



Disposizioni per la cura delle malattie rare e per il sostegno della ricerca e della produzione dei farmaci orfani ([S.2255](#)) – Memoria Telethon

Fondazione Telethon è uno dei principali enti di ricerca biomedica in Italia. Nata nel 1990 per volontà di un gruppo di pazienti affetti da distrofia muscolare, in 31 anni di attività ha finanziato oltre 2300 progetti di ricerca sulle malattie genetiche rare per un totale di oltre 592,5 milioni di euro. Ha coinvolto più di 1.600 ricercatori per studiare quasi 600 diverse malattie rare e ha promosso l'innovazione sviluppando approcci innovativi basati sulla terapia genica.

Noi di Fondazione Telethon crediamo che ogni vita conti e che nessuno debba essere lasciato indietro. Per questo negli anni abbiamo alimentato un ecosistema che coinvolge i cittadini (sia come donatori sia come volontari), i ricercatori, i centri clinici, le istituzioni e l'industria farmaceutica. Abbiamo messo a punto un sistema unico nel panorama italiano, seguendo l'intera "filiera della ricerca", dalla raccolta fondi alla selezione dei progetti da finanziare, dall'attività di ricerca portata avanti nei laboratori della Fondazione allo sviluppo delle collaborazioni con industrie farmaceutiche, dalla collaborazione con le istituzioni pubbliche nazionali alla partecipazione alle principali iniziative europee ed internazionali sulle malattie rare. Questo sistema ci ha portati a dare risposte concrete ai pazienti, traducendo i risultati della ricerca di base in terapie accessibili ai pazienti.

Siamo dunque estremamente soddisfatti che la proposta di legge approvata dalla Camera dei Deputati promuova un approccio onnicomprensivo alle malattie rare, disciplinando in modo organico assistenza, ricerca e confronto interistituzionale. Questa legge istituisce una cornice normativa che pone le basi per rispondere in modo organico alle esigenze delle persone con malattie rare e delle loro famiglie. Ci sembra inoltre un segnale importante per la costruzione di una comunità nazionale realmente inclusiva e progressivamente più capace di prendersi carico delle difficoltà dei propri cittadini.

Per tali ragioni, esprimendo ancora una volta il grande apprezzamento per le misure volte a sostenere la ricerca, lo sviluppo e la produzione di farmaci orfani, riteniamo fondamentale che il Senato approvi velocemente e in via definitiva il disegno di legge. La necessità di garantire le medesime misure assistenziali, di presa in carico, prevenzione e cura, su tutto il territorio nazionale è infatti un'esigenza indifferibile delle persone con malattie rare e delle loro famiglie, alle quali non possiamo più chiedere di aspettare.

Fondazione Telethon

Tel. +39 06 440151
Fax +39 06 44015521
www.telethon.it
info@telethon.it
C.F. e Partita I.V.A. 04879781005

Sede legale

Via Varese, 16/B
00185 Roma, Italia

Sede di Milano

Via Carlo Poerio, 14
20129 Milano, Italia

Persona Giuridica riconosciuta
con Decreto Ministeriale (M.U.R.S.T.)
del 14 dicembre 1995

Sotto gli auspici
della UILDM
Unione Italiana Lotta
alla Distrofia Muscolare

