

Malattie rare e terapie Il modello Italia fa scuola e la rete Ue si consolida

**Bruxelles investe 398 milioni di euro in ricerca e Reti ERN
Il nostro Paese coordina tre network, ospita il 20% dei centri
specializzati e può trasformare l'eccellenza in sistema**

■ **Gianluca Lambiase**

Nel loro insieme, le malattie rare coinvolgono decine di milioni di cittadini e richiedono risposte che nessun Paese può costruire da solo. Per questo l'Unione Europea ha scelto un modello fondato sulla condivisione delle competenze, della ricerca e sull'integrazione dei sistemi sanitari nazionali.

«Per il 95% delle malattie rare non ci sono ancora terapie e questa è la grossa sfida», ha ricordato Sandra Gallina, direttore generale della DG SANTE della Commissione europea, intervenuta al Primo Summit sulle Politiche per le Malattie Rare promosso dal Ministero della Salute su iniziativa del sottosegretario Marcello Gemmato. «Abbiamo costruito un quadro comune importante, ma ora il passaggio decisivo è l'appropriazione da parte degli Stati membri delle reti e delle politiche» ha proseguito Gallina. «Le malattie rare dimostrano il valore aggiunto dell'Europa quando le competenze vengono messe davvero in comune». In questo quadro si inserisce la Carta di Roma, documento presentato in occasione del Summit e accompagnato da proposte per l'Europa.

Il testo individua come priorità il rafforzamento di governance, diagnosi, ricerca e presa in carico lungo tutto l'arco della vita, con modelli integrati tra livelli nazionali ed europei. Elaborata con oltre 90 esperti tra istituzioni, clinici, pazienti e industria, sarà portata alle istituzioni europee per rafforzare il ruolo dell'Italia nel dibattito comunitario. Cuore operativo della strategia europea restano le Reti Europee di Riferimento (ERN), che collegano i centri di eccellenza e permettono la gestione condivisa dei casi più complessi, riducendo i tempi diagnostici e migliorando l'accesso alle cure senza spostare i pazienti. Si tratta di un modello che punta a superare la frammentazione della conoscenza clinica, concentrando compe-

tenze rare in una rete transnazionale.

«Essendo malattie rare è impossibile che ogni struttura abbia tutte le competenze», osserva Giovanni Leonardi, capo del Dipartimento della salute del Ministero. «Mettere in rete i centri significa condividere conoscenze e sviluppare ricerca sulle singole malattie». Per questo si lavora anche a un rafforzamento del coordinamento nazionale delle ERN. Per Leonardi la governance è l'elemento decisivo: «parte dalla capacità delle istituzioni di farsi carico del paziente, dalla diagnosi alla presa in carico e alla gestione del percorso terapeutico». Senza coordinamento, avverte, «le competenze si disperdono e il sistema perde efficacia».

Per rafforzare questo ecosistema l'Europa ha messo in campo nuovi investimenti. Da un lato Jardin, il programma da 18 milioni di euro destinato a integrare le reti europee nei sistemi sanitari nazionali; dall'altro ERDERA, la nuova alleanza europea per la ricerca sulle malattie rare, con una dotazione di 380 milioni di euro. A queste iniziative si aggiungono le misure previste dalla nuova legislazione farmaceutica europea e lo sviluppo dello Spazio europeo dei dati sanitari, considerato uno strumento decisivo per condividere informazioni cliniche e accelerare ricerca e diagnosi. «In Italia abbiamo il 20% delle unità specialistiche delle ERN», ha spiegato Maurizio Scarpa, coordinatore della rete MetabERN. «Il nostro Paese coordina tre reti europee e rappresenta uno dei mo-



Peso: 44%

delli più strutturati nella gestione delle malattie rare, grazie all'integrazione tra centri clinici, ricerca e associazioni di pazienti».

Secondo Scarpa, il nodo è anche economico: «La terapia non è un costo, è un investimento. Il mancato trattamento, infatti, genera costi indiretti elevati legati alla perdita di produttività, alla gestione assistenziale e all'impatto sulle famiglie, che spesso sostengono una parte rilevante dell'onere di cura». Sul piano europeo, la vicepresidente

del Parlamento europeo Antonella Sberna ha richiamato la necessità di rafforzare il coordinamento nel prossimo bilancio UE. «L'unione fa la forza e l'UE può essere la leva per armonizzare ciò che già esiste», ha sottolineato, indicando l'obiettivo di trasformare sempre di più le esperienze nazionali in patrimonio condiviso e di rafforzare i programmi di ricerca a sostegno dei pazienti. «La sfida», ha aggiunto, «è rendere strutturale la cooperazione tra Stati membri e valorizzare le reti già attive».



Da sinistra
Giulio Pompilio e Giovanni Leonardi



Peso: 44%