

Disuguaglianze nell'Accesso alle Cure Pediatriche

Documento delle Commissioni Salute e Bioetica

dell'Accademia Nazionale dei Lincei

Riassunto

Le disuguaglianze nell'accesso alle cure pediatriche rappresentano una delle manifestazioni più evidenti delle fragilità strutturali del nostro sistema sanitario e sociale, poiché incidono direttamente sulla crescita, sullo sviluppo e sulla salute futura dei bambini. Le evidenze scientifiche mostrano che gli svantaggi nei primi anni di vita tendono ad accumularsi, aumentando il rischio di malattie croniche, disabilità e mortalità prematura. La salute infantile è influenzata non solo da fattori biologici, ma anche dalle condizioni sociali, economiche e ambientali e dalla qualità e accessibilità dei servizi sanitari.

In Italia, nonostante un sistema universalistico, persistono rilevanti disuguaglianze territoriali e sociali: i tassi di mortalità infantile, mediamente tra i più bassi a livello internazionale, sono più elevati nel Mezzogiorno e tra i figli di genitori stranieri. La povertà minorile e le condizioni di svantaggio socioeconomico si associano a una maggiore frequenza di patologie e a esiti peggiori. Permangono differenze nell'accesso alla prevenzione, sia nelle coperture vaccinali sia nell'adozione di corretti stili di vita, con maggiori criticità nei gruppi più vulnerabili, aggravate anche dalla diffusione di disinformazione, in particolare in ambito vaccinale.

Tali disuguaglianze sono ulteriormente accentuate da criticità organizzative del sistema sanitario, come la migrazione sanitaria pediatrica dal Sud verso il Centro-Nord e le difficoltà di accesso alle cure palliative, alle reti per le malattie rare, agli screening neonatali e alle terapie innovative. In questi ambiti, il luogo di nascita o di residenza continua a influenzare in modo significativo le opportunità di diagnosi e cura.

Persistono inoltre limiti rilevanti nella ricerca pediatrica: la carenza di studi specifici e di terapie adeguatamente valutate nei bambini rappresenta una forma strutturale di disuguaglianza e limita l'accesso a cure sicure ed efficaci.

Queste criticità riflettono limiti nella governance e nell'organizzazione del sistema sanitario; il loro superamento richiede non solo risorse adeguate, ma anche un coordinamento più efficace e una migliore integrazione tra ospedale e territorio.

Investire nella salute dell'infanzia è una responsabilità costituzionale ed etica e richiede un impegno concreto per contrastare le disuguaglianze sociali e sanitarie e rafforzare il Servizio Sanitario Nazionale. La salute dei bambini rappresenta uno degli indicatori più sensibili dell'equità sociale e della qualità democratica di un Paese.

Le disuguaglianze nell'accesso alle cure interessano tutte le fasce d'età, ma nei primi anni di vita assumono un rilievo particolare, poiché incidono direttamente sulla crescita, sullo sviluppo neurocognitivo e sulla salute futura. Numerosi studi hanno dimostrato che gli svantaggi precoci tendono ad accumularsi nel corso della vita, generando traiettorie di rischio che aumentano la probabilità di malattie croniche, disabilità e mortalità prematura in età adulta¹.

La salute dei bambini non dipende esclusivamente da fattori biologici, ma è fortemente condizionata dal contesto sociale in cui essi crescono. Il reddito familiare, il livello di istruzione dei genitori, le condizioni abitative e l'organizzazione dei servizi sanitari e territoriali rappresentano determinanti fondamentali dell'accesso alle cure e della loro qualità.

In questo documento vengono presi in esame alcuni ambiti nei quali tali disuguaglianze emergono con maggiore evidenza, dalla prevenzione e dall'accesso alle cure primarie fino alla presa in carico delle patologie acute e croniche. Si tratta di ambiti che richiedono politiche integrate e basate sulle evidenze, capaci di coniugare equità, appropriatezza e tutela dei diritti dell'infanzia.

Mortalità infantile e condizioni sociali

La mortalità infantile, definita come il numero di bambini che muoiono nel primo anno di vita per 1.000 nati vivi, rappresenta uno degli indicatori più sensibili dello sviluppo sanitario, civile e sociale di un Paese. Essa riflette non solo l'efficacia dei servizi sanitari, in particolare dell'assistenza materno-infantile, ma anche le condizioni sociali, economiche e ambientali in cui le famiglie vivono.

L'Italia registra tassi di mortalità infantile tra i più bassi a livello internazionale; tuttavia, questo dato medio nasconde rilevanti disuguaglianze interne, sia sul piano geografico sia su quello sociale ed etnico. La mortalità infantile risulta più elevata nelle Regioni del Mezzogiorno rispetto a quelle del Centro-Nord e presenta valori superiori tra i bambini stranieri, in particolare tra i figli di entrambi i genitori senza cittadinanza italiana, rispetto ai bambini italiani². Questi divari mostrano che, anche in un sistema sanitario universalistico, l'uguaglianza formale dell'accesso alle cure non garantisce di per sé uguaglianza negli esiti di salute. Le cause sono molteplici e riconducibili soprattutto alle condizioni sociali e

¹ Marmot M, Bell R. Fair Society, Healthy Lives, in «The Marmot Review. Public Health» 2012; 126 Suppl 1: S4-S10.

² Simeoni S, Frova L, De Curtis M. Infant Mortality in Italy: Large geographic and ethnic inequalities. The Italian Journal of Pediatrics 2024, 50, 5. <https://ijponline.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13052-023-01571-z>

all'organizzazione dei servizi sanitari e sociosanitari. La povertà assoluta, che colpisce in modo rilevante le famiglie con minori, si associa a condizioni abitative più precarie, a un accesso più difficile ai servizi sanitari e preventivi e a un utilizzo più tardivo delle cure in gravidanza e nel primo anno di vita. Questi fattori contribuiscono ad aumentare il rischio di esiti avversi, inclusa la mortalità infantile³ ⁴. In questo contesto, un ruolo centrale è svolto dalla prematurità, cioè la nascita prima della 37^a settimana di gestazione, che in Italia riguarda circa il 6–7% dei nati. I neonati prematuri, soprattutto quelli di peso molto basso e con età gestazionale inferiore a 30 settimane, presentano un rischio significativamente più elevato di mortalità. Anche tra i sopravvissuti, la prematurità può lasciare conseguenze a lungo termine, con possibili esiti sullo sviluppo neurocognitivo, comportamentale e relazionale. La frequenza del parto pretermine e i suoi esiti risultano inoltre più elevati nelle famiglie socialmente svantaggiate, confermando il legame stretto tra condizioni di vita, qualità dell'assistenza perinatale e opportunità di salute fin dalla nascita.

