numerodue | settembre 2026

h.c HEALTH COMMUNITY

02

INCHIESTA

LE MALATTIE RARE



INTERVISTA

ANNALISA SCOPINARO

«PROGRAMMAZIONE, PROGRAMMAZIONE PROGRAMMAZIONE»

EDITORIALE

Un dividendo inatteso

di Gianluigi Cussotto

Qualcosa di raro è sempre qualcosa di prezioso. È una trappola della percezione, e non può condividerla chi attraversa l'esperienza faticosa di curarsi, o di assistere un familiare, per una malattia rara. Lì la rarità non è valore: è solitudine diagnostica, è il medico che non ha mai visto un altro caso, è il viaggio in un'altra regione perché il centro competente sta altrove.

Tuttavia, la preziosità esiste. Cercare soluzioni per condizioni senza cura, privi del conforto delle procedure statistiche ordinarie, con risultati deboli in attesa di conferme nel tempo, è l'avventura dell'esplorazione. E il tesoro, come tutti i tesori, è ben nascosto: nuove conoscenze, modelli organizzativi applicabili a condizioni estese, quantità e qualità di vita restituite a malati che sono spesso bambini. Un tesoro prezioso anche in senso economico, legittimamente, per le imprese che accettano il rischio di quell'investimento.

Quel valore non è un sottoprodotto occasionale. Un caso da manuale riguarda il colesterolo: negli anni '70 due ricercatori studiarono bambini con valori 10 volte superiori alla norma, infartuati prima dei 10 anni e da quelle pochissime famiglie nacquero le basi biologiche delle statine, oggi assunte da decine di milioni di persone che non hanno nessuna malattia rara. E si potrebbero citare moltissimi altri casi. Il meccanismo si ripete perché una malattia rara di origine genetica è un esperimento che la natura ha condotto sulla specie giusta: un gene alterato in un essere umano vivo. Lo stesso vale per gli strumenti: terapia genica, oligonucleotidi, editing genomico sono entrati in clinica sul raro, lì hanno pagato il conto dell'apprendimento, e da lì si sono spostati sul diffuso.

Su un punto, però, conviene essere prudenti: questo argomento non può diventare la giustificazione principale dell'investimento. Ha un rovescio insidioso: se si finanzia il raro per ciò che restituisce al comune, le malattie che non promettono ricadute valgono meno. Per la maggioranza delle condizioni rare oggi prive di terapia quella promessa non c'è, e sono proprio quelli i pazienti per i quali è stato creato il sistema

Le ricadute sono, dunque, un argomento in più, solido e verificabile. Il principale resta un altro, e non ha bisogno di dimostrazioni: sono pazienti. Un servizio sanitario universalistico non subordina l'assistenza alla redditività scientifica dei propri assistiti. Il tesoro, quando si trova, è un dividendo. Non è la ragione per cui si scava.

hc02 OTTOBRE 2026

SOMMARIO

INCHIESTA



06 **MALATTIE RARE**
UN PROBLEMA SEMPRE PIÙ COMPLESSO

PRIMA PARTE

SI FA PRESTO A DIRE RARA...

«Malattia rara» non è una categoria medica ma una soglia decisa dal legislatore: cinque casi su 10 mila in Europa, meno di 200 mila pazienti negli Usa. Da quel numero dipendono esenzioni, rimborsi e incentivi. Anche le cifre più citate, dalle 6-8.000 patologie ai 300 milioni di malati, riflettono scelte di classificazione, non biologia

SECONDA PARTE

16 **CIÒ CHE POCHE INSEGNANO A MOLTE**

Dalle statine agli inibitori di PCSK9, le malattie rare hanno riscritto la cura di quelle comuni. Ma l'argomento generativo nasconde una trappola



TERZA PARTE

20 **I CONTI CHE L'ITALIA NON SA FARE**

UN DIFFICILE BILANCIO

L'Italia non sa quanti sono i portatori di malattie rare. E a maggior ragione non sa quanto le costi l'intera assistenza.



INTERVISTA

ANNALISA SCOPINARO **10**



«PROGRAMMAZIONE, PROGRAMMAZIONE, PROGRAMMAZIONE»

Annalisa Scopinaro, presidente di Uniamo dal 2019, indica i bisogni essenziali dei malati rari: diagnosi tempestiva, presa in carico per tutta la vita, terapie e ricerca. Le leggi esistono, ma restano divari territoriali e i costi crescenti delle nuove terapie. Alle Regioni chiede programmazione, dati più affidabili e l'Orphacode nei flussi sanitari

COMUNICARE IN SANITÀ

LA COMPETENZA INVISIBILE CHE SALVA VITE (E REPUTAZIONI) **26**



In sanità la comunicazione non è una soft skill: incide su sicurezza, esiti e fiducia. Cinque fronti: paziente, operatori, media, crisi e management

OSSERVATORIO TECH

DUE SPADE SULLA TESTA **32**

In 16 giorni una scommessa vinta e una persa. Fra brevetti in scadenza e dazi americani, le big pharma comprano il rischio invece di correrlo



MALATTIE RARE
UN PROBLEMA SEMPRE PIÙ COMPLESSO



SI FA PRESTO A DIRE RARA...

Non esiste una definizione clinica di questo complesso insieme di patologie, ma solo una soglia amministrativa, diversa da giurisdizione a giurisdizione. È su questa base che viene deciso chi ha diritto all'esenzione, quale farmaco riceve gli incentivi e quale paziente resta fuori. Si tratta di un settore costruito su numeri che circolano da 20 anni che quasi nessuno ha verificato

Il punto da cui conviene partire è controintuitivo: "malattia rara" non è una categoria medica. Nessun meccanismo patogenetico, nessun organo bersaglio, nessun criterio diagnostico accomuna la fibrosi cistica all'amiloidosi ereditaria o alla sindrome di Dravet. Ciò che le tiene insieme è un numero deciso da un legislatore. Questo fatto ha conseguenze molto forti: la stessa patologia può essere considerata rara in un paese, ma non in un altro. Non perché cambi la biologia, ma perché cambia la soglia. E dalla soglia dipendono l'esenzione dal ticket, il rimborso, l'accesso ai centri di riferimento, gli incentivi fiscali e regolatori all'industria che sviluppa il farmaco.

Europa, cinque su 10 mila

La definizione oggi in vigore nell'Unione Europea nasce dal programma d'azione comunitario sulle malattie rare 1999-2003: rientrano nella categoria le patologie con un'incidenza non superiore a cinque casi su 10.000 persone nell'Ue. È la soglia ripresa dal Regolamento (Ce) 141/2000 sui medicinali orfani e usata dalla Commissione, su parere dell'Agenzia europea per i medicinali, per le designazioni. Il meccanismo è più rigido di quanto sembri. L'articolo 3 (1) (a) del Regolamento, il cosiddetto "criterio di prevalenza", non si accontenta dell'affermazione: impone allo sponsor di dimostrare con evidenze epidemiologiche che la condizione non superi quel valore. È un onere della prova a carico di chi chiede il beneficio e su di esso l'Ema, l'Agenzia europea per i medicinali, ha dovuto pubblicare linee guida specifiche su come si stima e si riporta una prevalenza. Un dettaglio tecnico che ha effetti concreti: la designazione può essere negata non perché una malattia sia frequente, ma perché i dati per dimostrarne la rarità non esistono.



Usa, la clausola economica

L'Orphan drug ct del 1983 definisce la "rare disease or condition" in due modi alternativi. Il primo è demografico: una patologia che colpisce meno di 200 mila persone negli Stati Uniti. Il secondo è di natura completamente diversa: una patologia per la quale il produttore non ha ragionevole aspettativa di recuperare, dalle vendite sul mercato statunitense, i costi di ricerca e di sviluppo sostenuti.

Vale la pena fermarsi su questo punto, perché è la differenza strutturale più rilevante tra i due modelli. La seconda clausola americana non descrive un fenomeno epidemiologico, ma un fallimento di mercato. Ammette esplicitamente che ciò che rende "orfana" una malattia non è la sua frequenza, ma la sua non redditività. L'Europa ha scelto la strada opposta, ancorando tutto alla prevalenza e spostando così sul terreno dei numeri una decisione che negli Stati Uniti resta, almeno in parte, dichiaratamente economica.

> LE CIFRE INDICATE SONO IL PRODOTTO DI UNA PREVALENZA CUMULATIVA STIMATA E APPLICATA ALLA POPOLAZIONE MONDIALE E LA PREVALENZA CUMULATIVA DIPENDE DALL'ELENCO DELLE MALATTIE INCLUSE: CIOÈ, DI NUOVO, DALLA SOGLIA. CONTARE LE PERSONE RARE SIGNIFICA AVERE GIÀ DECISO, A MONTE, CHE COSA È RARO

Le altre giurisdizioni

Il quadro globale è frammentato. La Cina ha adottato criteri combinati e alternativi tra loro: incidenza inferiore a 1 su 10.000 nei neonati, oppure prevalenza inferiore a 1 su 10.000, oppure meno di 140.000 persone complessivamente colpite. Il Giappone, ai fini della designazione di farmaco orfano, si regola su una soglia di pazienti affetti nel Paese, in un impianto costruito negli anni '90 sul modello statunitense; l'Australia ha seguito un percorso analogo, poi rivisto.

C'è poi una cifra che merita un trattamento a parte: in letteratura scientifica, sui siti delle grandi aziende farmaceutiche e nelle pagine divulgative dei centri clinici, si legge con regolarità che l'Organizzazione mondiale della sanità definirebbe rara una malattia con prevalenza inferiore a 65 casi su 100.000 abitanti. La citazione è ubiqua. Ciò che manca, sistemati-



camente, è il documento dell'Oms cui rinvia. Quel valore ha invece una fonte primaria identificabile e non è ginevrina: è la soglia della *Portaria* 199 del 30 gennaio 2014 del Ministero della salute brasiliano, che istituisce la politica nazionale di assistenza alle persone con malattie rare. Numerosi lavori sul sistema brasiliano lo dicono apertamente: il ministero definisce la malattia rara "seguendo l'Oms" e da lì il rimando si è propagato altrove perdendo l'aggancio al Brasile e conservando solo l'attribuzione all'Oms.

Sul merito della sostanza, l'unico censimento sistematico disponibile è quello del gruppo di lavoro dell'Ispor, che ha esaminato quasi 300 definizioni in uso in una trentina di giurisdizioni: la media globale delle soglie di prevalenza si colloca intorno a 40 casi su 100 mila, con due terzi delle giurisdizioni tra 40 e 50. E le soglie variano in modo istruttivo a seconda di chi le formula: le organizzazioni di pazienti tendono a fissarle più alte, gli assicuratori privati sensibilmente più basse. La definizione, insomma, non è mai neutra rispetto agli interessi di chi la scrive.

Che cosa conta davvero

La risoluzione sulle malattie rare approvata dalla 78ª Assemblea mondiale della sanità nel maggio 2025, la prima specificamente dedicata al tema, riconosce oltre 300 milioni di persone al mondo affette da una delle più di 7mila malattie rare censite, in maggioranza a esordio infantile. La Commissione europea stima tra 27 e 36 milioni le persone nell'Unione colpite da una sindrome rara e tra 6mila e 8mila le patologie distinte. Il tempo medio per arrivare a una diagnosi si misura in anni, anche nei sistemi sanitari più ricchi e per la grande maggioranza di queste condizioni non esiste una terapia approvata.

