

RELAZIONE PROGRAMMATICA



SU INIZIATIVA DELL' INTERGRUPPO
PARLAMENTARE PER LE MALATTIE RARE

**Malattie rare come priorità di
sanità pubblica: le cinque necessità
inderogabili dei pazienti**

Introduzione

Una malattia si definisce rara quando la sua prevalenza, ovvero il numero di casi presenti in un dato momento in una data popolazione, non supera una determinata soglia.

Nell'Unione Europea (*Programma d'azione Comunitario sulle malattie rare 1999-2003*) questa soglia è fissata allo 0,05% della popolazione, ossia 1 caso su 2.000 abitanti.

La bassa prevalenza non significa però che le persone con malattia rara siano poche. Si parla infatti di un fenomeno che colpisce milioni di persone in Italia e addirittura decine di milioni in tutta Europa. Secondo l'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS) il numero di malattie rare conosciute e diagnosticate oscilla tra le 7.000 e le 8.000, ma è una cifra che cresce con l'avanzare della scienza e delle conoscenze in ambito genetico: questo perché, per quanto ne sappiamo oggi, circa l'80% delle malattie rare è causato da una anomalia nei geni, che sia ereditaria o di nuova insorgenza. Ed è questo il motivo per cui più della metà delle malattie rare si manifesta già in età pediatrica.

In Italia si stima che i malati rari siano circa 2 milioni, un fenomeno molto più esteso di quel che non si pensi, ma anche estremamente eterogeneo, ci sono patologie che colpiscono fino a 7000 persone, altre che non arrivano a 10 pazienti e per di più una singola patologia può manifestarsi in modi anche molti diversi: per questo sono difficili da diagnosticare e altrettanto difficile è costruire percorsi di presa in carico su base regionale: non è raro, infatti, che una data malattia esista solo in una certa regione. Basti pensare che il numero di persone con esenzione per malattia rara, nel nostro Paese potrebbe arrivare a superare le 600.000 unità con una prevalenza stimata dell'1,0% sulla popolazione (*Rapporto Monitorare Rare 2020*). Questo fa capire quanto sia importante creare alleanze e connessioni, sia a livello nazionale che internazionale, ed è anche per questo che sono state istituite a livello europeo le ERN - Reti europee di riferimento, costituite da centri di riferimento ed eccellenza, anche questi però dislocati in maniera disomogenea sul territorio. Secondo i dati riportati dal Rapporto Monitorare 2020, infatti, in 8 Regioni non vi sono centri partecipanti alle ERN, il 66,7% ($n= 44$) degli ospedali che partecipano ad almeno una ERN si trova nelle regioni settentrionali, il 19,7% ($n= 13$) al centro e appena il 13,6% ($n=9$) nel mezzogiorno.

Nell'estrema diversità però le malattie rare hanno tanti punti in comune, dalla difficoltà della diagnosi agli esiti spesso altamente invalidanti, che riducono aspettativa e qualità di vita dei pazienti: non poche sono addirittura letali, soprattutto se diagnosticate in ritardo. E' per tutti questi motivi che la persona con malattia rara ha necessità specifiche, ancora insoddisfatte, e necessita non di un singolo specialista esperto ma, nella maggior parte dei casi, di una presa in carico multidisciplinare, che sappia farsi carico del paziente dalla diagnosi alla transizione dall'età pediatrica a quella adulta fino all'età avanzata, quando la malattia rara spesso si unisce a problematiche o fragilità tipiche della terza età.

Contesto

La pandemia che quest'anno ha toccato il mondo intero, e dunque anche il nostro Paese, ha avuto da una parte l'effetto di riaccendere le luci sulla medicina e sul funzionamento del sistema sanitario, dall'altro però – concentrandosi sui grandi numeri – ha messo in ombra le già forti problematiche di chi viveva le condizioni di una patologia *"dai piccoli numeri"*. Per queste persone i problemi sono aumentati in modo esponenziale e oggi, che si comincia a guardare allo scenario *"post Covid"*, pochissime attenzioni vengono rivolte al mondo delle malattie rare. Una mancanza che tanto il mondo scientifico quanto quello delle associazioni dei pazienti sentono molto forte sulla propria pelle: per loro, non solo tutti i problemi pregressi sono rimasti immutati, in certi casi anche amplificati, ma ne sono anche sorti di nuovi legati alla pandemia o alla minore attenzione.