Le disuguaglianze nell'accesso alle cure e nella qualità dell'assistenza materno-infantile possono influenzare anche le scelte riproduttive. In contesti in cui i servizi sanitari e di supporto alla famiglia sono percepiti come inadeguati o difficilmente accessibili, la nascita di un figlio può essere vissuta come un rischio, soprattutto dalle coppie più vulnerabili. Al contrario, sistemi sanitari e sociali capaci di garantire continuità assistenziale, sostegno alla genitorialità e presa in carico precoce dei bisogni di salute rappresentano un fattore di sicurezza che può contribuire a sostenere la natalità. In questa prospettiva, il rafforzamento dell'assistenza materno-infantile e la riduzione delle disuguaglianze territoriali costituiscono non solo un obiettivo sanitario, ma anche una leva rilevante di politica demografica.

Impatto dello svantaggio sociale sulla salute

Un'ampia evidenza epidemiologica dimostra l'esistenza di un gradiente sociale della salute: al crescere del livello socioeconomico migliorano lo stato di salute, l'aspettativa e la qualità della vita. In età pediatrica, lo svantaggio sociale si associa a una maggiore vulnerabilità biologica e a un rischio più elevato di sviluppare sia patologie acute sia condizioni croniche. I bambini che crescono in contesti socioeconomici svantaggiati presentano più frequentemente esiti avversi già alla nascita, una minore diffusione di pratiche protettive precoci, come l'allattamento al seno, e una maggiore suscettibilità alle infezioni, in

³ Le statistiche dell'ISTAT sulla povertà, anno 2024. <https://www.istat.it/wp-content/uploads/2025/10/La-poverta-in-italia-Anno-2024.pdf>

⁴ Al crescere del numero di figli, cresce la povertà del nucleo familiare. Open polis, 9 Gennaio 2024. <https://www.openpolis.it/numeri/al-crescere-del-numero-di-figli-cresce-la-poverta-del-nucleo-familiare/>

particolare respiratorie e gastrointestinali. Nel corso dell'infanzia e dell'adolescenza risultano inoltre più esposti a disturbi della crescita, carenze nutrizionali, anemia, asma, patologie infettive ricorrenti, problemi odontoiatrici e disturbi psicologici e comportamentali⁵. Lo svantaggio sociale incide non solo sulla frequenza delle malattie, ma anche sulla loro evoluzione clinica. Per alcune patologie croniche, come la fibrosi cistica, caratterizzata da un'incidenza simile nei diversi gruppi sociali, la sopravvivenza è inferiore nei soggetti provenienti da famiglie con basso livello socioeconomico⁶. Analogamente, nei bambini e negli adolescenti che crescono in condizioni di povertà, la prognosi di malattie gravi, incluse alcune neoplasie, risulta meno favorevole⁷.

Stili di vita meno salutari, legati a un'alimentazione di scarsa qualità e a ridotte opportunità di attività fisica, espongono i bambini che vivono in condizioni socioeconomiche svantaggiate a un rischio più elevato di sovrappeso e obesità, ponendo le basi per lo sviluppo di malattie cronico-degenerative in età adulta. Queste condizioni non sono il risultato di scelte individuali, ma riflettono vincoli economici, ambientali e culturali che limitano la prevenzione, ostacolano l'adozione di comportamenti salutari e contribuiscono ad ampliare le disuguaglianze di salute.

In questo quadro, un ruolo rilevante è svolto anche dai servizi educativi per la prima infanzia pur non essendo direttamente parte dell'assistenza sanitaria. La scuola dell'infanzia non è solo un luogo di apprendimento, ma rappresenta un contesto fondamentale di socializzazione, nel quale il bambino sviluppa competenze cognitive, relazionali ed emotive. La frequenza di servizi educativi prescolari di qualità favorisce lo sviluppo globale del bambino e contribuisce a ridurre le disuguaglianze precoci, con effetti positivi anche sulla salute nel lungo periodo. Numerosi documenti italiani ed europei sottolineano come l'investimento nei primi anni di vita rappresenti uno degli strumenti più efficaci per promuovere equità e inclusione. Tuttavia, persistono rilevanti disuguaglianze nell'accesso: in Italia, la partecipazione alla scuola dell'infanzia è significativamente più bassa tra i bambini con cittadinanza non italiana (84,1%) rispetto ai coetanei italiani (95,0%),

⁵ Royal College of Paediatrics and Child Health, Child health inequalities driven by child poverty in the UK – position statement. in «Rcpch», 21 September 2022. <https://www.rcpch.ac.uk/resources/child-health-inequalities-position-statement>

⁶ Taylor-Robinson D C, Smyth R L, Diggle P J et al., The effect of social deprivation on clinical outcomes and the use of treatments in the UK cystic fibrosis population: a longitudinal study, in «Lancet Respir Med» 2013, 1(2): 121-8.

⁷ Wadhwa A, Chen Y, Hageman L et al. Poverty and relapse risk in children with acute lymphoblastic leukemia: a Children's Oncology Group study AALL03N1 report. Blood 2023 Jul 20; 142 (3):221-229.

evidenziando un'importante occasione mancata di integrazione e di riduzione degli svantaggi precoci⁸.