Sono cifre che circolano da anni e vengono riprese acriticamente, comprese le stime sull'assenza di terapia, che poggiano su denominatori a loro volta incerti. Il lettore ha diritto di sapere da dove vengono. Il range 6.000-8.000 non riflette una scoperta progressiva di nuove malattie, ma è frutto di una scelta di granularità nella classificazione. Orphanet, la banca dati europea di riferimento, distingue tra entità cliniche, sottotipi e gruppi di patologie. A seconda di quale livello si conti come "malattia distinta", il totale si sposta di migliaia di unità. Il numero che si legge nei comunicati non misura la realtà biologica, ma una decisione tassonomica. Vale lo stesso per i 300 milioni. Quella cifra è il prodotto di una prevalenza cumulativa stimata e applicata alla popolazione mondiale e la prevalenza cumulativa dipende dall'elenco delle malattie incluse: cioè, di nuovo, dalla soglia. Contare le persone rare significa avere già deciso, a monte, che cosa è raro.

Prima ancora dei registri, dei centri di riferimento e dei rimborsi, esiste un atto amministrativo che stabilisce chi entra nel perimetro. Tutto il resto è a valle. ■

BARI, 1 Ottobre 2026

Sala Convegni
CASA DELLA SPIRITUALITA'
SAN FRANCESCO D'ASSISI
Via G. Gentile, 92



"FARMACIA CLINICA E PROCESSI MANAGERIALI: STRATEGIE DI ACQUISTO DI FARMACI E DISPOSITIVI TRA ESPERIENZE COMPETENZE: ACCORDO QUADRO"

Responsabile Scientifico:
Dott.ssa Stefania Antonacci

PRESIDENTE UNIAMO-FEDERAZIONE ITALIANA MALATTIE RARE

Annalisa Scopinaro è laureata in economia e commercio, con focus sul controllo di gestione e pianificazione strategica; ha maturato molte competenze professionali e ha rivestito diversi ruoli lavorativi. Da sempre attiva nel volontariato, dalla nascita del secondo dei suoi tre figli si è avvicinata al mondo delle malattie rare. Nel 2009 è entrata a fare parte del direttivo di Uniamo, e vi ha ricoperto i ruoli di tesoriere, responsabile delle delegazioni regionali, vicepresidente e dal 2019 presidente.

È componente del Comitato nazionale malattie rare, istituito in ottemperanza alla Legge 175/2021, del Consiglio nazionale del terzo settore, del Tavolo tecnico sulle modalità di attuazione della riforma sulla valutazione di base istituito presso la Presidenza del consiglio dei ministri, del Gruppo di lavoro per l'implementazione dello Screening neonatale esteso, del Coordinamento malattie rare della Regione Abruzzo e della Regione Campania, del Forum toscano malattie rare. Ha fatto e fa parte di numerosi gruppi di lavoro, sia a livello italiano, sia europeo. Scrive articoli e collabora alla stesura di documenti tecnici specifici sulle malattie rare. Una veste sempre più istituzionale la avvicina ai lavori all'interno del Parlamento, dando importanti e fondamentali contributi nel campo delle malattie rare a deputati e senatori, attraverso i numerosi incontri personali e tramite l'Intergruppo parlamentare malattie rare e oncologiche, nato nella XIX legislatura.



ANNALISA SCOPINARO

« PROGRAMMAZIONE PROGRAMMAZIONE PROGRAMMAZIONE »

È quasi un grido quello di Annalisa Scopinaro, presidente di Uniamo, l'associazione che rappresenta le comunità delle persone con una malattia rara, e che è attiva sul territorio da 25 anni. Sono oltre 200 le realtà affiliate, in continua crescita. La Federazione sviluppa un dialogo costante con gli esponenti delle istituzioni (ministeri, Aifa, Istituto superiore di sanità, Agenas, regioni, centri clinici di riferimento, rete Ern, Mmg e Pls, società scientifiche, ecc…), ricercatori e player privati per approfondire le possibili soluzioni

a cura di Stefano Cussotto

Da quanto tempo si dedica alla Federazione per i malati con malattie rare?

«Sono entrata nel Consiglio direttivo della Federazione nel lontano 2009, abbastanza "incosciente" rispetto al grande lavoro che la Federazione stava facendo e soprattutto all'importanza nei confronti di tutta la comunità delle persone con malattie rare. Da allora ho seguito le attività come consigliera, volontaria e, salvo un periodo relativamente breve (un paio di anni in cui ho fondato un'altra associazione di patologia, nel 2016), sono sempre rimasta nell'orbita di Uniamo. Ne sono diventata, mio malgrado, presidente nell'aprile del 2019».

Come si fa a integrare le esigenze di tanti soggetti con malattie così diverse e non distribuiti omogeneamente sul territorio nazionale?

«Nel lungo periodo, ascoltando tante persone, ci si rende conto che alla



> PROGRAMMAZIONE NON È SEMPLICEMENTE PRENDERE IL BUDGET DELL'ANNO PRECEDENTE E SOTTRARRE QUALCOSA IN VISTA DI TAGLI. È CAPIRE QUANTE PERSONE SI HANNO IN CARICO NEI PROPRI OSPEDALI, QUALI BISOGNI HANNO, QUALI TERAPIE ARRIVERANNO A BREVE E QUALI I PERCORSI A OGGI

fine i bisogni fondamentali di tutti, pur con le dovute differenze e specificità, sono sostanzialmente quattro: una diagnosi tempestiva cui deve seguire una presa in carico (o cura) che accompagni tutto il corso della vita; terapie, trattamenti e ausili disponibili e personalizzati quando serve; ricerca che possa portare a migliorare la qualità della vita; arrivare allo sviluppo di farmaci e di modelli organizzativi, migliorando i trattamenti riabilitativi. Se potessimo soddisfare questi bisogni avremmo già risolto gran parte dei problemi. Le leggi in Italia ci sono; abbiamo qualche difficoltà a rendere fluido il sistema, specialmente a livello territoriale».

Come e dove passa le sue giornate di lavoro?

«Quando sono a casa, davanti a un computer, più o meno tutto il giorno, spesso iniziando prima delle 8 con qualche telefonata a chi durante il giorno è magari impegnato in clinica o in sala operatoria. Se mi devo spostare, lavoro in treno, mentre raggiungo la località dove è richiesta la mia presenza. Principalmente Roma, dove abbiamo l'ufficio e soprattutto ci sono istituzioni e politica; ma anche moltissime altre città italiane ed estere, per gli impegni istituzionali, i tavoli di lavoro, incontri ed eventi. Programmo anche molti incontri online: è un modo per evitare il dispendio di tempo nei trasporti e ottimizzare quindi la giornata. Capita con una certa frequenza che qualche riunione, specialmente se è fra rappresentanti dei pazienti, si svolga dopo cena. Il sabato è dedicato alle associazioni: partecipo volentieri alle loro assemblee o riunioni annuali, anche perché ciò mi consente di avere un contatto diretto con le famiglie. La domenica cerco



di ritagliarmi qualche spazio, ma di solito nel tardo pomeriggio dedico un paio di ore alla programmazione della settimana e della logistica. Le mie attività vengono rendicontate nel nostro bilancio sociale, quindi è facile tenerne traccia. Passo anche tanto tempo in telefonate: con lo staff, i nostri collaboratori, i nostri stakeholder, i presidenti delle associazioni. La Federazione mantiene rapporti istituzionali con una pletora di soggetti e moltissimi altri sollecitano la nostra attenzione. In media lavoro circa 12 ore al giorno».

In questi anni, quali sono le principali linee di evoluzione, i maggiori cambiamenti che caratterizzano esigenze e modelli di cura per le persone con malattie rare? Si è verificato un aumento della consapevolezza e della sensibilità alla tematica, un maggiore impegno da parte dei sistemi sanitari regionali per dare risposte adeguate, una migliore interazione tra i diversi interlocutori?

«La consapevolezza dei bisogni delle persone con una malattia rara è aumentata nel corso del tempo: siamo una comunità che piano piano è uscita allo scoperto ed è riuscita a guadagnarsi un posto nell'attenzione politica. Anche le industrie farmaceutiche, grazie a incentivi europei (il Regolamento Fo per esempio) hanno dedicato intere linee di ricerca alle nostre patologie, aumentando il numero di trattamenti a disposizione. Non sono ancora sufficienti (ne sono stati realizzati per coprire circa il 5% delle patologie), ma i segnali sono positivi: aumenta anche il numero di ricerche, come abbiamo sottolineato nel nostro Rapporto MonitoRare. Il Piano nazionale malattie rare 2023 - 2026 ha messo nero su bianco tutti i bisogni della nostra comunità e il governo ha stanziato 50 milioni per la sua realizzazione».

Al contrario, in quale area rimangono le più importanti "sacche" di inefficienza e di problemi?

«A oggi, però, abbiamo ancora molte difficoltà sulla continuità di cura nelle varie fasi della vita (da pediatrica ad adulta, ma anche da adulta a geriatrica), sulla presa in carico delle persone con gravi disabilità (anche bambini, con le mamme che affrontano un'assistenza lungo tutto il corso della giornata). Ci sono differenze pure rispetto ai tempi di accesso alle terapie e una grande differenza territoriale per ciò che riguarda tutte le terapie riabilitative. La teleassistenza e la telemedicina rappresentano una speranza, specialmente per non doversi spostare (la mobilità sanitaria per le persone con malattia rara arriva al 18%). Ma ancora mancano tanti tasselli».

Oggi assistiamo a un deciso aumento delle soluzioni terapeutiche, dei farmaci e dei dispositivi medici, che hanno modificato profondamente la prognosi per molte condizioni rare. Si tratta di una ricchezza che deve essere ben gestita. Dove impegnarsi per ottimizzare il rapporto tra risorse investite e appropriatezza degli



interventi? Occorre incrementare le competenze? Sono necessari maggiori investimenti in assoluto o la revisione dei percorsi con soluzioni organizzative più efficienti? Serve una migliore interazione tra le diverse figure coinvolte?

«Le nuove terapie pongono con forza un problema di sostenibilità del sistema. I conti non tornano: sappiamo che gli investimenti in sanità non sono ancora sufficienti per coprire tutte le esigenze. Bisogna trovare un equilibrio per non dovere rinunciare alle innovazioni, sicuramente più efficaci e a volte anche a unico farmaco. Non è semplice trovare una quadra. Alcuni reparti si stanno svuotando di competenze e questo è un altro tema da affrontare in una sanità che ha sempre più bisogno di medici e infermieri. Per le malattie rare bisogna pensare a investimenti mirati che premino il maggiore sforzo che l'assistenza a questi pazienti comporta».

Curare bene i soggetti con malattie rare, o meglio ancora, una loro efficace presa in carico puossono rappresentare anche l'occasione per



una migliore gestione complessiva dei processi di assistenza? Che cosa insegnano le Mr agli operatori sanitari, in una fase storica di grande attenzione alla personalizzazione della cura?

«Le malattie rare sono un paradigma di sanità. Se risolviamo i problemi delle nostre persone in realtà risolviamo i problemi per tutti, semplificando i percorsi e garantendo un filo rosso conduttore per i percorsi dei pazienti. Le malattie rare insegnano a guardare oltre, ma richiedono anche impegno ed empatia, oltre che tempo da dedicare».

Un sogno nel cassetto?

«Vorrei che ognuno degli attori in gioco in questo sistema così complesso facesse uno sforzo per mettersi in rete, ottimizzando gli sforzi di ciascuno ed efficientando il sistema. A volte ragioniamo ancora molto per silos. Poi vorrei tanti rappresentanti dei pazienti che si mettano in gioco per la comunità e non solo per la loro patologia, diventando volontari professionisti e adoperandosi per fare un pezzettino delle tante attività che sarebbero necessarie».

Un messaggio al management dei sistemi sanitari regionali?

