

Letter to the editor

Pandemic, public policy and ethics***Pandemia, política pública y ética***

Dear Editor:

The reality has been overwhelmed by the pandemic: tensions between the different national and regional authorities, high costs (still unknown), constantly changing and contradictory protocols, infection of large numbers of health workers and consequences on individual health and rights not always justifiable. This event do not occur in isolation but linked to economic, political and social processes.¹ Define a public policy is making a judgment in a context where the results and probabilities are simply unknown. Decisions must be based on the best scientific evidence available, but often there is no evidence. A public health emergency disrupts the normal processes of patient care. An ethically sound framework must balance the duty of care that requires patient loyalty, the alleviation of suffering and respect for the rights and preferences of patients with the duties of promoting equity, public safety, and protecting the health of the community and fairly allocate limited resources. Health care leaders have a duty to plan for the foreseeable ethical challenges. Classification decisions need to be made regarding the level of care, decisions regarding the shortage of personal, space and supplies, safeguard workers and protect vulnerable populations.²

Actions on the population, although they are intended to guarantee a benefit for the aggregate health of the community, do not necessarily do so for each person, who must assume limitations on their freedom and personal losses. Public health introduces tensions in people's autonomy. The concern caused by the imposition of obligations or restrictions on the group of still healthy citizens in name of possible additional improvements, of doubtful benefits or of an uncertain balance between their damages and benefits requires more justification than has been provided, since it leads to interference in elections and personal lives.³ What offers a lot of good to the community can be catastrophic for the individual. It has had a tremendous cost: the victims, those affected by the virus with its morbidity and mortality, and their families, with the consequent economic and social repercussions, the suspension of educational activities and restriction of our personal liberties. So are those who have not received enough attention from the health system due to the amount of resources dedicated to the prevention and control of the epidemic.⁴

Clinical medicine has an ethical contract to care for patients, maximizing beneficence and minimizing maleficence, respecting

autonomy and equity. However, public health lacks that consensus. The objectives of caring for the entire population lead the goods of society (the health of citizens) to prevail over the right of people to make their decisions autonomously. Better training and more transparent information can help us.

In this context uncoordinated and unusual responses are not surprising, with contradictory interventions that demonstrate the lack of coherence. Coordination mechanisms must be established that do not depend solely on the good understanding of the parties involved. Crises are challenges from which we must learn, with mistakes and successes, since they serve to adjust the devices and refine our response to other future, unavoidable and unthinkable crises.^{1,5} Crises are anything but unexpected.

Funding

None.

Conflicts of interest

None.

References

1. Mushlin AI. Covid-19: an imperative to bridge the gap between medicine and public health. *J Gen Intern Med.* 2020;35:2445–6.
2. Berlinger N, Wynia M, Powell T, et al. Ethical framework for health care institutions and guidelines for institutional ethics services responding to the coronavirus pandemic. *Managing Uncertainty, Safeguarding Communities, Guiding Practice.* The Hastings Center;. 2020. Available at: <https://www.thehastingscenter.org/ethicalframeworkcovid19>.
3. Skrabanek P. Why is preventive medicine exempted from ethical constraints? *J Med Ethics.* 1990;16:187–90.
4. Segura A. What can be learned from the management of pandemic influenza? *Gac Sanit.* 2010;24:269–71.
5. Gervas J, Hernandez Aguado I. Crisis Situations Conference Group. Successes and errors in the management of public health crises in Spain. *Gac Sanit.* 2009;23:67–71.

Fernando-Miguel Gamboa-Antiñolo

Internal Medicine, Hospital Universitario de Valme, Universidad de Sevilla, Sevilla, Spain

E-mail address: minfga@us.es

<https://doi.org/10.1016/j.gaceta.2020.09.009>

0213-9111/ © 2020 SESPAS. Published by Elsevier España, S.L.U. This is an open access article under the CC BY-NC-ND license (<http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/>).

Medicamentos huérfanos, incentivos e incertidumbre sobre su relación beneficio-riesgo***Orphan drugs, incentives and uncertainty about their risk-benefit balance***

Sr. Director:

El artículo de Vicente et al.¹ nos ha llevado a compartir algunas reflexiones. El término «enfermedad rara» está indudablemente ligado al concepto «medicamento huérfano».

Bajo la premisa de garantizar la equidad en el acceso a tratamientos a personas que padecen patologías con una prevalencia limitada, el Reglamento (CE) N.º 141/2000 establece incentivos para el desarrollo y la comercialización de medicamentos huérfanos, como la exención total o parcial de tasas, asesoramiento metodológico y la exclusividad comercial. Además, una vez en el mercado, tienen un coste desorbitado. En ocasiones se trata de medicamentos con larga experiencia de uso en otras enfermedades, cuyo precio se multiplica al obtener una nueva indicación para una enfermedad rara. Estos aspectos han suscitado un gran interés en las compañías farmacéuticas, y se ha observado un incremento en las solicitudes y las concesiones de designación de «medicamento huérfano»².

En España, el gasto hospitalario en medicamentos huérfanos fue de 625,8 millones de euros en 2017, un 10,3% del consumo hospitalario total³. Ante esta situación deberíamos tener la certeza de que estos fármacos proporcionan un beneficio real en términos de efectividad y ganancia en calidad de vida sin contribuir a un aumento de la yatrogenia.