Prevenzione vaccinale, disinformazione e disuguaglianze

Le vaccinazioni rappresentano uno degli interventi più efficaci e sicuri per prevenire le malattie infettive, ridurre la mortalità infantile e garantire equità nella tutela della salute. Grazie alla loro elevata efficacia, alla durata della protezione, esse costituiscono uno strumento fondamentale di sanità pubblica e, quando raggiungono elevate coperture, possono portare fino all'eliminazione della malattia, come avvenuto nel caso del vaiolo. Nonostante siano offerte gratuitamente dal Servizio Sanitario Nazionale, persistono disuguaglianze nelle coperture vaccinali legate a fattori sociali, economici e organizzativi. I bambini che vivono in contesti socioeconomici svantaggiati, appartenenti a famiglie migranti o residenti in aree con servizi territoriali meno efficienti, presentano più frequentemente ritardi o incompleta adesione ai calendari vaccinali, con un conseguente aumento del rischio di malattie prevenibili. Negli ultimi anni, a queste disuguaglianze si è aggiunto un ulteriore elemento critico rappresentato dalla diffusione di informazioni non scientifiche e fuorvianti sui vaccini. Timori infondati sulla loro sicurezza, talvolta alimentati da studi privi di validità scientifica o successivamente smentiti, hanno contribuito ad alimentare l'esitazione vaccinale, riducendo la fiducia tra i genitori nelle vaccinazioni. Questo fenomeno costituisce una nuova forma di disuguaglianza, legata non solo alle condizioni economiche, ma anche all'accesso a informazioni corrette e alla qualità della comunicazione sanitaria. La riduzione delle coperture vaccinali compromette la protezione individuale e quella collettiva, esponendo soprattutto i bambini più fragili al rischio di infezioni prevenibili. Promuovere una corretta informazione, rafforzare i servizi vaccinali e contrastare attivamente la disinformazione rappresenta quindi una priorità di sanità pubblica e una condizione essenziale per garantire equità nella salute dell'infanzia.

Migrazione sanitaria e organizzazione del Servizio Sanitario Nazionale

Il Servizio Sanitario Nazionale è organizzato secondo un modello di governance multilivello, nel quale lo Stato garantisce il finanziamento complessivo e la tutela del diritto alla salute, mentre alle Regioni è affidata la responsabilità dell'organizzazione e dell'erogazione dei

⁸ Ministero dell'Istruzione e del Merito, Direzione Generale per l'innovazione digitale, la semplificazione e la statistica, Ufficio di statistica. Gli alunni con cittadinanza non italiana, a.s. 2022/2023. Agosto 2024.

servizi sanitari. Questo assetto, pur coerente con il principio di autonomia territoriale, richiede efficaci meccanismi di coordinamento e garanzia per assicurare l'uniformità dei diritti su tutto il territorio nazionale.

Un ulteriore fattore che contribuisce in modo rilevante alle disuguaglianze negli esiti di salute, in particolare nel Mezzogiorno, è la persistente debolezza dell'organizzazione del Servizio Sanitario Nazionale. Un indicatore indiretto ma significativo di tali criticità è rappresentato dall'elevata migrazione sanitaria, soprattutto in età pediatrica⁹.

Nel Mezzogiorno, dove si registrano tassi più elevati di mortalità neonatale e infantile, la migrazione sanitaria dei bambini e dei ragazzi verso strutture del Centro-Nord è significativamente più frequente rispetto al resto del Paese (11,9% contro 6,9%). Questo fenomeno è spesso determinato dall'impossibilità di accedere localmente, in tempi adeguati, a prestazioni diagnostiche e terapeutiche essenziali o dalla presenza di lunghe liste di attesa, più che da una libera scelta delle famiglie, configurandosi di fatto come una mobilità obbligata. Tale mobilità comporta conseguenze rilevanti sul piano umano e sociale: il distacco prolungato dal luogo di origine, il carico emotivo per i bambini e le famiglie, le difficoltà economiche e lavorative per i genitori. Essa determina inoltre una condizione di iniquità, poiché non tutte le famiglie dispongono delle risorse necessarie per sostenere i costi dei trasferimenti, mettendo in discussione il principio costituzionale di uguaglianza nel diritto alla tutela della salute.

Dal punto di vista economico, nel 2019 la mobilità sanitaria pediatrica dal Mezzogiorno verso il Centro-Nord ha assorbito il 15,1% della spesa complessiva per i ricoveri dei minori. In alcune Regioni meridionali l'impatto è particolarmente grave, arrivando a rappresentare quasi la metà della spesa per i ricoveri pediatrici. Le risorse destinate alla compensazione interregionale sottraggono ulteriori fondi che potrebbero essere investiti localmente per rafforzare strutture, servizi e professionalità.

Nonostante la riforma sanitaria del 1978 e l'introduzione dei Livelli Essenziali di Assistenza (LEA), le disparità territoriali nell'offerta sanitaria non sono state superate. I LEA rappresentano l'insieme delle prestazioni e dei servizi che devono essere garantiti a tutti i cittadini, gratuitamente o previo pagamento di un ticket, in modo uniforme su tutto il territorio nazionale. Essi si articolano in tre ambiti principali: la prevenzione collettiva e la sanità pubblica, l'assistenza distrettuale e l'assistenza ospedaliera. Le persistenti differenze

⁹ De Curtis M, Bortolan F, Diliberto D, Villani L. Pediatric interregional healthcare mobility in Italy. *Italian Journal of Pediatrics* (2021) 47:139. <https://doi.org/10.1186/s13052-021-01091-8>

territoriali nella loro attuazione evidenziano una criticità strutturale nel coordinamento tra livello centrale e regionale, che non ha consentito una piena uniformità nell'attuazione dei LEA. La riforma del Titolo V della Costituzione e i successivi piani di rientro hanno contribuito ad accentuare le differenze nella capacità di prevenzione e cura tra le Regioni.

In questo contesto, il progetto di riforma dell'autonomia differenziata, in assenza di Livelli Essenziali delle Prestazioni chiari, adeguatamente finanziati e realmente vincolanti, che nel settore sanitario si identificano nei Livelli Essenziali di Assistenza, rischia di ampliare ulteriormente i divari esistenti, indebolire la solidarietà interregionale e compromettere l'universalità del diritto alla salute¹⁰. In un Servizio Sanitario Nazionale già caratterizzato da rilevanti differenze territoriali, nel quale solo una parte delle Regioni riesce a garantire pienamente i LEA, il trasferimento di ulteriori competenze potrebbe accentuare le disuguaglianze nell'accesso alle cure, soprattutto per i bambini più fragili. Senza la garanzia del finanziamento integrale delle prestazioni sanitarie essenziali e senza un forte ruolo dello Stato nella programmazione e nella tutela dei diritti fondamentali, l'autonomia rischia di tradursi in un aumento delle disuguaglianze, in duplicazioni amministrative, in un incremento dei costi e del contenzioso istituzionale, come segnalato anche dalla Corte costituzionale. In assenza di queste garanzie, il pericolo concreto è quello di una sanità sempre più differenziata, nella quale il diritto alla salute dipende in misura crescente dal contesto territoriale di nascita e di residenza¹¹.