«Programmazione, programmazione, programmazione. Ma non semplicemente prendere il budget dell'anno precedente e sottrarre qualcosa in vista di tagli. Capire quante persone si hanno in carico nei propri ospedali, quali bisogni hanno, quali terapie arriveranno a breve per quelle patologie, quali sono i percorsi a oggi e quali sarebbero, invece, quelli auspicabili, sia a livello interno aziendale, sia sul territorio. E battere cassa se i soldi non bastano, specialmente per quello che riguarda le terapie. In più di un'occasione abbiamo auspicato un confronto continuo fra le direzioni sanitarie con farmacisti ospedalieri e clinici, per un efficace horizon scanning sui farmaci, ma anche sui cambiamenti dei modelli organizzativi che le diverse forme di somministrazione si trascinano dietro. A oggi, i registri sono ancora parziali; non abbiamo dati sui percorsi di queste persone, anche per intercettare inefficienze. Lavoriamo insieme sulla costruzione di un sistema, ma capiamo in primo luogo che cosa ci raccontano i dati, se riusciamo a raccoglierli in maniera mirata. L'introduzione dell'Orphacode nei flussi sarebbe davvero auspicabile; nel giro di un paio di anni sarà obbligatorio anche nel Fse e sarebbe davvero un ottimo strumento di monitoraggio». ■



HIPPOCRATES SINTECH

PUBLIREDAZIONALE

AGENZIA MEDICO-SCIENTIFICA & DIGITALE PER L'HEALTHCARE

Quattro competenze, *un unico partner.*

Dalla facilitazione degli **Advisory Board** ai progetti di consenso, dai **portali editoriali ECM** alle **piattaforme informatiche**, fino all'**intelligenza artificiale**: Hippocrates Sintech unisce expertise medico-scientifica e tecnologica per creare progettualità su misura.

COMBINIAMO LE NOSTRE COMPETENZE PER PROGETTUALITÀ UNICHE

MEDICAL INFORMATION
Comunicazione scientifica

A supporto di Advisory Board e progetti di consensus (metodologia e conduzione).

- **Meeting facilitation & co-management**: Advisory Board, Expert Meeting, Focus Group e workshop orientati al brand equity.
- **Consensus & metodo Delphi** con team metodologico dedicato.
- Ricerca, revisione e analisi della letteratura; **produzione di articoli scientifici**.
- Engagement e coinvolgimento dei **KOL** nelle iniziative.

PROGETTI EDITORIALI
VIP in Touch

Web-tv, FAD/ECM: comunicazione e formazione per i professionisti della sanità.

- Piattaforme **web-tv digitali** per area terapeutica: infettivologia, oftalmologia, dermatologia, gastroenterologia.
- Aree **FAD con iniziative ECM** e crediti, coordinate da KOL di riferimento.
- **Web App** per la consultazione mobile di contenuti live e on-demand.

250.000+ ACCESSI | 12.000+ MEDICI | 2.000+ FARMACISTI | 15.000+ CREDITI ECM

INFORMATICA
Piattaforme digitali

Soluzioni proprietarie in rete per la sanità connessa.

- **Telemedicina e teleconsulto** su modello HUB & SPOKE, con gestione condivisa di imaging e documentazione.
- **Piattaforme cliniche informatizzate**, registri, algoritmi intelligenti e sistemi di televisita.
- **App e tool web/mobile**: **calculator** e raccolta di Patient-Reported Outcomes in telemonitoraggio.
- **Streaming live** e teleconferencing con soluzioni proprietarie.

AI GENERATIVA — IL NOSTRO KNOW-HOW
AI per l'healthcare

AI generativa, in un perimetro controllato.

- **BRAIN**: suite documentale nata per la ricerca clinica e adattabile a qualunque organizzazione — fino a **–50%** sui tempi di produzione documentale.
- **AI Chatbot Builder** GDPR compliante, addestrato sui vostri contenuti e integrabile via embed.
- **Machine Learning predittivo** (iniziativa con ASST Niguarda).
- Chatbot a supporto di **ricerca clinica**, FAD/ECM e pazienti.

Dall'idea alla realizzazione e gestione, con un unico interlocutore.

PARLIAMO DEL VOSTRO PROSSIMO PROGETTO

CONTATTATECI
info@hippocrates-sintech.it

www.hippocrates-sintech.it · ✉ info@hippocrates-sintech.it · ☎ +39 010 545481 · linkedin.com/company/hippocrates-sintech

Hippocrates Sintech S.r.l. — Via XX Settembre 30/4, 16121 Genova. Agenzia di comunicazione medico-scientifica & digitale per l'healthcare.

CIÒ CHE POCHE INSEGNANO A MOLTE





Le malattie rare sono spesso il terreno di ricerca di alcune delle terapie più diffuse al mondo. È vero, è documentato, ma l'argomento va usato con prudenza. La riforma europea, ora in adozione, interviene proprio lì

Nel 1973 due giovani ricercatori del Texas cominciarono a studiare bambini infartuati prima dei dieci anni con livelli di colesterolo 10 volte superiori alla norma. Era l'ipercolesterolemia familiare in forma omozigote: una malattia rarissima, poche decine di casi noti. Michael Brown e Joseph Goldstein ne ricavarono la scoperta del recettore delle LDL, il Nobel nel 1985 e le basi biologiche di una classe di farmaci, le statine, oggi assunta da decine di milioni di persone che non hanno nessuna malattia rara.

La storia ha avuto un secondo tempo, ancora più istruttivo. Nel 2003 un gruppo francese identificò, in famiglie con ipercolesterolemia familiare senza mutazioni note, un gene allora oscuro: il PCSK9. Pochi anni dopo, negli Stati Uniti, Helen Hobbs e Jonathan Cohen cercarono il rovescio della medaglia e lo trovarono: individui portatori di varianti che *spengono* PCSK9, con colesterolo bassissimo, perfettamente sani e con un rischio coronarico drasticamente ridotto. Quella seconda osservazione, anch'essa rarissima, era la validazione del bersaglio farmacologico sull'essere umano, ottenuta prima che esistesse un farmaco da testare. Da lì gli inibitori di PCSK9 oggi in uso nella prevenzione cardiovascolare.

Due volte, sulla stessa molecola, una malattia che riguarda pochissimi ha riorganizzato il trattamento di una condizione che riguarda tutti.

Cinque modi in cui accade

1 Il caso del colesterolo illustra il meccanismo più potente: **la malattia rara come esperimento naturale sull'uomo.** Una condizione mendeliana è un gene alterato in un essere umano vivo, osservabile per tutta una vita. Nessun modello animale offre altrettanto, perché nessuno di essi è la specie giusta. Lo schema si ripete con regolarità. La glicosuria renale familiare, rara, e sostanzialmente benigna, dimostrava che si può bloccare il trasportatore renale del glucosio SGLT2 senza danno: da lì una classe di farmaci oggi pilastro nel diabete, nello scompenso cardiaco e nella malattia renale cronica. Il deficit congenito di leptina, descritto in una manciata di pazienti, ha fondato l'endocrinologia della regolazione dell'appetito. Una variante rara del recettore CCR5 ha generato una classe di antiretrovirali.

2 Il secondo meccanismo riguarda gli strumenti, anziché i bersagli: **le piattaforme tecnologiche si collaudano sul raro e migrano sul comune.** La terapia genica è entrata in clinica su amaurosi congenita di Leber, atrofia muscolare spinale, emofilie. Gli oligonucleotidi antisenso si sono affermati con il trattamento della SMA. L'RNA interference è arrivato in clinica sull'amiloidosi ereditaria da transtiretina: la stessa chimica, pochi anni dopo, ha prodotto una terapia per l'ipercolesterolemia, che rara non è affatto. La prima approvazione al mondo di una terapia basata su editing genomico ha riguardato l'anemia falciforme e la beta-talassemia. La terapia enzimatica sostitutiva nacque sulla malattia di Gaucher. Ogni volta il raro ha pagato il conto dell'apprendimento, protocolli di produzione, criteri di sicurezza, percorso regolatorio, e il comune è arrivato dopo, su una strada già asfaltata.

3 Il terzo meccanismo è concettuale: **il raro come versione pura del comune.** Molte patologie diffuse hanno una controparte monogenica a esordio precoce, che è la stessa biologia senza rumore di fondo. Le forme familiari autosomiche dominanti di Alzheimer, che riguardano una frazione minima dei malati, hanno fornito l'impalcatura sulla quale è stata costruita l'ipotesi amiloide e le coorti che hanno reso possibili i trial sui farmaci destinati alla forma sporadica. Nel Parkinson, le mutazioni di GBA, lo stesso gene della malattia di Gaucher, sono oggi bersaglio di programmi rivolti alla malattia comune. In oncologia il capovolgimento è totale: i primi studi organizzati per mutazione, anziché per organo, hanno riguardato alterazioni rarissime distribuite su tumori diversi.

4 Il quarto è metodologico. **Non si può fare uno studio randomizzato classico su 40 pazienti al mondo** e da questo vincolo sono nati disegni adattativi, studi a paniere, uso della storia naturale come comparatore, endpoint surrogati, coinvolgimento strutturato dei pazienti nel disegno degli studi. Strumenti oggi migrati verso patologie comuni, insieme alla cultura dei registri e delle biobanche e alle infrastrutture nazionali di sequenziamento, partite quasi ovunque dalle malattie rare.



LE GRIGLIE INTERPRETATIVE CHE STABILISCONO SE UNA VARIANTE GENETICA È PATOGENA O BENIGNA SONO STATE COSTRUITE DALLA COMUNITÀ DELLE MALATTIE RARE

Il quinto è silenzioso, ma quotidiano: le griglie interpretative che stabiliscono se una variante genetica è patogena o benigna sono state costruite dalla comunità delle malattie rare. Chiunque riceva oggi un referto genetico legge un documento scritto con quella grammatica.

Dove l'argomento si rompe

Fin qui la parte solida. Ma il modo in cui questa evidenza viene usata nel dibattito pubblico contiene una fragilità che conviene riconoscere per primi.L'affermazione può significare tre cose. Che esistano casi documentati di ricaduta: vero e banale. Che accada abbastanza spesso da essere un tratto strutturale del campo è probabilmente vero, ma mai misurato.

Il primo problema è che **si contano solo i vincitori.** Raccontiamo PCSK9 perché ha funzionato; non raccontiamo le migliaia di geni-malattia identificati in 30 anni che non hanno prodotto alcun bersaglio. La ricaduta si riconosce a posteriori: nessuno, studiando famiglie francesi con ipercolesterolemia inspiegata, sapeva di stare aprendo un capitolo della prevenzione cardiovascolare. C'è però un modo onesto di dirlo, e regge meglio della versione trionfalistica: proprio perché non si può prevedere quale filone sarà generativo, l'unica strategia razionale è tenerne aperti molti. È un argomento da portafoglio, non da vetrina. Vale anche la pena notare anche una lacuna che nessuno colma: non risulta esista una misura sistematica del tasso con cui le scoperte originate da ricerca su condizioni rare entrano nei percorsi terapeutici di patologie comuni, confrontata con il tasso di traslazione della biomedicina in generale. Un argomento ripetuto da 40 anni non è mai stato quantificato.

Il secondo problema è che **tre cose diverse portano lo stesso nome.** La malattia rara è una categoria epidemiologica: in Europa, meno di cinque casi su 10 mila. Il farmaco orfano è una categoria giuridica: uno status amministrativo richiesto e ottenuto, che porta esclusiva di mercato e agevolazioni. Il sistema assistenziale (presìdi, registri, percorsi, screening, esenzioni) è una terza cosa ancora. E le ricadute che alimentano la tesi appartengono in larga parte a un quarto ambito: la genetica umana condotta su famiglie rare, fatta in sede accademica, spesso decenni prima che esistesse un farmaco. Usare i successi del quarto per giustificare la spesa sul terzo o difendere gli incentivi del secondo è un salto logico. Chi lavora in una direzione sanitaria regionale sa che il denaro dei presìdi non è il denaro che ha prodotto le statine.