Nonostante la pandemia abbia toccato tutto il Paese gli effetti e le soluzioni messe in campo, sono stati molto diverse da Regione a Regione. Anche questa volta le forti competenze regionali nell'ambito della salute hanno avuto l'effetto di creare zone in cui i diritti sono stati più garantiti e zone in cui lo sono stati molto meno.

Un esempio evidente si è potuto vedere nell'ambito della continuità terapeutica per i malati rari che necessitano di periodiche terapie, talvolta anche settimanali, da somministrare in ambito ospedaliero o comunque sotto diretto controllo medico; un'esigenza che durante la pandemia è andata a scontrarsi con la necessità, soprattutto per le categorie a rischio, di rimanere a casa, evitare i luoghi del possibile contagio, e dunque, in primis, ospedali e ambulatori. Se in alcune Regioni ci si è velocemente organizzati affinché queste terapie potessero essere fatte a casa, con i massimi protocolli di sicurezza - e in alcuni casi questo già veniva fatto prima della pandemia per migliorare la qualità di vita dei pazienti - in altre questo non è accaduto. Non poche persone hanno dovuto sospendere o diradare terapie, indispensabili per rallentare almeno gli effetti della propria malattia. Talvolta sono stati gli ospedali a consigliare l'interruzione ai pazienti, in altri casi sono stati gli stessi pazienti, spaventati dai potenziali effetti del virus sulla loro patologia, a rifiutare l'erogazione di terapie e altre prestazioni, anche di natura assistenziale, per evitare qualsiasi ipotesi di rischio di contagio, pagandone però le conseguenze in ogni caso.

Non solo tutti gli sforzi organizzativi sono stati convogliati sulla gestione della pandemia, sospendendo terapie e spesso anche visite di controllo o di diagnosi ai malati rari, ma anche i fondi a disposizione del SSN sono stati direzionati sull'emergenza. I malati rari si sono trovati così con maggiori bisogni e meno attenzioni e fondi a disposizione: se questo era, forse, difficile da evitare nella prima fase, ora le cose devono necessariamente cambiare, occorre tornare ad occuparsi di chi aveva patologie pregresse, quali i malati rari e cronici. Il timore dei pazienti e delle loro associazioni è, però, che oggi le malattie rare non rappresentino più – se mai veramente lo sono state – una priorità di sanità pubblica, e

sono diversi i fatti che concorrono a dare concretezza a questa paura. In primo luogo fino ad oggi, nonostante si parli dei fondi che dovranno arrivare attraverso il M.E.S. per la sanità, nessuno mai ha nominato le malattie rare come possibili destinatarie di una parte di essi. In secondo luogo tutte le azioni che erano *"in corso"* prima della pandemia sono ferme e non c'è accenno ad una loro ripartenza: non ci sono novità riguardo all'approvazione, e tanto meno al finanziamento, del II° Piano Nazionale Malattie Rare né, nell'assegnazione delle deleghe da parte del Ministro della Sanità ai Sottosegretari non si è ritenuto di darne una specifica su malattie e tumori rari, così come a questi temi non si è nemmeno fatto cenno durante gli Stati Generali Economia *"Progettiamo il rilancio"*. I pazienti e le loro famiglie, ma anche la comunità medica che di loro si occupa, hanno oggi la sensazione di essere stati lasciati soli. E questo vale anche per il mondo della ricerca: perché se da una parte ci si è resi conto di quanto questa sia importante, dall'altra ogni sforzo è stato direzionato nella ricerca di terapie efficaci contro il Covid-19 e di un vaccino, tralasciando ogni altro ambito, ivi incluso quello delle malattie rare, nonostante proprio alcuni studi attualmente in corso sui vaccini vengano condotti utilizzando piattaforme che sono state appositamente sviluppate per trovare delle cure ad alcune malattie genetiche rare.

