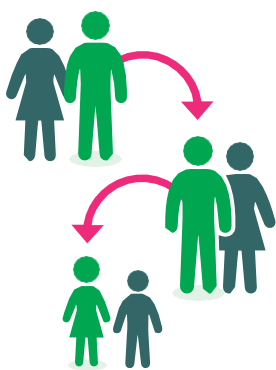


Migliorare l'accesso alle cure e ai trattamenti per i pazienti e le famiglie della malattia di Huntington

A seguito di una tavola rotonda politica virtuale tenutasi il 3 dicembre 2020, organizzata dalla European Huntington Association (EHA) e dalla Federazione europea delle associazioni neurologiche (EFNA) con il sostegno finanziario di Roche, le seguenti organizzazioni e parti interessate chiedono ulteriori azioni a livello UE e nazionale per migliorare la qualità dell'assistenza e del trattamento per le persone che vivono con la malattia di Huntington. Il sostegno da parte dei politici a livello nazionale e internazionale è fondamentale per permettere di fare i passi necessari per migliorare la qualità della vita delle persone colpite dalla malattia di Huntington. Questa Dichiarazione di Consenso stabilisce una serie di raccomandazioni in cui un'azione multi-stakeholder potrebbe aiutare a superare alcune delle sfide chiave affrontate da chi è affetto dalla Malattia di Huntington.



SULLA MALATTIA DI HUNTINGTON



La malattia di Huntington è una malattia rara, genetica, neuro-degenerativa e infine fatale che ha un impatto devastante sulle famiglie attraverso le generazioni. Vivere con la malattia di Huntington comporta una serie di sfide per la salute e la società, tra cui gravi sintomi multiformi, disabilità a lungo termine, lotta contro lo stigma, isolamento sociale, perdita di reddito e sostegno sociale e maggiori oneri di assistenza per le famiglie, per citarne alcuni.

C'è una mancanza di comprensione della malattia di Huntington tra gli operatori sanitari, con molti pazienti che lottano per ricevere le cure di cui hanno bisogno e a volte ricevono informazioni errate dagli operatori sanitari. Inoltre, le opinioni variano su quale sia la migliore pratica nella malattia di Huntington, dati i molti approcci diversi alla cura e al trattamento nei vari paesi, sia in Europa che nel mondo.

È chiaro che è necessario un cambiamento all'interno dei sistemi sanitari per sostenere un migliore accesso alle cure e ai trattamenti per i pazienti della malattia di Huntington. Una maggiore conoscenza tra i professionisti sanitari e i servizi sociali, così come un approccio multidisciplinare e olistico alla cura e al trattamento, sono fondamentali per colmare le lacune attualmente esistenti. Per affrontare queste lacune, abbiamo bisogno di pazienti e caregiver ben informati e attivati; una comprensione di dove accedere al supporto per i pazienti e le famiglie; opportunità di coinvolgimento degli utenti; supporto congiunto per la salute fisica, il benessere mentale e l'assistenza sociale; e, cosa importante, dobbiamo combattere lo stigma che circonda questa comunità di pazienti.



Accelerare la ricerca sui trattamenti per la malattia di Huntington e altre malattie neurodegenerative è fondamentale. Inoltre, i metodi per misurare le funzioni cognitive e i sintomi non motori, come il controllo emotivo, devono essere migliorati. Un altro fattore che ha un impatto significativo sulla qualità della vita dei pazienti della malattia di Huntington e delle loro famiglie è la salute mentale, un'area in cui la ricerca è attualmente molto limitata. I programmi di ricerca e innovazione dell'UE, come Horizon Europe, possono essere sfruttati per sostenere questo tipo di ricerca, riunendo le competenze di tutti gli Stati membri dell'UE per migliorare il modo in cui vengono fornite le cure e la ricerca sulle malattie rare.



Inoltre, continuano ad esistere sfide riguardo all'accesso dei pazienti ai farmaci per le malattie rare, con grandi disuguaglianze di accesso tra Europa orientale/occidentale e settentrionale/meridionale. Il mercato europeo è frammentato con molteplici processi di HTA, prezzi e rimborsi. In generale, nessun singolo paese ha una conoscenza sufficiente delle malattie rare per valutarle da solo. Abbiamo bisogno di coordinare gli sforzi per garantire una maggiore attenzione alla ricerca, migliori studi clinici, un dialogo precoce sul valore delle terapie e una discussione comune sull'HTA a livello europeo.

