

**TRATAMIENTO DE LAS PERSONAS QUE VIVEN CON HEMOFILIA EN
COLOMBIA: REFLEXIONES BIOÉTICAS**

CARLOS ALBERTO RAMÍREZ CERÓN

**UNIVERSIDAD EL BOSQUE
MAESTRÍA EN BIOÉTICA
ÁREA DE INVESTIGACIÓN: BIOÉTICA Y SALUD
LÍNEA DE INVESTIGACIÓN: JUSTICIA EN SALUD
BOGOTÁ, D.C.
Agosto de 2019**

**TRATAMIENTO DE LAS PERSONAS QUE VIVEN CON HEMOFILIA EN
COLOMBIA: REFLEXIONES BIOÉTICAS**

CARLOS ALBERTO RAMÍREZ CERÓN

Trabajo de grado para optar al título de Maestría en Bioética

EDGAR MONTOYA ÁNGEL

MARÍA YANETH PINILLA ALFONSO

Tutores

UNIVERSIDAD EL BOSQUE

MAESTRÍA EN BIOÉTICA

ÁREA DE INVESTIGACIÓN: BIOÉTICA Y SALUD

LÍNEA DE INVESTIGACIÓN: JUSTICIA EN SALUD

BOGOTÁ, D.C.

Agosto de 2019

Nota de aceptación

Firma de tutores

Firma de Jurado

Bogotá, D.C, agosto de 2019

Contenido

	Pág.
Nota de aceptación.....	3
Contenido.....	4
Lista de Tablas.....	5
Agradecimientos.....	6
Resumen	7
Introducción.....	9
Comentario a la denominación <i>hemofílica</i>	10
Experiencia clínica con una persona que vive con hemofilia: Un Caso ilustrativo	12
Problemática sentida en el tratamiento de las personas que viven con hemofilia	15
Aspectos históricos y biomédicos de la hemofilia y del tratamiento de las personas que afectadas	17
Apunte histórico.....	17
Una corta mirada biomédica a la hemofilia	18
Epidemiología.....	19
Tratamiento.....	20
Complicaciones asociadas con el tratamiento	21
Nuevos tratamientos	22
Hemofilia en Colombia.....	23
Controversias bioéticas en el tratamiento de las personas que vive con hemofilia.....	25
Referentes bioéticos	26
Costos del tratamiento de las personas que viven con hemofilia.....	29
Mercado de Medicamentos de alto costo	30
Accesibilidad al tratamiento: Costos de atención de las personas que viven con hemofilia vs fuentes de financiación vs demanda de la salud	31

Postura de la industria farmacéutica: Inversión vs retorno de costos vs rentabilidad	36
Decisión médica del tratamiento: El dilema de la evidencia científica y las implicaciones de los tratamientos de las personas que viven con hemofilia	42
Reflexiones bioéticas a propósito del caso clínico	46
Conclusiones.....	50
Referencias	53

Lista de Tablas

	Pág.
Tabla 1. Características generales de las enfermedades raras	19
Tabla 2. Principios de bioética	26
Tabla 3. Modelo de una Estructura de costos de un Producto x de la industria UVW.....	36
Tabla 4. Estrategias para hacer frente a los altos precios de medicamentos: Opciones bioética y moralmente validas.....	41
Tabla 5. Atributos de la Calidad en la Atención en Salud.....	42

Agradecimientos

A las personas que viven con hemofilia
que he podido tratar en mi vida profesional...
para salud y bienestar de ellas y
satisfacción mía.

**Tratamiento de las personas que viven con hemofilia en Colombia:
reflexiones bioéticas**

Ramírez-Cerón C.A.¹

Resumen

El objetivo de este ensayo crítico fue analizar las disquisiciones e implicaciones bioéticas presentes en el tratamiento de personas que viven con hemofilia en el contexto del sistema de salud colombiano, buscando identificar la afectación de considerandos ético-morales relacionados con el acceso al tratamiento, a la luz de los principios bioéticos de *prima facie* de justicia, autonomía, beneficencia y no-maleficencia.

Como preámbulo se analiza la denominación *hemofílica*, para superar rótulos que pueden discriminar y para enfatizar en la consideración de ser personas que viven con hemofilia, y luego se describe un caso ilustrativo de la consulta clínica.

Seguidamente se revisaron aspectos biomédicos de la hemofilia y su tratamiento, así como la circunscripción epidemiológica y el manejo con factores de coagulación y medicamentos de alto costo. Se desarrollaron argumentaciones a la luz de los principios de respeto, dignidad y justicia distributiva.

Entre otros aspectos, se concluyó que la salud, como uno de los derechos humanos fundamentales es inalienable y por el cual el Estado por su condición social deben propender, de manera que el acceso a la salud se de en condiciones de una real justicia distributiva que integralmente ampare a las diferentes personas, independientemente de su condición social; de modo que la accesibilidad a los productos y tecnologías de la salud no estén restringidos por criterios discriminatorios, como el alto costo.

Finalmente se analizó desde la moral y la bioética un caso clínico que ilustra las situaciones a las que se ve abocada una persona que vive con hemofilia tipo A severa en la Colombia actual.

¹ MD. Internista - Hematólogo. Candidato a Magíster en Bioética. e-mail: <ramirezcl@me.com>

Palabras clave: Personas que viven con Hemofilia, Bioética, Derecho a la Salud, Enfermedad Huérfana, Enfermedad de alto costo.

Introducción

La hemofilia se considera un trastorno hematológico crónico genéticamente determinado, en el cual el proceso de coagulación sanguínea se encuentra alterado con riesgo u ocurrencia de hemorragias recurrentes y otras afectaciones (Federación Mundial de Hemofilia [FMH], 2012), que no obstante, es una condición orgánica tratable y no necesariamente fatal que se caracteriza por su cronicidad, secuelas a corto plazo y gran discapacidad de las personas afectadas.

La prevalencia e incidencia de la hemofilia son epidemiológicamente bajas, de manera que las personas que viven con esta condición, desde temprana edad como en su posterior adolescencia y adultez configuran un segmento poblacional reducido. En el caso de Colombia, según la Cuenta de Alto Costo [CAC] (2019) en el país viven 2.237 personas con hemofilia (4,64 por 100.00 habitantes). las cuales requieren tratamiento especializado, soporte terapéutico, apoyo social y familiar e integración laboral (ColHemofilicos, 2001).

Los *pacientes hemofilicos*, hoy reconocidos como *personas que viven con hemofilia* (Jadhav, Mukherjee y Lalwani, 2012) y sus familias forman parte del segmento de las llamadas *enfermedades raras* que requieren *tratamientos huérfanos*. Se les denomina raras por la consideración epidemiológica de su baja prevalencia e incidencia poblacional (Quirland-Lazo et al., 2017) y huérfanas por cuanto al no comprometer un registro amplio de personas potenciales *usuarias* de los fármacos y de esquemas de tratamiento, pocas entidades privadas e industrias farmacéuticas están interesadas en hacer inversión en su investigación y mejoramiento de la eficacia terapéutica (Ministerio de Sanidad, 2013) al considerar que el retorno de la inversión no es económicamente rentable.

Como allí se aprecia, estas características hacen de las personas que viven con hemofilia, de su atención y particularmente de su tratamiento un escenario donde los conflictos éticos y bioéticos están al orden del día y ameritan ser revisados. En tal sentido el presente ensayo reflexiona sobre los conflictos bioéticos presentes en el tratamiento de las personas que viven con hemofilia a la luz de los principios de *prima facie* como son la justicia, la autonomía, la beneficencia y la no maleficencia. A partir de esto se analiza los elementos bioéticos que deben ser tenidos en cuenta para un tratamiento óptimo desde las perspectivas de la persona y

su familia, del sistema de salud, de la industria farmacéutica y finalmente del equipo médico tratante.

Para ello, el ensayo inicia con un análisis humanitario y se reconsidera la denominación de *paciente hemofílico* para luego presentar la historia clínica y la situación humana de Juan², la cual permite poner en perspectiva la problemática de las personas que viven con hemofilia.

Posteriormente se contextualiza la enfermedad brindando un apunte histórico de la hemofilia y se da una breve mirada biomédica centrada en la epidemiología, el tratamiento, la investigación genética y en Colombia el desarrollo de la entidad ColHemofílicos que agrupa tanto a las personas que viven con hemofilia como a sus familias.

Seguidamente se desarrolla el análisis bioético tocando aspectos como los costos del tratamiento y su accesibilidad, la postura de la industria farmacéutica con la emulación de un modelo farmacoeconómico de definición financiera usado en una empresa multinacional que denominaré UVW³, para luego argumentar los conflictos ético-morales en torno a las precios finales de los medicamentos y su relación con la postura médica de prescripción de los tratamientos.

Luego de esto, desde un mirada moral y desde los principios bioéticos de justicia, autonomía y beneficencia se rememora el caso de la historia de vida de Juan ² que ilustra las situaciones cotidianas a las que se ve abocada una persona que vive con hemofilia tipo A severa en la Colombia actual.

Finalmente y a manera de colofón se presentan las conclusiones que considero pertinentes y arriesgo unas recomendaciones para el mejoramiento de las condiciones de tratamiento y con ello de la calidad de vida de las personas que viven con hemofilia.

Comentario a la denominación *hemofílica*

Como punto de partida o tal vez a modo de navegación, como persona y profesional médico

² Por respeto al derecho de confidencialidad de esta persona, se da un nombre ficticio (N. del A).

³ También por el principio de confidencialidad, el nombre comercial de la empresa farmacéutica de la cual proviene el modelo farmacoeconómico que se describe se mantiene en reserva y se asigna una sigla ficticia (N. del A.).

que llevo estudiando y atendiendo a personas que viven con hemofilia por más de 25 años y trabajando como asesor científico de la liga Colombiana de Hemofílicos (ColHemofílicos) y Hematólogo de cabecera de muchas de las personas afectadas, propongo en este ensayo de Maestría en Bioética sugerir, impulsar y esencialmente ejemplificar un cambio idiomático en la ya acostumbrada y trillada denominación de *paciente hemofílico*, por una acepción que exprese en primera instancia la consideración de *'ser persona'* y ahí sí, mencione luego la condición de la hemofilia, que mucho más que una enfermedad es una condición orgánica de la salud, en tanto que bajo esquemas de tratamiento adecuadamente seguidos, con la tecnología actual de la salud, pero sobre todo con una actitud proactiva de prevención y promoción de vida saludable le permite a la ***Persona que vive o convive con hemofilia***, reconocer su dignidad, tener una larga sobrevivencia y una buena calidad de vida superando el signo de su condición física.

Adicional a un cambio idiomático del lenguaje oral, escrito o visual, que supere tanto la rotulación, como expresiones que puedan generar o enmascarar modos discriminativos explícitos o implícitos que inducen a una resistencia actitudinal, el propósito es impulsar un cambio paradigmático integrador en la forma de ver e interactuar con las ***Personas que viven o conviven con hemofilia***, de manera que en lo sucesivo y para todo efecto la interacción y convivencia esté claramente signada por una actitud de respeto junto con la consideración humanística de todos como seres humanos y como personas.

Lo anterior no es nada exuberante o excesivo o un esnobismo en tanto que la literatura especializada (Jadhav, Mukherjee y Lalwani, 2012) lo ha venido expresado, sin embargo, en nuestro contexto no se ha popularizado.

Proponer desde la bioética esta expresión es condensar y expresar los principios de dignidad y respeto por las **personas que viven o conviven con hemofilia**, porque se reconoce a las personas como seres dignos y sujetos de derecho y respeto, eliminando estigmas que acompañan a las personas que vive con una particularidad y hace que su excepcionalidad empodere y potencie labores sociales y personales de prevención y promoción de la salud, de manera que el modo en que los mencionamos, describimos y concebimos muestra una postura bioética de nuestra parte y es un elemento determinante para responder eficazmente por las acciones y cuidados de la salud.

Además se sincroniza con la tendencia mundial que ha proscrito de la literatura especializada

y del uso cotidiano las expresiones y rótulos como ‘paciente canceroso’, ‘sidoso’, ‘portador de VIH’, el ‘epiléptico’, el ‘autista’, el ‘diabético’, el ‘esquizofrénico’ y el ‘retardado mental’, entre otros muchos.

