

## **Partenariato europeo per le malattie rare** **European Partnership on Rare Diseases**

**TOPIC ID:** HORIZON-HLTH-2023-DISEASE-07-01

**Ente finanziatore:** Commissione europea, Programma Horizon Europe

**Obiettivi ed impatto attesi:** Questo tema mira a sostenere le attività che consentono o contribuiscono a diversi impatti attesi della destinazione 3 "Affrontare le malattie e ridurre il carico di malattia". A tal fine, le proposte nell'ambito di questo tema devono mirare a fornire risultati che siano diretti, personalizzati e contribuiscano a tutti i seguenti risultati attesi:

L'UE si rafforza come motore riconosciuto a livello internazionale della ricerca e dell'innovazione nel campo delle malattie rare (RD), contribuendo così in modo sostanziale al raggiungimento degli Obiettivi di sviluppo sostenibile relativi alle malattie rare;

I finanziatori della ricerca allineano, adottano e attuano le loro politiche di ricerca sulle malattie rare, consentendo la generazione e la traduzione ottimale delle conoscenze in prodotti e interventi sanitari significativi che rispondano alle esigenze delle persone affette da malattie rare in Europa e nel mondo. La comunità di ricerca sulle malattie rare in generale beneficia e utilizza un quadro di conoscenze completo e migliorato che integra l'UE e le infrastrutture nazionali/regionali di dati e informazioni per migliorare la ricerca traslazionale.

Le persone che vivono con una malattia rara beneficiano di un accesso più tempestivo ed equo a un'assistenza sanitaria innovativa, sostenibile e di alta qualità, tenendo conto di sistemi di ricerca e assistenza sanitaria altamente integrati.

Ricercatori, innovatori - così come le persone affette da una malattia rara e i loro sostenitori (in qualità di co-creatori) - costituiscono e operano efficacemente in un ecosistema integrato di ricerca e innovazione per fornire diagnosi e trattamenti economicamente vantaggiosi.

Gli attori pubblici e privati, compresa la società civile (ad esempio, ONG, associazioni di beneficenza), stabiliscono collaborazioni coordinate ed efficienti tra più soggetti a livello europeo e nazionale (anche regionale), consentendo una ricerca clinica più efficace, ad esempio con l'obiettivo di migliorare i tassi di successo dello sviluppo terapeutico.

Ambito di applicazione:

Il partenariato dovrebbe contribuire alle priorità della "Comunicazione su sistemi sanitari efficaci, accessibili e resilienti" (COM(2014) 215 definitivo), della "Comunicazione "Consentire la trasformazione digitale della salute e dell'assistenza nel mercato unico digitale; rafforzare i cittadini e costruire una società più sana" (COM(2018) 233 definitivo) e sostenere gli obiettivi del nuovo programma EU4Health (COM(2020) 405 definitivo, Regolamento (UE) 2021/522).

Questo partenariato dovrebbe inoltre contribuire al raggiungimento degli obiettivi della Strategia farmaceutica per l'Europa, in termini di soddisfazione di esigenze mediche insoddisfatte (ad esempio per le

malattie rare con i cosiddetti “medicinali orfani”) e di garanzia che i benefici dell’innovazione raggiungano i pazienti nell’UE.

Grazie alla sua capacità di riunire diverse parti interessate (ad esempio finanziatori della ricerca, autorità sanitarie, istituzioni sanitarie, innovatori, responsabili politici), il partenariato creerà una massa critica di risorse e attuerà un’agenda strategica di ricerca e innovazione (SRIA) a lungo termine.

Il partenariato europeo cofinanziato sulle malattie rare dovrebbe essere attuato sulla base delle priorità identificate nella SRIA e attraverso un programma congiunto di attività che vanno dal coordinamento e dal finanziamento della ricerca transnazionale ad attività “interne” altamente integrative e orientate alla comunità, come le strategie di innovazione per lo sfruttamento efficiente dei risultati della ricerca, le attività di preparazione alle sperimentazioni cliniche dell’UE, l’ottimizzazione delle infrastrutture e delle risorse di ricerca, comprese le attività di rete, formazione e divulgazione. Dovrebbe essere strutturato secondo i seguenti obiettivi principali:

