

**CONVENTION** MonitoRare 2026: migliorare la risposta ai bisogni

# Malattie rare: sfida sanitaria e sociale che richiede visione

**U**n'occasione per evidenziare i punti di forza e i progressi compiuti ma anche i nodi irrisolti su cui è necessario lavorare per migliorare: è il pensiero di Annalisa Scorpino, presidente della Federazione Italiana Malattie Rare, che ha promosso la Convention MonitoRare 2026, con la presentazione del XII Rapporto sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia: due giorni di lavori nel corso delle quali sono stati affrontati diversi temi caldi in ambito malattie rare e, più in generale, welfare e salute.

Un Rapporto MonitoRare, elaborato in collaborazione con la Società Sinodè, che ha restituito un quadro all'interno del quale gli italiani con malattie rare risultano essere non più i bambini. "Oggi, in Italia - ha affermato Scorpino - sono circa 2 milioni le persone colpite da malattia rara. A caratterizzare l'evoluzione della malattia è il sorpasso della popolazione anziana sui bambini: un paziente su 6 ha meno di 18 anni, 2 su 6 sono sopra i 65 anni. Questo significa nuovi bisogni e una presa in carico complessiva". Per la presidente della Federazione, il Rapporto elaborato e presentato è uno strumento che deve servire a orientare le politiche

sulle malattie rare: "Servono l'ascolto dei bisogni delle persone, la definizione di percorsi strutturati, il coordinamento delle diverse reti territoriali" perchè queste malattie "rappresentano una sfida sanitaria e sociale che richiede visione, programmazione e capacità di mettere al centro le persone e i loro bisogni", così come affermato dal sottosegretario alla Salute, Marcello Gemmato, che ha preso parte all'evento. "Il Rapporto MonitoRare - ha dichiarato - rappresenta un importante strumento di conoscenza e monitoraggio della condizione delle persone con malattia rara in Italia. Un lavoro che contribuisce a orientare le scelte future e a rafforzare un modello di presa in carico sempre più efficace". Un lavoro che ha evidenziato come, al 31 dicembre 2024, su un totale di 147 farmaci orfani autorizzati dall'Ema, 140 erano disponibili in Italia (95,2%, percentuale in crescita rispetto all'anno precedente). Sempre nel 2024 sono state erogate 16,7 milioni di dosi di farmaci orfani (1,8 mln in più dell'anno precedente). "L'Italia si colloca tra i primi Paesi europei per accesso ai farmaci orfani rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale e si distingue per procedure più snelle rispetto alla media euro-

pea, un quadro normativo ricco di incentivi alla ricerca e strumenti avanzati di monitoraggio e negoziazione" ha affermato il direttore Tecnico scientifico di Aifa, Pierluigi Russo.

A sottolineare il valore profondo del lavoro realizzato anche Maria Luisa Scattoni, direttrice del Centro nazionale malattie rare, per la quale "i dati del Rapporto MonitoRare ci ricordano che il vero indicatore di successo non è soltanto il numero delle reti, dei registri o dei farmaci disponibili, ma la capacità del sistema di garantire a ogni persona con malattia rara un percorso tempestivo, uniforme e centrato sui suoi bisogni".

Scattoni ha anche ribadito la volontà dell'Istituto superiore di sanità, attraverso il Centro nazionale malattie rare, di continuare a mettere a disposizione del Paese competenze scientifiche, registri, sorveglianza, ricerca e strumenti di informazione affinché le evidenze si traducano in decisioni, le decisioni in servizi e i servizi in una migliore qualità di vita per le persone con malattia rara e per le loro famiglie.

**A.T.**



Peso: 26%