Il dato che la Commissione ha messo per iscritto

Nell'agosto 2020 la Commissione europea ha pubblicato la valutazione congiunta del Regolamento 141/2000 sui medicinali orfani e del Regolamento 1901/2006 sui medicinali pediatrici. La conclusione generale è positiva: i due regolamenti hanno favorito lo sviluppo e la disponibilità di medicinali per pazienti rari e pediatrici. Il seguito è severo. Entrambi, scrive la Commissione, non sono riusciti a sostenere adeguatamente lo sviluppo nelle aree di maggiore bisogno, perché i prodotti tendono a essere sviluppati nelle aree terapeutiche più profittevoli, dove i trattamenti disponibili sono già in aumento.

I numeri associati a quella valutazione: il 95% delle malattie rare non dispone di alcun trattamento autorizzato; solo il 28% dei medicinali orfani è destinato a malattie prive di qualsiasi terapia; il 70% delle malattie rare colpisce esclusivamente i bambini, ma solo il 12% dei trattamenti con designazione orfana riguarda patologie pediatriche; e fra il 2000 e il 2019 due terzi dei trattamenti designati si sono concentrati in tre sole aree — sangue e organi emopoietici, antineoplastici e immunomodulatori, dermatologia.

Il primo dato e l'ultimo, letti insieme, ridimensionano la tesi in modo preciso. Se anche le malattie rare sono un motore di conoscenza, **il motore gira su una frazione minuscola e autoselezionata del territorio**, scelta con criteri commerciali. Le altre, la stragrande maggioranza, non generano nulla, non perché non potrebbero, ma perché nessuno le studia.

Per correttezza va riportata anche la precisazione della Commissione: la valutazione non fornisce elementi che mettano in dubbio il concetto stesso di esclusiva di mercato, e per circa tre quarti dei medicinali orfani l'esclusiva ha aumentato la redditività senza sovracompensare lo sponsor. La critica non è all'istituto, è alla sua uniformità.

Lo stesso tubo, nei due sensi

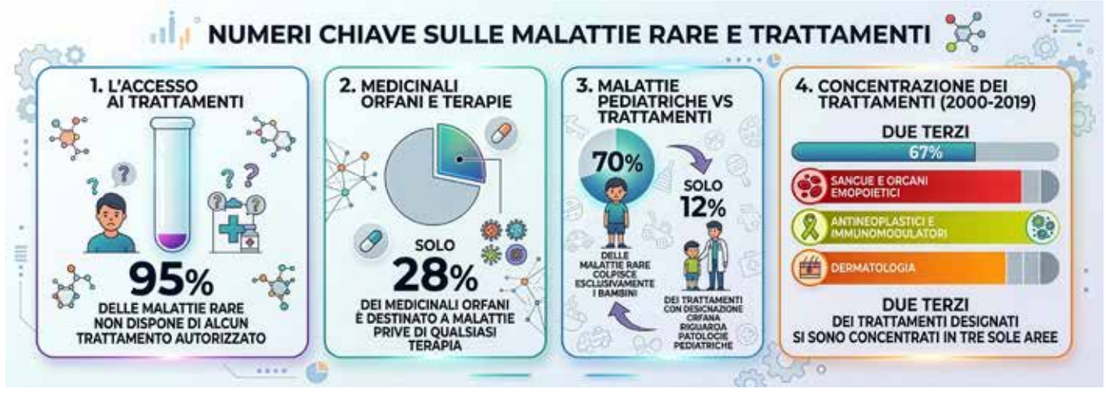
C'è poi un punto che raramente viene detto. L'argomento generativo descrive un percorso: si studia il raro, si scopre un meccanismo, il meccanismo serve sul comune. Ma quello stesso percorso, visto da chi paga, ha un altro nome. Un'impresa ottiene la designazione orfana per un'indicazione rara, incassa esclusiva, tariffe ridotte, supporto regolatorio e un percorso di sviluppo più breve su popolazioni piccole. Poi estende l'indicazione verso patologie più ampie, arrivandoci con un prodotto già autorizzato e già prezzato ai livelli del raro. Non è una lettura di parte. Già nel 2019 la piattaforma europea delle istituzioni di sicurezza sociale chiedeva di impedire estensioni successive dell'esclusiva ottenute suddividendo le condizioni in sottogruppi, o ottenendo prima una designazione orfana e poi estendendo l'autorizzazione a malattie più comuni. E la Commissione, nel 2020, ha nominato esplicitamente l'*indication stacking* — l'autorizzazione dello stesso medicinale per indicazioni orfane successive, ciascuna con il proprio periodo di esclusiva, segnalando anche gli aumenti di prezzo di medicinali orfani già disponibili come preparazioni galeniche. **La porosità fra raro e comune non è solo il canale attraverso cui la conoscenza scende. È anche quello attraverso cui l'incentivo sale.** È lo stesso tubo.

Nello stesso documento la Commissione si è chiesta se la soglia di cinque casi su 10 mila sia ancora lo strumento giusto per identificare una malattia rara, alla luce della medicina personalizzata e dei biomarcatori. È la domanda più profonda dell'intero dossier: se una patologia comune viene stratificata in venti sottogruppi molecolari, ciascuno entro la soglia, la rarità si dissolve come categoria epidemiologica e sopravvive come strumento di posizionamento regolatorio. L'oncologia molecolare lo sta già facendo. Il paradosso finale è che il successo della migrazione dal raro al comune erode la definizione stessa di raro.

Perché conviene non esagerare

Resta l'obiezione decisiva, ed è etica. Se si giustifica l'investimento sulle malattie rare con le ricadute sulle comuni, si accetta implicitamente che le malattie rare senza promessa di ricaduta valgano meno. Nel 95% dei casi privi di trattamento, quella promessa non c'è. Una sindrome ultra-rara con 40 pazienti al mondo, il cui meccanismo non illumina nulla di più ampio, non ha alcun argomento generativo da spendere: ed è esattamente il paziente che la legislazione sulle malattie rare ha lo scopo di proteggere. L'argomento, insomma, si rivolta contro chi lo usa nel momento in cui un decisore lo prende sul serio e comincia a chiedere evidenza di ricaduta prima di finanziare.

La formulazione che regge è più modesta: le ricadute esistono, sono documentate e sono un argomento aggiuntivo. Non il principale. Il principale resta che sono pazienti e che un sistema sanitario universalistico non subordina l'assistenza alla redditività scientifica dei suoi assistiti. ■



I CONTI CHE L'ITALIA NON SA FARE

Due miliardi di euro l'anno di farmaci per circa 84 mila pazienti trattati. Per gli altri (la stima corrente parla di 2 milioni di persone) non esiste alcun aggregato di spesa. La Francia finanzia la propria rete con 223,5 milioni identificabili all'anno; l'Italia non sa quanto le costi l'intera assistenza. Ricostruzione voce per voce di un bilancio che nessun documento pubblico contiene

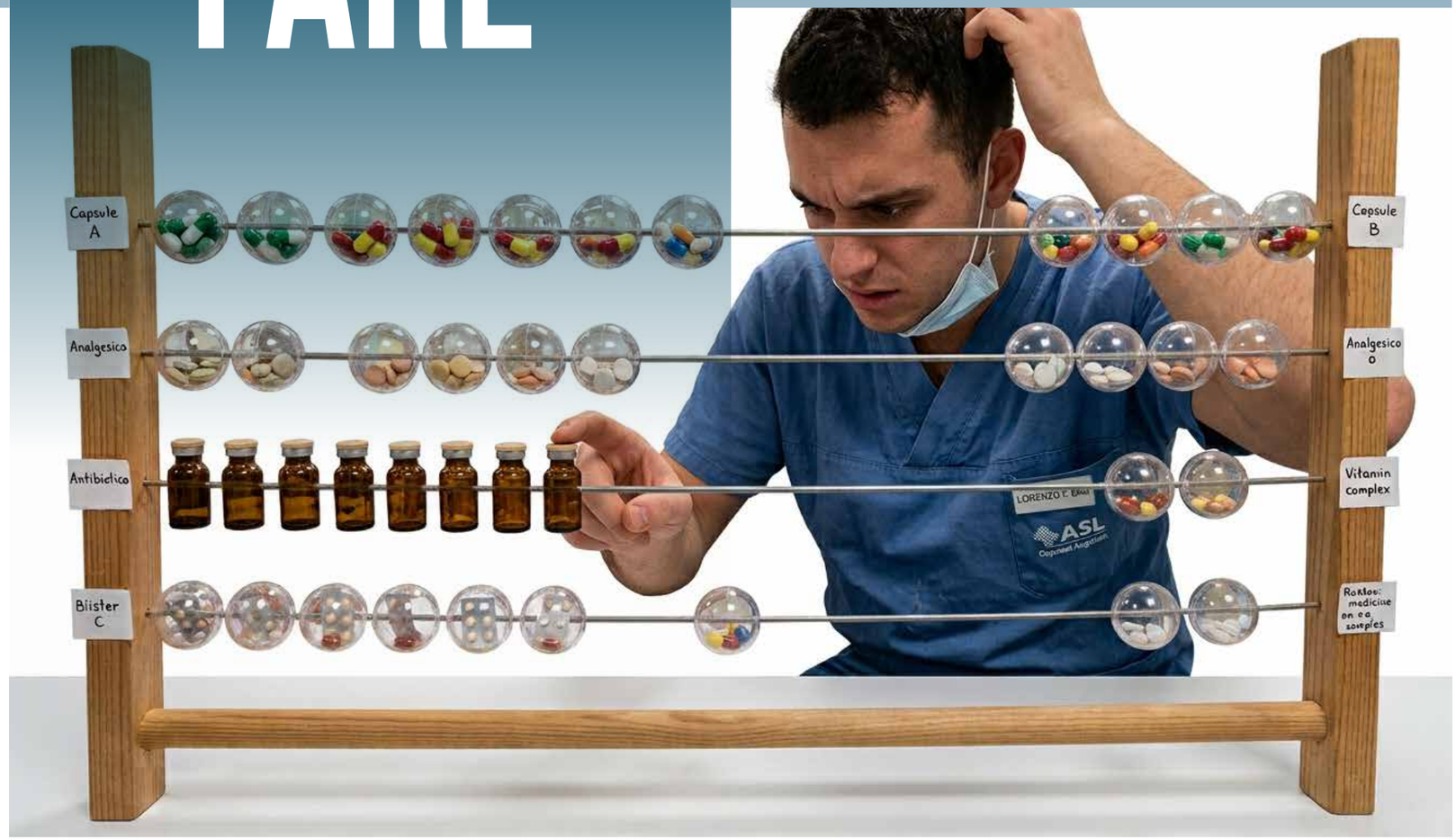
Quando si discute dell'impatto economico delle malattie rare, la conversazione pubblica si assesta quasi sempre su un solo numero: quanto costano i farmaci orfani. È il dato più visibile, il meglio documentato e il più facile da contestare o da difendere. È anche, con ogni probabilità, la parte minore del problema. La ragione è semplice e ha poco a che vedere con la medicina: **in Italia non esiste un conto consolidato della spesa per le malattie rare.** Esiste una stima della spesa farmaceutica. Tutto il resto, la rete dei presidi, le esenzioni dal ticket, l'invalidità civile, l'assistenza informale, è disperso dentro capitoli di bilancio generalisti che non consentono di isolare la quota riferibile a queste patologie. Non è un'omissione contabile marginale: significa che il decisore pubblico programma su una frazione dell'informazione.