- Lanciare bandi transnazionali congiunti per le priorità di ricerca e innovazione in materia di R&S definite nella SRIA, con conseguente sostegno finanziario a terzi, sulla base dei piani di lavoro annuali;
- Sviluppare una rete europea di ricerca clinica per accelerare la preparazione alla sperimentazione clinica della comunità di ricerca sulla R&S in Europa, per migliorare il potenziale di ricerca e innovazione delle parti interessate alla R&S e facilitare lo sviluppo clinico economicamente vantaggioso di nuove terapie;
- Sviluppare e consolidare lo sviluppo delle capacità dell’ecosistema dei dati di R&S, sostenendo l’accesso federato/la condivisione dei dati di ricerca FAIR[4] e delle risorse informative per garantire una traduzione efficace e rapida dei risultati della ricerca in innovazioni sanitarie sicure ed efficaci;
- Integrare la ricerca di base, preclinica e clinica per ridurre l’onere per le persone affette da una malattia rara.
- Sostenere la ricerca in campi medici e aree di intervento rilevanti (prevenzione, diagnosi, trattamento), migliorando al contempo l’utilizzo delle tecnologie sanitarie esistenti nella pratica clinica;
- sostenere il lavoro scientifico del Consorzio Internazionale di Ricerca sulle Malattie Rare.

Per garantire la coerenza e la complementarietà delle attività e sfruttare le conoscenze e le possibilità di investimento, il partenariato dovrà stabilire collaborazioni pertinenti con altri partenariati (istituzionalizzati e cofinanziati) e missioni di Horizon Europe, come indicato nel documento di lavoro su “Coerenza e sinergie dei partenariati europei candidati nell’ambito di Horizon Europe”, nonché esplorare collaborazioni con altre attività pertinenti a livello europeo e internazionale. La proposta dovrebbe anche considerare le sinergie con i programmi dell’UE, tra cui, ma non solo, EU4Health, il programma Europa digitale (DIGITAL), il Fondo sociale europeo Plus (FSE+), il Fondo europeo di sviluppo regionale (FESR), InvestEU, lo Strumento di ripresa e resilienza (RRF) e lo Strumento di sostegno tecnico (STI).

Può essere presa in considerazione la cooperazione con organizzazioni internazionali, istituzioni ed esperti non europei. La partecipazione dei Paesi terzi è incoraggiata. I loro impegni nei confronti del partenariato non sono ammissibili ai fini del calcolo dei finanziamenti dell’UE. I candidati devono descrivere nella loro

proposta la metodologia della collaborazione e gli obiettivi che intendono raggiungere con questo tipo di collaborazione.

Le proposte devono mettere in comune le risorse finanziarie necessarie dei programmi di ricerca nazionali (o regionali) partecipanti, al fine di attuare inviti congiunti a presentare proposte transnazionali che si traducano in sovvenzioni a terzi. Il sostegno finanziario fornito dai partecipanti a terzi è una delle attività di questa azione per poter raggiungere i suoi obiettivi.

La collaborazione con l'agenzia dell'UE che si occupa dell'autorizzazione dei medicinali orfani, l'Agenzia europea per i medicinali (EMA), dovrebbe essere presa in considerazione per migliorare la condivisione delle conoscenze e dei dati relativi ai medicinali orfani e alle malattie rare, mentre le agenzie nazionali che producono conoscenze sui medicinali orfani e sulle malattie rare possono anch'esse aderire al partenariato, ad esempio come beneficiari.

Nel definire gli inviti a presentare proposte, questo partenariato deve considerare il contributo effettivo delle discipline delle scienze sociali e umane (SSH) e il coinvolgimento di esperti SSH, istituzioni e l'inclusione di competenze SSH pertinenti, al fine di produrre effetti significativi e significativi che migliorino l'impatto sociale delle attività di ricerca correlate.

La collaborazione con il Centro comune di ricerca (CCR) della Commissione europea deve essere presa in considerazione per concretizzare la condivisione di (meta)dati relativi ai registri per le malattie rare, lo scambio di dati per gli studi clinici e la ricerca sulla base di uno strumento unificato di pseudonimizzazione fornito dalla Piattaforma europea per la registrazione delle malattie rare (Piattaforma RD dell'UE) e di strumenti e servizi correlati, nonché in altre aree di interesse reciproco, come la formazione e il rafforzamento delle capacità.

**Criteri di eleggibilità:** Si beneficiari e gli enti affiliati devono iscriversi al Registro dei partecipanti - prima di presentare la proposta - e dovranno essere convalidati dal Servizio centrale di convalida (REA Validation). Per la convalida, sarà loro richiesto di caricare documenti che dimostrino lo status giuridico e l'origine.