Il rinnovato slancio dell'UE sulla politica sanitaria a seguito di COVID-19, e le recenti proposte di costruire un'Unione Europea della Salute, sono segnali incoraggianti per la comunità delle malattie rare. Dobbiamo sfruttare questo slancio come un'opportunità per garantire il miglioramento dei servizi sanitari per i pazienti della malattia di Huntington, e più in generale per i pazienti con malattie rare, in tutta l'UE. Una forte collaborazione tra i politici e le altre parti interessate sarà essenziale per far sì che questo accada.

La Strategia farmaceutica per l'Europa, pubblicata nel novembre 2020, tocca molte aree in cui è necessaria una maggiore cooperazione, compresi i dati, la trasparenza dei costi e dei prezzi, e l'approvvigionamento congiunto di terapie ad alto costo. La strategia ha molto potenziale, ma sarà importante che le iniziative che include si colleghino realmente per ottenere un trattamento migliore e più accessibile, assicurando allo stesso tempo che l'Europa rimanga all'avanguardia nell'innovazione sanitaria.

Nella fase di recupero post COVID-19, dobbiamo dare voce a quelle malattie che non hanno ricevuto l'attenzione che meritano negli ultimi anni e garantire che non siano messe in ombra dalla pandemia, ma piuttosto che i pazienti con malattie rare siano un punto centrale nella fase di recupero e oltre.

Alcune delle lezioni apprese dalla pandemia di COVID-19 sono applicabili alla gestione delle malattie rare, tra cui affrontare le disuguaglianze sanitarie che persistono in tutta l'UE. Questa crisi sanitaria ha fatto luce su quanto siano essenziali i sistemi sanitari e ha aperto il campo delle possibilità con la telemedicina, l'aumento degli investimenti nell'assistenza sanitaria e gli studi clinici accelerati, tra gli altri. Questo dovrebbe ora diventare una realtà in altre aree dell'assistenza sanitaria, comprese le malattie rare.



INVITA ALL'AZIONE



1

AFFRONTARE LE LACUNE DI ASSISTENZA E TRATTAMENTO PER I PAZIENTI CHE VIVONO CON LA MALATTIA DI HUNTINGTON

Azione a livello nazionale:

Integrare le Reti di Riferimento Europee nei sistemi sanitari nazionali. Per attuare i cambiamenti necessari per sostenere le persone che vivono con la malattia di Huntington, abbiamo bisogno che gli Stati membri dell'UE integrino le Reti europee di riferimento (ERN) nelle loro strategie sulle malattie rare. Questo assicurerà che le ERN diventino un punto di riferimento centralizzato per i pazienti e garantirà l'armonizzazione delle informazioni e degli standard di cura in tutti gli Stati membri.

Gli Stati membri dell'UE devono essere più proattivi, aumentare le risorse per i loro membri ERN e organizzare le reti nazionali per permettere il flusso di competenze dall'ERN al paziente e viceversa. Gli Stati membri devono condividere le migliori pratiche per garantire che le soluzioni siano attuate efficacemente in tutta Europa.

Adottare le linee guida internazionali sulla malattia di Huntington. La Rete europea di riferimento per le malattie neurologiche rare (ERN-RND) ha pubblicato le linee guida internazionali per il trattamento della malattia di Huntington. Queste linee guida internazionali dovrebbero essere approvate e adottate da tutte le autorità sanitarie nazionali e dovrebbero costituire la direzione per lo sviluppo dei servizi. Questo aiuterebbe a garantire coerenza e accesso a cure e supporto multidisciplinari di alta qualità per tutti coloro che sono affetti dalla malattia di Huntington.

Garantire un approccio multidisciplinare alle cure. Poiché per la malattia di Huntington non è ancora disponibile un trattamento modificante o curativo, è fondamentale concentrarsi sulla gestione dei sintomi e sul miglioramento della qualità della vita. Questo include il trattamento dei sintomi psichiatrici, la fisioterapia, la gestione nutrizionale, il supporto psicologico, la terapia occupazionale, tra gli altri. L'accesso a queste opzioni è molto variabile nei diversi paesi e molti pazienti hanno un accesso limitato o nullo. Il supporto di team multidisciplinari è anche essenziale e le linee guida internazionali ERN-RND sulla malattia di Huntington che riflettono questo dovrebbero essere adottate in tutti i paesi europei per garantire che i pazienti abbiano accesso alle cure di alta qualità di cui hanno bisogno.



Azione a livello UE:

Ottimizzare i programmi di formazione degli operatori sanitari e le borse di studio/programmi di scambio. Le RER vanno oltre la cooperazione clinica; possono anche offrire attività di formazione professionale per condividere le conoscenze degli esperti e fornire ai giovani professionisti una formazione approfondita. Si dovrebbe fare in modo che queste opportunità di formazione raggiungano il maggior numero possibile di operatori sanitari. Le RER dovrebbero anche essere punti focali per la ricerca e per gli scambi con i pazienti e i loro rappresentanti.

