



DEBRA Italia aderisce alla Consultazione Europea sulle Malattie Rare (MR)

DEBRA Italia, Associazione per la ricerca sull'Epidermolisi Bollosa (EB), è lieta di partecipare alla Consultazione promossa dalla Commissione Europea.

L'Associazione è membro di DEBRA Europe, l'Organizzazione che comprende numerosi capitoli nazionali europei impegnati su EB, nonché membro di Eurordis e della Federazione Italiana MR UNIAMO.

DEBRA Italia concorda con i suggerimenti indicati da DEBRA Europe e, sua volta, si fa promotrice delle seguenti indicazioni:

- 1) Biobanche
Tenuto conto dell'esistenza di un loro considerevole numero in Europa, chiediamo la costituzione di un Super Consorzio deputato alla raccolta dati sul materiale biologico in loro possesso finalizzato al loro utilizzo da parte di Centri di Ricerca in stato di avanzamento verso una prospettiva terapeutica
- 2) Censimento dei Centri di Ricerca Europei più avanzati sul terreno delle terapie per gruppi di MR (metaboliche, ematopoietiche, epiteliali, ...) che dovrebbero assumere il ruolo di project leader nella ricerca e vedere assicurata una posizione di rispetto nell'assegnazione di fondi destinati alla ricerca di terapie
- 3) Certificazioni GMP: l'espletamento delle certificazioni da parte dei Centri di Ricerca, a volte finanziati con investimenti privati da parte di Fondazioni, comporta un onere troppo gravoso che incide sul volume dell'attività scientifica potenzialmente sviluppata. Negli USA, per esempio, il peso economico delle certificazioni è a carico dei fondi federali. Si chiede analogo trattamento in Europa con l'istituzione di un fondo ad hoc.
- 3) Armonizzazione del sistema di autorizzazione alle terapie geniche, con utilizzo di cellule staminali, non per singolo paziente ma per mutazione suscettibile di trattamento
- 4) Si afferma la necessità dell'istituzione di un'Agenzia Europea MR che raccolga tutti gli stakeholders coinvolti, con particolare riguardo alle associazioni dei malati
- 5) Si invita a considerare l'opportunità della costituzione di un Forum Europeo per l'Integrazione del malato raro, sotto il profilo educativo-scolastico, lavorativo, ricreativo, della mobilità, grazie al confronto tra le politiche nazionali messe in atto con particolare riguardo al tema, al fine di una loro armonizzazione
- 5) Si sollecita la realizzazione di Piani Nazionali su MR sull'esempio francese e la loro armonizzazione grazie a momenti di confronto istituzionale

Grazie per l'attenzione

Dr. Paola Zotti
Presidente

D.E.B.R.A. Italia ONLUS – Associazione per la ricerca sull'Epidermolisi Bollosa Distrofica

Sede Legale: Via Pietro Mascagni, 152 - 00199 Roma Ufficio: Via Arno, 96 - 00198 Roma Telefono: 06-8547113

www.debraitaliaonlus.org - C.C.Postale N° 70304167 - Codice Fiscale: 93034970876

This paper represents the views of its author on the subject. These views have not been adopted or in any way approved by the Commission and should not be relied upon as a statement of the Commission's or Health & Consumer Protection DG's views. The European Commission does not guarantee the accuracy of the data included in this paper, nor does it accept responsibility for any use made thereof.