Il partenariato è aperto a tutti gli Stati membri dell'UE, nonché ai Paesi associati a Orizzonte Europa e rimarrà aperto ai Paesi terzi che desiderano aderire. Il partenariato dovrebbe includere o coinvolgere i seguenti attori:

- Ministeri responsabili della politica di R&I, nonché agenzie e fondazioni nazionali e regionali di finanziamento della R&I e della tecnologia;
- Ministeri responsabili delle politiche sanitarie e assistenziali, nonché autorità, organizzazioni e fornitori di servizi sanitari nazionali e regionali (compresi i fornitori membri delle reti europee di riferimento);
- Infrastrutture di ricerca;
- Organizzazioni di pazienti;
- Industria;
- enti di beneficenza.

Il partenariato può anche incoraggiare l'impegno con altri ministeri e finanziatori della ricerca. Dovrebbe

coinvolgere altri attori chiave della società civile e degli utenti finali, della comunità della ricerca e dell'innovazione, dei proprietari dell'innovazione, dei proprietari/organizzatori dei sistemi sanitari e assistenziali e delle agenzie sanitarie e assistenziali.

La struttura di governance del partenariato dovrebbe consentire una direzione strategica anticipata, una gestione e un coordinamento efficaci, l'attuazione quotidiana delle attività e garantire l'utilizzo e l'adozione dei risultati. È importante che gli Stati membri dell'UE, in qualità di finanziatori pubblici, abbiano un ruolo di primo piano nella governance e nella guida strategica dell'intero partenariato, anche nella co-progettazione e negli orientamenti strategici delle attività "interne", come il consolidamento dell'ecosistema della ricerca e dell'innovazione, la preparazione alla sperimentazione clinica per la comunità, il contributo al SER, le attività di formazione, ecc.) Inoltre, la struttura di gestione dovrebbe consentire il contributo coordinato delle principali parti interessate, tra cui, ma non solo, la comunità della ricerca e dell'innovazione, i pazienti e i cittadini, i professionisti della salute e dell'assistenza, le organizzazioni di assistenza formali e informali e i proprietari dell'innovazione.

La durata prevista della partnership è di sette-dieci anni.

**Contributo finanziario:** Il budget totale indicativo per il partenariato ammonta a 150 milioni di euro ed è soggetto all'effettiva attuazione degli impegni assunti dai membri del consorzio. La Commissione prevede di includere nuove azioni nei suoi futuri programmi di lavoro per fornire un sostegno continuo al partenariato per la durata di Orizzonte Europa.

Contributo UE previsto per progetto La Commissione ritiene che un contributo UE di circa 50 milioni di euro consentirebbe di affrontare adeguatamente questi risultati. Tuttavia, ciò non preclude la presentazione e la selezione di una proposta che richieda importi diversi. Budget indicativo

Tipo di programma d'azione Azione cofinanziata

Condizioni di ammissibilità Le condizioni sono descritte nell'Allegato generale B. Si applicano le seguenti eccezioni: In considerazione dell'apertura dei programmi dei National Institutes of Health statunitensi ai ricercatori europei, qualsiasi soggetto giuridico con sede negli Stati Uniti d'America può ricevere i finanziamenti dell'Unione. Poiché il contributo degli Stati Uniti sarà considerato per il calcolo del contributo dell'UE al partenariato, il consorzio interessato di finanziatori della ricerca degli Stati membri dell'UE e dei Paesi associati ammissibili deve acconsentire espressamente a questa partecipazione. Il Centro comune di ricerca (CCR) può partecipare come membro del consorzio selezionato per il finanziamento.

Le regole sono descritte nell'Allegato generale G. Si applicano le seguenti eccezioni: I beneficiari possono fornire sostegno finanziario a terzi. Il sostegno a terzi può essere fornito solo sotto forma di sovvenzioni. Il sostegno finanziario fornito dai partecipanti a terzi è una delle attività principali dell'azione per poter raggiungere i suoi obiettivi. Dato il tipo di azione e il suo livello di ambizione, l'importo massimo da concedere a ciascuna terza parte è di 10,00 milioni di euro.

Il tasso di finanziamento è pari al 50% dei costi ammissibili. Ciò è giustificato dalla messa in comune

dei contributi in natura dei proponenti e delle attività interne e dalla natura delle attività da svolgere: in aggiunta ai bandi congiunti, attività altamente integrative (preparazione alla sperimentazione clinica nell'UE, formazione, attività di empowerment dei pazienti, ricerca sulle malattie rare e l'ecosistema dell'innovazione in Europa e nel mondo.

**Scadenza:** 19 settembre 2023 17:00:00 CET

**Ulteriori informazioni:**

[wp-4-health\\_horizon-2023-2024\\_en.pdf \(europa.eu\)](#)

pag. 88