

## **COMUNICATO STAMPA**

Nella cornice del Rare Disease day 2025

### **Joint Action per far correre la ricerca nelle Malattie Rare e favorire un accesso tempestivo alle cure**

*Uniamo e Assobiotech rilanciano la storica collaborazione, avviando un percorso di incontro e confronto fra Istituzioni, esperti del settore e rappresentanti del mondo scientifico, associativo e industriale per identificare proposte puntuali da sottoporre ai decisori politici sul tema della ricerca nel campo delle malattie rare.*

- **Scopinaro, UNIAMO:** *“Dobbiamo creare un contesto favorevole alla ricerca, attraverso un sistema di scambio e utilizzo dei dati non penalizzante, incentivi specifici e sgravi fiscali, sistematizzazione di tutte le linee di ricerca per evitare sovrapposizioni e favorire collaborazioni.”*
- **Greco, Assobiotech:** *“Parte oggi un nuovo progetto in collaborazione con UNIAMO: vogliamo insieme avviare un percorso di ascolto di tutti gli stakeholder per portare ai decisori riflessioni e suggerimenti condivisi per il futuro della ricerca e dell’innovazione nel settore delle Malattie Rare”*

Roma, 19 febbraio 2025 – Come l’Italia sta affrontando le sfide della ricerca sulle Malattie Rare? Come si sta preparando a livello di sistema Paese? Quali sono i principali nodi che la ricerca deve affrontare e quali gli interventi sull’ecosistema necessari per migliorare e garantire alle persone con patologia rara un rapido accesso ai trattamenti e ai servizi?

Per rispondere a queste domande, Istituzioni, mondo della ricerca e realtà associative e industriali si sono incontrate oggi a Roma, in occasione dell’evento *“La ricerca sulle Malattie Rare in Italia – Opportunità e sfide”* organizzato dalla Federazione Italiana Malattie Rare UNIAMO e da Federchimica Assobiotech nella cornice del programma del [Rare Disease day 2025](#).

I diversi attori presenti si sono confrontati su temi fondamentali come la sperimentazione clinica, l’accesso alle terapie e le politiche di sostegno alla ricerca con il comune obiettivo di costruire una strategia condivisa in grado di migliorare il sistema, rafforzando la collaborazione tra tutti i diversi attori coinvolti e garantendo soluzioni concrete per i pazienti e le loro famiglie.

*“L’innovazione in campo biotecnologico sta vivendo un periodo di grande fertilità: stiamo assistendo a un incremento considerevole di terapie e farmaci avanzati e innovativi che aumentano le speranze delle persone con malattia rara - ha commentato Annalisa Scopinaro, Presidente di UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare - Dobbiamo creare un contesto favorevole alla ricerca, attraverso un sistema di scambio e utilizzo dei dati non penalizzante, incentivi specifici e sgravi fiscali,*



FEDERCHIMICA  
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo  
delle biotecnologie

UNIAMO  
Federazione Italiana Malattie Rare

*sistematizzazione di tutte le linee di ricerca per evitare sovrapposizioni e favorire collaborazioni. Questo è possibile solo con una rete solida tra tutti gli stakeholder: pazienti, associazioni, istituzioni, ricercatori, clinici e industria farmaceutica. I rappresentanti dei pazienti devono essere coinvolti fin dalle prime fasi di ideazione delle ricerche, perché possano esprimersi su bisogni e outcome attesi, monitorando il percorso con la raccolta di PROs (patient reported outcomes) e infine valutando l'impatto anche attraverso i RWD (real world data)".*

