

Enfermedad huérfana *versus* humanidad huérfana

M^a José Ponce Ponce, Beatriz Vázquez Domínguez,
Joaquín Santana Flores, Yolanda Freire Pérez
Dirección: Joaquín Herrera Carranza

Enfermedad huérfana.

Los países desarrollados tienden hacia sistemas de salud integrada, donde la calidad, la cobertura y la accesibilidad estén garantizadas. En la práctica y por diversos motivos, en la mayoría de los casos económicos, esto no siempre es posible. Un ejemplo claro lo constituyen los medicamentos huérfanos.

Por medicamento huérfano se entiende aquel que es imprescindible en el tratamiento de una enfermedad o situación clínica de baja incidencia. Por esta razón, las compañías farmacéuticas son reticentes a su fabricación y comercialización. Así se llega al concepto de enfermedad huérfana, que es aquella que carece de tratamiento eficaz, de igual forma existen pacientes desatendidos, no porque la ciencia no pueda ofrecerle soluciones eficaces, sino porque estas soluciones no han sido comercializadas.

Existen unas cinco mil enfermedades raras para las que no existe ningún tipo de tratamiento. Éstas afectan a mil personas por cada millón de habitantes. En Europa estas enfermedades afectarían a 370.000 personas que, a falta de soluciones políticas y económicas más que sanitarias o científicas, se encontrarían en situación de desamparo.

La raíz del problema es fundamentalmente económica. El concepto de medicamento huérfano surge a consecuencia del proceso legislativo que exige demostración de seguridad y eficacia como requisitos de autorización de nuevos principios activos. Desde que una sustancia se vislumbra en la mente del investigador como posibilidad terapéutica, hasta que ésta está en condiciones de ser prescrita y dispensada, pueden pasar más de diez años. Por esta razón, no es difícil imaginar que los gastos en programas de investigación serán exorbitados y en consecuencia estos programas sólo serán desarrollados en función de expectativas razonables de mercado, centrándose en situaciones clínicas de alta incidencia, capaces de amortizar la gran inversión realizada.

Las múltiples consecuencias de este problema afectan tanto a investigadores, pequeñas compañías, profesionales sanitarios y en último término como mayores afectados, a los pacientes de este tipo de dolencias, que se ven sometidos a un ostracismo sanitario del que difícilmente podrán salir si no se toman medidas agresivas de carácter político, económico y burocrático al respecto.

Se frena el espíritu investigador, se limitan curiosidad y conocimiento. La imaginación, las buenas ideas se diluyen por multitud de pasillos a la espera de recursos.

La pequeña compañía no puede afrontar los gastos de producción y comercialización de los medicamentos huérfanos, que quedan sujetos a la *caridad* de las grandes compañías, cuando no reducidos a productos no patentables.

El profesional sanitario se pregunta qué fue de las buenas prácticas médica y farmacéutica, cuando se ve imposibilitado de prescribir y dispensar medicamentos eficaces para patologías raras pero reales, destinados no a otra cosa que a salvar vidas.

Los pacientes aquejados de enfermedades huérfanas se sienten marginados desde el punto de vista sanitario porque su enfermedad carece de interés comercial. De forma curiosa se *fuera* al enfermo a financiar su propio tratamiento. Resulta paradójico, o al menos inquietante, que una enfermedad no pueda empezar a ser atajada hasta que no haya un mínimo de enfermos que hagan rentable el tratamiento.

He aquí algunos ejemplos que ilustran la problemática existente:

—En sistemas retributivos al acto médico, como el estadounidense, la corticotropina en el tratamiento de la esclerosis múltiple no es cubierta por las compañías de seguros.

—Pentamidina es un antibiótico escaso, utilizado en un tipo raro de neumonía.

—Para el uso de zidovudina en tratamientos de SIDA, este fármaco tuvo que ser incluido en las listas de medicamentos huérfanos.

—L-5-hidroxitriptófano es un medicamento huérfano en el tratamiento del síndrome de Down, mientras que en muchos países su indicación única es la mioclonía postanóxica.

Las dimensiones de un problema, en su raíz económico pero de amplias repercusiones éticas y humanitarias, ha instado a los gobiernos a desarrollar políticas capaces de paliar esta laguna sanitaria.

Pioneros en esta experiencia fueron Estados Unidos y Japón, que desde 1983 desarrollan programas para incentivar la investigación en este tipo de medicamentos. Las medidas más importantes tomadas al respecto han sido: La financiación económica de proyectos de investigación, tanto a universidades como a pequeñas compañías; la extensión del periodo de validez de los derechos de patente y la relajación del proceso legal de aprobación del medicamento huérfano. Es importante destacar que esta *via rápida* de legalización de medicamentos huérfanos ha sido utilizada para otros que simplemente eran urgentes; así, en las listas confeccionadas al respecto aparecen muchos tratamientos del cáncer y todos los del SIDA. De otro modo, la estricta legislación americana (FDA) no habría permitido la rápida comercialización de los tratamientos de SIDA al tratarse de una enfermedad muy reciente.