Attuazione di quadri giuridici per i servizi forniti dalle reti di riferimento europee COVID-19 ha evidenziato l'importanza dei quadri giuridici per le gravi minacce transfrontaliere alla salute, e l'importanza di rafforzare la posizione dell'ECDC e dell'EMA. Per i pazienti della malattia di Huntington, abbiamo anche bisogno di quadri giuridici per i servizi forniti, per esempio, sviluppando un programma di formazione per attrarre un maggior numero di esperti di malattie rare.





2

GARANTIRE CHE LE PRIORITÀ DELLA RICERCA ABBIANO IN MENTE I PAZIENTI

Azione a livello UE:

Migliorare il coinvolgimento dei pazienti nella R&S.

I pazienti della malattia di Huntington e i loro caregiver dovrebbero essere attivamente coinvolti nella ricerca per garantire che la loro voce sia inclusa. Di solito la ricerca viene eseguita in popolazioni facili da raggiungere prima di esaminare come le popolazioni della vita reale reagiscono ai trattamenti. Migliorando il coinvolgimento di una varietà di pazienti con la malattia di Huntington nella ricerca, si possono garantire i migliori risultati possibili della ricerca. I programmi europei per la ricerca e l'innovazione, tra cui Horizon Europe e l'Innovative Health Initiative, dovrebbero garantire l'integrazione di un significativo coinvolgimento dei pazienti.

Sfruttare i programmi europei di ricerca e innovazione

Dobbiamo cogliere le opportunità per la ricerca sulla malattia di Huntington nei bandi dei programmi europei di ricerca e innovazione, come Horizon Europe. Questi programmi dovrebbero includere bandi di ricerca che offrono opportunità per la ricerca sulla malattia di Huntington, compresi i bandi sulle malattie rare e sulla neurologia, così come sui bisogni insoddisfatti dei pazienti.

3

MIGLIORARE L'ACCESSO ALLE CURE PER I PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIE RARE INCORAGGIANDO LA COOPERAZIONE A LIVELLO EUROPEO IN MATERIA DI HTA, PREZZI E RIMBORSI

Azione a livello europeo e nazionale:

Migliorare i processi di HTA, prezzi e rimborsi in tutta l'UE per un accesso migliore e più equo ai trattamenti delle malattie rare.

Per affrontare le disuguaglianze nell'accesso ai trattamenti delle malattie rare in tutta l'UE, abbiamo bisogno di una migliore cooperazione. Gli Stati membri dell'UE dovrebbero lavorare per raggiungere un accordo sulla valutazione comune europea dell'HTA. L'UE dovrebbe fornire una piattaforma per un dialogo precoce sul valore delle terapie che coinvolga tutti gli Stati membri.

4

SFRUTTARE IL RINNOVATO SLANCIO DELL'UE SULLA POLITICA SANITARIA

Azione a livello UE:

Garantire che la Strategia farmaceutica per l'Europa porti concretamente a un migliore e più equo accesso alle cure per i pazienti affetti da malattie rare in tutta l'UE. L'UE deve garantire che le iniziative stabilite nella Strategia farmaceutica siano eseguite efficacemente per migliorare la cooperazione europea, compresa, tra l'altro, una proposta legislativa su uno Spazio europeo dei dati sanitari e misure non legislative, come le linee guida, per migliorare la trasparenza dei costi.

Azione a livello europeo e nazionale:



Fare pressione sui governi degli Stati membri affinché sostengano lo sviluppo di una forte Unione Europea della Salute

Affinché le proposte per costruire un'Unione Europea della Salute abbiano successo, tutti gli Stati membri devono essere a bordo. Tutte le associazioni di stakeholder con un interesse acquisito in una forte Unione Europea della Salute, in cui tutti i paesi dell'UE lavorano insieme per proteggere meglio la salute dei cittadini e migliorare le cure, dovrebbero far sentire la loro voce a livello nazionale e fare pressione sui governi degli Stati membri affinché accettino di far parte dell'Unione Europea della Salute.

Partecipazione attiva dei gruppi di pazienti e impegno con i responsabili politici per garantire che la malattia di Huntington abbia un profilo più alto nell'agenda politica a livello regionale e nazionale

I responsabili politici hanno bisogno di input e feedback da parte dei rappresentanti dei pazienti per assicurarsi di lottare per politiche che rispondano ai bisogni di tutte le persone. I gruppi di pazienti devono garantire una forte presenza tra i politici sia a livello europeo che nazionale per aumentare la consapevolezza della malattia di Huntington e assicurare che la prospettiva dei pazienti della malattia di Huntington sia integrata nelle politiche e nelle iniziative pertinenti.