Queste criticità evidenziano, più in generale, i limiti strutturali del rapporto Stato-Regioni così come si è progressivamente configurato negli ultimi decenni. La distribuzione delle competenze in materia sanitaria non è stata accompagnata da strumenti sufficientemente efficaci di indirizzo, coordinamento e controllo, né da una struttura di finanziamento pienamente adeguata a garantire un'attuazione uniforme dei Livelli Essenziali di Assistenza sull'intero territorio nazionale. Il necessario rafforzamento dei servizi nelle aree più svantaggiate non può essere confuso con il mantenimento di assetti organizzativi privi di adeguati standard di qualità e sicurezza: ciò vale, ad esempio, anche per alcune strutture dell'assistenza materno-infantile con volumi di attività insufficienti, la cui razionalizzazione deve essere letta non come arretramento dell'offerta, ma come condizione per assicurare appropriatezza, sicurezza e tutela effettiva della salute. In assenza di una governance nazionale forte ed efficace e di un chiaro equilibrio tra autonomia e responsabilità centrale,

¹⁰ La riforma dell'autonomia differenziata e i Livelli Essenziali delle Prestazioni sanitarie (LEP). Documento della Commissione Salute dell'Accademia Nazionale dei Lincei. <https://www.lincci.it/it/la-riforma-dellautonomia-differenziata-e-i-livelli-essenziali-delle-prestazioni-sanitarie-lep>

¹¹ Sentenza 192/2024 <https://www.cortecostituzionale.it/scheda-pronuncia/2024/192>

il rischio è quello di una progressiva differenziazione del Servizio Sanitario Nazionale non adeguatamente governata, nella quale il diritto alla salute dei bambini finisce per dipendere in misura eccessiva dalla capacità organizzativa dei singoli territori.

Cure palliative pediatriche e disuguaglianze nell'accesso

Un ambito particolarmente critico riguarda i bambini affetti da malattie inguaribili e potenzialmente letali. Le cure palliative pediatriche, diverse da quelle dell'adulto e non circoscritte solo alla fase terminale, mirano a rispondere ai bisogni fisici, psicologici, sociali e spirituali del bambino e del suo nucleo familiare e dovrebbero essere attivate fin dal momento della diagnosi¹². Nonostante un quadro normativo avanzato, solo poco più di un quarto dei bambini eleggibili accede effettivamente alle cure palliative pediatriche, con marcate disuguaglianze territoriali. A oltre quindici anni dall'approvazione della legge n. 38 del 2010, che ne sancisce il diritto all'accesso su tutto il territorio nazionale, la piena attuazione delle cure palliative pediatriche resta ancora incompleta, anche a causa dell'insufficienza delle risorse economiche e organizzative dedicate^{13 14}.

La carenza di reti domiciliari e di hospice pediatriche costringe molti bambini a lunghe degenze ospedaliere o a essere assistiti in strutture per adulti, con effetti traumatici sull'intero nucleo familiare. Questa situazione riflette anche l'assenza di una chiara e vincolante inclusione delle cure palliative pediatriche nei Livelli Essenziali delle Prestazioni, che dovrebbero garantire diritti uniformi sull'intero territorio nazionale.

L'impossibilità di accedere a cure palliative adeguate rappresenta una forma grave di ingiustizia, poiché nega un diritto fondamentale a bambini in condizioni di estrema vulnerabilità. Senza un impegno strutturale dello Stato nella definizione, nel finanziamento e nel monitoraggio di questi servizi, il diritto sancito dalla legge rischia di restare solo formale, lasciando alle famiglie il peso di una solitudine assistenziale inaccettabile.

Malattie rare, screening e disuguaglianze diagnostiche e terapeutiche

Le malattie rare rappresentano un ambito emblematico delle disuguaglianze nell'accesso alle cure pediatriche. La maggior parte di queste patologie ha origine genetica e si manifesta

¹² Benini F, Spizzichino M, Trapanotto M et al. Pediatric palliative care in «Italian Journal of Pediatrics» 2008, 1; 34(1): 4.

¹³ Legge 15 marzo 2010, n. 38 e provvedimenti attuativi.

https://www.salute.gov.it/imgs/C_17_pubblicazioni_3046_allegato.pdf

¹⁴ Accademia Nazionale dei Lincei Commissione Bioetica Questioni Bioetiche In Materia di Morte Volontaria Medicalmente Assistita <https://www.lincoi.it/it/questioni-bioetiche-materia-di-morte-volontaria-medicalmente-assistita>

già in età pediatrica, ma il percorso diagnostico è spesso complesso e tardivo, con ricadute rilevanti sulla prognosi e sulla qualità di vita dei bambini e delle loro famiglie.

Nonostante un quadro normativo complessivamente avanzato, persistono marcate disomogeneità territoriali nella diagnosi e nella presa in carico. In una quota non trascurabile di casi, i bambini non vengono seguiti in modo continuativo da centri di riferimento e incontrano difficoltà nell'attuazione dei piani terapeutici nel territorio di residenza, soprattutto quando la diagnosi o il trattamento sono stati avviati fuori Regione¹⁵. La frammentazione delle reti assistenziali e la scarsa integrazione tra centri specialistici e servizi territoriali compromettono la continuità delle cure.

Un ulteriore elemento di disuguaglianza riguarda la non uniforme implementazione degli screening neonatali estesi, che rappresentano uno strumento essenziale per la diagnosi precoce di molte malattie rare e per l'avvio tempestivo di trattamenti in grado di modificarne in modo significativo la prognosi. Non tutte le Regioni garantiscono programmi completi per patologie oggi potenzialmente trattabili. Un esempio paradigmatico è l'atrofia muscolare spinale (SMA), per la quale esistono terapie innovative capaci di modificare radicalmente la storia naturale della malattia, ma solo se somministrate nelle primissime fasi di vita. Sebbene lo screening neonatale rappresenti uno strumento essenziale per garantire una diagnosi tempestiva e un accesso equo alle cure, la sua implementazione, pur definita a livello nazionale, non è ancora uniforme sul territorio, con la conseguenza che il luogo di nascita può influenzare in modo rilevante le opportunità di diagnosi e trattamento¹⁶.

