

Una super-Rete per la cura giusta

JOHANN ROSSI MASON

Le e chiamano rare perché ciascuna, per essere definita tale, deve interessare meno di cinque casi ogni diecimila abitanti. Messe tutte insieme, però, sono circa seimila, interessano almeno due milioni di persone in Italia — ogni anno ventimila i nuovi casi — e trenta milioni in Europa. Un esercito di pazienti che si scontra quotidianamente con la difficoltà di diagnosi, la carenza di farmaci adatti, la burocrazia esasperante, la mancanza di informazione che porta a pietosi viaggi della speranza anche Oltreoceano. Problematiche sociali, psicologiche e ovviamente economiche: secondo una ricerca presentata da Teresa Petrangolini del Tribunale dei diritti del malato, ogni anno novemila euro in più gravano in media su ciascuna di queste famiglie tra diagnosi, cure e trasferimenti. Criticità che sono state prese in considerazione in un disegno di legge di cui il principale firmatario, Antonio Tomassini, ha parlato al convegno romano "Malattie rare e accesso alle cure". «Il disegno di legge — ha spiegato il senatore Pdl — è in linea con le raccomandazioni dell'Ue che indicano la necessità di fare un salto qualitativo nell'assistenza e di incentivare la ricerca attraverso

sistemi di defiscalizzazione».

Il mercato delle molecole cosiddette orfane è sempre più interessante e vale 500 milioni di euro, appetibile per le aziende ma anche per la ricerca di farmaci per malattie più comuni. «La ricerca sulle patologie diffuse — spiega Giuseppe Remuzzi, coordinatore della ricerca dei Laboratori Negri di Bergamo — sta passando sempre più da quella rivolta a situazioni rare. Un articolo apparso su *Nature* a settembre scorso ha confermato che l'approccio al meccanismo patologico è spesso "dal letto al topo" e non viceversa. Una malattia rara ha contribuito a spiegare la funzione del rene. Inoltre stiamo verificando come non serva far viaggiare il paziente, ma basti spedire il suo dna nei centri giusti».

E, a proposito di centri, la proposta di legge si focalizza proprio sulla realizzazione di una rete ef-

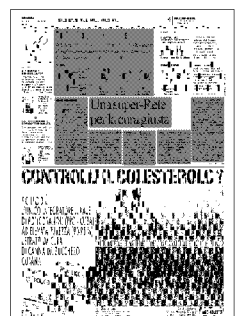
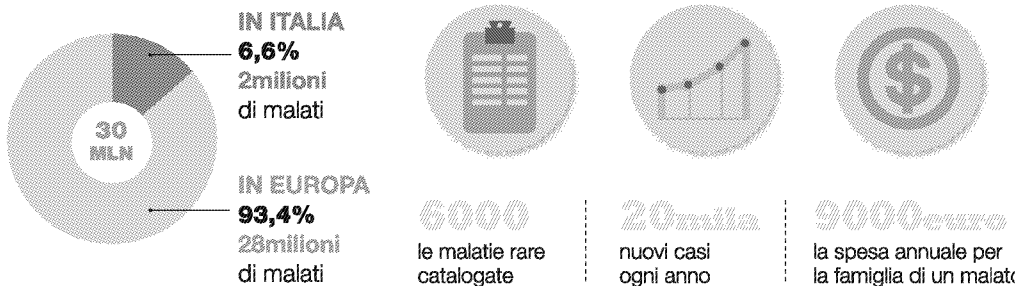
ficiente dove convergano tutti i dati relativi alle malattie, alle cure disponibili e ai trials clinici in corso. «La ricerca sulle patologie rare è uno dei pilastri della nostra politica di responsabilità sociale — spiega Paola Castellani, direttore di ricerca di Novartis — ma spesso gli stessi farmaci trovano applicazione per patologie più diffuse, in modo che se ne possa ammortizzare il costo e renderlo più accessibile. L'Italia è al settimo posto al mondo per numero di brevetti biotecnologici. Conquistato anche grazie alla cooperazione di piccole aziende biotech e università che lavorano su specifici programmi di ricerca».

L'approvazione della legge dovrebbe essere vicina e avere un appoggio bipartisan, così come confermato anche dal vicepresidente della commissione Sanità del Senato, Daniele Bosone.

Malattie rare

In Italia colpiscono due milioni di persone. Ogni giorno si confrontano con carenza di farmaci, spese, burocrazia. Per loro, e non solo, è in arrivo una nuova legge

I NUMERI



LA SCHEDA

MALATTIA RARA

Una malattia è considerata "rara" quando colpisce non più di



5 persone ogni 10mila abitanti

Parlare di malattie rare nella loro totalità e non come singole patologie, serve a mettere in luce una serie di problematiche assistenziali comuni e a progettare interventi di sanità pubblica mirati

FARMACI ORFANI



50%
dei farmaci orfani sono disponibili nell'Unione Europea

Il farmaco orfano è quel prodotto che potenzialmente è utile per trattare una malattia rara, ma non ha un mercato sufficiente per ripagare le spese del suo sviluppo; per questo non incontrano l'interesse economico delle case farmaceutiche

FONTE: ISTITUTO SUPERIORE DI SANITÀ

INFOGRAFICA DI PAULA SIMONETTI