La UNESCO (Organización de las Naciones Unidas para la Educación, la Ciencia y la Cultura) en el caso del VIH (Virus de Inmunodeficiencia Humana) afirma que “el uso de esos términos y rótulos no son correctos, pueden ser insultantes y hasta estigmatizadores, luego sugiere que se hable de *las personas viviendo con...*”. (UNESCO, 2008, p. 26), que más que un rotulo es una descripción de una realidad de la persona, que para nada tampoco se pretende esconder.

Para efecto de lo anterior se hace notar que en este ensayo, de manera intencional, se eliminó y se reescribió toda mención o uso de términos que fuesen rotulantes de la enfermedad, prefiriendo hacer referencia a **Personas que viven o conviven con hemofilia** e incluso llevando a centrar toda la atención y el tratamiento en la persona y no en la patología, luego no se habla del tratamiento de la hemofilia, sino del tratamiento de la persona con..., vista como un ser humano integral, en el que la consideración de persona, la reconoce como agente moral, con capacidad humana para defender sus propios derechos.

Experiencia clínica con una persona que vive con hemofilia: Un Caso ilustrativo⁴

Juan⁵ es un hombre que vive en una ciudad intermedia de Colombia, tiene 35 años, es ingeniero de sistemas, trabaja en una empresa comercial, está casado y considera que tiene una buena relación con su esposa y por ahora no tienen hijos.

Juan fue diagnosticado con hemofilia tipo A severa desde su infancia, época en la cual fue tratado con transfusiones de derivados sanguíneos (crioprecipitados). A los 20 años sus sangrados empezaron a ser manejados con factor VIII derivado de plasma. A los 25 tuvo un accidente automovilístico, situación que lo llevo a recibir altas dosis de factor, después de esto desarrollo inhibidores de alta respuesta y desde entonces viene recibiendo factores *bypass* (o

⁴ Este caso clínico procede de la consulta privada del Autor, como Médico hematólogo que trata casos de personas que viven con hemofilia. (N. del A.).

⁵ Nombre ficticio, con el cual se describe una historia personal, pero que permite ejemplificar la situación usual de una persona que viven con hemofilia en Colombia. (N. del A.).

agentes de puente) para controlar los sangrados. Desde hace un año se le prescribió profilácticamente factor VII activado (agente de puente) en un esquema de 3 veces por semana, el cual se administra por vía endovenosa en dosis estándar. Con este tratamiento la frecuencia de los sangrados había disminuido considerablemente y Juan se sentía mucho mejor y él y su esposa estaban más tranquilos en cuanto a la salud de Juan se refiere. Juan no ha tenido un seguimiento regular por un hematólogo, por este motivo nunca le propusieron una terapia de inmunotolerancia que es el tratamiento estándar para poder erradicar los inhibidores que había desarrollado.

La otra cara de la historia de Juan es que su vida ha sido marcada por los sangrados que le genera la hemofilia, los cuales se presentaban 1 o 2 veces al mes. El sangrado en sus articulaciones le generó una artropatía crónica que le limita el movimiento de rodillas y tobillos principalmente, situación que afectó el desarrollo de su vida personal, profesional y laboral, pues atender su enfermedad le ha implicado entre otras cosas, frecuentes ausencias laborales e incapacidades médicas, hecho que ha llevado a que sea reubicado de puesto de trabajo.

Juan recibe atención médica en una IPS (Institución Prestadora de Servicios) local, allí el hematólogo viaja cada 2 meses desde Bogotá, prescribe el tratamiento y manejo, el cual queda a cargo de una enfermera jefe.

En 35 años Juan no ha recibido tratamiento integral: lleva varios meses sin ser examinado por el ortopedista, no tiene seguimiento de medicina física y rehabilitación, no ha tenido consulta odontológica en el último año y tampoco atención psicológica. Estas situaciones han hecho que su vida de interacción social se vaya limitando paulatinamente y hoy día prefiera no salir de casa.

En medio de todas estas ausencias Juan tiene un nuevo tratamiento que ha mejorado su calidad de vida, sin embargo en los últimos meses su entidad aseguradora (Entidad Promotora de la Salud, EPS) no le entregó las dosis del factor de manera regular, alegando falta de medicamentos, demora en la compra, etc., esto había generado que Juan presentara de nuevo hemorragias con mucha frecuencia.

Esta es la vida de Juan narrada por Juan cuando le conocí través de un colega hematólogo

quien lo remite como probable candidato a un ensayo clínico fase III-b⁶ en el cual se evalúa la seguridad de una nueva molécula: un anticuerpo monoclonal con características similares al factor VIII, que en los estudios previos de desarrollo ha mostrado mayor eficacia que los agentes de puente.

Los participantes en este ensayo reciben voluntariamente el medicamento de estudio durante dos años y se hace seguimiento de acuerdo con un estricto protocolo de manejo. El producto es suministrado sin costo por el patrocinador del ensayo multicéntrico, es indispensable que la persona acepte el tratamiento, suspenda el tratamiento previo que viene recibiendo y se administre el medicamento ZYX⁷ en estudio.

Juan aceptó ser evaluado para ingresar al estudio clínico y se encontró que adicional con su condición de persona que vive con hemofilia, presenta diabetes mellitus tipo II, hipertensión arterial, obesidad e hiperlipidemia y a pesar de asistir permanentemente al espacio médico, ninguna de estas condiciones de salud le habían sido diagnosticadas previamente y mucho menos tratadas.

Tanto Juan como su familia han reportado que se sienten mejor tratados medicamente ya que lo han examinado con mayor detalle y también se le ha suministrado tratamiento para las comorbilidades que presenta.

Finalmente, después de someterse a una rigurosa evaluación médica, Juan es incluido en el estudio y se inicia manejo terapéutico con la nueva molécula. A la fecha, la evolución clínica de Juan ha sido satisfactoria, completa un año en el ensayo experimental y ha tolerado adecuadamente el nuevo medicamento, no ha presentado eventos de sangrado durante el seguimiento.

En este año sin hemorragias Juan ha tenido mejores desempeños físicos al gozar de mejor salud, tener menor ausentismo laboral y ha podido ser más productivo en su trabajo. Para las

⁶ Los estudios clínicos en fase III-B comparan la seguridad y la eficacia de un nuevo tratamiento con el tratamiento estándar actual, luego que ha sido sometido a la autoridad regulatoria y antes de su aprobación y lanzamiento, y se realizan para efectos de análisis fármaco-económico y valoración de la calidad de vida asociada (Cancer.org, s.f.).

⁷ ZYX es una sigla ficticia. También por considerandos bioéticos, se preserva el nombre del nuevo medicamento que hasta ahora está siendo sometido a una investigación tipo experimento clínico (N. del A.).

demás afecciones de salud que se le diagnosticaron (diabetes mellitus tipo II, hipertensión arterial, obesidad e hiperlipidemia) ha iniciado controles con un médico particular y está recibiendo tratamiento dentro del plan complementario de atención de la EPS. Ha evolucionado satisfactoriamente aun cuando es consciente que sus tratamientos también serán de desarrollo crónico y requieren cambios en su estilo de vida cotidiano empezando por una mayor actividad física y superación del sedentarismo para un vida saludable de promoción y prevención.

Al finalizar el estudio clínico, Juan tendrá que regresar con su médico de la IPS correspondiente y ya será decisión del médico tratante que Juan regrese al tratamiento previo o pueda continuar con el medicamento del estudio una vez ya esté aprobado su uso en nuestro país.

En lo personal este proceso le ha permitido a Juan un mejoramiento de la calidad de vida y de las posibilidades de desarrollo laboral, además que le ha traído a su núcleo familiar tranquilidad por las mejores condiciones de atención de salud. Su actitud ante la vida se ha tornado más positiva y le ha permitido recuperar vínculos socioafectivos con su familia extensa y una mayor interacción con su entorno social, aun cuando la modificación de hábitos para incorporar estilos saludables hasta ahora está en fase incipiente.

Problemática sentida en el tratamiento de las personas que viven con hemofilia

Como se puede observar el tratamiento de las personas que viven con hemofilia se configura en un eje central en sus vidas en tanto lo requiere indefectiblemente bajo riesgo de la afectación de su salud, de la calidad de vida o de la complejización del caso en términos de morbilidad y riesgo de mortalidad (Ministerio de Salud y Protección Social e Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud, 2015), esto debe ser independiente de aspectos como la disponibilidad de los tratamientos y de los costos que conlleve la atención y el tratamiento (Ley 1392 de 2010; Resolución 123 de 2015).

Ante la necesidad vital del tratamiento para estas personas, se encuentra la industria farmacéutica que, en principio argumenta, que no ve en esta enfermedad y pacientes, un campo de producción y de investigación que amerite una inversión sostenible con un esperado retorno y rentabilidad que la hagan financieramente razonable (Ministerio de Sanidad, 2013),

aun así un grupo reducido de casas farmacéuticas han llevado a cabo investigación y producción de medicamentos, se considera que en este caso las características de la hemofilia ha promovido que los medicamentos tengan precios elevados y casi que inaccesibles para las familias afectadas (Chaves-Restrepo, 2016). Según Currea (2019) y Vaca (2018) la Organización Mundial del Comercio (OMC) considera que el mercado de medicamentos huérfanos genera un nivel de competencia escasa la cual eleva los precios a niveles monopólicos.

Por su parte, al Sistema General de Seguridad en Salud (SGSSS) le corresponde dar soporte financiero de la terapéutica y la atención tanto por la consideración humanitaria como por la legislación actual que así lo indica (Ley 1392 de 2010, Resolución 5265 de 2018), independiente del costo que se requiera y de la economía de la salud. Los medicamentos para el tratamiento de la hemofilia están incluidos en el Plan Obligatorio de Salud -POS- y su pago es cubierto en totalidad por el Sistema General de Seguridad Social en Salud (SGSSS).

Allí mismo, las EPS e IPS específicamente son entidades de rol intermediario y ejecutoras del sistema de salud que no obstante de recibir, administrar y ejecutar recursos financieros estatales de la salud con mucha frecuencia son agentes disruptores del proceso de atención de salud, aun cuando es claro que “tienen la obligación de ofertar servicios de calidad y establecer mecanismos para controlar y evaluar sistemáticamente la atención integral, eficiente, oportuna y de calidad de los servicios de salud prestados” (Kerguelén, 2008, p. 39). De hecho, la cantidad de quejas y acciones de tutela interpuestas y falladas a favor de los usuarios (Defensoría del Pueblo, 2019) es una muestra de que la atención presenta serias fallas y las EPS e IPS no están cumpliendo a cabalidad la misión que el SGSSS les ha encomendado y por la cual se les está pagando con recursos públicos.

En lo que al médico se refiere, dentro de su autonomía profesional debe prescribir los tratamientos pertinentes con base en la mejor evidencia científica para beneficio de la salud de la persona y ser clínicamente acertado (efectividad, eficacia y eficiencia y seguridad del tratamiento) (Roselli y Rueda, 2011), con lo cual la persona mejora su estado de salud, aun cuando también debe ser socialmente responsable y racional al considerar implicaciones relacionadas con la asignación del tratamiento en términos de una buena relación de costo-efectividad. Es importante que la normativa vigente, las entidades de salud (EPS e IPS) y la pautas administrativas del sector respeten la autonomía médica y no haya barreras para el

ejercicio idóneo y ético del accionar médico y la atención profesional.

De otro lado, es sabido también que en la formulación de productos de alto costo los médicos se ven asediados por las empresas farmacéuticas que esperan ser favorecidas con la prescripción específica y el consumo de sus moléculas y demás productos terapéuticos.

Aspectos históricos y biomédicos de la hemofilia y del tratamiento de las personas afectadas

Seguidamente se hace una revisión de algunos referentes históricos y biomédicos de la hemofilia, que servirán de contexto para analizar luego los considerandos bioéticos implícitos en el tratamiento de las personas que viven con hemofilia y sus familias.

Apunte histórico

Las primeras referencias a la hemofilia se atribuyen a escritos judíos del siglo II AC en los cuales se describe que rabinos eximían de circuncisión a niños con hermanos que habían sufrido grandes hemorragias o habían fallecido desangrados después del procedimiento (National Hemophilia Foundation, s.f.).