A queste criticità si aggiungono la limitata disponibilità di opzioni terapeutiche per molte malattie rare e le difficoltà di accesso alle terapie innovative, che espongono le famiglie a percorsi complessi, discontinui e spesso onerosi sul piano umano ed economico. Ridurre tali disuguaglianze richiede il rafforzamento delle reti nazionali per le malattie rare, l'uniforme applicazione degli screening neonatali estesi e una reale integrazione tra centri di riferimento e assistenza territoriale, affinché la possibilità di diagnosi e cura non dipenda dal luogo di nascita o di residenza.

¹⁵ VII Rapporto annuale Ossfor malattie rare e farmaci orfani verso una nuova governance. 12 dicembre 2023. Osservatorio Farmaci Orfani.

<https://www.osservatoriofarmaciorfani.it/wp-content/uploads/2023/12/VII-Rapporto-Annuale-OSSFOR-Web.pdf>

¹⁶ Conferenza Stato-Regioni, comunicato stampa "Regioni: approvati i nuovi LEA", seduta del 23 ottobre 2025, https://www.regioni.it/comunicato-stampa/2025/10/23/regioni-approvati-i-nuovi-lea-662539/?utm_source=chatgpt.com

Farmaci, sperimentazione e pediatria di genere

Un'importante area di disuguaglianza riguarda l'uso dei farmaci in età pediatrica e i limiti della sperimentazione clinica nei bambini¹⁷. Per lungo tempo, i minori sono stati esclusi o scarsamente rappresentati negli studi farmacologici, con la conseguenza che molti medicinali continuano a essere prescritti sulla base di dati ottenuti negli adulti¹⁸. Questo approccio, che non tiene conto delle profonde differenze fisiologiche legate all'età, allo sviluppo e alla maturazione degli organi, espone i bambini a rischi di inefficacia terapeutica e di eventi avversi.

A ciò si aggiunge la scarsa attenzione alla dimensione di genere in pediatria. Numerose evidenze dimostrano che esistono differenze significative tra maschi e femmine nella prevalenza, nel decorso e nella risposta alle terapie di molte patologie già in età precoce¹⁹. Tuttavia, tali differenze sono ancora poco considerate nella ricerca clinica e nella definizione dei dosaggi, che raramente tengono conto di variabili legate al sesso, alla composizione corporea e ai differenti profili farmacocinetici e farmacodinamici.

Nonostante le normative europee abbiano favorito un aumento degli studi pediatrici, una larga parte dei farmaci continua a essere utilizzata in assenza di solide evidenze specifiche. Si stima che solo una minoranza dei medicinali prescritti ai bambini sia stata adeguatamente testata in età pediatrica. Le restrizioni etiche, i limitati investimenti e le difficoltà organizzative contribuiscono a mantenere questo divario, favorendo pratiche cliniche spesso basate sull'esperienza clinica più che su dati consolidati.

La carenza di una ricerca pediatrica sensibile alle differenze di età e di genere rappresenta quindi una forma strutturale di disuguaglianza, che penalizza in particolare i bambini più fragili. Promuovere studi specifici, inclusivi e metodologicamente rigorosi è una condizione essenziale per garantire cure realmente sicure, efficaci ed eque.

Farmaci orfani, terapie avanzate e nuove disuguaglianze

Se queste criticità sono rilevanti per l'insieme della popolazione pediatrica, esse risultano ancora più gravi nei bambini e negli adolescenti affetti da malattie rare, per i quali l'accesso a terapie adeguate è spesso estremamente limitato.

¹⁷ Bourgeois FT., Murthy S, Pinto C et. al. Pediatric versus adult drug trials for conditions with high pediatric disease burden, *Pediatrics* 2012, 130, 2: 285–292.

¹⁸ GdL Farmacologia Pediatrica. <https://www.sifweb.org/gruppi-di-lavoro/gdl-farmacologia-pediatria>

¹⁹ Guida alle differenze di genere in età Pediatrica, in «Società Italiana di Pediatria». <https://sip.it/wp-content/uploads/2022/05/defGuidaDef.pdf>

Per decenni, l'industria farmaceutica ha investito poco nella ricerca pediatrica, con la conseguenza che gran parte dei farmaci utilizzati nei bambini è impiegata off-label, cioè autorizzata solo per gli adulti. Questa condizione espone i pazienti più giovani a un rischio maggiore di eventi avversi e di fallimenti terapeutici e riflette una storica marginalizzazione dell'età pediatrica nello sviluppo dei farmaci.

Nel campo delle malattie rare, il limitato numero di pazienti ha ulteriormente ridotto l'interesse industriale. Per contrastare questa tendenza, l'Unione Europea ha introdotto, a partire dal 2000, una normativa specifica sui farmaci orfani e ha istituito presso l'EMA (Agenzia europea per i medicinali) il Committee for Orphan Medicinal Products (COMP), prevedendo incentivi regolatori ed economici, tra cui dieci anni di esclusività di mercato²⁰.

Nonostante ciò, i risultati sono stati modesti: a fronte di circa 1.900 medicinali designati come farmaci orfani, solo una quota limitata, pari a meno del 10%, ha ottenuto l'autorizzazione alla commercializzazione, spesso con benefici terapeutici limitati.

Una quota rilevante riguarda tumori rari, mentre molte malattie rare pediatriche restano prive di terapie efficaci. In Italia nel 2023 sono stati recepiti 146 farmaci orfani, con una spesa pari a circa l'8,5% della spesa farmaceutica complessiva del Servizio Sanitario Nazionale²¹. Tuttavia, rispetto alle migliaia di malattie rare conosciute, il bilancio rimane ampiamente insoddisfacente, anche perché solo 53 imprese farmaceutiche su circa 1.800 sono titolari di farmaci orfani.

I prezzi elevati e la scarsa sostenibilità economica rappresentano un ulteriore fattore di disuguaglianza, rendendo difficile l'accesso anche nei sistemi sanitari universalistici.

Per superare questi limiti, è stata proposta in ambito europeo l'istituzione di una rete di circa 20–25 centri di ricerca dedicati alle malattie rare, ciascuno dotato di un budget annuale compreso tra i 40 e i 50 milioni di euro, valorizzando le strutture esistenti e integrando competenze in chimica, biologia molecolare, genetica, farmacologia, scienze farmaceutiche e cliniche^{15 22}.

