Commissione europea

L'AZIONE DELL'UE NEL SETTORE DELLE MALATTIE RARE

Migliorare l'accesso dei pazienti alla diagnosi, alle conoscenze e alle cure

FEBBRAIO 2023

«Malattie rare, pazienti numerosi»

Nell'UE circa **36 milioni di persone** sono affette da una malattia rara. Le malattie rare nell'UE sono oltre **6000**: alcune colpiscono solo pochi pazienti, ma altre possono interessarne ben **250 000**.
Circa l'**80 % delle malattie rare è di origine genetica** e il **70 % di esse inizia già nell'infanzia**. L'azione dell'UE in materia di malattie rare mira a migliorare la diagnosi, l'assistenza e il trattamento dei pazienti affetti da malattie rare attraverso la messa in comune delle risorse e la cooperazione.

Rafforzamento della cooperazione e del coordinamento a livello europeo per migliorare l'accesso alle conoscenze, alla diagnosi e al trattamento delle malattie rare

Oltre 1600 centri specializzati e quasi 400 ospedali in 28 paesi, collegati da **24 reti di riferimento europee**.

Migliore disponibilità e accesso ai medicinali per i pazienti dell'UE affetti da malattie rare

Sono stati autorizzati più di **200 medicinali orfani** e oltre **2700** sono stati designati come tali.

Migliorare il riconoscimento, la visibilità e la codifica

Sostegno alla p**iattaforma europea per la registrazione delle malattie rare**

Sostegno a **Orphanet**, il portale europeo sulle malattie rare e i medicinali orfani, anche attraverso lo sviluppo e la manutenzione del sistema di codifica per le malattie rare **(Orphacodes)**.

Sostenere la formazione, lo sviluppo e la ricerca

Sostenere il **programma di scambio per i professionisti delle ERN** per condividere le conoscenze e promuovere la collaborazione tra gli operatori sanitari

Programma di orientamenti in materia di pratica clinica per le ERN

Progetti di ricerca finanziati dall'UE

Sostenere le politiche nazionali negli Stati membri dell'UE

Diverse azioni comuni per sviluppare sistemi nazionali di informazione e di dati e piani nazionali per le malattie rare e proseguire i lavori sui tumori rari.

Sostenere la collaborazione internazionale

Partecipare alla c**lassificazione internazionale delle malattie**, sotto la guida dell'OMS

Verso un approccio più incisivo dell'UE in materia di malattie rare

Rivedere la legislazione sui medicinali per le malattie rare

Promuovere lo sviluppo di medicinali che rispondano alle esigenze di cure mediche insoddisfatte e renderli accessibili in modo più tempestivo e a prezzi abbordabili per tutti.

Promuovere l'uso dei megadati sulle malattie rare

Istituire registri a livello dell'UE per facilitare la ricerca clinica, migliorare la pianificazione dell'assistenza sanitaria e l'assistenza ai pazienti, in linea con lo spazio europeo di dati sanitari.

Maggiore sostegno agli Stati membri nel periodo 2023-2025

Avvio dell'azione comune sull'integrazione delle ERN nei sistemi sanitari nazionali.

Sostegno alla creazione di un polo ucraino per le malattie rare e complesse

Dall'inizio della sua attività nel 2022, sono stati indirizzati al polo oltre 600 pazienti.

Migliorare e incrementare i finanziamenti per un maggiore impatto

77 milioni di EUR sotto forma di sovvenzioni dirette alle ERN.

Avvio di un partenariato europeo per attività di ricerca sulle malattie rare nel 2024

Sono stati stanziati oltre 2,4 miliardi di EUR per sostenere i programmi di ricerca e innovazione a livello nazionale, locale ed europeo.

Potenziare le reti di riferimento europee

Creazione dell'Accademia virtuale delle ERN nel 2022.

Una versione migliorata della piattaforma informatica a sostegno della discussione transfrontaliera dei casi clinici è in fase di sviluppo e sarà disponibile nel 2024.

Prima valutazione periodica delle ERN e dei loro membri dopo 5 anni di attività.

I **finanziamenti** nell'ambito del programma «**UE per la salute**» continueranno a sostenere la ricerca sulle malattie rare e lo sviluppo e il miglioramento dell'ecosistema delle ERN.