En 1803 el médico John Conrad Otto describió un desorden de la coagulación heredable que solo afectaba al sexo masculino pero era transmitido a través del sexo femenino y luego se acuñó el término *hemofilia* cuando en 1828 el médico Johann Lukas Schönlein, junto con sus estudiantes, publicaron un artículo sobre una predisposición al sangrado fatal (Villegas, Martínez y Jaramillo, 2018). Sin embargo, solo hasta 1947 se determinó la fisiopatología de la hemofilia gracias a las investigaciones de Pavlovsky y subsecuentemente de Biggs y colaboradores, cuyos estudios permitieron la clasificación actual de la hemofilia A conocida como hemofilia clásica, asociada a la deficiencia de factor VIII, y la hemofilia B o enfermedad de Christmas relacionada con deficiencia del factor IX (NHF, s.f.; Villegas, Martínez y Jaramillo, 2018).

La hemofilia tiene un capítulo relevante en términos históricos: la Reina Victoria I de Inglaterra (1877–1901) fue portadora del gen de la hemofilia y legó este trastorno a su descendencia, las uniones de sus hijos con las demás familias reales de Europa expandieron la

enfermedad entre la realeza, siendo Alekzói Romanov hijo de Nicolás II, último Zar de Rusia, el niño con hemofilia más famoso de la historia (NHF, s.f.).

Una breve mirada biomédica a la hemofilia

La hemofilia es un trastorno hemorrágico congénito vinculado al cromosoma X, provocado por la deficiencia del factor VIII de coagulación (FVIII) (hemofilia A) o del factor IX (FIX) (hemofilia B) (Federación Mundial de Hemofilia, FMH, 2012). Esta es una enfermedad genética recesiva: los genes que codifican el factor VIII y IX de la coagulación se encuentran en el cromosoma X, las mujeres son portadoras y no tienen por lo general mayores alteraciones clínicas derivadas de este defecto (el otro cromosoma X compensa la deficiencia), los varones (XY) al tener solo un cromosoma X padecen la enfermedad. Luego, una mujer portadora al tener un hijo varón tiene 50% de probabilidad de que él tenga hemofilia (Ljung et al, 2003).

La hemofilia se sospecha por la historia clínica desde la infancia temprana, al tratarse de una enfermedad genética usualmente hay varios enfermos en una familia. El diagnóstico se confirma mediante exámenes de laboratorio en los que se muestra la deficiencia del factor (Kitchen, 2010). La manifestación clínica de la deficiencia de un factor de la coagulación es el riesgo permanente de sangrado.

El grado de deficiencia del factor permite clasificar la hemofilia en tres subgrupos: leve, moderada y grave. Los casos graves se caracterizan por sangrados permanentes que ocurren de manera espontánea y requieren cuidado permanente (Den Ujil et al., 2011), estas hemorragias comprometen principalmente el sistema musculo esquelético y cuando son repetitivos alteran en particular las articulaciones y generan daños crónicos con limitaciones físicas importantes (Rodríguez-Merchán, 2010), aun cuando los sangrados pueden ocurrir en cualquier sitio del cuerpo y su localización o intensidad puede ser tan grave que compromete la vida de la persona en ciertos casos (Den Ujil, et al, 2011).

Por su parte, las personas que viven con hemofilia leve solamente presentan hemorragias cuando se ven expuestos a cirugías o traumas y pueden llevar una vida muy cercana a lo normal según su propio contexto sociocultural.

Epidemiología

Se ha estimado que la incidencia mundial de la hemofilia A es de 1:10.000 habitantes hombres y para el caso de la hemofilia B es de 1:40.000 habitantes hombres. A nivel global la FMH estima que hay 400.000 personas que viven con hemofilia en el mundo (Ministerio de Salud y Protección Social e Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud, 2015), dato por el cual se considera enfermedad rara, luego es claro que su denominación de *rara* es por una estricta “consideración exclusivamente epidemiológica y que, desde el punto de vista clínico y ético, estas enfermedades son exactamente iguales que todas las demás” (Gracia, 2016, p. 17). Según Eurodis (2005) las enfermedades raras se caracterizan por (Tabla 1):

Tabla 1. Características generales de las enfermedades raras

Características
1. Tienen un espectro entre severo y muy severo, un curso crónico, frecuentemente degenerativo y ponen en peligro la vida de quien la presenta.
2. En el 50% de los casos, el inicio ocurre en la infancia.
3. Producen una alta discapacidad. La calidad de vida de quien la presenta está frecuentemente comprometida y se caracteriza por una disminución o pérdida de la autonomía.
4. Representan una carga psicosocial alta para la persona y su familia, que se agrava por la desesperanza y la falta de soporte para la vida diaria.
5. La mayoría no tienen <i>cura</i> . El tratamiento es sintomático, buscando mejorar la calidad o la expectativa de vida.
6. Por lo general, las enfermedades raras son de difícil manejo y hay tropiezos para encontrar tratamiento adecuado

Fuente: Elaborada por el autor con base en Eurodis, (2005).

En Colombia según la CAC (2018) en el año 2018 se reportaron 4.271 personas con alguna coagulopatía hereditaria, de las cuales 1808 personas tienen hemofilia A y 383 tiene hemofilia B. De acuerdo con estos datos las tasas de prevalencia de hemofilia en el país son muy bajas (7,3 y 1, 6 por 100 mil habitantes respectivamente). La edad promedio de las personas que viven con hemofilia en el país es de 26,3 años, siendo los más jóvenes el principal grupo etario afectado (CAC 2019).

Es de recalcar que 1.253 personas padecen de hemofilia grave (56,2%) que son las personas que requieren mayor atención y suministro de tratamiento de manera activa. En cuanto a la

mortalidad, la CAC (2019) reporta que en el 2018, hubo 19 fallecimientos, siendo el cáncer y las infecciones las principales causas de muerte y no complicaciones relacionadas con la hemofilia.

Tratamiento

El tratamiento de esta enfermedad requiere de un enfoque multidisciplinario por la complejidad misma de la enfermedad, y se debe realizar en centros especializados (Giangrande, 2001). Los centros de atención de hemofilia deben tener varios especialistas y personal capacitado que ofrezca una atención desde distintos enfoques: hematológico, ortopédico, rehabilitación, psicológico, social, entre otros.

Con relación al tratamiento de las hemorragias de las personas que viven con hemofilia en teoría es sencillo: consiste en reemplazar el factor deficiente y para esto se dispone de factores de coagulación de origen humano o de tipo recombinante, estos últimos aseguran que no haya transmisión de agentes infecciosos. Los factores de coagulación son proteínas que tienen dos orígenes, unos extraídos de la sangre y esto supone el fraccionamiento de plasma de donantes sanos y se llaman de origen plasmático o derivados de la sangre y por otra parte, los producidos mediante la técnica del ADN recombinante, que son proteínas que se obtienen al expresar el gene del factor VIII en unas líneas celulares que producen tales proteínas (en este caso, el factor de coagulación) (Brooker, 2012; Giangrande, 2001). Se debe tener en cuenta que este factor es un fármaco que se produce con altos estándares de biotecnología, lo cual hace que el costo sea muy elevado para cualquier economía del mundo (Kasper, 2005).

El tratamiento se debe administrar contingente a cada episodio de sangrado (tratamiento por demanda) o para prevenirlos (profilaxis) en dosis y periodicidad determinadas (Blanchette, 2010; Nilsson et al, 1992; [World Federation of Haemophilia] (WFH, 2012), la efectividad de un tratamiento adecuado y oportuno es muy alta permitiendo controlar las hemorragias. Los sangrado leves se manejan con factor en dosis bajas durante 1-3 días; los sangrados más graves o cirugías requieren varios días y dosis elevadas y el tratamiento de profilaxis implica el uso permanente del medicamento (varias veces a la semana durante toda la vida); estos últimos casos encarecen de manera considerable el manejo, lo cual afecta las finanzas de la fuente que cubre el tratamiento, sin embargo, los beneficios en términos de salud y calidad de

vida están bien documentados.

La evolución del tratamiento de las personas que vive con hemofilia ha transformado una enfermedad considerada mortal a una enfermedad crónica con un tratamiento efectivo disponible. En países desarrollados las tasas de sobrevivencia de las personas que vive con hemofilia son iguales a las de la población normal (Darby, 2007). De hecho:

En los países económica, política y socialmente desarrollados, la amplia disponibilidad de concentrados de factores de coagulación ha hecho posible que los pacientes [personas que viven con...] con hemofilia lleven una vida casi normal y se incorporen a la sociedad como sujetos productores de recursos y no sean dependientes absolutos de ella como acontecía hasta hace relativamente pocos años (Acta Médica de Costa Rica. 1978 . p. 139).

Complicaciones asociadas con el tratamiento

El tratamiento de la hemofilia es un tema central en la vida de quienes viven con esta enfermedad y una de las complicaciones relacionadas es el desarrollo de inhibidores (anticuerpos) contra el factor de coagulación. Esto se presenta en 3 de cada 10 personas que viven con hemofilia A, básicamente por alteraciones genéticas definidas. En estos casos las personas no pueden ser tratadas con la terapia convencional y deben ser manejadas con otros medicamentos no tan efectivos y mucho más costosos (Wight, 2003), lo que modificaría los esquemas de tratamiento y tendría efectos adversos en la financiación requerida. Otra de las complicaciones relacionadas con el manejo y que afortunadamente hoy en día no representa una amenaza vital es la transmisión de infecciones a través de los factores de coagulación derivados de la sangre. En este contexto no se debe olvidar la tragedia que sufrió la población de personas que vivían con hemofilia en los años 80 cuando la gran mayoría de personas tratadas con factores de coagulación de origen humano (derivados de la sangre) se infectaron con los virus del VIH y la hepatitis C, esto generó una alta mortalidad a causa de tales infecciones recibidas por vía transfusional (Kitchen, 2010; Makris, Preston, Triger, et al., 1990; Tapper, 2006; White, 2010). Actualmente los factores derivados de la sangre son muy seguros gracias a procesos de inactivación viral y el riesgo de transmisión de agentes infecciosos es meramente teórica.

Los factores de uso recombinante carecen del riesgo de transmitir infecciones, por este motivo, la población de personas con hemofilia prefiere el uso de tales productos. El precio de estos, supera al de los factores de origen humano (plasmáticos) situación que lleva a que países de

media o baja economía su población no pueda adquirirlos. En Colombia el precio es similar y según la CAC (2019) en el año 2018 prácticamente el 50% de la población afectada utilizó factores recombinantes.

Nuevos tratamientos

Los tratamientos para enfermedades huérfanas son muy costosos y a algunas empresas farmacéuticas, en su mayoría multinacionales, les interesa cubrir estos grupos, porque actualmente está en boga una marcada tendencia humanitaria que ofrece subvención estatal y/o respaldo financiero de los sistemas de salud de los países a la compra de medicamentos para dotar el consumo interno.

Actualmente aparte de los factores convencionales, se dispone de factores de larga duración y anticuerpos monoclonales que simulan la acción de las proteínas de la coagulación, esto sin duda es de mayor beneficio para el paciente principalmente en términos de comodidad, por ejemplo, la aplicación subcutánea mensual de algunos de estos fármacos además de mejorar las condiciones de salud también mejora la calidad de vida (Nogami y Shima, 2019) . La innovación con nuevos productos lleva a que los costos del tratamiento sigan en incremento y la posibilidad de acceder a ellos se limita en países con economías débiles.

Por otro lado, la terapia génica es una realidad hoy en día, está diseñada para reponer los genes anormales. Son procesos de alta tecnología con los cuales se transfiere material genético –en este caso el gen del factor deficiente- con el fin de restablecer la producción del factor de coagulación. El procedimiento se realiza introduciendo el gen del factor en un virus modificado que se une a las células de la persona, así estas células se modifican genéticamente y producen factor de coagulación normal.

En teoría es la mejor alternativa de manejo, pero también la más compleja al tener mayores requerimientos tecnológicos en su desarrollo y producción. Los estudios se están finalizando en este momento y es posible que se disponga de este tratamiento en un futuro muy cercano, con lo cual se vislumbra una nueva alternativa de tratamiento con buenas perspectivas de utilidad terapéutica para las personas que viven con hemofilia y otras discrasias de la coagulación.

