

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 SEESPAS. 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

de las poblaciones migrantes, transitorias y periurbanas, y proporcionan un acceso equitativo a una atención médica de calidad y la promoción de los derechos a un alojamiento seguro y a un entorno laboral.

Las personas sin hogar tienen tasas más altas de mortalidad prematura y una mayor prevalencia de enfermedades infecciosas y de trastornos mentales y del comportamiento que la población general. Estas poblaciones tienen una tasa de mortalidad aproximadamente 8 veces mayor para los hombres y 12 veces mayor para las mujeres que la población general⁴. Y una de cada tres de las muertes entre las personas sin hogar se debe a causas médicamente evitables⁵.

Reitero las felicitaciones a las autoras por abordar un tema tan importante como es el de las desigualdades en salud, con la esperanza de que desde sus responsabilidades consigan que no tener personas viviendo en la calle sea una prioridad política en Barcelona. Como dicen algunos autores, un auténtico barómetro de justicia social⁵.

Contribuciones de autoría

J. Delás es el único autor de la carta.

Financiación

Ninguna.

Conflictos de intereses

Ninguno.

Bibliografía

1. Borrell C, Pasarín MI, Díez E, et al. Las desigualdades en salud como prioridad política en Barcelona. *Gac Sanit.* 2020;34:69–76.
2. Duke A, Searby A. Mental ill health in homeless women: a review. *Issues Ment Health Nurs.* 2019;40:605–12.
3. Ezzati M, Webster CJ, Doyle YG, et al. Cities for global health. *BMJ.* 2018;363:k3794.
4. The Lancet Public Health. Homeless people – their health and their children's health. *Lancet Public Health.* 2017;2:e529.
5. Aldridge R. Homelessness: a barometer of social justice. *Lancet Public Health.* 2020;5:e2–3.

Jordi Delás

Servicio de Medicina Interna, Hospital Universitari Sagrat Cor, Grupo Quironsalud; Departament de Medicina, Universitat de Barcelona, Barcelona, España

Correo electrónico: jdelas@ub.edu

<https://doi.org/10.1016/j.gaceta.2020.04.015>

0213-9111/ © 2020 ESPAS. 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/>).