

HORIZON SCANNING E SPESA PER MALATTIE RARE: MODELLO PREVISIONALE A TRE ANNI IN ITALIA 2025-2027

Andrea Aiello – PharmaLex Italy S.p.A, Rossella Bitonti – PharmaLex Italy S.p.A, Marzia Bonfanti – PharmaLex Italy S.p.A, Pier Luigi Canonico – Università del Piemonte Orientale, Daniela Cazzato – Università di Roma Tor Vergata, Melissa Guardigni – PharmaLex Italy S.p.A, Giulio Guarnotta – Università di Roma Tor Vergata, Claudio Jommi – Università del Piemonte Orientale, Fulvio Luccini – PharmaLex Italy S.p.A, Chiara Lucchetti – PharmaLex Italy S.p.A, Andrea Marcellusi – Università di Milano

Data 26 novembre 2025

Abstract Negli ultimi anni i farmaci per le malattie rare rappresentano una quota crescente della spesa farmaceutica italiana, ponendo sfide rilevanti di sostenibilità. Questo studio sviluppa un modello previsionale nazionale a tre anni basato su horizon scanning, dati epidemiologici e dinamiche di prezzo e uptake. L'analisi include 137 farmaci in pipeline per 74 indicazioni, di cui 115 con designazione orfana. Nel 2024 la spesa stimata per le malattie rare è pari a 2,08 miliardi di euro, con un costo medio di 24.777 euro per paziente. Il modello prevede un aumento della spesa del +1,9% nel 2025, +4,0% nel 2026 e +7,1% nel 2027, principalmente guidato dall'ingresso di nuove terapie. I risultati forniscono una base quantitativa solida per la programmazione delle risorse e il supporto alle decisioni di policy del SSN.

Parole chiave Farmaci orfani, Malattie rare, Spesa farmaceutica, Modelli previsionali, Horizon scanning

Graphical abstract

Horizon scanning e spesa per malattie rare in

CONTESTO

Farmaci per
malattie rare

Pipeline 2025-2027

METODO

Horizon scanning
Epidemiologia
Costi e uptake

137 farmaci
74 indicazioni

RISULTATI

Spesa 2024:
€ 2,08 miliardi

Crescita cumulata:
+7,1% al 2027

Supporto alle
decisioni SSN

[LEGGI LA PUBBLICAZIONE COMPLETA](#)