A diciembre de 2018 se estaban realizando cuatro investigaciones clínicas para hemofilia A y

cinco estudios para hemofilia B, los cuales se encuentran en curso y aún reclutan personas que vivan con hemofilia A o B (Chowdary, Shapiro, Davidoff, et al., 2018; Miesbach et al., 2018; Pipe, et al., 2017; Yamaguti-Hayakawa, Ozelo, 2019). Estos ensayos son patrocinados por importantes industrias farmacéuticas de biotecnología (Biomarin, Bayer, Spark, Takeda, entre otros). Los resultados han sido alentadores, en particular en hemofilia B logrando expresión permanente del factor IX hasta por 6 años después de una única transferencia del gen en vectores virales adecuados, sin efectos adversos importantes, esto podría significar la *cura de la enfermedad* y se cambiaría el estatus de *enfermedad tratable* a enfermedad curable.

Así, después de años de investigación próximamente se tendrán resultados de los estudios en curso y la terapia genética estará como una terapia disponible. Aun cuando no se sabe de precios, se suponen que serán muy altos, entre otros aspectos porque la investigación está en poder de farmacéuticas multinacionales y se espera reemplazar el tratamiento actual, que *per sé*, ya es costoso. Así entonces, posiblemente esta terapia estará disponible en los países desarrollados, mientras que en los países con economías poco fuertes, no se sabe si los sistemas de salud estatales puedan pagar este manejo.

Hemofilia en Colombia

La Liga Colombiana de Hemofílicos y Otras Deficiencias Sanguíneas (ColHemofílicos) es una organización no gubernamental, sin ánimo de lucro, la cual hoy día representa oficialmente al país ante la FMH. Nació en 1974 bajo el liderazgo del Dr. Álvaro Robledo Riaga (1936-1998) médico anesthesiólogo, con el apoyo de su hermano Luis Fernando (1944–2010) cirujano plástico, quienes vivieron con hemofilia A severa, a ellos se sumaron otros profesionales también afectados. La particularidad estatutaria de esta institución es que solo puede estar conformada por personas que viven con hemofilia y sus parientes en primer grado de consanguinidad (ColHemofílicos, s.f.).

En el contexto nacional ColHemofílicos con el respaldo de la FMH y algunas asociaciones médicas, ha jugado un rol protagónico en la formulación de las políticas que han permitido que el tratamiento de esta patología epidemiológicamente rara esté incluido en el plan de salud del SGSSS, de manera que se tenga más conciencia de la enfermedad y las personas que viven con hemofilia y discrasias sanguíneas puedan tener mejor acceso a los tratamientos y la

atención de salud. Con esto se espera que las personas que viven con hemofilia y sus núcleos familiares sientan que cuentan con apoyo y sean conscientes de sus derechos y deberes como usuarios del sistema de salud (ColHemofílicos, s.f.) y que al ser los casos bien manejados medicamente no se generen secuelas ni más enfermedades crónicas incapacitantes que agraven el cuadro clínico, dificulten la sobrevida o encarezcan la rehabilitación.

De hecho, a partir de la Ley 100 de 1993, ColHemofílicos ha sido clave en lograr la afiliación de las personas que para la época vivían con hemofilia, de tal manera que se incrementó la cobertura y acceso a la seguridad social de estas personas, la cual pasó del 15% en 1993, al 98% en el 2012. Esto permitió un mayor y más rápido acceso a tratamiento con factores liofilizados, es así como el factor VIII de la hemofilia tipo A, se incluyó en el Plan Obligatorio de Salud (POS⁸) desde 1994, el factor IX de la hemofilia tipo B y la desmopresina [análogo sintético de la vasopresina] ingresó en el año 2002 (ColHemofílicos, s.f.).

Con la promulgación de la Ley 1392 del 2010 y la Resolución 430 del 2013 que reconocen las enfermedades huérfanas como de especial interés, se dictan normas con el fin de garantizar la protección social por parte del estado a la población afectada y a los cuidadores. Desde el 2016 empezó a realizarse una vigilancia especial de las enfermedades huérfanas que ha llevado a una base de datos completa con notificación obligatoria de todos los casos (Resolución No. 3681 de 2013, Cuenta de Alto Costo (CAC) 2018). Esto ha permitido que la hemofilia tenga una vigilancia epidemiológica muy completa y los datos obtenidos en este registro permiten tener un conocimiento real de la situación actual de esta patología y empodera a las entidades de salud y profesionales tratantes para un mejor control, tratamiento de la enfermedad y prevenir complicaciones discapacitantes.

El informe del *Sondeo Mundial Anual* de 2017 de la FMH que recolecta datos sobre la atención de la hemofilia en todo el mundo (117 países) arrojó como dato interesante que el consumo per cápita (considerando solo la población de personas que vive con hemofilia) del factor antihemofílico siendo 1,09 Unidades internacionales (UI) la media en el mundo; en Colombia fue de 4,6 UI -la más alta de los países latinoamericanos- y comparable al consumo de factor de países con mejor INB (Ingreso Nacional Bruto) . La FMH ha establecido que un alto promedio UI de concentrado de FVIII per cápita debería ser el objetivo mínimo para

⁸ El POS (Plan Obligatorio de Salud) se conoce como Plan de Beneficios en Salud (PBS). (N. del A.).

países que desean lograr la supervivencia de la población con hemofilia, se necesitarían niveles mayores a 3,0 UI para lograr la calidad de vida equivalente a personas sin hemofilia (WFH, 2017).

Controversias bioéticas en el tratamiento de las personas que vive con hemofilia

Para dar respuesta a la pregunta problema sobre las reflexiones bioéticas presentes en el tratamiento de las personas que viven con hemofilia en el sistema de salud colombiano, se desarrolla una reflexión desde ámbitos bioéticos partiendo del precepto básico: *la salud es un derecho humano fundamental*, incluso como un bien del país que está consagrado jurídicamente en la Constitución política (Escobar, 1999), aun cuando en ella se pretendió conjugar principios sociales de solidaridad y universalidad junto con perspectivas mercantilistas de eficiencia y productividad de orden neoliberal (Escobar, 2013), “Se enfrenta la paradoja de implementar un sistema de salud neoliberal dentro de un estado social, que reconoce a la salud como un derecho social” (De Currea-Lugo, 2010, p. 138).

De hecho, a diferencia de una moral típica de un sistema económico neoliberal, la Constitución colombiana de 1991 se fundamenta en valores y principios propios de un Estado social de derecho (Escobar, 1999); aun cuando hay mucha presión que desde un modelo económico neoliberal quiere “erigir a la salud como un bien de mercado” (De Currea-Lugo, 2010, p. 11), incluso, de configuración suntuosa y acceso exclusivista en cuanto a la mercantilización de los últimos avances de las tecnologías de la salud, que posiblemente sean bienes y servicios de alto costo, por lo cual la Ley de 2015 proclama la salud como un derecho, de manera que la salud se configura como un servicio público.

Así mismo, se abordan las perspectivas del sistema de salud al ser la hemofilia una enfermedad huérfana declarada con derecho al cubrimiento total de requerimientos de salud (Resolución 5265 de 2018), la perspectiva de la industria farmacéutica productora y dispensadora de los tratamientos, y también la perspectiva de las personas que viven con esta condición de salud.

Referentes bioéticos

Existe un consenso de que los referentes medulares para la apreciación bioética de un acto médico o un evento relacionado directa o indirectamente con la salud son los principios enunciados por el Principialismo y en ellos se destacan los principios *Prima facie*, los principios europeos y los principios básicos propuestos por el Informe Belmont, como se puede observar en la tabla 2.

Tabla 2. Principios de bioética

Principios		
Principios de <i>Prima facie</i>		
Beneficencia (beneficio)	No maleficencia (no riesgos ni daño)	Autonomía (libertad responsable)
Justicia (Derechos de las personas, acceso igualitario a la atención de salud y justicia distributiva)		
Principios europeos de bioética		
—Principio de beneficencia	—Principio de confidencialidad	—Principio de solidaridad
—Principio de equidad	—Principio de respeto	—Principio de honestidad
—Principio de autonomía	—Principio de dignidad	—Principio de lealtad
—Principio de justicia		
Principios básicos del informe Belmont		
Autonomía de las personas	Beneficencia y No maleficencia	Justicia
Moral		
Principios, creencias y prácticas que siguen los individuos, las familias o las sociedades para orientar propositivamente sus actitudes y comportamientos en la vida diaria, y conllevan referencias de procesos esenciales de socialización y de pautas de actuación humanística.	Reflexión sobre la moralidad de los actos, que son valorables como <i>buenos</i> o <i>malos</i> según el entorno cultural en que vive la persona y de acuerdo con sus principios y valores y concordante con la normatividad vigente.	

Fuente: Elaborada por el autor con base en Eurodis, (2005); Hardy y Rovelo (2015) y Gracia (2016).

Se acepta que los principios bioéticos son referentes axiológicos en consonancia con un marco moral, en el cual tanto las personas como la sociedad internaliza un conjunto de valores, prácticas y roles que moldean la construcción de una identidad social colectiva e individual

(Molina y Ramírez, 2013), que impulsa modelos generadores de una transformación social, en los cuales se acepta de manera natural la existencia de la diversidad interpersonal e intercultural. (Aun cuando no se debe olvidar que a diferencia de la ética médica, la bioética no es vinculante jurídicamente con el derecho y se configura es como pauta de reflexión para las personas de salud desde la cual se pueden apreciar y analizar la eticidad de los actos de las personas y las entidades, según sea el caso).

En el SGSSS se deben retomar los principios y valores constitucionales que buscan racionalizar y humanizar el sistema normativo en general —y el sistema de salud en particular— para lograr un orden social más justo, consistente con Rawls quien argumenta que un principio orientador para una sociedad es promover tanto como sea posible un bienestar común justo (Rawls, 2000), con equidad e igual de oportunidades.

Además constitucionalmente está consagrada la *prevalencia del interés general sobre los intereses particulares* (aun cuando es claro que en el modelo utilitarista de nuestro ordenamiento social no cabría la universalidad que dicha afirmación constitucional conlleva). De tal forma, el sistema debe reconocer y debe cumplir principios y valores éticos como los mencionados en la Tabla 2, que además son de carácter genérico.

En el caso de la hemofilia, luego de la promulgación de la ley 1392 de 2010 y de sus desarrollos normativo, han disminuido la frecuencia de las demandas de acción de tutela ya que se reconoció el derecho a la protección de la salud y muchas entidades han optado por no negar un acceso que de todos modos luego obligatoriamente tendrán que atender.

Al reconocer la hemofilia dentro de las enfermedades huérfanas para garantizar la protección social del Estado a la población afectada y a los cuidadores, se propende por un enfoque integral partiendo de la atención integral y el suministro de los medicamentos requeridos, buscando disminuir la brecha de cubrimiento para que todos las personas que viven con la enfermedad sean diagnosticados y tratados oportunamente con el debido acceso y calidad de servicios, sin fragmentación de la atención y focalizada principalmente en las personas que viven con hemofilia grave (que son quienes necesariamente más requieren el soporte médico y el cubrimiento de los medicamento) y la atención medica centrada en quienes deben consumir el factor que esté deficitario según su diagnóstico diferencial (CAC, 2018).

Como justificación humanitariamente valida, se argumenta que con ello se busca la calidad en la atención de la salud de las personas que viven con hemofilia, evitando, eso sí, costos

ineficientes del sistema, y dándole la relevancia al ser de especial interés por su baja prevalencia, evitando la elevación de los costos en la atención, de manera que se acceda con la mayor racionalidad a un manejo integral orientado a fomentar la salud física y psicosocial mejorando su calidad de vida y reduciendo la morbilidad y la mortalidad. Esto incluye no solamente la aplicación inmediata de un tratamiento para las hemorragias, sino su prevención, el manejo de las posibles complicaciones y secuelas; la atención psicosocial y emocional de la persona y su familia.