*"L'innovazione biotecnologica ha portato, e sempre più porterà, un contributo chiave al trattamento delle Malattie Rare e l'industria biofarmaceutica è da sempre fortemente impegnata su quest'area per offrire non solo nuove soluzioni diagnostiche e terapeutiche ma anche programmi di supporto ai pazienti e per contribuire ad aumentare la conoscenza delle varie malattie rare nella comunità dei medici. - spiega Fabrizio Greco presidente Federchimica Assobiotec - Oggi rinsaldiamo una storica collaborazione con UNIAMO ideando insieme un percorso di incontri multistakeholder che, partendo dall'identificazione dei limiti dell'attuale sistema, permetta all'Italia di fare un ulteriore passo avanti nel fornire ai pazienti rari le cure migliori con tempistiche più rapide possibili. Il nostro Paese – aggiunge Greco – è, sulla carta, un luogo d'eccellenza per la diagnosi, la ricerca di nuove terapie, l'accesso precoce alle cure. Siamo, infatti, leader in Europa sugli screening neonatali e tra i primi Paesi al mondo per numero di patologie screenate; abbiamo diversi programmi di early access e un quadro normativo che garantisce rapidi tempi di approvazione e messa a disposizione dei farmaci su tutto il territorio nazionale. Ma la realtà è purtroppo diversa. Spesso questi primati rimangono sulla carta e non trovano reale applicazione nel quotidiano. Serve un momento di confronto per trovare insieme nuove strade e nuovi meccanismi che possano garantire soluzioni concrete per i pazienti e le loro famiglie. Come Associazione stiamo lavorando a una serie di proposte sui temi dell'early access e sui criteri di innovatività e vogliamo portare il nostro contributo per fornire soluzioni diagnostiche e terapeutiche sempre più efficaci e sostenibili. Auspichiamo che questa nuova collaborazione con UNIAMO possa portare importanti risultati per i pazienti e per le loro famiglie."*

#### **Federazione Italiana Malattie Rare UNIAMO**

UNIAMO Federazione Italiana Malattie Rare è l'ente di rappresentanza della comunità delle persone con malattia rara; conta oltre 200 Associazioni di pazienti affiliate, numero in continua crescita. Dal 1999 opera con la missione di migliorare la qualità della vita, tutelare e promuovere i diritti delle persone con malattia rara, delle loro famiglie e caregiver. La Federazione sviluppa un dialogo costante con gli esponenti delle Istituzioni (Ministeri, AIFA, Istituto Superiore di Sanità, Agenas, Regioni, centri clinici di riferimenti, rete ERN, MMG e PLS, società scientifiche ecc), ricercatori, player privati, rappresentando le istanze delle persone con malattia rara e le possibili soluzioni. La forza di UNIAMO è data dal collezionare le voci delle persone che si trovano ad impattare con una malattia rara o ultrarara, oltre che a quelli che sono ancora in cerca di una diagnosi, e di tutte le Associazioni per trasformarle in un'unica voce, capace di essere ascoltata in tutti i tavoli decisionali: rappresentare una comunità di oltre due milioni di persone ha un peso che si fa notare nelle sedi istituzionali.

#### **Federchimica Assobiotec**

Assobiotec, Associazione nazionale di Federchimica per lo sviluppo delle biotecnologie, rappresenta oltre 120 imprese, IRCCS, parchi e istituti scientifici e tecnologici operanti in Italia nei diversi settori di applicazione del biotech: salute, agricoltura, ambiente e processi industriali. L'Associazione riunisce realtà diverse - per dimensione e settore di attività - che trovano una forte coesione nella vocazione all'innovazione e nell'uso della tecnologia biotech: leva strategica di sviluppo in tutti i campi industriali e risposta concreta a esigenze sempre più urgenti a livello di salute pubblica, cura dell'ambiente, agricoltura e alimentazione. Costituita nel 1986, Assobiotec è socio fondatore di **EuropaBio**, l'Associazione Europea delle Bioindustrie, della **European Biosolutions**



FEDERCHIMICA  
ASSOBIOTEC

Associazione nazionale per lo sviluppo  
delle biotecnologie

**UNIAMO**  
Federazione Italiana Malattie Rare

**Coalition** e di **ICBA**, l'International Council of Biotechnology Association. In Italia è socio fondatore, attraverso Federchimica, del Cluster Nazionale delle Scienze della Vita **ALISEI** e del Cluster Nazionale della Bioeconomia Circolare **SPRING**. Partecipa costantemente e attivamente ai lavori dei Cluster **Blue Growth** e del Cluster Agrifood Nazionale **CLAN**.

**Per maggiori informazioni**

Federchimica Assobiotec

[comunicazione.assobiotec@federchimica.it](mailto:comunicazione.assobiotec@federchimica.it)

[f.pedrali.external@federchimica.it](mailto:f.pedrali.external@federchimica.it)

[www.assobiotec.it](http://www.assobiotec.it)

Linkedin @Assobiotec

X @AssobiotecNews

Lorenzo Pellas

Ufficio Stampa e Comunicazione UNIAMO

Cell. +39 379 1924547

Email: [comunicazione@uniamo.org](mailto:comunicazione@uniamo.org)