I finanziamenti dovrebbero essere destinati allo sviluppo di modelli sperimentali, all'acquisto di materiali e reagenti, al sostegno delle attività di ricerca e alla realizzazione di studi clinici multicentrici, coinvolgendo ospedali specializzati in diversi Paesi europei. I prodotti

²⁰ Garattini S. Malattie rare e farmaci orfani, in «Salute internazionale», 26 febbraio 2024.

<https://www.saluteinternazionale.info/2024/02/malattie-rare-e-farmaci-orfani/>

²¹ Uniamo Federazione Italiana Malattie Rare. MonitoRare. XI Rapporto sulla condizione delle persone con malattia rara in Italia. Anno 2025. https://uniamo.org/wp-content/uploads/simple-file-list/2025_Uniamo-report_MonitoRare_09_07.pdf

²² Florio M, Pancotti C, Prochazka D. European pharmaceutical research and development: Could public infrastructure overcome market failures? <https://publicpharmaforeurope.org/european-pharmaceutical-research-and-development-could-public-infrastructure-overcome-market-failures/>

sviluppati non dovrebbero essere brevettati, ma resi disponibili a costi sostenibili, nell'interesse dei pazienti e dei sistemi sanitari.

Un simile progetto comporterebbe una spesa complessivamente modesta rispetto alle risorse già destinate alla ricerca dall'Unione Europea e rappresenterebbe una concreta alternativa al modello basato esclusivamente sugli incentivi di mercato.

Per questo, accanto agli strumenti regolatori esistenti, è necessario sviluppare modelli alternativi di ricerca e produzione, fondati su reti pubbliche o no-profit europee, capaci di garantire terapie efficaci, accessibili e realmente studiate per l'età pediatrica.

Non si tratta solo di una scelta scientifica ed economicamente razionale, ma di un obbligo morale e umanitario verso bambini e famiglie colpiti da malattie rare, spesso dimenticate. Investire in questi modelli significa restituire speranza a migliaia di persone e riaffermare il valore sociale della ricerca biomedica.

Terapie geniche e cellulari: opportunità e limiti dell'innovazione

Negli ultimi anni, lo sviluppo delle terapie geniche e cellulari ha aperto prospettive terapeutiche fino a poco tempo fa impensabili per molte malattie rare, soprattutto in età pediatrica. Alcune di queste terapie hanno dimostrato un'efficacia duratura, arrivando in alcuni casi a curare patologie gravi e precedentemente incurabili, restituendo ai bambini una prospettiva di vita normale. Per portata e impatto clinico, questi risultati sono stati paragonati a svolte storiche della medicina, come l'introduzione degli antibiotici o dei vaccini.

Tuttavia, come evidenziato dalla *Lancet Commission on Stem Cells and Regenerative Medicine* e dai rapporti EASAC–FEAM, a fronte di una crescita esponenziale della ricerca sperimentale, la traduzione clinica delle terapie avanzate è rimasta limitata²³. Dopo aver superato la prima “valle della morte” biomedica, molte terapie incontrano una seconda “valle della morte”, di natura economica, che ne ostacola o impedisce l'accesso ai pazienti²⁴.

Le terapie geniche e cellulari, classificate come *Advanced Therapy Medicinal Products* (ATMPs), richiedono processi di sviluppo lunghi, complessi e costosi, con elevati standard regolatori e costi di produzione molto alti, a fronte di popolazioni di pazienti spesso estremamente ridotte. Per recuperare gli investimenti, le aziende propongono prezzi che possono raggiungere diversi milioni di euro per singolo paziente, determinando negoziazioni difficili o il rifiuto di rimborso da parte dei Servizi Sanitari Nazionali.

²³ Cossu G, Fears R, Griffin G et al. Regenerative medicine: challenges and opportunities. *Lancet* 2020 Jun 6;395 (10239):1746-17.

²⁴ De Luca M, Cossu G. Cost and availability of novel cell and gene therapies. Can we avoid a catastrophic second valley of death? *EMBO Rep.* 2023 Feb 6; 24 (2):e56661.

Si tratta, in molti casi, della forma estrema di medicina di precisione: un farmaco la cui preparazione può costare un milione di euro o più viene somministrato a un solo paziente, a partire da cellule inizialmente isolate dallo stesso malato.

Le conseguenze sono talvolta drammatiche: terapie efficaci e già approvate sono state ritirate dal mercato o non rese disponibili per ragioni esclusivamente commerciali, lasciando bambini senza alternative terapeutiche. Si configura così una delle forme più paradossali di disuguaglianza sanitaria: la possibilità di guarire esiste, ma non è garantita, perché subordinata a logiche di sostenibilità economica incompatibili con i principi di un sistema sanitario universalistico.

Accanto a questi limiti strutturali, i documenti internazionali mettono in guardia anche dai rischi legati a percorsi regolatori accelerati e alla diffusione di offerte terapeutiche non adeguatamente validate, che possono alimentare false speranze e compromettere la sicurezza dei pazienti. Per questo viene ribadita la necessità di mantenere standard rigorosi di valutazione, trasparenza e controllo.

In questo contesto stanno emergendo modelli alternativi, basati su partnership pubblico–accademiche e no profit, capaci di superare almeno in parte i limiti del mercato a scopo di lucro. L'esperienza di Fondazione Telethon, che ha sviluppato e portato all'approvazione terapie geniche per malattie ultra-rare attraverso modelli non orientati al profitto, dimostra che percorsi diversi sono possibili²⁵.

Garantire un accesso equo alle terapie geniche e cellulari non è solo una questione di innovazione scientifica, ma una scelta politica ed etica. Se questi nodi non verranno affrontati in modo strutturale, una delle più grandi conquiste della medicina contemporanea rischia di trasformarsi in un nuovo fattore di disuguaglianza, anziché in uno strumento di giustizia sanitaria.

Carenze nell'assistenza pediatrica

Un ulteriore fattore che limita l'equità nell'accesso alle cure pediatriche è la carenza di assistenza specialistica e la fragilità dell'organizzazione dei servizi, problemi che incidono in modo particolarmente grave sui bambini più vulnerabili. Emblematica è la situazione della neuropsichiatria infantile, il cui sviluppo risulta largamente insufficiente su tutto il territorio

²⁵ Terapie geniche ultra-rare: nasce un nuovo modello di accesso sostenibile.