Quella che segue è la ricostruzione, voce per voce, di quel conto. Va detto subito che l'aggregato non esiste in alcun documento ufficiale: è una costruzione ottenuta mettendo in relazione fonti progettate per scopi diversi e che non si parlano. Per ciascuna riga è indicato lo status del dato. La distinzione tra le righe conta più dei numeri.

Il denominatore incerto

Il primo problema è sapere di quante persone stiamo parlando. Circolano tre cifre reciprocamente incompatibili. La prima è **2 milioni** di persone con malattia rara in Italia. È una proiezione derivata dalla soglia europea di prevalenza (cinque casi ogni 10 mila abitanti) applicata alla popolazione nazionale, non un censimento. La seconda viene dal Registro nazionale malattie rare, istituito presso l'Istituto superiore di sanità in attuazione dell'articolo 3 del DM 279/2001: **35.580 segnalazioni di nuove diagnosi nel 2022**, dato che l'Iss stesso dichiara ancora in fase di consolidamento.

La terza è la più concreta: un modello previsionale pubblicato su *Health economics review* nel novembre 2025 stima in **83.921** i pazienti effettivamente trattati con i farmaci per malattie rare considerati nell'analisi. Il rapporto fra la prima e la terza cifra è il dato più eloquente dell'intera vicenda. La spesa farmaceutica per malattie rare, che assorbe l'intero dibattito, riguarda **circa il 4%** della popolazione che si presume affetta. Il 96% restante non è a costo zero: è a costo non contabilizzato.



La voce misurata: i farmaci

Sui farmaci i numeri sono relativamente solidi. Lo stesso modello stima una spesa 2024 per farmaci per malattie rare di **2,08 miliardi di euro**, con un costo medio di 24.777 euro per paziente trattato; restringendo ai soli medicinali a designazione orfana, 1,93 miliardi e 22.984 euro per paziente. La proiezione indica incrementi dell'1,9% nel 2025, del 4,0% nel 2026 e del 7,1% nel 2027 rispetto al 2024.

Sul consuntivo: la spesa farmaceutica del Servizio sanitario nazionale nel 2022 è stata di 23,5 miliardi, dei quali **1,98 miliardi per farmaci orfani**, in crescita del 29,0% sul 2021. La concentrazione è marcata: malattie genetiche, linfomi, mielomi e altre condizioni onco-ematologiche superano il 50% della spesa totale per orfani; oncologia e neurologia pesano rispettivamente per il 39,6% e il 20,9%.

I fondi dedicati e il loro ordine di grandezza

Accanto alla spesa corrente esistono strumenti finanziari esplicitamente dedicati. Sono piccoli e alcuni sono strutturalmente sottodimensionati rispetto alla domanda che devono soddisfare.

Il **Fondo Aifa 5%**, istituito dall'articolo 48 del DL 269/2003 convertito nella legge 326/2003, è alimentato dal contributo che le aziende farmaceutiche versano sul 5% delle spese promozionali; metà delle risorse è destinata ai farmaci orfani e ai medicinali che rappresentano una speranza di cura in attesa di commercializzazione. La sua fragilità è documentata dall'Agenzia stessa: dai poco più di 20 milioni di euro del 2010 si è scesi a circa **10,5 nel 2020**, con un paral-

lelo aumento delle richieste che ha portato alla sospensione temporanea dell'accesso nel novembre 2021. Il dato che rende visibile lo squilibrio è un altro: i rimborsi autorizzati hanno superato i **50 milioni,** sia nel 2019 sia nel 2020, rispettivamente 54.468 e 55.747. Un fondo che eroga cinque volte quanto incassa non è un fondo: è un debito differito.

La **legge 175/2021**, il cosiddetto Testo unico sulle malattie rare, ha istituito presso il Ministero del lavoro un Fondo di solidarietà con dotazione di **1 milione di euro annui** dal 2022, e un credito d'imposta al 65% delle spese di ricerca, fino a 200 mila euro per beneficiario entro un tetto complessivo di **10 milioni annui**.

Lo **Screening neonatale esteso**, disciplinato dalla legge 167/2016, ha una copertura stabilita per legge in **25,715 milioni di euro annui**, dei quali 15,715 a valere sui Lea e 10 su altri fondi. È l'unico strumento italiano che regge il confronto internazionale: al gennaio 2024 l'Italia copriva, almeno parzialmente, il numero più alto di condizioni fra i nove paesi europei esaminati in uno studio comparativo. Per l'attuazione del **Piano nazionale malattie rare 2023-2026** è indicato uno stanziamento di 25 milioni annui sul Fondo sanitario nazionale per il 2023 e il 2024, da ripartire fra le regioni con successiva intesa. Su questa cifra va posta una riserva esplicita: al momento è reperibile in fonti secondarie e deve essere verificata sul testo dell'Accordo stato-regioni del 24 maggio 2023, insieme all'effettivo perfezionamento del riparto.

Le quattro voci mancanti

La rete. È il vuoto più ampio. In Italia non esiste una linea di finanziamento identificabile per i presidi della Rete nazionale malattie rare: i costi restano dentro i budget ospedalieri ordinari. Il confronto rende la cosa evidente. La Francia finanzia 603 centri di riferimento e oltre 1.700 centri di competenza con **223,5 milioni di euro l'anno esplicitamente allocati** attraverso il quarto Piano nazionale malattie rare, presentato il 25 febbraio 2025, dei quali 36 milioni di crediti nuovi destinati ai 132 centri etichettati a partire dal 2024. L'Italia ha una rete di densità comparabile (11 centri delle European reference networks per 10 milioni di abitanti, contro tre di Spagna e Romania) e non sa quanto le costi.



Le esenzioni. Il Dm 279/2001, aggiornato dal Dpcm 12 gennaio 2017, riconosce il diritto all'esenzione dalla compartecipazione per l'elenco delle malattie rare. Il valore economico di quel diritto, il ticket cui il Ssn rinuncia, non è calcolato da nessuno. È mancato gettito, non spesa, e per questo motivo sfugge a ogni aggregato.

L'invalidità. Qui c'è una massa potenzialmente rilevante che nessuno collega alle malattie rare. Nel 2025 risultavano vigenti **2.435.704 indennità di accompagnamento e 1.067.436 prestazioni di invalidità civile**. L'indennità vale, secondo la scheda ufficiale Inps aggiornata al 20 luglio 2026, **551,53 euro mensili per 12 mensilità nel 2026**, pari a 6.618,36 euro all'anno.

Un esercizio aritmetico, da leggere per quello che è: se anche solo l'1% delle indennità di accompagnamento vigenti fosse riconducibile a una malattia rara, si tratterebbe di circa **161 milioni di euro l'anno**; al 3%, di circa **484 milioni**. Queste due cifre non sono stime, ma ipotesi di ordine di grandezza, perché i flussi INPS pubblicati non riportano la patologia di origine. La quota reale è ignota. Ed è precisamente questo il punto: una voce potenzialmente da centinaia di milioni non è né misurata né, allo stato, misurabile.

L'assistenza informale. Nessuna rilevazione nazionale italiana. Le uniche stime disponibili sono internazionali, con i limiti indicati più avanti.

Tre modi diversi di contare

Il confronto europeo è utile, ma non in euro contro euro: i tre grandi paesi mediterranei non contabilizzano le stesse cose. Quello che si può comparare è la struttura del finanziamento.

La **Francia** è l'unica a potere dichiarare quanto spende *in quanto tale* per le malattie rare, perché ha costruito una linea di bilancio identificabile attraverso quattro piani nazionali successivi dal 2004, articolati oggi su 23 filiere di salute.

La **Spagna** procede per progetti, senza un piano finanziato in senso proprio: la strategia nazionale risale al 2009 ed è stata aggiornata nel 2014, e gli stanziamenti sono annunciati per singole iniziative: nel febbraio 2024 il governo ha comunicato 34 milioni per screening, ortoprotesi e umanizzazione degli spazi, 50 milioni per il catalogo di genomica e 46 milioni per il progetto Unicas. Sull'accesso ai farmaci il ritardo è documentato: a fine 2025 il Sistema nacional de salud finanziava 103 medicinali orfani, il 66% dei 156 autorizzati nell'Unione europea, otto punti in più rispetto all'anno precedente.

L'**Italia** sta a metà: ha la rete della Francia e la contabilità della Spagna. E ha un problema di tempi. La legge prevede che la procedura nazionale



Il conto

Malattie Rare: Quadro Finanziario & Risorse

Analisi della spesa per farmaci, fondi pubblici e risorse allocate in Italia

FARMACI MALATTIE RARE	DESIGNAZIONE ORFANA	CONSUNTIVO ORFANI
~2,08 Mld €	~1,93 Mld €	1,98 Mld €
Stima 2024 (Sponsor Ind.)	Stima 2024 (Sponsor Ind.)	Consuntivo Ufficiale 2022

Spesa Farmaceutica per Malattie Rare (Confronto Volumi)

Visualizzazione della spesa stimata e consuntivata (in miliardi e milioni di euro)

Farmaci malattie rare (Stima 2024)	2.080 Mln €
di cui a designazione orfana (Stima 2024)	1.930 Mln €
Consuntivo farmaci orfani (2022)	1.980 Mln €
Screening neonatale esteso (L. 167/2016)	25,7 Mln €

Fondo AIFA 5%: Entrate e Rimborsi

Voce di Bilancio AIFA	Importo	Anno	Status del dato
Fondo AIFA 5% — Entrate	~10,5 Mln €	2020	Ufficiale AIFA
Fondo AIFA 5% — Rimborsi Autorizzati	54,5 Mln €	2019	Ufficiale AIFA
Fondo AIFA 5% — Rimborsi Autorizzati	55,7 Mln €	2020	Ufficiale AIFA

di prezzo e rimborso per i farmaci orfani si concluda in 100 giorni; nella realtà, secondo un'analisi Cra per Efpia del 2023, ne servono in media 477. L'indicatore W.A.I.T. dell'Efpia aggiornato al 5 gennaio 2026 registra una media dell'Unione di 595 giorni per gli orfani non oncologici e un tasso medio di disponibilità del 43%.

Il calcolo da non fare

Esiste una scorciatoia aritmetica molto tentante e completamente sbagliata. Lo studio comparativo Cra-Alexion dell'ottobre 2024 stima un costo medio di 121.900 euro per persona per anno, di cui il 65% diretti sanitari, il 19% diretti non sanitari e il 16% indiretti. Moltiplicato per 2 milioni di italiani, darebbe circa 244 miliardi: più del doppio dell'intero Fondo sanitario nazionale.

Non regge, per tre ragioni che gli autori stessi dichiarano. Il campione è di 545 pazienti su nove Paesi, selezionati su 43 patologie di cui il 71% dispone di un trattamento mirato approvato: è quindi fortemente sbilanciato verso le malattie rare *trattabili*, che sono una minoranza. Usa prezzi di listino, mentre gli sconti reali in Europa arrivano al 58% con mediana del 27. E la somministrazione via questionario online introduce un bias verso i pazienti meno gravi. Il costo per paziente è alto proprio perché il campione contiene chi riceve terapie costose.