El criterio principal para obtener la designación de «medicamento huérfano» corresponde a la prevalencia de la patología a la que se dirige, que no debe superar los 5 casos por cada 10.000 habitantes de la Unión Europea. Ello ha propiciado la desagregación artificial de enfermedades en múltiples subtipos con el fin de cumplir con el límite de prevalencia establecido y así obtener beneficios asociados al desarrollo de medicamentos huérfanos⁴. Considerando en conjunto las enfermedades raras, padecer una de ellas no es tan infrecuente, y esto puede aumentar con dicha estrategia de desagregación. Se ha estimado, por ejemplo, que los cánceres raros supondrían un 24% del total en la Unión Europea⁵. A este respecto, la reflexión de Vicente et al.¹ acerca de las dificultades para cuantificar los casos y la necesidad de analizar críticamente cualquier cifra aportada cobra todo su sentido.

En general, en el momento de la designación de «medicamento huérfano» únicamente se dispone de información *in vitro* y de datos preclínicos, por lo que la decisión se basa en asunciones sobre un hipotético beneficio clínico fundamentado en la plausibilidad médica. Sin embargo, solo un 66% de los 2233 medicamentos designados huérfanos entre 2000 y 2019 han mostrado un beneficio significativo².

La eficacia clínica de estos fármacos generalmente se fundamenta en estudios con baja calidad metodológica, seguimiento limitado y análisis de variables clínicas intermedias (se desconoce su impacto en variables robustas). Además, la información sobre su seguridad es limitada.

Es esencial asegurar el acceso de las personas con enfermedades raras a los recursos que mejoren su calidad de vida. No obstante, los mecanismos actuales no garantizan que los medicamentos huérfanos sean la vía para lograr este objetivo debido a la incertidumbre sobre su beneficio-riesgo. Los incentivos económicos contribuyen al desarrollo de este mercado, pero generan situaciones de injusticia e ineficiencia que detraen recursos para otras intervenciones necesarias en salud.

Contribuciones de autoría

Todas las personas firmantes han contribuido sustancialmente a la concepción y redacción de la carta, han aprobado su versión final para publicación y se hacen responsables de su contenido.

Financiación

Ninguna.

Conflictos de intereses

Ninguno.

Bibliografía

- Vicente E, Pruneda L, Ardanaz E. Paradoja de la rareza: a propósito del porcentaje de población afectada por enfermedades raras. *Gac Sanit.* 2020. <http://dx.doi.org/10.1016/j.gaceta.2020.02.012>.
- European Medicines Agency. Orphan Medicines Figures 2000-2019. 2020. (Consultado el 4/5/2020.) Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/orphan-medicines-figures-2000-2019-en.pdf>.
- Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. Prestación farmacéutica en el Sistema Nacional de Salud. Informe Anual del Sistema Nacional de Salud 2018. 2019 (Consultado el 28/4/2020.) Disponible en: <https://www.msbs.gob.es/estadEstudios/estadisticas/sisInfSanSNS/tablasEstadisticas/InfAnualSNS2018/Cap.7.Farmacia.pdf>.
- Simoens S, Cassiman D, Dooms M, et al. Orphan drugs for rare diseases: is it time to revisit their special market access status? *Drugs.* 2012;72:1437–43.
- Gatta G, Capocaccia R, Botta L, et al. Burden and centralised treatment in Europe of rare tumours: results of RARECAREnet – a population-based study. *Lancet Oncol.* 2017;18:1022–39.

Leire Leache*, Luis Carlos Saiz, Marta Gutiérrez-Valencia y Juan Erviti

Sección de Innovación y Organización, Servicio Navarro de Salud-Osasunbidea, Pamplona, España

* Autora para correspondencia.

Correo electrónico: lleachea@navarra.es (L. Leache).

<https://doi.org/10.1016/j.gaceta.2020.05.012>

0213-9111/ © 2020 SEPSAS. Publicado por Elsevier España, S.L.U. Este es un artículo Open Access bajo la licencia CC BY-NC-ND (<http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/>).

La calle como prioridad política

The street as a political priority

Sr. Director:

Es muy reconfortante que profesionales sanitarios, como Borrell et al.¹, aborden el tema de las desigualdades, expresión del compromiso con la salud de la población y especialmente con los más desfavorecidos. En su artículo, estas autoras nos transportan a 12 hitos de reducción de desigualdad en 10 años, de los que citan el aumento de la esperanza de vida con reducción a la mitad de la diferencia entre barrios y la reducción en un 25% del sufrimiento psicológico. Mis comentarios se dirigen a aspectos clínicos. Muchos pacientes de la banda más baja de las desigualdades ciudadanas en salud, a la tercera pregunta hipocrática que enriquece la enfermedad actual, «¿A qué lo atribuye?», responden «a estar en la calle». Estrés, insomnio, agresiones, falta de higiene, sarna, depresión, pérdida de la autoestima, dependencias de drogas, psicofármacos y violencia machista (a menudo no denunciada) confluyen en esta



atribución, con aspectos preocupantes en las mujeres y con especial énfasis en el consumo de alcohol y drogas, el desempeño de su maternidad y la violencia de género². Se aprecia a la observación. Más personas durmiendo en la calle y la anamnesis descarta la voluntad propia y demuestra que los dispositivos no responden a las expectativas.

Un clásico principio clínico es que no se diagnostica lo que no se conoce. Muchas de estas personas no existen en los censos ni en los listados sanitarios, y tampoco para los médicos de atención primaria, a pesar de que sufren enfermedades mentales y orgánicas.

Preocupa el pronóstico. Sin poder acreditarse para conseguir un puesto de trabajo, sin dinero y con obvias necesidades diarias, el deterioro es claro en las diversas esferas de la persona.

Ojalá en una ulterior revisión de las desigualdades estos indicadores cuenten también con notable mejoría. Pero los tiempos para el clínico son también diferentes. No suele poder esperar 10 años a las mejorías en sus pacientes.

Como citan Ezzati et al.³, la superación de las desigualdades en las ciudades solo puede lograrse si las administraciones municipales reconocen la presencia, las contribuciones y las necesidades