Per questo chiediamo che il settore delle malattie rare torni ad essere considerato una priorità di Sanità pubblica e che questo si traduca in azioni concrete e tangibili sulle cinque priorità di settore di seguito elencate:

- 1. AGGIORNAMENTO E FINANZIAMENTO DEL PIANO NAZIONALE MALATTIE RARE**
- 2. ASSISTENZA TERRITORIALE**
- 3. TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE**
- 4. TELEMEDICINA E TELEASSISTENZA**
- 5. RICERCA SULLE MALATTIE RARE**

1. AGGIORNAMENTO E FINANZIAMENTO DEL PIANO NAZIONALE MALATTIE RARE

Con la Raccomandazione 2009/C 151/02, il Consiglio dell'Unione Europea ha imposto agli Stati Membri di adottare un Piano Nazionale per le MR entro il 2013. Il Piano doveva rispondere all'esigenza di dare unitarietà all'insieme delle azioni intraprese da parte del Ministero della Salute, dell'Istituto Superiore di Sanità, delle Regioni e delle aziende del Servizio sanitario nazionale, ma soprattutto per rispondere alla necessità sempre più impellente di condividere, con tutti gli attori del sistema, una strategia nazionale di pianificazione delle attività. L'Italia, se pur in ritardo, si dotò del suo primo Piano, approvandolo il 16 ottobre del 2014: un piano scritto in maniera partecipata ma senza alcuna dotazione finanziaria. Questo piano, scaduto nel 2016, non è ancora stato rinnovato: mentre l'Italia è in ritardo di 4 anni ci sono Paesi che hanno fatto un secondo piano ed alcuni che stanno già lavorando al terzo. Nel giugno 2019 è stato istituito, presso il Ministero della Salute, il Gruppo di lavoro per l'aggiornamento del PNMR, composto anche dai rappre-

sentanti delle Associazioni di pazienti e, ad un anno di distanza non è ancora stata data concreta attuazione ai lavori condotti dal Gruppo.

Inoltre del I° Piano Nazionale Malattie Rare solo pochissime indicazioni sono state attuate, questo perché – come hanno più volte sottolineato i pazienti – per come è scritto e istituzionalizzato il PNMR italiano ha la forza di una bellissima carta di diritti, la cui attuazione è lasciata alla buona volontà dei singoli attori. In assenza di un finanziamento espressamente previsto e dedicato, l'effettiva realizzazione dei contenuti deve fare i conti con la volontà e la disponibilità delle singole realtà regionali e delle relative risorse a disposizione. Per questo motivo, la previsione di risorse da associare alla stesura del II° Piano determinerebbe una maggiore rispondenza dell'assistenza su tutto il territorio nazionale a quanto in esso contenuto, nonché una effettiva realizzazione di quanto al suo interno deliberato.

Probabilmente, la presenza di risorse stabilite nel I° PNMR e dedicate alle malattie rare, avrebbe permesso durante l'emergenza Covid-19 di individuare dei percorsi preferenziali per le malattie rare, così da non portare, in alcune regioni, all'interruzione della somministrazione delle terapie e dei servizi assistenziali, mettendo a repentaglio non solo la salute di questi cittadini ma anche l'effettività del diritto alla tutela della salute per come previsto dall'articolo 32 della nostra Carta Costituzionale.

2. ASSISTENZA TERRITORIALE

L'assistenza territoriale comprende attività e prestazioni di educazione sanitaria, medicina preventiva, diagnosi, cura e riabilitazione di primo livello e di pronto intervento. L'offerta di tali servizi si colloca all'esterno degli ospedali ed interessa singoli professionisti e strutture ambulatoriali, residenziali e semiresidenziali. L'assistenza territoriale ha valenza preventiva, o rappresenta l'alternativa all'ospedalizzazione per il trattamento di bisogni di salute che richiedono un'offerta sanitaria di primo livello tecnologico e specialistico. Essa garantisce la continuità assistenziale sia per la gestione dei pazienti dimessi dagli ospedali nelle fasi post acuzie, che nel trattamento della cronicità.