La formulazione corretta è l'inverso, ed è più forte: **l'Italia spende circa 2miliardi l'anno per curare farmacologicamente 84 mila persone, e non sa quanto spenda, né quanto le costi non spendere, per tutte le altre.** ■



Nota metodologica

I dati sulla spesa farmaceutica italiana provengono da un modello previsionale sviluppato nell'ambito del progetto Explorare, finanziato con grant incondizionato da Alexion AstraZeneca Rare Disease, Alnylam, Argenx, Chiesi, CSL Behring, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, MSD, Sanofi, Sobi e Takeda. Lo studio comparativo europeo sul costo per paziente è stato commissionato da Alexion, AstraZeneca Rare Disease. Sono i lavori metodologicamente più solidi oggi disponibili e per questo sono stati utilizzati, ma il conflitto di interesse va dichiarato: l'industria farmaceutica ha un interesse strutturale a documentare che il costo del non trattare è elevato. Due dati richiedono verifica prima di essere considerati definitivi. Lo stanziamento di 25 milioni annui per il PNMR 2023-2026 va riscontrato sul testo dell'Accordo Stato-Regioni. Sull'importo 2026 dell'indennità di accompagnamento le fonti divergono fra 551,53, 552,27 e 552,57 euro: qui è stato adottato il valore della scheda ufficiale INPS, che sembra recepire una correzione delle tabelle disposta con Messaggio n. 628 del 23 febbraio 2026. L'aggregato presentato nella tabella è una ricostruzione redazionale. Non corrisponde ad alcun documento ufficiale e non intende sostituirsi a una contabilità pubblica che, allo stato, non esiste.

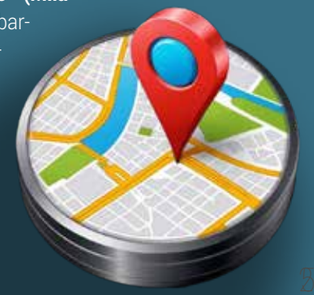
NON SOLO NEL PUBBLICO

LA MAPPA DEL PRIVATO: quindici centri e le loro specialità. Gruppi societari, fondazioni non profit, enti religiosi e ospedali della Santa Sede: chi sono le strutture private accreditate che curano i malati rari in Italia e su quali patologie lavorano. È un elenco ancora incompleto, in quanto veri e propri censimenti in questo settore non sono stati fatti.

Nella rete nazionale delle malattie rare il privato non è un mondo a parte: sono strutture accreditate, individuate dalle Regioni come presidi, che curano per conto del Servizio sanitario. Dentro la stessa etichetta convivono gruppi societari, fondazioni non profit, enti di matrice religiosa e due ospedali della Santa Sede. Ecco chi sono e di che cosa si occupano, secondo quanto dichiarano le strutture stesse e i registri regionali.

Il peso varia molto: in Lombardia si va dai 179 codici di esenzione del San Raffaele ai 10 del San Donato. La geografia è sbilanciata: sette strutture su quindici hanno sede in Lombardia, solo tre nel Mezzogiorno. E l'elenco non è un censimento: tutte, tranne i Centri NeMO, sono istituti di ricerca riconosciuti (IRCCS), ma ma un dato ufficiale sulla quota di centri privati nella rete nazionale.

- **Ospedale San Raffaele, Milano (Gruppo San Donato).** Terapia genica con l'istituto SR-Tiget, creato insieme a Telethon; da qui nasce Strimvelis, per l'immunodeficienza ADA-SCID, autorizzato in Europa nel 2016.
- **Bambino Gesù, Roma (Santa Sede).** Malattie rare pediatriche; ospita Orphanet Italia e dichiara l'adesione a 20 delle 24 reti europee ERN.
- **Policlinico Gemelli, Roma.** Sei reti ERN, dalle malattie renali alle neuromuscolari, e un Centro malattie rare.
- **Istituto Mario Negri, Ranica (Bergamo).** Con il Centro Daccò coordina dal 2001 la rete lombarda e ne gestisce il registro.
- **Centri NeMO (Fondazione Serena).** SLA, SMA e distrofie muscolari in sette sedi: Ancona, Brescia, Genova, Milano, Napoli, Roma, Trento.
- **Istituto Auxologico, Milano.** Malattie endocrine rare, sindrome di Prader-Willi, SLA, Huntington, atassie, cardiopatie rare.
- **Eugenio Medea, Bosisio Parini (Lecco).** Distrofie muscolari, malattie spinocerebellari e sindromi cromosomiche dell'età evolutiva.
- **Stella Maris, Calambrone (Pisa).** Malattie neuromuscolari e patologie rare di interesse neuropsichiatrico infantile.
- **Oasi Maria SS., Troina (Enna).** Malattie genetiche rare associate a disabilità intellettiva e invecchiamento cerebrale; centro di riferimento della Regione Siciliana.
- **Neuromed, Pozzilli (Isernia).** Huntington, atassie spinocerebellari, paraparesi spastiche, miopatie.
- **Fondazione Mondino, Pavia.** Malattie neurologiche rare del bambino e dell'adulto; presidio lombardo per 84 codici di esenzione.
- **IDI, Roma.** Malattie rare della pelle, con riferimento regionale per le ittiosi congenite; aderisce alla rete ERN-Skin.
- **Casa Sollievo della Sofferenza, San Giovanni Rotondo (Santa Sede).** Oltre 200 malattie rare: genetiche, ematologiche, neurologiche, malformative.
- **Policlinico San Donato (Milano).** Cardiopatie congenite e rare.
- **Humanitas, Rozzano (Milano).** Nel registro lombardo prevalgono acalasia, cheratocono, sclerosi sistemica e difetti ereditari della coagulazione.



COMUNICARE IN SANITÀ

LA COMPETENZA INVISIBILE CHE SALVA VITE

(E REPUTAZIONI)

Dal letto del paziente alla sala stampa, dai briefing di reparto alle conferenze in piena tempesta mediatica: viaggio nella più sottovalutata delle competenze cliniche e manageriali

C'è un dato che, ogni volta che lo si cita nei convegni, produce lo stesso effetto: un silenzio imbarazzato, seguito da una risata nervosa. Una quota significativa degli eventi avversi che accadono negli ospedali del mondo non ha all'origine un errore tecnico, ma un fallimento comunicativo. Una consegna di turno sbrigativa, un'informazione che non arriva al paziente, una prescrizione interpretata in modo ambiguo, un comunicato stampa scritto





col pilota automatico. Eppure, nella stragrande maggioranza dei percorsi formativi sanitari italiani, la comunicazione resta confinata in un angolo polveroso, etichettata con una formula che è quasi un'offesa: "soft skill". Come se servisse solo a fare bella figura, a smussare gli spigoli, a chiudere con un sorriso colloqui altrimenti tecnici.

La verità è esattamente l'opposto. La comunicazione in sanità è una ***hard skill*** travestita. Una competenza che incide sugli esiti clinici, sulla sicurezza, sulla fiducia dei cittadini, sulla reputazione delle aziende sanitarie e, sì, anche sui bilanci. Per coglierne la portata bisogna smontarla nei suoi cinque fronti operativi, perché su ciascuno si gioca una partita diversa con regole proprie.

Il paziente: dove la cura comincia (o si interrompe)

Il primo fronte è quello più visibile: la relazione con il paziente. Qui la comunicazione non accompagna la cura, ***è*** la cura. Una diagnosi spiegata male produce ansia e disinformazione; un consenso informato letto di corsa svuota di senso il principio stesso del consenso; una dimissione frettolosa, con un foglio di terapie che il paziente non capisce, è la premessa del ricovero successivo. La regola è semplice: il paziente che capisce è il paziente che aderisce, e il paziente che aderisce è quello che guarisce di più, costa meno e si fida del sistema.

Il modello di riferimento è la ***patient-centered communication***: ascolto attivo, linguaggio adattato al livello di ***health literacy*** dell'interlocutore, verifica della comprensione con tecniche collaudate come il ***teach-back***, che consiste nel chiedere al paziente di riformulare con parole sue ciò che ha appena ascoltato. Sono tecniche insegnabili, allenabili, misurabili. Eppure, nei corsi di laurea italiani in medicina, farmacia, infermieristica entrano col contagocce, lasciate alla sensibilità del singolo docente.

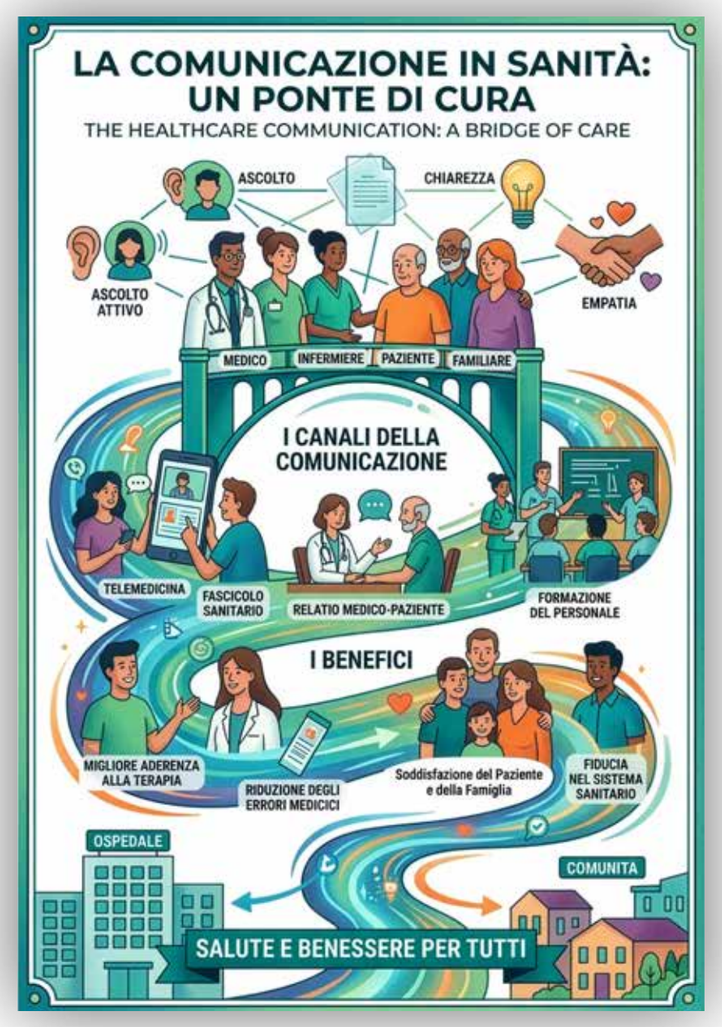
C'è poi il capitolo più delicato: la comunicazione delle cattive notizie. La diagnosi infausta, la complicanza inattesa, l'errore. Esistono protocolli strutturati, il più noto è SPIKES, nato in ambito oncologico, che riducono il trauma del paziente e, contemporaneamente, il rischio di contenziosi. È un punto controintuitivo che vale la pena ribadire: la trasparenza nella comunicazione di un errore clinico, quella che gli anglosassoni chiamano ***open disclosure***, è associata in molti studi a una ***riduzione*** del contenzioso medico-legale. Ammettere, spiegare, scusarsi sono tre verbi che costano meno di un anno di causa civile.

Tra operatori: il sistema nervoso dell'ospedale

Se la comunicazione con il paziente è il volto pubblico della sanità, quella tra operatori è il suo sistema nervoso. La medicina contemporanea è multidisciplinare per definizione: oncologia, terapia intensiva, trapianti, malattie rare, cronicità complessa. Aree che funzionano se, e solo se, competenze diverse riescono a parlarsi in modo strutturato, rapido, affidabile.

Qui la comunicazione diventa metodo, quasi protocollo clinico. Briefing di inizio turno, debriefing dopo eventi critici, checklist come la ***Who surgical safety checklist***, tecniche di handover strutturato come Sbar (Situation, background, assessment, recommendation): non sono burocrazia, sono dispositivi di sicurezza. La letteratura indica nei passaggi di consegne mal gestiti una delle principali fonti di eventi avversi nei reparti.