No obstante, aunque dicha ley es clara en que no deben existir limitaciones o barreras administrativas o económicas para el cubrimiento de la atención en salud de las personas con enfermedades huérfanas, la realidad cotidiana es que ello no se cumple, configurándose “graves violaciones a los derechos humanos en términos del acceso a la salud, que en la práctica se ha convertido en una encrucijada jurídica para los usuarios y además refleja una marcada desigualdad social y regional” (Herrera, García, Herrera, 2016, p. 76), como así lo muestra una publicación reciente de la Defensoría del Pueblo que dio cuenta de:

En Colombia se vulnera el derecho a la salud de algún paciente cada 34 segundos, revelando que en el 2018, se registraron 607.308 acciones de tutela por violaciones a un derecho fundamental y de estas, el 34,2% corresponden a transgresiones al derecho a la salud. La exigencia de tratamiento integral y oportuno por negación, demora o entrega parcial de servicios se da con el 26%, seguido por solicitud de medicamentos con el 16%. Las consultas especializadas en oncología son las más frecuentes, y en ellas sobresalen las solicitudes para TAC y detección de tumor, entre otros exámenes. Son la cifra más alta en la historia de Colombia desde la Constitución política de 1991 (Defensoría del Pueblo, 2019. p. 51).

Considero que estas posturas de las EPS son abiertamente inmorales y bioéticamente cuestionables, es clara la violación de los principios de beneficencia, equidad, respeto y solidaridad y que por demás configuraría también violaciones a la leyes de protección social y salud ante los cuales los órganos de control (Superintendencia, Procuraduría y similares) y las autoridades estatales de salud deberían actuar de manera enérgica vía sanciones (penales, civiles o administrativas) para las entidades que incurran en tales transgresiones, incluso repitiendo contra los funcionarios responsables que son finalmente los autores de tales negaciones de servicio. Algunas de estas violaciones deberían ser juzgadas en los tribunales de ética médica que deben abordar y fallar para lo concerniente en el ámbito del ejercicio ético profesional.

No se debe olvidar que si bien las personas jurídicas pueden ser los entes legalmente

responsables y quienes se ven impactadas al tener que asumir las multas sobrevinientes o las sanciones, en la realidad ello proviene es de decisiones administrativas que toman las personas. Es claro precisar que en estricto, la moralidad y la ética de las entidades e instituciones está es en las personas, y por ende, son quienes deberían ser los que puntual y solidariamente respondan.

En el ámbito particular del tratamiento de las personas que viven con hemofilia, el cual está cubierto por el PBS, es necesario tener en cuenta que una pieza fundamental del manejo de su condición es la atención integral de la salud que por demás contempla desde las consultas, valoraciones y exámenes, el suministro de los fármacos (factores y demás) en dosis y frecuencia ordenadas y las demás acciones terapéuticas y profilácticas requeridas. Es común observar en los pacientes de nuestra consulta que aunque reciben el factor antihemofílico a cabalidad carecen de otros servicios para su bienestar general como por ejemplo la atención de enfermedades generales prevalentes como la hipertensión, el acceso a laboratorios básicos y a consultas por especialidades distintas a la hematología como la ortopedia, la medicina física y rehabilitación y la infectología (muchas de estas personas tienen hepatitis C y VIH por antecedentes transfusionales).

No obstante, es sabido que a pesar de toda la garantía del SGSSS su cubrimiento presenta limitaciones, alterándose los criterios de calidad de la atención como son la accesibilidad, la oportunidad, la continuidad y por ende la satisfacción del paciente, que con ello muestra condiciones de afectación del principio bioético de justicia, específicamente en la concepción de una justicia social como la enunciada por John Rawls centrada en la igualdad de oportunidades y de la solidaridad realista (Rawls, 2012) que sirven para enfatizar el derecho a la salud. De hecho, como lo describió Gafo (1998) se debería reflejar en un acceso igualitario, tanto para las personas con enfermedades agudas y crónicas prevalentes, así como también para las mal llamadas enfermedades huérfanas, como la hemofilia y otras afectaciones de la coagulación.

Costos del tratamiento de las personas que viven con hemofilia

Dada la normatividad del SGSSS en cuanto a la cobertura del Plan de Beneficios, es importante precisar que el tratamiento y en particular el medicamento factor VIII, o el que

medicamente se requiera, se encuentra incluido en el Plan de beneficios y por tanto está reconocido en el sistema de Unidad de Pago por Capitación —UPC— para el recobro de las EPS al SGSSS (Ministerio de Salud y Protección Social, 2016a), que está a cargo del Estado o sea corre por cuenta de las finanzas de todos los conciudadanos del país.

El costo del tratamiento para las personas que viven con hemofilia es uno de los más altos en medicina y ello se deriva sobre todo del elevado precio de los factores de coagulación, que son desarrollos biológicos producidos con alta tecnología y que no tienen copias (biosimilares). Los productos de última generación implican mayores beneficios pero a mayor costo (Nogami y Shima, 2019). Se debe tener en cuenta que son manejos crónicos y casi en su totalidad se requieren durante todo el tiempo que dure la sobrevida de la persona. Se hace notar que el valor del tratamiento se torna relevante, dado que es indispensable para que las personas puedan vivir, luego debe ser utilizado forzosamente.

En Colombia la hemofilia es la enfermedad más onerosa del sistema de salud (Bautista, Florián y Urrego, 2015; Minsalud, 2016), de hecho, en el 2015 se estimó que el costo del tratamiento anual de cada persona que vive con hemofilia A, en promedio es de aproximadamente 89,6 millones de pesos en lo que a medicamentos y factores recombinantes se refiere, pudiendo llegar a un total anual posible de \$932,6 millones aproximadamente, si se consideran los costos médicos directos en que se incurriría en cada persona afectada (cubriendo desde el acetaminofén para el dolor hasta la hospitalización de cuidados intensivos, en caso de sangrados graves). Respecto de las personas que viven con hemofilia B se estima que su manejo terapéutico es aproximadamente de \$341,6 millones en promedio (Bautista, Florián y Urrego, 2015). Según Minsalud en Europa el costo anual del factor por persona era de €\$ 200 mil Euros y en Estados Unidos se estimó en el doble (Ministerio de Salud y Protección Social, 2016).

Mercadeo de Medicamentos de alto costo

El costo del medicamento para la hemofilia es muy elevado y esto limita el acceso, el precio del factor a pesar de estar cubierto en su totalidad por el SGSSS continúa siendo importante pues cuestiona la sostenibilidad financiera del sistema. De igual forma la falta de transparencia de los mercados es un reto importante al que hay que enfrentar para asegurar

que el tratamiento se distribuya adecuadamente.

Se ha descrito (OMC, s.f.; Silverman, 2015) que si un medicamento tiene un precio determinado, el ingreso al mercado de un segundo que le sea competencia, hará bajar de precio y en el tercer o cuarto medicamento la disminución se da de tal manera que el precio llega a ser solo de aproximadamente entre la sexta a octava parte del precio inicial (OMC, s.f.; Silverman, 2015).

Así, el costo del medicamento lo hace la exclusividad del producto en la disponibilidad del mercado, de hecho, dada la dinámica de la economía de la salud los investigadores (Kesselheim, Avorn, Sarpatwari, 2016), han encontrado que en los precios de los medicamentos un aspecto muy importante que no es el costo de investigación o del desarrollo de los fármacos sino la exclusividad de mercado, que está respaldada y es garantizada en las regulaciones estatales combinadas con requisitos de cobertura impuestas en los esquemas de beneficios para medicamentos que son financiados por los gobiernos (Kesselheim, Avorn, Sarpatwari, 2016), con base en lo cual hay empresas multinacionales típicamente monopólicas que son fabricantes de medicamentos y están protegidas por los gobiernos, particularmente por aquellos que dominan los mercados.

En ello, se esperaría que la OMC, organización internacional que se ocupa de las normas que rigen el comercio entre países, fuese un salvaguarda o por lo menos paliativo para una mejor justicia distributiva, aunque es claro que su interés son los mercados y no las personas, éticamente se deberían considerar principios humanitarios a favor de los menos favorecidos. No se debe olvidar que para los sistemas de salud del mundo y en especial para Colombia, el uso de versiones genéricas de los medicamentos, conocidas como biosimilares, podrían significar una marcada reducción en los precios, que iría entre el 30% y el 80% (Decreto 1782 de 2014).

Accesibilidad al tratamiento: Costos de atención de las personas que viven con hemofilia vs fuentes de financiación vs demanda de la salud

Entre los aspectos con implicaciones bioéticas es imperativo hacer referencia, como consideración obligada, a la condición de enfermedad rara, que pende en las personas que viven con hemofilia, tanto por su baja prevalencia como por su requerimiento de los

tratamientos huérfanos requeridos, máxime que la condición de *enfermedad rara y huérfana* está dada por su baja prevalencia y no porque sea una patología medicamente desconocida o de complejidad inusual.

En la literatura se ha argumentado que la baja incidencia de estas condiciones médicas crea un desincentivo a la investigación científica especializada y que por razones financieras (costo-efectivas) priorizan aquellas condiciones de salud que generan alta *carga de la enfermedad* para el SGSSS y ello supuestamente confluente para hacer que la atención a las personas que viven con enfermedades raras sea de baja calidad al no ser atendidas adecuadamente (Roselli y Rueda, 2011),

El SGSSS no está dotado financieramente para cubrir eficientemente la atención integral y los costos de las enfermedades raras, lo que conlleva también afectación del principio de equidad, dándose de manera consecuente una inequidad en la atención de salud. De hecho a la luz de una justicia distributiva, la igualdad entre todos sería indicador de equidad según las propias necesidades.

Es así como los altos costos de las terapéuticas, la inequidad en el manejo de las personas que viven con enfermedades de alto costo y huérfanas generan afectación bioética desde el principio de justicia, debido a que no se da un acceso igualitario entre las patologías de baja prevalencia que afectan pocas personas y las de media y alta prevalencia que afectan a un mayor número de personas.

No obstante y aunque a simple vista parezca claro, cuando se habla de ‘justicia’ ¿a qué nos estamos refiriendo? ¿Al seguimiento cual ciudadanos ejemplares de los códigos y las leyes de la sociedad? ¿A las acciones del estado para actuar en aquellos momentos o personas que violentan los códigos o alteran el *statu quo* de la sociedad? ¿A las medidas coercitivas, correctivas o sancionatorias para proteger la sociedad de despropósitos individuales o grupales, comunitariamente no deseadas?

Dichas preguntas quedarían resueltas si se tiene en cuenta que John Rawls (2000) propone una teoría en la que se eleva la problemática de la justicia a lo concerniente de la ‘distribución justa’ de bienes, recursos e ingresos, de derechos, libertades, oportunidades y bienestar, así como también de responsabilidades, deberes y cargas entre los miembros de una sociedad, fundamentando una Justicia distributiva, que por demás tiene una clara actitud solidaria, en que todos las personas tienen iguales derechos a recibir los beneficios y la protección del

Estado.

Es una realidad que en los países de economía limitada no se da un tratamiento adecuado debido a las restricciones económicas, el costo del tratamiento (entiéndase factor antihemofílico) es prohibitivo en muchos sitios donde se debe priorizar problemas de salud pública como las enfermedades infecciosas, o transmisibles o la desnutrición que afecta a una mayor parte de la población y no a un grupo particular –Siendo que la mayoría de personas afectadas en estos países son niños y no reciben un tratamiento adecuado, muchos no llegan con salud, si quiera a la adultez. Las personas pobres del tercer mundo sometidas a las pésimas condiciones sociales y económicas soportan la carga más pesada de las enfermedades, en el caso de la hemofilia: sangrados permanentes, artropatía hemofílica, invalidez, pérdida de extremidades y finalmente, muerte temprana, contingencias que con un adecuado tratamiento se pueden evitar o paliar adecuadamente (Tagny, Moudourou y Mbanya, 2014).

Aunque Colombia es un país de economía pobre la atención en la hemofilia tiene unos estándares muy altos de atención principalmente en lo que se refiere a la disponibilidad de factor, no obstante nuestro sistema de salud puede verse afectado por los potenciales altibajos de la economía nacional.

El costo y acceso del factor antihemofílico en los países pobres es muy limitado o incluso inexistente. La FMH estima que el 75% de la población que vive con hemofílica en el mundo no recibe un tratamiento adecuado. Se plantea un dilema de justicia al comparar a estos niños con sus coetáneos de los países medios y ricos donde el uso del factor antihemofílico es un tratamiento estándar y se utilizan modalidades de tratamiento altamente efectivas: uso de factores recombinantes, profilaxis regular para evitar sangrados, inmunotolerancia para erradicación completa de inhibidores cuando estos están presentes, medicamentos nuevos con mecanismos novedosos. Con lo que se resalta no solo los beneficios de salud de estas personas sino las carencia que se presentan en la atención de salud de las personas que viven con hemofilia en los países con economía limitada.