Proyectos similares al americano se gestan en estos momentos en la Unión Europea, que se dotará de un estatuto especial para medicamentos huérfanos.

La industria farmacéutica española parece haberse hecho eco del problema. Concretamente Farmaindustria trabaja hace algunos años para que existan fármacos para pequeños colectivos, sin otro ánimo que el humanitario.

Plantear el tema de la sanidad huérfana desde una óptica bioética entraña una serie de dificultades, más de definición que de concepto, pero *dificultades al fin y al cabo*. ¿Dónde están los límites? ¿Quién ha de marcarlos? Se habla de consenso de mínimos, ¿pero no son acaso los enfermos huérfanos un colectivo marginado por mor de tanta generalización?

Y lo peor es que de forma subliminal, el consciente y el subconsciente se van impregnando de mensajes desensibilizadores, capaces en último término de justificar *pequeños males* en pos de un bien común. Se usa a la persona como medio, no como fin en sí mismo.

370.000 europeos padecen enfermedades sin tratamiento. Una humanidad huérfana de todo, muere de la peor enfermedad: el hambre. No hay diferencia, aun en el colectivo más grande el sufrimiento es individual.

Humanidad huérfana.

A tenor de lo visto hasta ahora, no resulta difícil imaginar hasta qué punto se deben trasponer los términos para redefinir la idea de humanidad huérfana cuando se trata de países en vías de desarrollo.

La primera dificultad radica en el simple hecho de nombrarlos. Descartado Tercer Mundo, hay situaciones que no admiten llamarse *Mundo*, aunque le precedan otros dos (?) supuestamente mejores. La tendencia en los últimos años es llamarlos *Low income countries* o países de renta baja, tampoco parece acertado, es un término demasiado economicista para referirse a millones de personas necesitadas. *En vías de desarrollo* lleva implícito el sarcasmo, pero también la esperanza. Dejémoslo estar.

Según la OMS, por salud hemos de entender no solamente la ausencia de afecciones o enfermedades, sino un estado completo de bienestar físico, mental y social. La definición puede decirse universal, pero...¿Significa lo mismo para un zaireño que para un francés? Por supuesto que no. Lo penoso es que ya nada nos sorprende.

Gran parte de la población de los países en vías de desarrollo se encuentra sanitariamente desatendida. La lista de productos huérfanos para cualquiera de ellos sería interminable. Sin duda estarían encabezadas por el agua y los alimentos. 800 millones de personas sufren desnutrición crónica. En la última Cumbre Mundial sobre la Alimentación, organizada por la FAO en Roma, el pasado noviembre, se acordó reducir este número a 200 millones para el año 2020. ¿Cuántos morirán hasta entonces? Y lo más aterrador: ¿Cuántos morirán después?

Los presupuestos en sanidad son escasos. El PNB per cápita en España es de 12.450 dólares, el porcentaje dedicado a salud es del 14%. El PNB per cápita en Guatemala es de 1.000 dólares, a sanidad se dedica el 10%.

Se favorece la sanidad privada frente a la pública, se pueden encontrar lujosas clínicas en las grandes ciudades mientras que en zonas rurales los niños mueren de una simple diarrea a falta de suero fisiológico. Un tratamiento de rehidratación cuesta nueve pesetas, fallecen tres millones de niños al año por esta causa.

Las cifras, los datos, se multiplican al infinito. Vivimos la *era del sondeo*, gráficos de barras, índices, porcentajes, diagramas de sectores no pueden cuantificar el hambre, el dolor y la miseria, menos aun cuando no se conocen, no se buscan soluciones prácticas y efectivas que den un poco de esperanza a quienes carecen de todo.

No se trata de un único vacío, de una simple carencia dentro de un sistema sanitario medianamente organizado, como era el caso del medicamento huérfano; estamos hablando de la privación absoluta en la salud, en la educación, en la cultura, en todo aquello que contribuye al crecimiento de la persona; en estos términos cualquier intento de definir sistema sanitario resulta vano.

La salud va más allá de lo sanitario, pero sin unas condiciones sanitarias básicas es imposible el bienestar integral, personal y colectivo, que entendemos por salud.

