

**SIMPOSIO ANNUALE DEL CENTRO
DI RIFERIMENTO PER LA SINDROME
DI MARFAN E PATOLOGIE CORRELATE**
**FOCUS SULLA SINDROME
DI EHLERS-DANLOS VASCOLARE**

17 maggio 2025, ore 9:30-17:00
Aula Magna - Policlinico Tor Vergata
Viale Oxford 81, 00133 - Roma



ÜNIAMO

Federazione Italiana Malattie Rare



Il ruolo associativo nella raccolta fondi per la ricerca medica di tipo traslazionale

Annalisa Scopinaro - Presidente
UNIAMO

ÜNIAMO



UNIAMO Federazione Italiana Malattie rare è l'ente di rappresentanza della comunità delle persone con malattia rara.

Costituita nel 1999, la Federazione è Rete Associativa del Terzo settore e tutela i diritti delle persone con malattia rara, agendo su Istituzioni, Enti e altri stakeholders per migliorarne la qualità di vita. Ad oggi sono affiliate circa **200 Associazioni di patologia** e per questo abbiamo ottenuto il riconoscimento di Rete Associativa.

Siamo National Alliance di Eurordis, la Federazione Europea; abbiamo personalità giuridica, siamo iscritti all'UNAR (Ufficio per la difesa delle differenze) e soggetto titolato ad agire per la tutela giudiziaria delle persone con disabilità vittime di discriminazioni.

UNIAMO è presente con un proprio rappresentante in tutti i Tavoli nei quali si discutono e progettano le politiche per le persone con malattia rara.



Uniamo in numeri

+200

Le associazioni
in rete

10

Le edizioni di
MonitoRare, il
rapporto sulla
condizione delle
persone con
malattia rara

38

Tavoli istituzionali
partecipati,
sottogruppi e
gruppi di lavoro

**+
430.000
euro**

Distribuiti alle
Associazioni in
relazione a bandi e
progettualità

**28
MILIONI**

Le persone
raggiunte dalla
Campagna per la
Giornata delle
Malattie Rare



A ciascuno il suo ruolo

Persone con
patologia

Esperienza diretta
e individuale della
patologia

Associazioni

Raccolta e
trasversalizzazione
dei bisogni

Federazioni e
Reti di secondo
livello

Azioni di sistema a
favore di gruppi di
interesse

L'importanza delle Associazioni è ormai riconosciuta per il connubio che riescono a realizzare fra l'**esperienza diretta del bisogno**, la **capacità di comunicarlo** e di **organizzarlo in istanze raccolte in maniera democratica al proprio interno**, portate al mondo politico con **rappresentanti e portavoce** che **presentano i documenti in una dialettica di confronto sui tavoli istituzionali**, integrando il **punto di vista delle persone con patologia con quello degli altri attori di sistema**.



L'importanza della rete e dello scambio

Nulla sopra di noi, nulla senza di noi: potrebbe essere questo il motto che uniforma il nostro operato. Che ci lancia sfide notevoli per garantire il confronto continuo, la rappresentanza e la rappresentatività reali, attraverso processi trasparenti e democratici.

Solo lavorando tutti di concerto, ognuno per il proprio ruolo (il rappresentante delle persone con disabilità, il politico, il tecnico, il professionista sanitario, quello sociale, etc.) potremo arrivare a concepire leggi, percorsi, provvidenze economiche e investimenti che possano rendere il mondo, così come lo conosciamo, sempre più equo e attento a non lasciare indietro nessuno.



LA RICERCA TRASLAZIONALE: UN PONTE TRA LABORATORIO E PAZIENTE



La ricerca traslazionale è il processo che trasforma le scoperte di base in strumenti diagnostici, terapie e modelli assistenziali: un ponte tra ricerca di base e ricerca applicata.



Nelle malattie rare è particolarmente strategica, poiché consente di rispondere a bisogni (non solo clinici) spesso ignorati dalla ricerca tradizionale.



Questo tipo di ricerca, dunque, richiede finanziamenti flessibili e integrati, e reti tra diversi stakeholders capaci di sostenere percorsi innovativi e multidisciplinari.



