

---

## Malattie rare: Cattani (Farindustria), “accelerare recepimento e accesso a nuovi farmaci”

Sono 21 i nuovi farmaci orfani approvati nel 2022 dall'Agenzia europea dei medicinali (Ema) – quasi il 25% del totale di quelli autorizzati – che si aggiungono agli oltre 200 approvati tra il 2000 e il 2021. Medicinali che curano e migliorano la vita di 6,3 milioni di malati rari nel mondo. Con una pipeline di ricerca a livello globale che conta più di 1.800 molecole in sviluppo, soprattutto per il trattamento dei tumori rari, delle malattie neurologiche rare (22%) e per quelle gastrointestinali (16%). “I risultati dimostrano l'impegno delle imprese farmaceutiche su questo fronte”, commenta Marcello Cattani, presidente di Farindustria, in occasione della Giornata delle malattie rare. “Risultati raggiunti anche grazie all'attuale Regolamento europeo per i farmaci orfani, che ci auguriamo continui, anche dopo la revisione a livello Ue, a garantire un quadro competitivo di regole per la Ricerca, a beneficio dei pazienti. Solo così troveremo risposte innovative e sempre più efficaci per rispondere alla domanda di salute. È importante anche rafforzare il network pubblico-privato per favorire e accelerare la R&S. E continuare a puntare sugli screening neonatali, per cui l'Italia è prima in Europa e seconda a livello globale, dietro solo agli Usa. Gli screening neonatali sono infatti fondamentali per consentire, in maniera tempestiva, la cura e l'assistenza dei pazienti”. Tuttavia, secondo Cattani, l'Italia ha bisogno di “migliorare i processi di recepimento dei nuovi farmaci orfani approvati dall'Ema, con un accesso più veloce e più ampio ai farmaci disponibili”. In questo modo si potrebbe ulteriormente valorizzare il passo in avanti fatto con l'approvazione da parte del Comitato nazionale malattie rare presso il ministero della Salute del Piano nazionale malattie rare 2023-2025, che dovrà passare dalla Conferenza Stato-Regioni. Ora è il momento di accelerare la conclusione di questo percorso e renderne l'attuazione veloce, prevedendo risorse adeguate. Le aziende vogliono continuare a investire in un settore complesso, a causa della rarità delle patologie, per offrire nuove speranze di cura a tutti quei cittadini, di cui la maggior parte bambini, che nel mondo convivono con malattie rare e alle loro famiglie”.

Giovanna Pasqualin Traversa