



Accesso alla cura per i pazienti con malattia di Huntington

INVITO ALL'AZIONE

EUROPEAN HUNTINGTON ASSOCIATION
E TUTTE LE ORGANIZZAZIONI MEMBRE



Invito all'azione per garantire un futuro migliore a chi è affetto dalla malattia di Huntington

Vi chiediamo di unire le forze per garantire un futuro migliore ai cittadini europei affetti da malattia di Huntington.

Ad oggi, la malattia di Huntington non può essere ancora curata, può essere solo 'gestita'. Non sempre la conoscenza e l'expertise esistenti raggiungono i pazienti.

Che cos'è la malattia Huntington?

La malattia di Huntington è una malattia rara, genetica, neurodegenerativa, che causa il deterioramento delle cellule nel cervello (neuroni). Ciò provoca l'insorgenza di sintomi psichiatrici, cognitivi e motori. Si tratta di una patologia devastante, in cui i pazienti perdono progressivamente la capacità di parlare, di controllare i movimenti e di prendersi cura di se stessi.

Ogni figlio ha il 50% di possibilità di ereditare la malattia dal genitore affetto. Di solito, i sintomi si manifestano tra i 30 e 50 anni, ma in casi più rari possono apparire anche nei bambini o in persone molto avanti negli anni.

L'impatto della malattia è enorme, non solo sul paziente ma sull'intera famiglia, sulla società e sul sistema sanitario. I figli devono convivere con la possibilità di potersi ammalare essi stessi in futuro. Il carico di responsabilità che i partner, i genitori e i figli si assumono, aumenta man mano che la malattia progredisce.

La prevalenza è tra 7-12 persone ogni 100.000. Tra le malattie rare, è una delle più frequenti.

In Europa vivono circa 75.000 persone con la malattia di Huntington e circa di 225.000 sono a rischio di ereditarla. Se consideriamo anche i caregivers, questi numeri raddoppiano.

In Europa, esistono grandi disuguaglianze nell'accesso al trattamento. Pazienti e familiari combattono duramente per gestire le loro vite e per ricevere il sostegno necessario.

Impatto economico della malattia di Huntington

Le conseguenze economiche sono massive sia per la famiglia che per la società. Nella fase più avanzata della malattia, il paziente ha bisogno di assistenza costante, sia che venga assistito in una struttura di cura sia che si trovi a casa, a carico dei familiari.

Secondo le stime di Eurostat, **il costo medio per l'assistenza sanitaria** nelle malattie neuromuscolari è di **30.000 €**. Considerato che l'Huntington è particolarmente complessa poiché coinvolge contemporaneamente tre sfere, quella psichiatrica, quella motoria e quella cognitiva, è ragionevole ritenere applicabile questa stessa stima anche a tale patologia, lungo tutto il corso della malattia (circa 15-20 anni).

A causa delle disuguaglianze nell'accesso ai Centri specializzati esistenti Europa e nei diversi Stati membri, **il margine per ottimizzare l'uso delle risorse attualmente spese per questi pazienti è molto alto.**



Il momento storico attuale e le prospettive future

Per la prima volta, la ricerca sulla malattia di Huntington appare davvero promettente

Dopo il fallimento di diversi studi clinici, i farmaci che si stanno sperimentando in questo momento storico danno una ragionevole speranza. **E' realistico aspettarsi che nei prossimi anni potranno essere messe in commercio, per la prima volta, molecole che rallentano la progressione della malattia.**

In alcuni Stati membri possono trascorrere molti anni tra quando l'EMA (l'Agenzia Europea dei Medicinali) approva l'immissione in commercio di un farmaco orfano a quando i pazienti possono effettivamente accedervi nel proprio Paese.

Noi temiamo che i pazienti possano dover aspettare troppo tempo prima di poter accedere, nel loro Paese, ai farmaci approvati da EMA. Condividiamo la necessità di approvazioni successive da parte delle autorità regolatorie nazionali, ma riteniamo sia necessario rendere questo passaggio più rapido per malattie, come l'Huntington, che sono prive di una cura.

Temiamo, inoltre, che le valutazioni legate all'Health Technology Assessment (HTA) e alla negoziazione dei prezzi dei farmaci possano escludere i pazienti, cosa che già accade per altre patologie. Molti Paesi hanno un aumento del numero dei rigetti nell'approvazione di farmaci orfani e ci chiediamo perchè.

Ci rendiamo conto che è necessario che i nuovi farmaci abbiano costi sostenibili. Le valutazioni, tuttavia, dovrebbero essere fatte sulla base dell'impatto dei costi sanitari e del dialogo con i pazienti sul valore dei potenziali trattamenti.

Nonostante le sfide attuali e gli ostacoli futuri, possiamo gettare le basi per un futuro migliore, in cui tutti i pazienti europei possano avere accesso ai nuovi farmaci.

Qui di seguito, indichiamo quali sono i percorsi che a nostro avviso possono farci vincere le sfide che abbiamo di fronte e vi chiediamo di aiutarci a promuoverli nella prossima Legislatura Europea 2019-2024:

Cosa il Parlamento Europeo e gli Stati membri possono fare per la malattia di Huntington.

1) Estendere gli ERN (European Reference Network)

Gli ERN (European Reference Network) sono stati formalmente costituiti nel 2017. Si tratta di infrastrutture poste in essere per risolvere, o almeno facilitare, i problemi di accesso ai Centri di Expertise sulle Malattie Rare. Gli ERN rappresenteranno la principale infrastruttura europea per garantire ai pazienti il giusto trattamento al momento giusto, in base alla specifica patologia.

La malattia di Huntington fa parte degli ERN per le Malattie Rare Neurologiche (ERN-RND: Rare Neurological Diseases). Ad oggi, solo 16 Centri per la malattia di Huntington in 13 Paesi sono diventati parte degli ERN.

Tutti i Centri qualificati per la Malattia di Huntington presenti nei diversi Paesi Europei dovrebbero entrare a far parte degli ERN.



2) Velocizzare il percorso di approvazione nazionale dei farmaci

Dopo che un farmaco viene approvato da EMA, gli Stati membri possono impiegare da 3 a 56 mesi, o anche di più, per portare a termine il percorso di approvazione a livello nazionale. Questo non è accettabile.

Bisogna ridurre - possibilmente introducendo un limite - il tempo di approvazione da parte delle diverse Autorità Regolatorie Nazionali per la malattia di Huntington e per tutte le malattie non curabili.

3) Negoziazione collaborativa del prezzo dei farmaci

Ad oggi, la negoziazione dei prezzi con le aziende farmaceutiche appare frammentato. Esistono, tuttavia, alcune iniziative collaborative.

Bisogna promuovere alleanze più ampie ed estese per assicurare prezzi sostenibili e per consentire a tutti i pazienti l'accesso ai farmaci.

Dopo le elezioni, siamo disponibili a lavorare con i membri del Parlamento Europeo per sviluppare insieme programmi volti a raggiungere questi obiettivi. Vi chiediamo di sostenerci.



Il Board di EHA e tutte le organizzazioni membre.

La European Huntington Association (EHA) è una organizzazione ombrello che riunisce 50 organizzazioni nazionali di pazienti e famiglie con malattia di Huntington. E' nata nel 1986. Opera per favorire la condivisione di informazioni e conoscenze, per mettere in rete tra loro tutti i cittadini europei colpiti dalla malattia di Huntington e per collegarli alle Istituzioni che svolgono un ruolo chiave nella assistenza e nella ricerca.