C'è poi una dimensione più sottile,



un'informazione che spesso semplifica, drammatizza, cerca il caso eclatante più che la spiegazione di sistema. Il risultato è un dialogo squilibrato in cui la sanità reagisce, raramente agisce.

Le organizzazioni sanitarie più evolute hanno capito una cosa banale, ma decisiva: il rapporto con i media va costruito ***prima*** della crisi, non durante. Significa avere uffici stampa professionali, portavoce formati, relazioni stabili con i giornalisti della salute, una presenza ordinata e proattiva sui canali digitali. Significa raccontare la sanità anche quando va bene: il trapianto riuscito, la ricerca pubblicata, il progetto territoriale che funziona. La reputazione si costruisce nel tempo lungo della narrazione ordinaria; si spende, eventualmente, nel tempo breve della crisi.

C'è poi il capitolo cruciale della comunicazione di sanità pubblica. La pandemia Covid-19 ha mostrato in modo brutale quanto sia delicato il confine tra informare, allarmare e disorientare. La cacofonia di voci esperte in disaccordo, l'uso disinvolto dei social da parte di singoli professionisti, l'assenza di un coordinamento istituzionale chiaro hanno alimentato sfiducia, esitazione vaccinale, polarizzazione. Una lezione dovremmo averla imparata: esiste un dovere comunicativo della sanità pubblica, fatto di voce chiara, riconoscimento esplicito delle incertezze, distinzione netta tra ciò che si sa e ciò che si ipotizza.

Emergenze: comunicare sotto attacco

E poi c'è il momento in cui tutto si concentra in poche ore: la crisi. Un decesso sospetto, un'inchiesta giudiziaria, un caso di malasanità mediatizzato, un'epidemia ospedaliera, un attacco informatico ai sistemi clinici. La sanità italiana ha collezionato negli ultimi anni una casistica ricca di "tempeste mediatiche", gestite in modi diversissimi: alcune con maestria professionale, molte con improvvisazione disarmante. Il ***crisis communication management*** è una disciplina codificata. I principi sono noti: rispondere rapidamente, perché il vuoto comunicativo viene riempito da altri quasi sempre in modo sfavorevole; parlare con una sola voce istituzionale; dire la verità tutelando la riservatezza dei pazienti; distinguere i fatti accertati dalle ipotesi; mostrare empatia visibile verso chi è coinvolto; evitare la difensiva burocratica.

> LE ORGANIZZAZIONI SANITARIE PIÙ EVOLUTE HANNO CAPITO UNA COSA BANALE, MA DECISIVA: IL RAPPORTO CON I MEDIA VA COSTRUITO PRIMA DELLA CRISI, NON DURANTE

L'errore più frequente è il comunicato che parla di "atti dovuti" e "piena fiducia nella magistratura" senza mai pronunciare il nome del paziente o della famiglia coinvolta. Un linguaggio freddo, autoreferenziale, percepito come disumano. La comunicazione di crisi moderna richiede l'opposto: empatia esibita, assunzione di responsabilità anche solo morale, apertura alla verifica esterna. Paradosso che spiazza i giuristi più conservatori: le organizzazioni che si scusano per prime e si raccontano per prime escono meno ferite.

C'è infine un aspetto interno spesso trascurato: durante una crisi mediatica, quella della comunicazione interprofessionale orizzontale. La gerarchia tradizionale dell'ospedale, con il medico in cima, l'infermiere sotto, il farmacista clinico spesso percepito come ospite tollerato, il fisioterapista in fondo, l'OSS quasi invisibile, è un retaggio culturale che ostacola la sicurezza delle cure. Le organizzazioni più mature stanno introducendo modelli di ***speak-up culture***: la possibilità, per chiunque, di segnalare un dubbio o un errore senza timore di ritorsioni. È un cambio di paradigma che richiede leadership consapevole, formazione costante, meccanismi di tutela. Quando funziona, gli effetti si misurano: meno eventi avversi, meno ***burnout***, meno turnover. La multidisciplinarietà non si decreta dall'alto: si costruisce dal basso con linguaggi condivisi.

Il rapporto con i media: dalla diffidenza al dialogo

Il rapporto tra sanità e media è storicamente un terreno minato. Da una parte un sistema sanitario abituato all'autoreferenzialità e alla riservatezza, che guarda al cronista come a una potenziale fonte di guai. Dall'altra



ca, il primo pubblico da curare è quello interno. Operatori demoralizzati, silenziati, informati dai giornali prima che dalla propria direzione, diventano amplificatori involontari della crisi. La comunicazione interna in emergenza, newsletter dedicate, riunioni straordinarie, canali di ascolto, è parte integrante della risposta strategica, non un'appendice opzionale.



Management: rendere visibile il valore

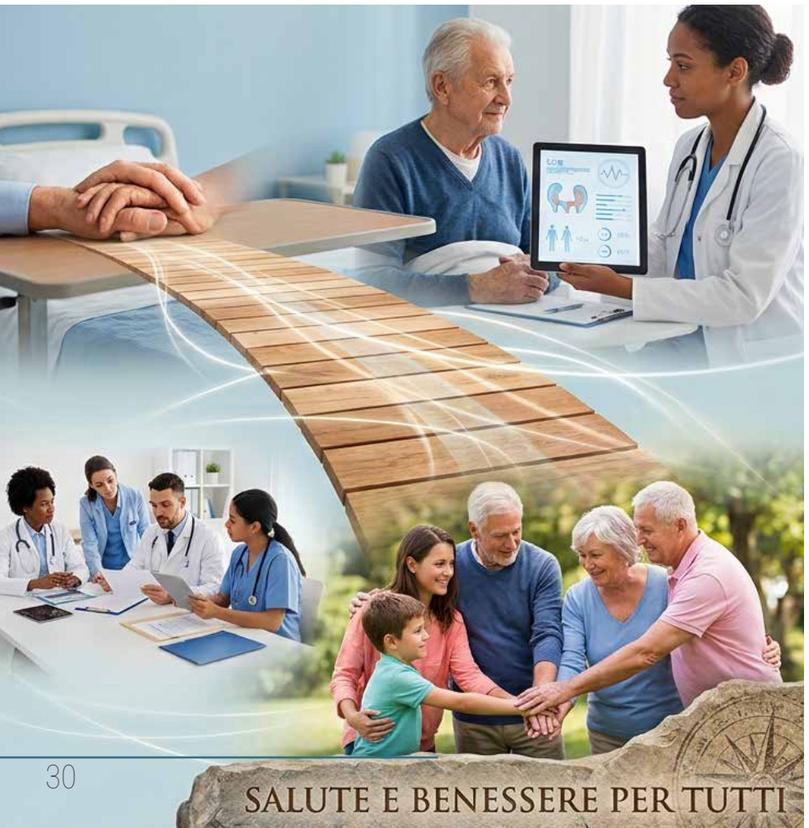
Arriviamo al quinto fronte, forse il meno discusso: la comunicazione come leva del management sanitario. Direttori generali, sanitari e amministrativi, responsabili di dipartimento, di farmacia ospedaliera, di servizio infermieristico vivono spesso con la sensazione frustrante di una scarsa visibilità del proprio lavoro. Il valore prodotto, un'azienda riorganizzata, un percorso di cura ridisegnato, una spesa farmaceutica governata, un dipartimento interaziendale costruito con grandi difficoltà, faticano a emergere all'esterno e talvolta anche all'interno. Qui la comunicazione è strumento strategico di legittimazione. Sapere raccontare i risultati con linguaggi diversi a pubblici diversi (la giunta regionale, il sindacato, i cittadini, gli operatori, gli stakeholder specializzati) è una competenza manageriale a pieno titolo. Le grandi organizzazioni sanitarie internazionali lo hanno capito: pubblicano report annuali leggibili, costruiscono dashboard pubbliche, presidiano in modo ordinato i convegni e il dibattito.

Per il management italiano tutto ciò significa investire in tre direzioni concrete. La prima è la formazione: comunicazione manageriale, leadership comunicativa, ***public speaking***, ***media training*** dovrebbero entrare stabilmente nei percorsi dirigenziali. La seconda è la struttura: uffici comunicazione professionali integrati nel cuore strategico dell'azienda, non confinati ai margini come segreterie di lusso. La terza è culturale: convincersi, ai vertici, che la trasparenza non è un rischio, ma una risorsa, e che il diritto del cittadino a capire è il dovere dell'organizzazione a spiegarsi.

La competenza che cambia tutto

Mettendo insieme i cinque fronti, paziente, operatori, media, emergenze, management, la comunicazione si rivela quel che è davvero: non una funzione separata, ma una competenza trasversale che attraversa ogni livello dell'organizzazione sanitaria. È un investimento che richiede tempo, formazione, struttura, leadership. Ma è anche, probabilmente, quello a più alto ritorno che la sanità italiana possa fare nei prossimi anni, in termini di sicurezza delle cure, soddisfazione degli operatori, fiducia dei cittadini, tenuta complessiva del sistema.

La medicina del XXI secolo sarà sempre più tecnologica, personalizzata, basata sui dati. Ma resterà, in fondo, una relazione tra persone. E le relazioni, ovunque, vivono o muoiono di comunicazione. ■



ROMA 16 - 18 SETTEMBRE 2026
Pontificio Istituto Patristico Augustinianum

IV CORSO
TEORICO-PRATICO
LA FARMACIA CLINICA

redazionale

L'assistenza farmaceutica, tra etica e innovazione, da Assisi a Roma nel cammino di San Francesco

La sala dell'Istituto agostiniano in Vaticano è la cornice migliore per dar luce ai lavori della terza edizione del corso teorico-pratico di farmacia clinica. Approfondimenti tecnici e richiami ai valori umanistici che caratterizzano le professioni sanitarie si alternano con un ritmo serrato che ha visto protagonisti istituzioni nazionali, regionali e locali.