Il legislatore, con il DPCM 29/11/2001, ha sottolineato l'importanza di tali interventi inseriti all'interno dei Livelli Essenziali di Assistenza, così come le linee di Programmazione Sanitaria - in vigore nelle diverse regioni - sottolineano la valenza strategica esercitata dalla assistenza territoriale. Tuttavia, nonostante la rilevanza da sempre attribuita all'istituto, la sua attuazione, attraverso politiche sanitarie di assistenza primaria, non è ad oggi completamente implementata. L'assenza di un'assistenza consolidata sul territorio, con molta probabilità, può essere collegata al retaggio di una cultura sanitaria "ospedalocentrica" e non fisiologicamente orientata all'integrazione dei servizi sulla persona, allo sviluppo ancora non consolidato di modelli organizzativi e tecnici in una rete complessa di relazioni, ma anche alla scarsa disponibilità di risorse.

Come evidenziato dal Position Paper dell'Alleanza Malattie Rare su *"Cure Territoriali e Malattie Rare"*, le Cure Domiciliari risultano essenziali per i pazienti e le loro famiglie, ma lo sono altrettanto per i centri di riferimento, che possono così avere sul territorio un riferimento certo, con il quale poter interloquire e lavorare in modo integrato e sinergico, ottenendo inoltre la possibilità di seguire nel tempo il paziente, con aggiornamenti costanti, in tempo reale, con scambi reciproci d'informazioni e senza che questo debba necessariamente far diretto e frequente riferimento ai centri di alta specializzazione.

A supplire alla mancanza di una organizzazione territoriale soddisfacente nel settore delle malattie rare spesso provvedono le associazioni dei pazienti e, non di rado, le aziende farmaceutiche che sviluppano e producono farmaci orfani: questi due soggetti vanno pertanto considerati a pieno titolo attori del sistema, soggetti che impiegano delle risorse, ad esempio per organizzare la somministrazione delle terapie a domicilio, per implementare l'assistenza, o per formare operatori sanitari su bisogni specifici. Tutte attività che si sono dimostrate essenziali, dove presenti e possibili, per superare le difficoltà legate alla pandemia, e alla relativa necessità di spostare parte delle cure dall'ospedale al territorio. Una maggiore implementazione di queste avrebbe certamente evitato che molti pazienti rimanessero, come invece è stato, senza terapie e senza assistenza, con un danno per la propria salute che verrà evidenziato nel tempo, trattandosi in larga parte di patologie gravi dall'andamento progressivo.

Alla luce di queste esperienze, e considerando che questa potrebbe ripresentarsi in forme simili in futuro, occorre ripensare l'organizzazione del nostro Sistema Sanitario affinché non si verifichi più una differenziazione tra pazienti *"di serie A e di serie B"*, una situazione non accettabile nel nostro sistema universalistico. L'implementazione del sistema può essere pensata anche attraverso la collaborazione tra il pubblico e il privato - sociale, già attiva in molte regioni d'Italia. Il coinvolgimento di questi soggetti potrebbe infatti comportare una maggiore efficienza nella somministrazione di terapie e servizi, ma anche un ingente risparmio per il Servizio Sanitario Nazionale, attraverso la conclusione di accordi a titolo gratuito, ad esempio con le aziende farmaceutiche.

3. TESTO UNICO SULLE MALATTIE RARE

Alla Camera diversi Deputati di diversi schieramenti politici hanno presentato delle proposte di legge volte a riorganizzare il settore e a definire dei chiari principi e diritti attraverso una nuova *"legge quadro"*, che segue alla 279/2001, in grado di sistematizzare e conferire organicità all'intero settore. All'interno di tale proposta, che è diventata un Testo Unico il 12 febbraio scorso, sono inserite numerose disposizioni che, se approvate, potrebbero determinare un punto di svolta nella vita dei pazienti e delle loro famiglie.

Con l'arrivo della pandemia l'esame del Testo Unico si è interrotto; è facilmente comprensibile la necessità di dedicare massima attenzione ai bisogni propri di un'emergenza sanitaria ed economica inattesa e grave, tuttavia in questa fase di ripresa è necessario determinare, anche a livello parlamentare, una nuova agenda delle priorità nella quale far rientrare anche le malattie rare, che in questo periodo sono state tralasciate.

Il Testo unico è in grado di dare una cornice normativa per rispondere alle esigenze dei pazienti e delle famiglie: dalla presa in carico personalizzata sia in termini di assistenza sanitaria sia sociale, alla revisione dei livelli essenziali di assistenza, alla riorganizzazione dei centri di riferimento e dei servizi di prossimità, alla velocizzazione dell'accesso ai farmaci anche innovativi, ai fondi per la ricerca, al sostegno del piano nazionale per le malattie rare.