<https://www.osservatorioterapieavanzate.it/regolatorio/terapie-geniche-ultra-rare-nasce-un-nuovo-modello-di-accesso-sostenibile>

nazionale e ulteriormente aggravato dalla pandemia di Covid-19, che ha determinato un aumento rilevante dei disturbi neuropsichici in età evolutiva²⁶.

Le lunghe liste di attesa nel servizio pubblico rendono spesso impossibile una presa in carico tempestiva, spingendo molte famiglie verso il settore privato o l'attività intramuraria. In questo modo, l'accesso alle cure diventa di fatto dipendente dal reddito, introducendo una discriminazione incompatibile con i principi di universalità ed equità del Servizio Sanitario Nazionale.

Queste criticità non possono essere spiegate solo con una carenza numerica di professionisti. Paradossalmente, l'Italia è il Paese europeo con il numero assoluto più elevato di pediatri; tuttavia, l'attuale modello organizzativo introdotto negli anni Ottanta, che separa rigidamente pediatria territoriale e ospedaliera, non è più sostenibile²⁷. Negli ultimi anni, una programmazione inadeguata dell'accesso alle scuole di specializzazione, unita al pensionamento di molti pediatri e all'abbandono dell'ospedale da parte di altri, attratti da migliori condizioni di lavoro e minori responsabilità medico-legali, ha determinato una carenza crescente nei reparti pediatrici ospedalieri, in particolare nei pronto soccorso e nei servizi di emergenza.

A livello territoriale, l'assenza di una reale integrazione tra pediatri di famiglia e ospedale contribuisce al sovraffollamento dei pronto soccorso, che diventano spesso l'unico punto di accesso alle cure pediatriche nelle ore notturne, nei fine settimana e nei periodi festivi.

La pandemia di Covid-19 ha reso evidente l'urgenza di rafforzare la medicina territoriale e il suo coordinamento con la rete ospedaliera; tuttavia, le nuove strutture previste dal PNRR (Case e Ospedali di Comunità) pongono interrogativi rilevanti sul ruolo dell'assistenza pediatrica e sulla reale disponibilità di personale sanitario dedicato, rischio che potrebbe limitarne l'efficacia operativa e ampliare ulteriormente le disuguaglianze territoriali già esistenti. Il riordino della disciplina dei pediatri di libera scelta, in particolare per quanto riguarda il loro rapporto di dipendenza dal Servizio Sanitario Nazionale, oggetto di numerosi disegni di legge, rimane spesso confinato a enunciazioni generiche, analogamente al riordino della rete territoriale, con la chiusura dei piccoli ospedali.

Alla carenza di medici si affianca la grave insufficienza di personale infermieristico, che rappresenta oggi uno dei principali limiti del Servizio Sanitario Nazionale. Gli infermieri

²⁶ Salute mentale minori: SINPIA, in Italia insufficiente il numero dei neuropsichiatri infantili. Portare a 400 la soglia minima dei posti annui di specializzazione.

<https://sinpia.eu/salute-mentale-minori-sinpia-in-italia-insufficiente-il-numero-dei-neuropsichiatri-infantili-portare-a-400-la-soglia-minima-dei-posti-annui-di-specializzazione/>

²⁷ Number of general paediatricians employed in Europe in 2020, by country.

<https://www.statista.com/statistics/554874/general-paediatricians-in-the-european-union/>

rappresentano una componente fondamentale del sistema sanitario e, come avviene nei Paesi più avanzati, svolgono un ruolo professionale autonomo e complementare a quello medico nella presa in carico dei pazienti. La loro insufficienza compromette la qualità delle cure e contribuisce ad ampliare le disuguaglianze di accesso.

Un'ulteriore criticità riguarda l'insufficiente e disomogenea distribuzione dei posti letto di terapia intensiva pediatrica, nettamente inferiore agli standard europei e particolarmente critica nel Mezzogiorno, con un conseguente aggravamento delle disuguaglianze territoriali²⁸. Il caso della Sardegna, priva di posti letto di terapia intensiva pediatrica nonostante l'isolamento geografico, rappresenta un esempio emblematico di questa criticità. Persistono inoltre rilevanti fragilità nell'organizzazione dell'assistenza materno-infantile, dovute alla presenza di numerosi punti nascita con volumi di attività molto ridotti, spesso non in grado di garantire adeguati standard di sicurezza per madre e neonato: circa un quarto delle maternità registra meno di 500 parti all'anno²⁹. Nonostante le indicazioni nazionali per la razionalizzazione delle piccole maternità, tali strutture continuano a operare, riflettendo scelte organizzative e politiche che privilegiano logiche locali rispetto alla qualità, alla sicurezza e all'appropriatezza delle cure. Nel loro insieme, questi elementi mostrano come le disuguaglianze nell'assistenza pediatrica non derivino solo dalla scarsità di risorse, ma soprattutto da scelte organizzative e di programmazione che hanno indebolito l'integrazione tra ospedale e territorio. Rafforzare la sanità pubblica, superare la frammentazione dei servizi e restituire centralità a una gestione tecnica e competente del Servizio Sanitario Nazionale non è solo un'esigenza organizzativa, ma una condizione imprescindibile per rendere effettivi i principi di universalità, uguaglianza ed equità, soprattutto per i bambini. Il superamento di queste disuguaglianze richiede certamente un adeguato incremento delle risorse, ma dipende in misura altrettanto decisiva dalla qualità dell'organizzazione, dalla programmazione e dall'uso appropriato delle risorse già disponibili.

Conclusioni e prospettive future

Le disuguaglianze nell'accesso alle cure pediatriche rappresentano uno dei segnali più evidenti delle fragilità strutturali del nostro sistema sanitario e sociale. Esse non sono il

²⁸ In Italia poche terapie intensive pediatriche con circa 202 posti letto. Società Italiana di Pediatria. <https://sip.it/2021/05/26/in-italia-poches-terapie-intensive-pediatriche-con-circa-202-posti/>

²⁹ Certificato di assistenza al parto (CeDAP) Analisi dell'evento nascita Anno 2024. Ministero della Salute 9 dicembre 2025. https://www.salute.gov.it/new/sites/default/files/2025-12/Rapporto_CeDAP_2024.pdf

risultato di eventi occasionali, ma l'espressione di determinanti sociali, economici e organizzativi che agiscono precocemente e in modo cumulativo, incidendo in modo profondo sulla salute presente e futura dei bambini. Quando le disuguaglianze si manifestano nei primi anni di vita non producono solo differenze temporanee, ma contribuiscono a produrre conseguenze durature che influenzano la salute lungo l'intero arco della vita.