IL RUOLO DELLE ASSOCIAZIONI PAZIENTI NELLA FILIERA DELLA RICERCA

**DEFINIZIONE
DEGLI OBIETTIVI
DELLA RICERCA E
PUNTO DI VISTA
PATIENT
ORIENTED**

**SVILUPPO DI RETI
TRA CLINICI,
RICERCATORI,
ENTI
REGOLATORI,
IMPRESE**

**RACCOLTA
FONDI PER
PROGETTI DI
RICERCA
SPECIFICI SU
DETERMINATI
OBIETTIVI**



LA RICERCA TRASLAZIONALE NELLE MALATTIE RARE

**BISOGNI NON SOLO CLINICI, MA
LEGATI A QUALITÀ DELLA VITA E
MODELLI ASSISTENZIALI INNOVATIVI**

**DIFFICOLTÀ NELLA RACCOLTA E
NELLA CONDIVISIONE DEI DATI
SENZA UNA RETE CONSOLIDATA**

**PIÙ COMPLESSO ATTRARRE
INVESTIMENTI DALLE
AZIENDE FARMACEUTICHE**



**RUOLO STRATEGICO DELLE ASSOCIAZIONI NEL MONDO DELLE
MR, STORICAMENTE MOLTO ATTIVE, CAPACI DI MOBILITARSI A
LIVELLO INTERNAZIONALE E DI FARSI PROMOTRICI DI PROGETTI
DI RICERCA E SPERIMENTAZIONI MIRATE**



RACCOLTA FONDI: IL RUOLO STRATEGICO E L'IMPATTO DELLE ASSOCIAZIONI

- Campagne di sensibilizzazione e donazioni individuali
- Partnership e co-progettazioni con imprese e fondazioni
- Promozione o partecipazione a bandi per finanziare studi clinici, progetti preclinici o infrastrutture di ricerca
- Intercettazione di bandi pubblici e privati tramite progetti nazionali ed europei, anche in collaborazione con università e IRCCS.



LE SFIDE DA AFFRONTARE

**EHDS EUROPEAN HEALTH DATA SPACE
LO SPAZIO DI CONDIVISIONE DEI DATI:
CHI, PERCHE', COME**

**OTTIMIZZAZIONE DELL'UTILIZZO
DEI FONDI**

**CREAZIONE DI UNA VERA
PARTNERSHIP CON GLI ALTRI
STAKEHOLDERS**



**i FONDI RACCOLTI DALLE SOLE ASSOCIAZIONI, A MENO CHE
NON SIANO DI GRANDI DIMENSIONI, SONO TROPPO POCHI PER
POTER ESSERE DAVVERO EFFICACI.**



Abbiamo dati sulle ricerche traslazionali?

NO!



Che cosa stiamo facendo per spingere il sistema all'ottimizzazione

Con il Conamar, Comitato Nazionale Malattie Rare, stiamo promuovendo una survey per mappare la ricerca sul territorio nazionale.

Chi, su cosa, come, con quali fondi.

Questo per individuare, connettere e ottimizzare tutto quello che si sta facendo per le malattie rare, spesso azioni sconosciute ai più.

Stiamo inoltre chiedendo più fondi per la ricerca, ma anche sgravi fiscali e/o altri incentivi che possano stimolare anche gli investimenti privati.

Di parallelo, abbiamo anche chiesto che i fondi del PNRR fossero dedicati allo sviluppo di infrastrutture della ricerca



Gli investimenti pubblici sulla ricerca per le malattie rare

Il PNRR ha dedicato **50 milioni** alla ricerca sulle malattie rare.

AIFA ha annunciato per giugno il [bando](#) per la ricerca indipendente sulle malattie rare, **17,8 milioni di euro** finalizzati.

GRAZIE PER L'ATTENZIONE



UNIAMO

Rari, mai soli

www.uniamo.org - 06 4404773



comunicazione@uniamo.org



[@uniamomalattierare](#)



[@uniamofimronlus](#)

Uniamo Federazione Italiana Malattie Rare onlus

via Nomentana, 133 - Roma

06/4404773 - 340/4769379