Tra i numerosi temi che il Testo Unico in esame prende in considerazione vi è, di particolare rilevanza, quello del diritto ad un accesso tempestivo dei pazienti alle terapie specifiche per le loro patologie. Le malattie rare spesso non godono di valide alternative terapeutiche; le terapie che vengono immesse sul mercato, per molti pazienti, rappresentano l'unica speranza di cura o di rallentamento del decorso della patologia che, come detto, conduce spesso ad esiti altamente invalidanti o letali. Per queste ragioni, appare evidente, l'importanza del fattore tempo nelle malattie rare: un solo giorno può fare la differenza.

Stando alle attuali normative il procedimento di autorizzazione all'immissione in commercio di una terapia, dopo l'approvazione centralizzata da parte di EMA, dovrebbe concludersi nell'arco di 100 giorni; tale termine raramente viene rispettato. Se aggiungiamo a tale assunto che, in seguito all'approvazione da parte di AIFA, si aprono le diverse procedure regionali per l'inserimento delle terapie nei Prontuari Terapeutici Regionali, la cui tempistica varia da regione a regione, lo scenario si complica e i tempi si diversificano, allungandosi in alcune Regioni più che in altre. Può trascorre più di un anno prima che un paziente possa effettivamente assumere una terapia, nonostante questa sia già stata approvata da EMA e AIFA, e sia stata dunque giudicata sicura ed efficace. Un tempo che molti pazienti non hanno assolutamente a disposizione.

In altri casi la terapia prevista per i singoli pazienti, oltre ai farmaci rimborsati dal SSN, può prevedere la somministrazione di ulteriori trattamenti, farmacologici e non, non sempre previsti in regime di rimborsabilità. Nonostante il dettato normativo faccia riferimento ad un'esenzione di tutti i trattamenti e gli esami necessari per la cura delle malattie rare, non tutte le regioni riconoscono tale rimborsabilità, pertanto, come accade spesso nel nostro Paese, ci troviamo dinanzi ad una chiara discriminazione dei pazienti basata sulla residenza in regioni differenti e sulla loro capacità di far fronte alla spesa necessaria.

Per queste ragioni portare a compimento l'esame del Testo Unico sulle Malattie Rare è un vero e proprio dovere delle Istituzioni.

4. TELEMEDICINA E TELEASSISTENZA

Con la Comunicazione della Commissione Europea COM (2008)689 su *"Telemedicina a beneficio dei pazienti, dei sistemi sanitari e della società"* emanata il 4 novembre 2008, la Commissione ha individuato specifiche azioni da intraprendere, sul tema, a livello di ciascuno Stato membro. In particolare tale Comunicazione è finalizzata a sostenere gli Stati membri nella realizzazione, su larga scala, di servizi di Telemedicina attraverso specifiche iniziative volte a creare fiducia nei servizi di Telemedicina, favorirne l'accettazione, apportare chiarezza giuridica, risolvere i problemi tecnici ed agevolare lo sviluppo del mercato. Ciascuno Stato membro è chiamato a valutare, secondo le proprie esigenze e priorità, azioni in materia di Telemedicina, affinché divengano parte integrante delle strategie nazionali in materia di sanità.

Per Teleassistenza si intende un sistema socio-assistenziale per la presa in carico della persona anziana o fragile a domicilio, tramite la gestione di allarmi, di attivazione dei servizi di emergenza, di chiamate di *"supporto"* da parte di un centro servizi. Lo strumento della Teleassistenza ha un contenuto prevalentemente sociale, ma anche sanitario, con il quale dovrebbe connettersi al fine di garantire la continuità assistenziale.

Questi temi assumono una rilevanza peculiare rispetto al periodo storico che abbiamo e stiamo ancora vivendo. Dinanzi alle problematiche di diversa natura che i pazienti affetti da patologia rara si sono trovati ad affrontare, primo fra tutti un necessario distanziamento sociale per garantirne la tutela, la Telemedicina e la Teleassistenza avrebbero rappresentato e potrebbero rappresentare per il futuro, esempi di come la tecnologia possa supportare un'efficace operatività di tali forme organizzative, anche ai fini della gestione della cronicità. Analogamente per patologie croniche a stadi avanzati e gravi il supporto della Telemedicina specialistica consentirebbe di mantenere il paziente a casa.