Il quadro delineato in questo documento mostra come, anche in un sistema sanitario formalmente universalistico, l'equità, intesa come la garanzia di pari accesso alle cure in rapporto a uguali bisogni di salute, non sia automaticamente garantita. Le differenze territoriali negli esiti di salute, la maggiore mortalità infantile nel Mezzogiorno, la migrazione sanitaria pediatrica, le difficoltà di accesso alle cure palliative, la frammentazione delle reti per le malattie rare, la disomogeneità degli screening neonatali, le barriere all'accesso ai farmaci orfani e alle terapie avanzate, così come le carenze nell'organizzazione dell'assistenza pediatrica, indicano che il luogo di nascita, la condizione socioeconomica e le risorse familiari continuano a influenzare in modo inaccettabile le opportunità di cura.

Queste disuguaglianze non riguardano solo la disponibilità di tecnologie o terapie innovative, ma anche l'accesso a servizi essenziali, tempestivi e appropriati. In molti casi, la possibilità di ricevere una diagnosi precoce, una presa in carico continuativa o un trattamento salvavita dipende da fattori estranei al bisogno di salute, in contrasto con i principi costituzionali di uguaglianza e tutela della salute come diritto fondamentale dell'individuo e interesse della collettività. Il diritto alla salute rappresenta uno dei diritti sociali fondamentali riconosciuti dalla Costituzione, ma è anche uno dei più fragili, perché dipende dalle risorse pubbliche che la collettività decide di destinare alla sua tutela. La definizione dei LEA costituisce, in questo senso, non solo uno strumento tecnico di programmazione, ma anche un limite costituzionale alle riduzioni indiscriminate della spesa sanitaria, poiché individua prestazioni che devono essere garantite in modo uniforme su tutto il territorio nazionale³⁰.

È in questo quadro che assumono particolare rilievo le persistenti criticità del rapporto tra Stato e Regioni nella programmazione, nel finanziamento e nel controllo dell'attuazione dei LEA: in assenza di strumenti realmente efficaci di indirizzo, coordinamento e monitoraggio e di risorse adeguate per la garanzia dei livelli essenziali, il principio di autonomia rischia di tradursi in una tutela diseguale dei diritti, compromettendo l'uniformità sostanziale delle prestazioni garantite ai bambini sull'intero territorio nazionale. Il riconoscimento del diritto

³⁰ Antonini L, Zamagni S. Pensare la sanità. Terapie per la sanità malata. Studium edizioni 2025

alla salute come diritto incompressibile e la definizione della spesa sanitaria come costituzionalmente necessaria devono certamente orientare le scelte del legislatore, ma non possono essere interpretati come una giustificazione indiscriminata di qualsiasi spesa sanitaria. Allo stesso tempo, l'esperienza degli ultimi anni mostra la persistenza di gravi divari tra i sistemi sanitari regionali: alcune Regioni garantiscono livelli di assistenza tra i migliori a livello internazionale, mentre altre hanno difficoltà da tempo ad assicurare pienamente i LEA. Anche gli interventi sostitutivi dello Stato, attuati attraverso il commissariamento delle Regioni con maggiori criticità, non hanno sempre prodotto i risultati attesi, come dimostrano situazioni in cui, nonostante un prolungato controllo statale, i problemi organizzativi e assistenziali sono rimasti irrisolti. Ciò conferma che la tutela del diritto alla salute richiede non solo adeguate risorse, ma anche capacità organizzativa e responsabilità istituzionale orientate alla riduzione delle disuguaglianze. Come sottolineato anche in un editoriale pubblicato su *The Lancet*, il miglioramento del Servizio Sanitario Nazionale non può basarsi esclusivamente sul finanziamento delle singole criticità, ma richiede una visione complessiva del sistema e una gestione più appropriata ed efficiente delle risorse disponibili³¹. In questa prospettiva, non è sufficiente intervenire con finanziamenti occasionali o misure emergenziali rivolte a singole criticità. È necessario invece adottare una visione sistemica e di lungo periodo, capace di coniugare un adeguato livello di finanziamento con una programmazione stabile, coerente e orientata al rafforzamento strutturale del Servizio Sanitario Nazionale. In assenza di questa prospettiva, anche l'aumento delle risorse rischia di non tradursi in un miglioramento reale dell'equità e della qualità dell'assistenza³²

A questi problemi si aggiunge la persistenza di modelli organizzativi ancora inefficaci nell'assistenza materno-infantile, come il mantenimento di punti nascita non sicuri, e il rischio che le riforme strutturali previste dal PNRR non riescano a tradursi in un reale miglioramento dell'assistenza pediatrica senza un adeguato investimento in personale e integrazione dei servizi.

Affrontare tali criticità richiede un approccio integrato e di lungo periodo. È necessario rafforzare i servizi nelle aree più svantaggiate, ridurre i divari territoriali, investire

³¹ The NHS is sick, but it is treatable. Editorial *Lancet* Vol 401 January 28, 2023
<https://www.thelancet.com/action/showPdf?pii=S0140-6736%2823%2900164-2>

³² Remuzzi G. *In punta di piedi*. Mondadori Libri 2025

nell'assistenza materno-infantile, potenziare le reti per le malattie rare e le cure palliative pediatriche, garantire l'uniforme applicazione degli screening neonatali e sviluppare modelli sostenibili per l'accesso alle terapie innovative. Al tempo stesso, occorre ripensare l'organizzazione dell'assistenza pediatrica, superando la frammentazione tra ospedale e territorio e assicurando una reale integrazione dei servizi, in grado di garantire continuità di cura e presa in carico globale.

Ridurre le disuguaglianze nella salute dei bambini non rappresenta solo una priorità sanitaria, ma costituisce una responsabilità etica e istituzionale che misura il grado di civiltà di un Paese. Garantire equità nella salute dell'infanzia significa investire nel futuro della società e rafforzare, nei fatti, la qualità democratica del nostro sistema sanitario.

17 aprile 2026