5

METTERE I PAZIENTI CON MALATTIE RARE AL CENTRO DEL RECUPERO POST COVID-19



Azione a livello nazionale:



Attuare strategie nazionali per le malattie rare che includano misure specifiche per migliorare il trattamento, la cura e il sostegno di tutti coloro che sono affetti dalla malattia di Huntington, compresi i pazienti, le famiglie e chi si prende cura di loro.

Le strategie nazionali aggiornate sulle malattie rare sono un passo importante per migliorare la cura delle malattie rare in ogni paese. Tutti gli Stati membri dell'UE dovrebbero adottare e attuare una strategia nazionale sulle malattie rare che includa misure e obiettivi specifici sulla malattia di Huntington. Le strategie nazionali sono necessarie per avere una strategia europea.

Aumentare gli investimenti nei sistemi sanitari nazionali per aumentare la capacità e la resilienza e garantire che tutti i pazienti affetti da malattie rare possano accedere alle cure di cui hanno bisogno. Gli Stati membri dell'UE devono imparare la lezione della pandemia COVID-19 e continuare ad aumentare gli investimenti nei loro sistemi sanitari per garantire che siano solidi e con una capacità sufficiente a fornire cure e supporto eccellenti a tutti coloro che sono affetti da una malattia rara, anche in caso di future pandemie.

Azione a livello UE:

Aumentare le reti di riferimento europee

Il nuovo programma EU4Health dovrebbe essere utilizzato per aumentare le reti di riferimento europee, anche attraverso un finanziamento più sostenibile e l'integrazione nei percorsi di cura standard, e per sostenere i registri delle malattie a livello europeo, o alleanze di registri nazionali con set di dati di base comuni. Il quadro giuridico dell'UE sull'assistenza sanitaria transfrontaliera dovrebbe essere rafforzato per sostenere l'ulteriore sviluppo delle RER.

INVITA ALL'AZIONE

1 AFFRONTARE LE LACUNE DI ASSISTENZA E TRATTAMENTO PER I PAZIENTI CHE VIVONO CON LA MALATTIA DI HUNTINGTON

- Integrare le reti di riferimento europee nei sistemi sanitari nazionali
- Condivisione di competenze specifiche sulla malattia attraverso le reti europee di riferimento
- Adottare le linee guida internazionali sulla malattia di Huntington
- Garantire un approccio multidisciplinare alla cura dei pazienti con la malattia di Huntington
- Ottimizzare i programmi di formazione dei professionisti della sanità e le borse di studio/ programmi di scambio
- Attuazione di quadri giuridici per i servizi forniti dalle reti europee di riferimento

2 GARANTIRE CHE LE PRIORITÀ DELLA RICERCA ABBIANO IN MENTE I PAZIENTI

- Migliorare il coinvolgimento dei pazienti nella R&S
- Sfruttare i programmi europei di ricerca e innovazione

3 MIGLIORARE L'ACCESSO ALLE CURE PER I PAZIENTI AFFETTI DA MALATTIE RARE INCORAGGIANDO LA COOPERAZIONE A LIVELLO EUROPEO IN MATERIA DI HTA, PREZZI E RIMBORSI

- Migliorare i processi di HTA, prezzi e rimborsi in tutta l'UE per un accesso migliore e più equo ai trattamenti delle malattie rare

4 SFRUTTARE IL RINNOVATO SLANCIO DELL'UE SULLA POLITICA SANITARIA

- Garantire che la strategia farmaceutica per l'Europa porti concretamente a un migliore e più equo accesso alle cure per i pazienti con malattie rare in tutta l'UE
- Fare in modo che i governi degli Stati membri sostengano lo sviluppo di una forte Unione Europea della Salute
- Partecipazione attiva dei gruppi di pazienti e impegno con i politici per garantire che la malattia di Huntington abbia un profilo più alto nell'agenda politica a livello regionale e nazionale

5 METTERE I PAZIENTI CON MALATTIE RARE AL CENTRO DEL RECUPERO POST COVID-19

- Attuare strategie nazionali per le malattie rare che includano misure specifiche per migliorare il trattamento, la cura e il supporto per tutti coloro che sono affetti dalla malattia di Huntington, compresi i pazienti, le famiglie e gli assistenti
- Aumentare gli investimenti nei sistemi sanitari nazionali per aumentare la capacità e la resilienza e garantire che tutti i pazienti con malattie rare possano accedere alle cure di cui hanno bisogno
- Aumentare le reti di riferimento europee

APPROVATO DA:

SIRPA PIETIKÄINEN
Member of the European
Parliament EPP (Finland)

MARISA MATIAS
Member of the European
Parliament GUE/NGL (Portugal)



CON IL SOSTEGNO DI EURORDIS:

