

---

## **Malattie rare: Telethon autorizzata a distribuire terapia avanzata. Bellagambi (Uniamo), “esempio di creazione di un nuovo approccio che non lascia indietro nessuno”**

Telethon ha ottenuto dall’Agenzia europea per i medicinali l’autorizzazione a distribuire Strimvelis, una terapia avanzata per la cura della rara immunodeficienza Ada-Scid, malattia che può portare alla morte già nell’infanzia. Questo l’importante annuncio dato dalla Fondazione, che diventa così la prima non-profit ad ottenere l’autorizzazione dall’Ema per il mercato europeo, durante una conferenza stampa organizzata ieri a Roma. Lo ricorda in una nota diffusa oggi Uniamo-Federazione italiana malattie rare riportando le dichiarazioni del suo delegato estero nonché vicepresidente Eurordis, Simona Bellagambi, presenta alla conferenza stampa: “Ringraziamo la Fondazione Telethon per aver accettato questa sfida eccezionale. Ci impegneremo per mettere insieme le forze a livello sovranazionale per assicurare l’accesso a queste terapie in modo equo e sostenibile, sia attraverso nuovi modi di negoziazione ed acquisizione, sia attraverso il rinnovamento delle procedure per l’accesso alle cure transfrontaliere. Siamo fieri che in questo momento storico l’Italia possa essere un esempio di creazione di un nuovo approccio europeo che non lasci indietro nessuno”.

“L’impegno di Telethon – viene sottolineato nella nota – nasce in seguito alla decisione dello scorso marzo dell’azienda Orchard Therapeutics (Otl) di disinvestire dall’ambito della terapia genica delle immunodeficienze primitive per la scarsa redditività: a farne le spese anche Strimvelis, farmaco che dal 2016 ha permesso di curare oltre 40 bambini di tutto il mondo. Questo è stato solamente l’ultimo dei segnali provenienti dalle aziende farmaceutiche e biotecnologiche impegnate nell’ambito delle malattie rare, che rendono il tema della sostenibilità economica delle terapie avanzate e del conseguente equo accesso non più rinviabile”. Entro il 2030 dovrebbero essere lanciate a livello globale fino a 60 di queste terapie, a favore di oltre 500mila pazienti. “Nonostante ciò – prosegue la nota di Uniamo –, rimangono ancora troppi gli ostacoli nell’intero percorso degli Atmp, che partono dalla fase pre-clinica e clinica, a quella dell’accesso e sostenibilità fino ad arrivare alle difficoltà che hanno queste terapie ad arrivare al paziente o addirittura al ritiro dal mercato, questa volta scampato grazie all’azione di Telethon che però necessita di un intervento istituzionale per arrivare ad una soluzione permanente”. Per la presidente di Uniamo, Annalisa Scopinaro, “è diventato necessario che l’Italia, attraverso una forte azione di sistema, sia messa nella condizione di garantire ai propri pazienti la disponibilità di queste terapie intervenendo sulla cornice regolatoria. Per rispondere a questa esigenza – ha annunciato – la Federazione ha organizzato un training istituzionale ospitato dall’Intergruppo per l’Innovazione sostenibile in sanità (l’ultimo dei tre incontri sarà a novembre)”. Gli esiti di questo percorso formativo saranno raccolti in un documento finale, il “Termometro parlamentare sulle Atmp”, che potrà rappresentare per i decisori politici uno strumento tecnico-operativo su cui fondare le future attività di policy. “Il primo obiettivo concreto che si pone la Federazione – conclude la nota – è arrivare a considerare le terapie avanzate non più un costo per le casse dello Stato ma un investimento. Perché il diritto alle cure sia garantito a tutti, perché nessuno resti escluso”.

Alberto Baviera