Un caso llamativo de comentar al respecto. Entre los países latinoamericanos sobresale la situación de Costa Rica, pequeño país (5 millones de habitantes aproximadamente, con 212 personas que viven con hemofilia, para una prevalencia de 4,2 por 100.000 habitantes.) en el que el Estado ha tomado la opción política de cubrir los costos del tratamiento de las personas con hemofilia, al suministrar las necesidades de factor de coagulación y demás requerimientos

médicos y farmacológicos; en ello se selecciona un factor específico que se suministra a todas las personas que viven con hemofilia, con las debidas indicaciones médicas (Acta Médica de Costa Rica, 1978) y bajo un esquema de autotratamiento domiciliario reciben el beneficio del soporte terapéutico requerido.

En el caso de Costa Rica llama la atención como ejemplo a seguir, la compra de medicamentos a nivel central (gobierno) que controla el precio del factor así como el esquema de atención integral para todas las personas que viven con hemofilia (Acta Médica de Costa Rica, 1978). Según comunicaciones directas con colegas de ese país se puede entrever que allí el Instituto de Seguro Social no escatima esfuerzos para proveer la disponibilidad de concentrados de factores de coagulación y otros materiales. Se puede apreciar la aplicabilidad práctica de principios de justicia distributiva en cabeza del Estado, lo que propende por la salud de todos.

De hecho, al darse la definición vía estatal de un factor unificado para todas las personas, es evidente que se puede centralizar la negociación directamente con la industria farmacéutica, controlando así la dinámica y los techos de las subastas que por efecto trae una racionalización de costos en niveles sostenibles para beneficio de los usuarios y sin llegar a desconsiderar las arcas del sistema de salud.

Es así entonces que la comunidad médica y los gobiernos de los países deben buscar estrategias viables y creativas que tengan presente las restricciones, de tal manera que se pueden solucionar necesidades básicas de suministro de medicamentos especializados de las personas afectadas por las enfermedades. Las consideraciones de equidad requieren esfuerzos para manejar efectivamente y con justicia las condiciones crónicas o debilitantes como son las enfermedades huérfanas y los problemas de salud prevalentes.

En Colombia como país, el sistema de salud debe permitir el acceso, la cobertura y atención a todos los miembros de la comunidad, de hecho, desde el punto de vista moral, ningún miembro de la comunidad puede reclamar que sus intereses sean de mayor grado que el de los otros miembros del país, pero ello plantea dilemas ético-morales cuando se confrontan la innegable necesidad de protección de la salud de algunas personas afectadas por enfermedades huérfanas vs la multiplicidad de necesidades de muchos más personas, con requerimientos de salud también igualmente válidos.

En dicho contexto la opción para abordar las necesidades de las personas que vive con

hemofilia u otras afecciones huérfanas, desde la bioética exige centrar la atención en la consideración de llevar a la práctica el principio de justicia distributiva en términos de generar una equidad social en que las necesidades de salud de todos sean satisfechas y sobre todo no hayan personas marginadas de sus derechos de salud, de manera que se llegue a una distribución justa y con equidad de los recursos por escasos que estos sean, en lo cual el estado es el responsable, pero sin dejar de mencionar que finalmente el estado es de todas las personas.

Así el estado y específicamente el sistema de salud enfrentará un dilema bioético al tener que decidir sobre qué proporción de sus recursos deben asignar a los requerimientos de salud de millones de personas y la demanda de recursos de las personas que viven con enfermedades huérfanas. Lo deseable seguramente sea incrementar el situado fiscal al sector salud pero las arcas oficiales no son ilimitadas

Un tema aparte y no necesariamente ajeno ya que dispersa recursos que bien podrían tener un destino social. Pero la discusión va más allá, por ejemplo cuando el estado cubre los grandes desfalcos de la corrupción; de hecho, el Estado no es solamente lo que gasta en salud, sino que a otras carteras da más dinero (v.g. Defensa) siendo que la priorización debe ser en las necesidades básicas como salud, educación y trabajo.

La discusión se mantiene al interior del sistema pero no se relaciona con las otras carteras y los otros gastos y esto deja en desventaja al espacio de salud, que es uno de los más valiosos si se tiene presente que poblaciones saludables trabajan más y mejor (en términos instrumentales). De hecho se podría enfatizar en que en estos aspectos, la mayor responsabilidad es del Estado, en tanto que somos su responsabilidad y se usufructúa de nosotros con nuestra fuerza productiva.

Dado lo anterior es imperativo que el gobierno lidere opciones sociales creativas que más allá de las dinámicas de los mercado neoliberales como modelo económico, se es un estado social y se debería propender por una productividad social que sirva para cubrir las demandas de salud y permita realmente socializar el acceso a la salud de calidad como un bien inalienable.

En ello es responsabilidad de los gobiernos liderar políticas de estado como un gran pacto de país centrado en desarrollar un capital intelectual, financiero y humano para garantizar estándares de atención de calidad y el sostenimiento de un sistema de salud inclusivo con la debida justicia y con perspectiva de salvaguardar el derecho a la salud de todas las personas,

para llevar a la realidad el disfrute social de los principios bioéticos de solidaridad, dignidad y equidad para todos para todos en un país multiétnico y pluricultural donde se de respeto a la diferencia y la diversidad.

Postura de la industria farmacéutica: Inversión vs retorno de costos vs rentabilidad

Dentro del ambiente de atención médica hay una creciente queja sobre los costos de los tratamientos y en particular en los casos de enfermedades huérfanas como la hemofilia.

Para efectos de entender la dinámica detrás de la definición del costo de un producto farmacéutico, en la Tabla 3 se ilustra el esquema que usualmente se aplica para el diseño de la estructura de costos de un producto. Se muestra a *grosso modo* un esquema fármaco-económico usado por la industria farmacéutica para definir precios de venta⁹.

Tabla 3. Modelo fármaco-económico de la estructura de costos de un producto x de una industria multinacional en Colombia¹⁰

Concepto	Definición	USDS	Costo concepto	Acumulado
	Costo producción sitio origen*	100*		
	Costo <i>mark up</i> (margen)**	100%	100	200
Nacionalización	Transporte (Fletes)	10%	20	220
	Impuestos de importación	15%	33	253
Costo legal	Costo origen + <i>Markup</i> + fletes + impuestos			253
<i>Landed cost</i> (Costo llegada)	= (Costo legal - <i>Markup</i>)	Costo base para cálculo de la Rentabilidad corporativa >>>>>		253

Modelamientos de Rentabilidad					
Rentabilidad proyectada	USDS venta producto	USDS <i>Gross profit</i> [⊙]	<i>Shipping -Selling</i> (10%)♥	OIBT\$	% OIBT
+50%	379,5	101,2	25,3	75,9	20,0
+100%	506	227,7	25,3	202,4	40,0

⁹ Conversación personal con una persona con nivel de Gerente de Negocio de una empresa del ramo farmacéutico. (N. del A.)

¹⁰ Por obvia consideración ética, se reserva el nombre de la industria UVW, fuente del modelo fármaco-económico de rentabilidad. (N del A).

Modelamientos de Rentabilidad					
Rentabilidad proyectada	USDS\$ venta producto	USDS\$ Gross profit [⊗]	Shipping -Selling (10%)♥	OIBT\$	% OIBT
+500%	1518	1239,7	25,3	1214,4	80,0
+1000%	2783	2504,7	25,3	2479,4	89,1
+5000%	12903	12624,7	25,3	12599,4	97,6

*Este costo se estableció de manera ficticia solo para efectos del ejemplo, ya que no se tiene acceso ni se conocen costos reales de producción de las moléculas de los factores de interés.
**Markup: Margen de sobre costo fijado por el laboratorio que elabora el producto en el sitio de origen. Es una Ganancia *in situ*.
⊗ Gross profit (G.P.): Ganancia bruta: Diferencia entre costo de venta del producto y costos de producción y del proceso de comercialización. Es el margen de rentabilidad bruta.
♥ Gastos operacionales (Venta-envío). Se define % según base dada por *landed cost*, Es constante e independiente del precio final de venta.
§ OIBT: (*Operations internal before taxes*) Utilidad local de la operación antes del pago de impuestos de venta, IVA y demás, dado el costo del producto. Este rubro en % indica la proporción del precio final que es ganancia local para la Industria.

Fuente: Elaborada por el autor con base en un modelo fármaco-económico de rentabilidad usado en una industria farmacéutica multinacional, UVW, de origen estadounidense ¹⁰.

Se resalta el rubro *markup* (margen de ganancia) que es definido por la empresa y corresponde al porcentaje de sobreventa que las filiales importadoras deben pagar a la casa matriz como *impuesto interno* por la exportación-importación del producto; no tiene límite de valor y puede llegar a ser desde 0% hasta un 6.000% según defina la empresa en su libre potestad. Indica el nivel de ganancia específica del sitio de producción (Laboratorio o planta) e impacta la cadena de valor del producto y el precio final.

El *Gross profit* o ganancia bruta, que corresponde a la ganancia financiera en *cash* luego de cubiertos los costos de origen, el *Markup* y los fletes e impuestos de importación. Finalmente, el *OIBT* corresponde al monto de utilidad en *cash* de la operación de venta descontado el costo de llegada del producto, antes del pago de impuestos de venta, IVA y demás que se deban pagar. El *OIBT* en porcentaje indica la proporción de ganancia que está incluida en el precio final que obtiene la industria en el producto.

Así, como ejemplo en un modelamiento supuesto con un *moderado* 50% de rentabilidad, se puede ver que un producto de USD\$100= en la planta productora de origen, sería vendido en un segundo país en \$379,50, que en realidad es casi cuatro veces (3,8) más alto, dando una ganancia *OIBT* de \$75,90 (en el cual corresponde un 20,0% al margen de ganancia) a la industria farmacéutica.

Mientras que si se proyecta una rentabilidad *exagerada* (que no, irreal) del 1.000%, el

producto de USD\$100= de costo *in situ* sería vendido en USD\$2.783=, o sea casi 28 veces el costo de origen en planta, arrojando una ganancia de USD\$2.479= (en el cual el 89,1% corresponde a margen de ganancia *OIBT* local para la industria, o sea que del precio final de venta el 89,1% es ganancia) a cuenta del segundo país, consumidor final, siempre y cuando no haya además un tercero que sirva de país intermediario y por ende encarezca el ya, *per sé*, alto precio final.

Este es un ejemplo crudo del neoliberalismo salvaje y una falta de justicia distributiva. Ni que decir del falso supuesto de ‘seguimiento altruista’ de los principios bioéticos de equidad, de solidaridad y de honestidad, que muchas industrias promulgan inmunemente.

No obstante lo antiético, que no ilegal, que parezcan las ejemplificaciones, como posibilidad real con rentabilidades exorbitantes de la Tabla 3 (500%, 1000% o 5000%), llama la atención y casi que desconcierta que en la 72.^a Asamblea Mundial de la Salud de la OMS realizada en el mes de mayo de este año fue incomprensible ver que países como Alemania, Dinamarca, Reino Unido, Suecia y otros cinco países de la OCDE con la anuencia cómplice de EE.UU. no apoyaron una iniciativa de dotar a los gobiernos con herramientas que crearan una “mayor transparencia en los precios de los medicamentos y el sistema asociado de I+D” (SaluDerecho, 2019, párrafo 10), que hubiese puesto fin a gran parte del secretismo sobre los precios, los costos, las patentes y los beneficios médicos y mejorando con ello el acceso universal a los medicamentos, como correspondería con una mirada bioética de solidaridad humanitaria.

Así, tales países:

No se mostraron interesados en permitir una mayor capacidad a los gobiernos del mundo para desafiar los precios extremadamente altos de los tratamientos para el cáncer y las enfermedades raras, que se habría logrado teniendo información más precisa sobre los costes reales de I+D y los ingresos obtenidos de las ventas (SaluDerecho, 2019, párrafo 4)

Y junto con ello se hubiera beneficiado a las empresas de medicamentos biosimilares ya que habría una mayor transparencia en el ámbito de las patentes, como lo pretendían países como Italia, España, noruega, Suecia y Brasil y ONG como Médicos sin Fronteras, *Knowledge Ecology International* y la española Salud por Derecho, entre otras muchas.