Las desigualdades económicas impiden a gran parte de la población luchar contra la enfermedad. Cuando los recursos, (que no las posibilidades) son escasos y están mal gestionados, los presupuestos para salud, educación y cultura son los primeros que se resienten. Quizá parezca sorprendente, pero analizando a fondo el problema, las semejanzas con las tácticas gubernamentales y políticas de los que se llaman países desarrollados son patentes. La diferencia estriba únicamente en la magnitud, pero la raíz es clara y común; el desarrollo económico de un país se asocia, casi irremediamente a la regresión de lo más profundamente humano.

El problema más grave es sin duda el hambre, causante de la mayoría de las enfermedades más frecuentes en estos países. Decir malnutrición es decir infección, baja inmunidad, escorbuto, diarreas. Hablamos de un millón y medio de muertes al año.

Por debajo del millón de muertes están la hepatitis, el SIDA y la tuberculosis; y aunque los mayores porcentajes de mortalidad los tiene esta humanidad huérfana, se dedican enormes recursos para la investigación porque son enfermedades compartidas por ambos mundos. Paralelamente se encuentran desatendidas, inexistentes o seculares en países desarrollados pero que afectan a gran parte de la población, en la mayoría de los casos con tratamientos perfectamente conocidos.

Con frecuencia se presentan los problemas del Sur como una amenaza de nuestra propia seguridad; así ocurrió con la peste en La India, el cólera en Latinoamérica, el ébola en África o el mismo SIDA. Cuando aparecieron en Francia los primeros casos de esta enfermedad, el despliegue en investigación fue proporcional al terror que causó; se consideraba y aún hoy se considera en determinados círculos, una enfermedad vergonzante, una amenaza. La investigación se inició a un ritmo vertiginoso, frenar el desconocimiento para aplacar el pánico. Buscando el origen geográfico del SIDA se llegó a África; «las distancias no existen, la enfermedad no tiene fronteras», se decía en aquellos momentos.

Los mayores índices de SIDA en heterosexuales, mujeres y niños se dan en África, donde las madres portadoras o enfermas, no tienen otro remedio que amamantar a sus hijos porque morirían antes de hambre que de SIDA.

Lo que en Salud Pública denominamos con el término de *transición epidemiológica* sigue en los países desarrollados una evolución lógica, se pasa progresivamente de un tipo de problemas a otros, más acordes con la evolución de la vida moderna, a la vez que se van buscando las soluciones adecuadas a cada situación. Enfermedades como la diabetes, la hipertensión y la obesidad surgen tras la Revolución Industrial, debido a los cambios en la dieta, al aumento del sedentarismo, etc. Paradójicamente los países en vías de desarrollo suman a su propia problemática muchos de los inconvenientes del desarrollo en Occidente. Así conviven la malnutrición y las enfermedades infecciosas con un alto índice de cáncer, gran número de accidentes de tráfico y problemas medioambientales, en sociedades que no están preparadas para soportar semejante carga.

En esta tesitura no podemos afrontar el concepto de enfermedad huérfana en los mismos términos en que lo hacíamos para países desarrollados; hay similitudes, se trata de enfermedades que económicamente no son sostenibles por el país que las padece ni rentable para el que puede proporcionar tratamiento, pero hay una gran diferencia: la incidencia, son millones los afectados, millones los muertos. El hecho en sí; desatención, abandono, ostracismo, no es justificable en ninguno de los dos casos, (hablamos de personas, en ningún caso de frías estadísticas), pero las repercusiones éticas son más graves si

cabe cuando hablamos de humanidad en lo que influyen en el pensamiento, en los valores y en la moral de una sociedad que se llama civilizada.ç

Ortega y Gasset, en su libro *La Rebelión de las masas*, publicado en 1937, dice: «La violencia, ha llegado a su máximo desarrollo, y esto es un buen síntoma, porque significa que automáticamente va a iniciarse su descenso». Sesenta años después las palabras de Ortega pueden parecer equivocadas; quizás no sea del todo cierto. La violencia ha sufrido múltiples metamorfosis, escisiones, divisiones y subdivisiones, ha cambiado en sus formas; la Segunda Guerra Mundial, la Guerra Fría, 800 millones de personas pasan hambre. Siempre pueden sobrevenir catástrofes mayores, todo el mundo lo sabe, pero se han de buscar las soluciones adecuadas al momento. Esto es lo que nos preocupa, que la ausencia de un único culpable, de un cabeza de turco nos sirvan como excusa para desentendernos de toda responsabilidad. Nos preocupa la involución, el primitivismo al que tendemos sin tomar conciencia ni posesión de nuestras posibilidades que son muchas. ¡Hay tanto por hacer! ¿Es posible remediar tanto desarraigo? Por supuesto que sí: el hombre es libre por naturaleza, tiene en su mano la posibilidad de elegir entre todas las opciones la mejor posible y alguna vez lo hará.