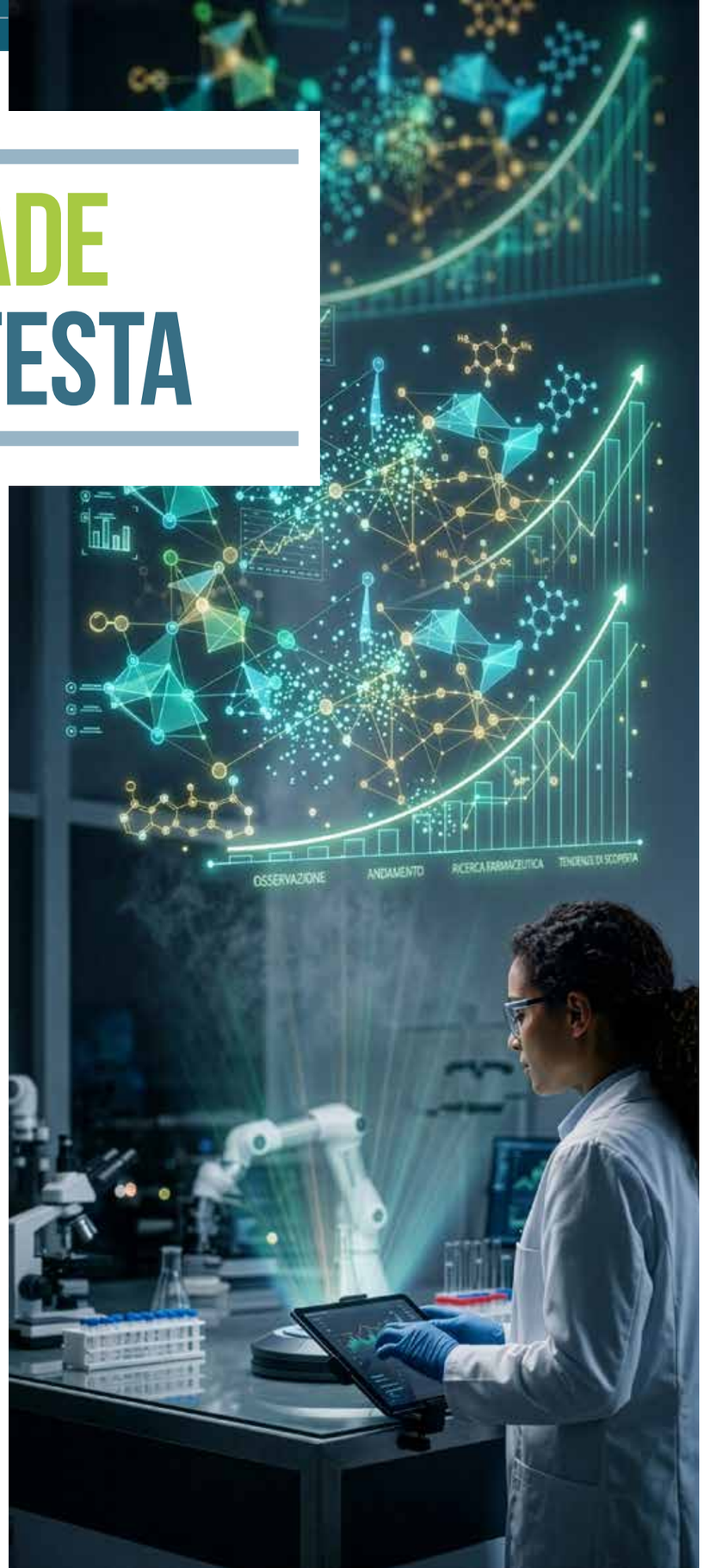
Tra le diverse tavole rotonde particolare interesse ha destato la riflessione sullo stato attuale dell'impiego di strumenti di IA nei percorsi di cura e sulle sue prospettive. Precedute da un richiamo di Monsignor Fabio Baggio alla necessità di accogliere i benefici del progresso tecnologico mantenendo intatte le responsabilità delle decisioni e della presa in carico dei malati nelle mani degli operatori sanitari.

Molte ormai le applicazioni standard dalla diagnostica alla didattica agli algoritmi di cura e di gestione delle politerapie su cui l'IA opera nell'ottimizzazione dei processi. Una evoluzione costante che andrà anche a modificare i percorsi professionali di molti protagonisti della sanità tra cui certamente i farmacisti del Ssn.



DUE SPADE SULLA TESTA

Oltre 230 miliardi di dollari di fatturato perderanno la copertura brevettuale entro il 2030, e dal 29 settembre un dazio del 100% colpisce i farmaci brevettati importati negli Stati Uniti. L'unica uscita è le molecole nuove, anche se una quota crescente non nasce più nei laboratori occidentali. Ma due risultati opposti in 16 giorni ricordano che nessun bilancio sa in anticipo quale programma funzionerà



Il 19 agosto Merck e Moderna hanno annunciato che un vaccino a mRNA costruito sul tumore del singolo paziente riduce del 49% il rischio che un melanoma si ripresenti. Il 4 settembre Novartis ha comunicato che Pelacarsen abbassa del 72% il bersaglio biologico che doveva colpire senza evitare un solo infarto rispetto al placebo. A 16 giorni di distanza, le due notizie mostrano lo stesso mestiere ai suoi estremi. E spiegano perché, in mezzo, una macchina di capitali si muova con tanta fretta.

Quando la scommessa riesce

Per quanto riguarda Merck e Moderna l'idea è vecchia quanto l'immunoterapia: si sequenzia il tumore asportato al paziente, si individuano le mutazioni che lo rendono riconoscibile al sistema immunitario e su quelle si costruisce un vaccino valido per lui soltanto. Finora era rimasta una promessa da convegno.Nello studio INTerpath-001, su pazienti operati per un melanoma in stadio avanzato, il vaccino aggiunto a Pembrolizumab ha ridotto del 49% il rischio di recidiva o morte e del 59% quello di metastasi a distanza. È il primo studio randomizzato di fase 3 in cui una terapia di questo tipo supera la prova.

La prudenza d'obbligo: è un'analisi intermedia, su un solo tumore, e fabbricare un medicinale diverso per ogni malato in tempi utili resta un problema aperto. Ma segna una soglia: non dimostra che i vaccini personalizzati funzionano, dimostra che possono funzionare, cosa che fino ad agosto nessuno aveva potuto scrivere.

Quando non riesce

Pelacarsen istruisce nel modo opposto. La lipoproteina(a) è una particella che trasporta colesterolo nel sangue: chi ne ha in eccesso, per ragioni quasi tutte genetiche, ha più infarti e più ictus. Da qui l'ipotesi coltivata dalla cardiologia per un decennio: abbassarla dovrebbe proteggere il cuore. Nello studio Lp(a)Horizon, su migliaia di pazienti con malattia cardiovascolare già accertata, quella riduzione del 72% non ha prodotto alcuna diminuzione degli eventi. Il bersaglio è stato colpito con precisione, il beneficio non è arrivato. È la distanza fra un endpoint surrogato (un valore di laboratorio che si presume anticipi l'esito clinico) e l'esito vero. Quella distanza è comoda per tutti: accorcia gli studi e offre qualcosa da valutare molto prima di sapere come sono andati i pazienti. Ogni tanto presenta il conto intero: su questo programma erano state costruite attese di mercato dissolte in una mattina.

Due spade sulla testa

Fra le due date si contano cinque fra acquisizioni e accordi di licenza, quasi tutti fra i 300 milioni e i 3 miliardi di dollari e tutti uguali nella struttura: un grande gruppo rileva un singolo farmaco in sviluppo da una piccola azienda che non ha i mezzi per portarlo in fondo. Il 24 agosto Roche ha comprato dalla coreana Hanmi una molecola per l'obesità che punta a preservare la massa muscolare; il 31 agosto Eli Lilly ha impegnato fino a 2,9 miliardi su Merida Biosciences, che lavora sugli autoanticorpi di alcune malattie autoimmuni.

Non è entusiasmo dei mercati: ci sono due scadenze che nessuna azienda può disinnescare da sola. La prima è il muro dei brevetti: secondo Iqvia, oltre 230 miliardi di dollari di fatturato perderanno la copertura brevettuale entro il 2030 e per alcuni gruppi si tratta di una quota rilevante del giro d'affari. È una scadenza nota da anni, già iscritta nei bilanci, cui si arriva preparati solo comprando. La seconda è arrivata da Washington e nessuno l'aveva in agenda. Dal 29 settembre il dazio statunitense del 100% sui farmaci brevettati e sui principi attivi importati si estende a tutti gli importatori che non abbiano firmato un accordo con l'amministrazione americana: chi si impegna a produrre negli Stati Uniti, o ad allineare i prezzi americani a quelli europei, ottiene sconti fino all'azzeramento, e 26 aziende hanno già negoziato. Generici e biosimilari sono esclusi, così il peso cade tutto sui prodotti innovativi.

Dove si compra l'innovazione

L'unica via d'uscita, sotto entrambe le spade, è rappresentata dai farmaci nuovi. Qui si registra lo spostamento più rilevante degli ultimi anni: una quota crescente di ciò che le grandi aziende occidentali acquistano non nasce nei loro laboratori, ma in Cina, dove la ricerca clinica costa meno e produce candidati a ritmo sostenuto. Non significa che l'innovazione si sia trasferita, ma che una parte crescente del rischio iniziale viene comprata già confezionata invece che corsa in proprio. Il rischio, però, non sparisce, cambia proprietario.

Il mercato lo ha capito

I mercati lo prezzano già. Nel secondo trimestre quasi tutte hanno riportato profitti record e alzato le stime, eppure le quotazioni dei titoli non hanno seguito i conti: Eli Lilly, prima al mondo per fatturato e in crescita del 9%, cede circa l'8% da inizio anno, mentre Merck e Pfizer viaggiano vicino ai massimi. Novo Nordisk ha alzato l'obiettivo e il titolo è sceso lo stesso giorno: un suo farmaco per l'obesità aveva appena perso il confronto diretto con quello del rivale. Non è il trimestre a essere valutato, è ciò che resterà da vendere dopo il muro. Torniamo alle due date: alla vigilia di entrambi gli annunci nessun bilancio distingueva il programma che avrebbe funzionato da quello che non avrebbe funzionato. A separarli sono stati i pazienti arruolati, il tempo trascorso e i dati raccolti: le uniche cose che, in un'industria capace di comprare quasi tutto, restano da guadagnare. ■

a cura di Boris Secciani

HEALTH COMMUNITY
02

DIRETTORE EDITORIALE
Gianluigi Cussotto

DIRETTORE RESPONSABILE
Alessandro Secciani

ART DIRECTOR
Fausto Pastorino

REDAZIONE
Stefano Cussotto,
Boris Secciani

SEDE LEGALE
Via Pietro della Valle 7/a
20132- Milano

SEDE OPERATIVA E PUBBLICITÀ
Via Monte Cimone, 3
37057- San Giovanni Lupatoto
VERONA
045 500296
351 6098871 | 329 4500030
EMAIL:
info@hc-healthcommunity.com

SOCIETÀ EDITRICE
Cev Srls
Via Pietro della Valle 7/a
20132- Milano

STAMPA
Intergrafica - Verona

Supplemento del mensile Millenovecento (autorizzazione n.521del 30 settembre 2002) del Tribunale di Milano. In attesa di autorizzazione propria

HC-HEALTH COMMUNITY: PENSIAMO POSITIVO

Tanti temi spinosi che affronteremo nei prossimi numeri, con l'atteggiamento sempre costruttivo di chi preferisce fare, piuttosto che lamentarsi

Il Codice acquisti

Funziona bene ma non nella sanità. Ancora molti problemi irrisolti.

Ricerca clinica in Italia

Non è la Cenerentola dell'Europa. Sta nascendo una nuova generazione di ricercatori.

Case di comunità: il day after del Pnrr

Il problema vero comincia adesso: le strutture ci sono, i fondi europei finiscono

Personale, il collo di bottiglia che vanifica tutto il resto

Il punto è che le strutture non bastano se non si mettono in condizione di essere operative

Liste d'attesa: dalla misurazione al governo della domanda

Chi ha già affrontato in termini concreti il problema e ha ottenuto significativi miglioramenti

hc PERCHÉ ABBONARSI

Health Community è un progetto editoriale che vuole mantenere l'attenzione del management sanitario sui temi di maggiore attualità e sostenere reti multidisciplinari per favorire lo scambio di esperienze e soluzioni trasformando l'eccellenza in standard di cura a beneficio dei pazienti.

Farmacisti del Sistema Sanitario nazionale, ***Responsabili dei servizi farmaceutici***, ***direttori generali***, ***amministrativi e sanitari***, ***esperti universitari*** e ***manager di aziende che producono soluzioni per la salute***: i "decisori sanitari" possono costruire con noi questo progetto perché:

- ***Mette in risalto soluzioni e percorsi virtuosi di miglioramento***
- ***Racconta esperienze***
- ***Dà spazio a voci e opinioni provenienti da esperienze diverse***
- ***Fa conoscere ruoli e figure emergenti***

Per abbonarsi: mandare una mail a
info@hc-healthcommunity.com
Riceverai mensilmente e gratuitamente la rivista