De fondo, solo se pretende que la industria farmacéutica y la cadena de comercialización (intermediarios, representantes comerciales o distribuidores, a mayor intermediación más carga en el costo final) fijen precios justos para sus productos y tecnologías de acuerdo con lo que en realidad se ha invertido en la investigación, el desarrollo y la producción y la

comercialización sin detrimento de la sostenibilidad financiera correspondiente, sino ubicados en un margen de ganancia honesto y decente que refleje una justicia distributiva éticamente presentable y moralmente válida.

Lo anterior muestra como desde un marco ético moral es importante crear a nivel supranacional y que se replique en el ámbito nacional, una mayor transparencia en la dinámica de los mercados y los precios de los medicamentos acabando con el proteccionismo de industrias transnacionales y del sistema de I+D, de manera que los principios de equidad y justicia y en particular una real justicia distributiva sean mucho más que una retórica o una buena intención. Es llamativo que los países expresen una actitud humanística pero su tendencia política de neoliberalismo en los mercados diste mucho de un comportamiento humanitario real, en detrimento de los países más necesitados y con ello de las personas con mayores niveles de marginalidad social.

De fondo se requiere un arreglo institucional fuerte que resuelva las asimetrías y distorsiones que tienen implicaciones bioéticas en la comercialización de bienes y servicios de salud como los son las agencias sanitarias y la regulación para el mantenimiento de los precios en niveles humanitariamente alcanzables (Vaca, 2019).

Es acongojante mencionar que curiosamente en la actualidad la industria farmacéutica en Colombia en cabeza de la Asociación de Laboratorios Farmacéuticos de Investigación y Desarrollo (AFIDRO) y la Asociación Colombiana de Empresas de Medicina Integral (ACEMI) concentran sus esfuerzos de lobby en que se derogue el Decreto 1782 de 2014 que reglamenta la entrada al mercado interno del país de versiones genéricas de medicamentos biotecnológicos, usados para el cáncer y enfermedades de alto costo (Vaca, 2018), en explícita protección de los intereses económicos de los productores y comercializadores farmacéuticos y sin la mínima consideración de las finanzas del SGSSS que paga el Estado.

De hecho, se ha estimado que para los sistemas de salud del mundo y en especial para Colombia, las versiones genéricas y biosimilares, podrían significar una reducción en los precios que van entre el 30% y el 80%. El decreto de medicamentos biotecnológicos o biosimilares establece los requisitos y procedimientos para la evaluación farmacológica de estos productos sin embargo, por parte de la industria farmacéutica se han controvertido los requisitos investigativos respecto a la evidencias de costo-efectividad y el requerimiento de estudios locales que muestren resultados propios de seguridad y eficacia para la obtención del

registro sanitario para comercialización nacional. De acuerdo con lo que he observado en el ejercicio de mi profesión (en visitas médicas, foros periodísticos o conferencias) la industria farmacéutica ha usado como contraargumento el concepto de que así son medicamentos biotecnológicos *'no comparables'* y *medicamentos de 'calidad dudosa'*, a los que han dado en llamar peyorativamente *'biolimbos'* [sic] (ConsultorSalud, 2014), queriendo expresar que:

Enfermedades tan graves como el cáncer, la hemofilia y la diabetes, quedan expuestas a ser tratadas con una 'tercera categoría' de biotecnológicos, *'biolimbos'*, que ni son originales, ni son biosimilares, los cuales entrarían al país sin presentar estudios propios de seguridad y eficacia en las personas y sólo aportando la información química esencial, aduciendo que no se exigen previamente evaluaciones técnicas con una sustentación científica apropiada, convirtiendo a Colombia [*dice Afidro*] en el primer país en el mundo en permitir medicamentos biotecnológicos de origen desconocido (ConsultorSalud, 2014).

La controversia bioética y moral está servida, por un parte el Estado en sano propósito como autoridad de salud busca disminuir el gasto en medicamentos, particularmente los de alto costo, al facilitar que se dé la competencia *versus* los biosimilares y con ello facilitar que el país pueda financiar en esto a las personas que viven con tales afecciones y ahí la validez moral y bioética es obvia: principios de solidaridad, de equidad, de autonomía, de honestidad, de lealtad y en especial el principio de justicia respaldan sólidamente la acción estatal ya que la consideración de un estado social hace la medida sostenible y humanitaria para que se “haga realidad una justicia social distributiva justa y aplicable en las deprimentes condiciones socioeconómicas que viven las personas menos aventajadas de nuestras sociedades” (Osorio, 2010, p. 137), obviamente salvando que no haya posibles injerencias nefastas de la corrupción pública o privada.

Por la otra parte, está AFIDRO y las empresas farmacéuticas con motivaciones más económicas que humanitarias, que bien pretenden argumentar la necesidad de considerar la calidad de los productos y moléculas, criterio que para nada debe obviar el SGSSS y estar vigilante al respecto, aun cuando de fondo es evidente que hay un interés de protección de la cadena: investigación (derechos de autor → propiedad intelectual) → desarrollo → prueba → producción → validación → comercialización, lo cual no es enjuiciable y donde se llega a violentar la perspectiva bioética y se vuelve amoral es cuando se mantiene una sobreprotección mercantilista con márgenes de ganancia exagerados, tiempos de explotación exclusiva no moderados, ocultamiento de los porcentajes y montos de rentabilidad y no

transferencia del conocimiento experto a la comunidad científica, por no decir nada respecto al constreñimiento y asedio de la competencia.

La autoridad estatal requiere poner a la luz de la bioética esta disquisición, pero para todo efecto debe ser explícita su inclinación a favor de la persona que convive con las enfermedades costosas y en la ponderación modesta del gasto, ya que es muy amplia su responsabilidad social.

En la literatura (Kesselheim, Avorn, Sarpatwari, 2016; Vaca, 2019) se menciona que entre las estrategias más realistas a corto plazo para hacer frente a los altos precios de los medicamentos se pueden incluir las opciones que se enlistan en la Tabla 4, enfatizando en primera instancia, obviamente en el urgente y necesario control que se requiere frente la corrupción tanto en los ámbitos oficiales de los servidores públicos que tienen injerencias en toda la cadena de atención de salud y tratamiento de las personas que viven con hemofilia y demás enfermedades huérfanas, como en todo el sector salud privado, y por qué no, en todos los ámbitos de la vida del país.

Tabla 4. Estrategias para hacer frente a los altos precios de medicamentos: Opciones bioética y moralmente validas

Estrategias	
1. Eliminar y/o sancionar ejemplarizantemente cualquier viso de corrupción en los ámbitos públicos del SGSSS y en los privados de toda la cadena de salud, inclusive desde las personas que viven con alguna enfermedad huérfana y en todo el entorno de la industria farmacéutica y los comercializadores de intermediación. ¹¹	
2. Establecer y hacer cumplir requisitos bien estrictos para la concesión y extensión de derechos de exclusividad de producción de nuevas moléculas.	
3. Aumentar la competencia al garantizar la disponibilidad oportuna de medicamentos genéricos.	4. Brindar mayores oportunidades para negociación significativa de los precios con los sistemas de salud gubernamentales.
5. Generar más evidencia investigativa sobre costo-efectividad de alternativas terapéuticas	6. Educar las personas afectadas, los médicos, los agentes pagadores y los responsables de políticas públicas
7. Diseñar y establecer un arreglo institucional fuerte que resuelva las asimetrías y las	

¹¹ El ítem 1 es idea propia del Autor y no está referido en los artículos citados en las referencia bibliográficas de la Tabla (N. del A.).

Estrategias

distorsiones de la comercialización de bienes y servicios de salud (agencias sanitarias y entidades regulatorias), con la perspectiva real de ser un estado comunitario orientado humanitariamente. El Estado y la sociedad civil (incluye academia, medios y ONG) podrían mitigar tales implicaciones adversas.

Fuente: El autor con base en Kesselheim, Avorn, Sarpatwari (2016), Vaca (2019) e ideas propias.

Decisión médica del tratamiento: El dilema de la evidencia científica y las implicaciones de los tratamientos de las personas que viven con hemofilia

Una parte que no se puede pasar por alto y la cual debe ser analizada desde la moral y la bioética es la referente al rol del médico y del equipo de salud involucrado en el abordaje integral de la persona que vive con hemofilia, como enfermedad huérfana de alto costo.

Queda por demás claro que en el caso de una persona que vive con hemofilia según los principios de beneficencia y no maleficencia, además de los criterios básicos de calidad indicados en los *Atributos de la Calidad en la Atención en Salud* que ha establecido el Ministerio de salud (Tabla 5) se debe contemplar la decisión del *mejor tratamiento disponible* (atributo de pertinencia) según la farmacopea, la calidad de la evidencia y de acuerdo con las guías y protocolos establecidos por la evidencia médica.

Tabla 5. Atributos de la Calidad en la Atención en Salud

Atributos	
Accesibilidad	Posibilidad que tiene el Usuario para utilizar los servicios de salud.
Oportunidad	Posibilidad de obtener los servicios que se requiere sin que se presenten retrasos que pongan en riesgo su vida o su salud.
Seguridad	Conjunto de elementos estructurales, procesos, instrumentos y metodología que minimizan el riesgo de sufrir eventos adversos durante la atención.
Pertinencia	Garantía de que los usuarios reciban los servicios que requieren.
Continuidad	Garantía de que se reciben las intervenciones requeridas mediante la secuencia lógica y racional de actividades basadas en el conocimiento científico y sin interrupciones innecesarias.
Satisfacción del Usuario	Nivel del estado de ánimo del Usuario-Paciente y su familia al comparar la atención en salud con sus expectativas.

Fuente: Elaborada por el autor con base en Ministerio de Salud y Protección Social (s.f.).

Así, el personal médico según el criterio de ‘pertinencia’ y también por la ética de su

formación disciplinar y por los postulados del juramento hipocrático, determina los tratamientos con base en la mejor evidencia científica para beneficio de la salud en el marco de ser clínicamente acertado (con criterios epidemiológicos o de evidencia investigativa de efectividad, eficacia y eficiencia del tratamiento) (Roselli y Rueda, 2011), pero no puede dejar de considerar todas las implicaciones para la persona o su familia así como para el sistema de salud, de manera que a la vez también debe prever que el plan de tratamiento que prescriba tiene costos económicos (costo-efectividad) que alguien debe cubrir.

En primera instancia es la persona afectada y por ende su familia quienes asumen los costos del tratamiento, aun cuando desde la inclusión en el POS, es el SGSSS tiene a su cargo las enfermedades raras, hay muchos gastos indirectos que son asumidos por los pacientes: transporte, medicamentos generales, terapias alternativas etc.; en segunda instancia son las EPS, pero en el caso de la hemofilia como enfermedad huérfana reconocida, estas replican contra el SGSSS cuyo fondo está respaldado por el país, que si bien está a cargo del Estado no es inagotable y hay muchas otras situaciones de salud y de personas que tienen necesidades de atención y también deben ser cubiertas.

No se puede pasar por alto que sería pertinente investigar con auditoría y evidencia financiera si la declaratoria de *la hemofilia como una enfermedad huérfana con derecho al cubrimiento total* (Resolución 5265 de 2018), (por la cual nuestra Liga Hemofílicos así como otras organizaciones humanitarias lucharon por largo tiempo y lo lograron), ha sido o está siendo una excusa que soterradamente potencia los ya altos costos de los medicamentos más allá de los costos reales que implica la cadena de desarrollo y de comercialización de productos y moléculas para enfermedades huérfanas, con una rentabilidad justa.

A diferencia de lo que pasa con los medicamentos para otras entidades, los productos para la hemofilia son altamente efectivos y hay que suministrarlos cuando se necesiten; la ley colombiana de enfermedades huérfanas sumadas al interés de cada persona o familia afectada aseguran que el medicamento siempre se prescriba a costa de todas las condiciones de precio que imponga la industria farmacéutica. De hecho, es una falta bioética inflar o magnificar los precios y no cuidar la racionalidad de las erogaciones que corren por cuenta del Estado en la protección solidaria de la salud de las personas que viven con hemofilia u otra enfermedad de alto costo.