Il maggiore utilizzo di questi sistemi, soprattutto nel settore delle malattie rare, comporterebbe un immediato e duraturo miglioramento della vita non solo dei pazienti che ne sono affetti, ma anche di tutti i familiari, i c.d. Caregiver. L'utilizzo di tali sistemi consentirebbe di evitare gli spostamenti non necessari mantenendo il grado di assistenza socio – sanitaria per i pazienti, consentendo dunque a tutti quei soggetti che si sono trovati ad assistere familiari con patologie gravi di poter dedicare tempo e spazio anche alle loro esigenze di vita e a non pregiudicare le proprie attività lavorative.

L'assistenza presso il domicilio consentirebbe al personale sanitario incaricato di monitorare costantemente la condizione del paziente ed evitare di incorrere in situazioni che possano metterne a repentaglio la condizione di salute a causa di un rischio, troppo elevato, di contagio con un virus potenzialmente letale rispetto alle condizioni di salute preesistenti del paziente stesso.

5. RICERCA SULLE MALATTIE RARE

Sull'importanza della ricerca scientifica in medicina c'è sempre stato un largo accordo formale, ma con l'arrivo della Pandemia queste dichiarazioni di principio si sono tradotte in esigenze concrete. La mancanza di test diagnostici specifici, veloci e precisi, la ricerca di terapia in grado di evitare gli esiti peggiori del virus e infine l'esigenza fortissima di disporre di un vaccino, ancora ad oggi non messo a punto, hanno fatto percepire in tutta la sua concretezza quanto una ricerca ben organizzata e altrettanto ben finanziata sia indispensabile e come questa non possa essere organizzata a partire dal momento del bisogno ma portata avanti con costanza e con i massimi criteri di competenza e qualità. Nelle Malattie Rare, l'80% delle quali con origine genetica, la ricerca obbliga a ricorrere alle più evolute conoscenze e spesso si traduce nella messa a punto di terapie – i cosiddetti *"farmaci orfani"* – basati oltre che sulla più tradizionale chimica farmaceutica anche, e sempre più spesso, sulle *"terapie avanzate"*, dalla terapia genica alla rigenerazione cellulare fino alle tecniche di editing. Le malattie rare sono al tempo stesso una sfida difficile per la ricerca quanto una grande opportunità di conoscenza e di messa a punto, su scala ridotta, di approcci innovativi che potranno poi trovare impieghi più ampi. Sta succedendo anche in questi giorni di spasmodica ricerca di un vaccino contro il virus Covid-19: una delle più promettenti linee di ricerca viene svolta proprio attraverso una piattaforma sviluppata per rispondere alle esigenze di alcune malattie genetiche rare. Se da sempre la ricerca è un'attività che richiede fondi è però evidente come una ricerca innovativa richieda sforzi ancora più ingenti: per questo oggi, più che in passato, occorre convogliare tutti i fondi a disposizione sui progetti più solidi, la logica – che ormai va superata – del finanziamento a pioggia su base regionale o erogato da soggetti differenti, non riesce ad aggregare la ricerca in modo efficace ed efficiente; è venuto il momento di individuare un unico soggetto erogatore dei finanziamenti pubblici alla ricerca e di individuare criteri stringenti di valutazione per il relativo assegnamento. La Fondazione Telethon segue questo modello da anni e i risultati tanto in termini di pubblicazioni, quanto soprattutto di approcci terapeutici verificati e poi portati dalla ricerca di base a quella di trasferimento lo dimostrano. Non è un caso se la prima terapia genica approvata al mondo sia arrivata proprio da questo modello, che può certamente essere tradotto su scala nazionale.



