

**Le attività delle organizzazioni.** Dalle conferenze alle linee guida

# Fari sempre accesi sulle malattie rare

Il tema delle malattie rare non sarebbe entrato nell'agenda della politica sanitaria europea senza l'impegno delle associazioni di pazienti e dei loro familiari. Dal 1999, infatti, le malattie rare sono state inserite tra le priorità per la salute pubblica dell'Unione europea grazie all'attività delle organizzazioni che poi si sono riunite nel network Eurordis, European Organisation for Rare Disease, che oggi rappresenta oltre 510 associazioni in 48 Paesi. L'Istituto superiore di sanità italiano coordina dal 2008 il progetto

Europlan, che si concluderà nel 2015, finalizzato non solo a fotografare la situazione delle malattie rare a livello comunitario, ma a determinare le priorità e gli obiettivi attraverso la stesura di Piani nazionali. Al progetto partecipano 34 Paesi europei e, appunto, l'alleanza di pazienti Eurordis. In questi mesi si stanno definendo nei vari Stati i piani nazionali delle malattie rare: l'Italia avrà il suo entro il 2013. La federazione di pazienti Uniamo Fimr ha organizzato la prima conferenza Europlan a Firenze nel novembre 2010. In

quattro giorni di sessioni specifiche e decine di workshop su temi diversi, i portatori di interesse sul tema delle malattie rare si sono confrontati con le associazioni dei pazienti e hanno elaborato un documento finale contenente le linee guida per i piani nazionali. Questo modo di lavorare determina una maggiore consapevolezza delle esigenze di chi è affetto da queste patologie in chi poi materialmente sarà chiamato a stendere i piani. Fino a pochi anni fa le malattie rare erano un rebus, un argomento di nicchia per specialisti.

Oggi non solo si sta arrivando a organizzare in maniera puntuale i registri per le oltre 6 mila patologie e per i circa 30 milioni di pazienti nei vari Paesi, ma vi è un ampio dibattito sul tema dell'accesso, della reperibilità e del prezzo dei farmaci orfani, quelli su cui l'industria farmaceutica non ha un ritorno economico rilevante, ma che sono indispensabili ai malati. L'obiettivo da raggiungere è la giusta sintesi tra sostenibilità economica dei piani per la salute pubblica e diritti dei pazienti.

