Marco Biondi - Cell. 327 8920962

www.motoresanita.it