**I CONTENUTI DI QUESTA RELAZIONE PROGRAMMATICA SONO STATI PRIMA
ISPIRATI E POI APPROVATI E SOTTOSCRITTI DALLE SEGUENTI ASSOCIAZIONI
ADERENTI ALL' ALLEANZA MALATTIE RARE**

A.I. VI.P.S. ONLUS (ASS.NE ITALIANA VIVERE LA PARAPARESI SPASTICA ONLUS)
A.MA.R.E. ONLUS
A.N.I. MA.S.S. ONLUS
AIP ASS. IMMUNODEFICIENZE PRIMITIVE ONLUS
AISICC SINDROME DI ONDINE
AMIP ONLUS ASSOCIAZIONE MALATI DI IPERTENSIONE POLMONARE
ANACC ONLUS ASSOCIAZIONE NAZIONALE ANGIOMA CAVERNOSO CEREBRALE
ANCL ONLUS ASSOCIAZIONE NAZIONALE CEROLIDOLIPOFUSCINOSI
AS.MA.RA ONLUS
ASAMSI ONLUS
ASSOCIAZIONE ITALIANA CURE DOMICILIARI AICUD ONLUS
ASS. NAZ. ANGIOEDEMA EREDITARIO
ASSOCIAZIONE COLLAGENE VI ITALIA ONLUS
ASSOCIAZIONE ITALIANA GAUCHER
ASSOCIAZIONE LYME ITALIA E COINFEZIONI ONLUS
ASSOCIAZIONE NAZIONALE MACRODATTILIA E PROS - AIMP ONLUS
ASSOCIAZIONE PER L'AIUTO AI SOGGETTI CON SINDROME DI PRADER WILLI E ALLE
LORO FAMIGLIE - VENETO- FRIULI- VENEZIA GIULIA - ONLUS
CIAMI (SINDROME DI CRIGLER-NAJJAR)
COMITATO I MALATI INVISIBILI ONLUS
DEBRA ITALIA ONLUS
ESEO ITALIA
FEDERAZIONE RELACARE - RELAZIONE DI CURA
FEDERAZIONE REMARE CAMPANIA*
FONDAZIONE REB ONLUS
GILS ONLUS
LA GEMMA RARA
LEGA ITALIANA SCLEROSI SISTEMICA
LIFC - LEGA ITALIANA FIBROSI CISTICA
PANDAS ITALIA
RETINA ITALIA ONLUS
SIMBA ONLUS - ASSOCIAZIONE ITALIANA SINDROME E MALATTIA DI BEHÇET
TARLOV ITALIA
UNIPHELAN ONLUS

***ASSOCIAZIONI ADERENTI ALLA FEDERAZIONE REMARE CAMPANIA**

A.I.C.M.T. ONLUS ASS.NE ITALIANA PER LA MALATTIA DI CHARCOT-MARIE-TOOTH E NEUROPATIE SIMILI

A.S.S.I. GULLIVER ASSOCIAZIONE SINDROME DI SOTOS ITALIA

AIBWS ONLUS (ASS.NE ITALIANA SINDROME DI BECKWITH-WIEDEMANN (BWS) – ONLUS)

AIGGM1 ONLUS TUTTI INSIEME PER GIUSEPPE (ASS.NE ITALIANA GANGLIOSIDOSI GM1 E MALATTIE AFFINI)

AIPA-NAPOLI (ASS.NE ITALIANA PAZIENTI ANTICOAGULATI NAPOLI)

AMAE ONLUS (ASSOCIAZIONE MALATI ACALASIA ESOFAGEA)

ANPTT ONLUS (ASS.NE NAZIONALE PORPORA TROMBOTICA TROMBOCITOPENICA)

AS.IT.O.I. ONLUS (ASSOCIAZIONE ITALIANA OSTEOGENESI IMPERFETTA ONLUS)

ASIMAS ONLUS (ASSOCIAZIONE ITALIANA MASTOCISTOSI)

ASSOCIAZIONE FAMIGLIE LGS ITALIA (ASS.NE FAMIGLIE SINDROME LENNOX GASTAUT ITALIA)

ASSOCIAZIONE RTS - UNA VITA SPECIALE

ASSOCIAZIONE VIVI L'EPILESSIA IN CAMPANIA ODV

GRUPPO FAMIGLIE DRAVET ASSOCIAZIONE ONLUS

INTERNATIONAL ASSOCIATION XLPDR ONLUS

LA NUOVA ERA ONLUS

UNITAS ONLUS