Así mismo, al parecer los Estados fuera de actuar sobre los valores impositivos concediendo

exenciones (que se sobre agregan a los beneficios de la industria y no necesariamente son trasladados a los usuarios) no cuenta con mecanismos legales o de presión supracorporativa que haga bajar a niveles racionales los porcentajes (*Markup, Landed cost, Gross profit, % OIBT* y demás rubros de rentabilidad local, nacional o transnacional) para que se ubiquen en niveles justos según una justicia distributiva y humanitaria, que no pretende para nada llevar a la quiebra a la industria farmacéutica o a las empresas comercializadoras, pero sí ubicar los precios en nivel de rentabilidad razonable y sobre todo al alcance de las personas a través del SGSSS.

Ahí la industria farmacéutica tendría muchas explicaciones que dar, de hecho las empresas productoras y las comercializadoras de intermediación de medicamentos no se ha mostrado con un claro perfil humanitario y no pasaría incólumes un análisis bioético, dada la predominancia de un mercado de tendencia neoliberal, donde prima la sobrevivencia empresarial en la lucha por los éxitos financieros, el crecimiento industrial y la acumulación de ganancias signadas por una salvaje economía de mercados, comprometiendo y casi saqueando las arcas del SGSSS.

Al respecto, el exministro de Salud de Colombia Alejandro Gaviria Uribe expresó que “el uno por ciento de la población tiene alguna enfermedad de alto costo, que demanda más del 40 por ciento de los recursos del sistema de salud” (El tiempo, 29 abril 2014, párrafo 1). Así mismo, el presidente de la Cuenta de alto costo comentó a manera de una cruda anécdota, por demás dramática, que “en una ocasión un par de hermanos hemofílicos se agarraron a puños... y esa pelea le costó al sistema de salud \$1.100 millones” (El tiempo, 29 abril 2014, párrafo 4) Indicó también que “Por cada paciente renal se debe tener 100 a 200 sanos, para poderlos tratar, y si tiene hemofilia, se requiere tener a 1.000 sanos” (El tiempo, 29 abril 2014, Párrafo 4). Argumentos que resultan paradójicos frente a otros problemas de desfalco del Estado con la corrupción. Lo que llama la atención es como solo se mira una cara de la moneda: los servicios sociales y de salud. Al respecto se podría afirmar que el problema no es la gente o los mil o dos mil sanos, es la especulación de la industria farmacéutica y como cada vez se argumenta sin ética, hoy día no hay diferencias mayores entre la industria del porno, de armas y de medicamentos.

El profesional de la salud, cualquier que sea su ubicación en el esquema de la atención a las personas con afecciones de alto costo, incluida la hemofilia, debe ser en primera instancia

solidario con la persona afectada y en función de ello su accionar debe ser éticamente sostenible, además de que los principios bioéticos de beneficencia y no maleficencia deben ser prioritarios a la hora de prescribir o realizar cualquier intervención, que por demás debe girar en torno a la mejor evidencia según las guías de manejo actualizada, con lo cual deben también sobresalir el seguimiento de los principios de respeto y lealtad expresados en el cumplimiento de la terapéutica y en la honesta selección de los medicamentos y de la información que se transmite en atención a la evolución del caso.

No obstante, consecuente con ello también debe ser socialmente responsable con la asignación del tratamiento y consciente de los costos del tratamiento, obviamente no sería consistente con su autonomía condicionar el plan terapéutico al costo, sea por alto o por bajo, y sus referentes deben ser la evidencia, los protocolos y guías de manejo y la relación costo-efectividad, sin permitirse caer en una pérdida de la autonomía médica. En este contexto se hace notar que una sólida formación moral y bioética y una adecuada formación técnico-científica del médico y demás profesionales de la salud son los elementos que deben garantizarles la capacidad para proteger su autonomía y los derechos de las personas que viven con alguna enfermedad de alto costo (Molina y Ramírez, 2013).

Es inamisible que la autonomía del profesional de la salud se llegue a ver limitada o asediado por la gama de empresas farmacéutica que esperan ser favorecidas con la prescripción y consumo de sus moléculas y demás productos terapéuticos, más allá de solo considerar la pertinencia, la efectividad, la eficacia y la seguridad farmacocinética, bajo presiones de una moral empresarial mercantilista (Molina y Ramírez, 2013). Luego, es evidente que se debe proteger y hacer realidad práctica el principio bioético de la autonomía médica “se requieren procesos de reflexión y educación que promuevan el fortalecimiento de una conciencia crítica” (Molina y Ramírez, 2013, p. 291), tanto en la persona del médico como en los demás profesionales de la salud.

Con respecto a la autonomía médica, además de lo anterior también es válido mencionar las situaciones en que para efectos de las enfermedades de alto costo, las instituciones definen listados restringidos de medicamentos a veces en función de los compuestos activos (lo que permitiría la prescripción para el uso de biosimilares o medicamentos genéricos) o también con nombres comerciales que por ende están ligados a laboratorios farmacéuticos específicos. En muchas ocasiones el profesional se ve obligado a formular o a no prescribir ciertos

productos de acuerdo con estos listados y en este caso se viola la autonomía médica. No obstante, la autonomía médica va más allá de las relaciones con la industria farmacéutica y de que el médico sea consciente de las implicaciones de sus prescripciones sobre el gasto público, toca directamente el principio bioético de la de autonomía en el ámbito profesional.

No obstante, según el ministro de salud Juan Pablo Uribe Restrepo (Ministerio de Salud y Protección Social, 2019):

la autonomía médica va más allá de las relaciones con la industria farmacéutica y de que el médico sea consciente de las implicaciones de sus prescripciones sobre el gasto público, toca directamente el principio bioético de la autonomía en el ámbito profesional. Este es un tema recurrente en Colombia, donde hay una buena dosis de autonomía médica (Ministerio de Salud y Protección Social, 2019, párrafo 4).

Reflexiones bioéticas a propósito del caso clínico

La historia de Juan¹² y las anteriores consideraciones desarrolladas ameritan las siguientes reflexiones desde los ámbitos de la moral y la bioética.

Un mirada desde la moral: Al tener en cuenta la condición humana de Juan que vive con hemofilia se expresa una visión moralmente válida y se muestran creencias y prácticas socialmente prevalentes con actitudes claramente humanísticas, no obstante sí se piensa completamente en el caso se entrevé una situación amoral como es la falta del abordaje integral, el ser humano no es por una parte un cuerpo con una enfermedad y por otra un persona con una vida familiar o social compartimentalizada, así como tampoco se puede ser un trabajador sin considerar su condición orgánica y de salud.

Considero que es cuestionable bióticamente que se pretenda suplir las necesidades del factor o las moléculas de alto costo prescritas (que por demás, traen muy buenos réditos económicos a las IPS, EPS distribuidores farmacéuticos y a la industria de salud, acosta del SGSSS) pero simultáneamente no es expedito el acceso al cubrimiento de otras necesidades de salud, así como tampoco al apoyo de otras disciplinas médicas (consejería genética, Ortopedia, medicina

¹² Recalco que ‘Juan’ es solo un nombre ficticio para darle identidad a la persona. La historia clínica de Juan me permite ejemplificar la situación real de personas que viven con hemofilia en Colombia (N. del A.).

interna, medicina física y rehabilitación) y paramédicas (terapia física y psicología), además de laboratorios clínicos especializados.

En ello el Estado no puede ser un candoroso observador y dejar todo a las leyes mercantilistas de la demanda y la oferta (que para el caso, la baja demanda que se da por la muy baja prevalencia *'explica'* los altos costos, máxime que lo cubre es el SGSSS, que no tiene doliente).

En lo personal considero que es tan antiético desatender la integralidad de la personas que viven con enfermedades huérfanas al centrarse solo en el tratamiento de alto costo, como ingenuamente dejar en manos de las industrias su tratamiento y atención de salud. Gafo (1998) indica que si bien “Debe afirmarse en forma rotunda el derecho de todo ser humano a una asistencia sanitaria, una función fundamental del Estado es articular las medidas para que ese derecho pueda ser efectivo en la práctica” (p. 46).

Principio de Justicia: Este principio tiene en cuenta las dimensiones políticas y sociales de los problemas. Aboga por distribución igual de ciertos bienes, como la atención en salud (Escobar, 2011). De acuerdo con Norman Daniels, un sistema de salud justo se traduce como “igualdad justa de oportunidades” y garantiza el acceso equitativo a niveles de atención adecuado, aunque no máximo. En nuestro caso, a pesar de que el factor es un medicamento del POS, no fue recibido por parte de la persona de su EPS sino hasta cuando una IPS interesada en las personas que viven con hemofilia empieza a realizar el manejo. El sistema de salud nunca ofreció un adecuado cubrimiento a sus necesidades en salud a pesar de ser un recurso autorizado y disponible en las listas de medicamentos de las EPS.

Las respuestas en términos de justicia distributiva recurren a criterios múltiples como edad, gravedad de la enfermedad, esperanza de vida , recursos económicos entre otros. El sistema de salud no vela por su atención integral, mi paciente es una persona joven que tiene patologías prevalentes (hipertensión, diabetes) que requieren igual atención y que pueden generar más complicaciones sobregregadas en su estado de salud, luego a él la justicia distributiva le ha llegado bien poco y le ha dejado al amparo no siempre efectivo de las EPS e IPS.

Principio de Autonomía: Si se entiende el principio de la autonomía como el derecho humano inalienable a escoger, o sea tomar decisiones en forma autónoma y según sus propias

convicciones e intereses fundados en su sistema de valores e idea de vida y de la vida sana que desea tener, a Juan nunca se le han respetado las decisiones como persona que vive con hemofilia con relación a su derecho a participar en la selección del mejor producto para su tratamiento (con la debida limitación de su propio nivel de conocimiento), aunque obviamente ello está condicionado a la asesoría de médico tratante por su experticia profesional y sin afectar su economía con los gasto de bolsillo en salud (Tobar, 2008).

(De hecho, en el fuero del paciente se hace la salvedad de la *competencia imperfecta* en el mercado de medicamentos, como la capacidad que tiene la oferta para crear o inducir su propia demanda, ya que quien prescribe toma las decisiones sobre el consumo en nombre de quien compra y consume, y no siempre considera el costo al tomar las decisiones en la formulación del medicamento (Tobar, 2008).

Al no tener posibilidad de optar por un tratamiento médico vs otro con efectividad similar, Juan pierde posibilidad de autodeterminación y lo supedita al vaivén externo de las condiciones de mercado que no se rigen por condiciones humanitarias sino por considerandos mercantilistas. Se violenta así la autonomía que para Rawls es de orden racional y plena en atención a la característica humana en tanto que somos seres racionales y razonables, para optar por nosotros mismos (Osorio-García, 2010).

Igual que Juan, a la gran mayoría de las personas colombianas que viven con hemofilia no se les respeta como agentes autónomos con capacidad y derecho a tomar decisiones claves en su tratamiento en aspectos como preferencias del tipo de medicamento óptimo, de la modalidad de manejo (profiláctico o a demanda), de la selección del sitio de atención o de la elección del profesional de cabecera, entre otras situaciones.

Como medico clínico pienso que en la relación médico-paciente es necesario propender por facilitar el ejercicio de la autonomía del paciente al consultársele y permitirle las escogencias en lo que sea posible, en función de sus propias preferencias y aspectos que sean de su resorte personal con la debida asesoría médica.

Finalmente, se hace notar que en el proceso investigativo con la nueva molécula a Juan se le respetó su autonomía para estar actualmente en un estudio clínico de investigación: recibió una información amplia y suficiente sobre el ensayo de investigación, se aseguró la comprensión de este y firmó el consentimiento informado de manera libre y voluntaria.

Principio de Beneficencia: este principio implica la obligación de realizar el bien (no solo desearlo), en medicina aboga por maximizar los beneficios y minimizar los riesgos (Escobar, 2011) El manejo suministrado por la IPS solamente está interesado en el aporte de factor antihemofílico, descuidando otros aspectos importantes de su salud general y no suministrando manejo integral como persona que vive con hemofilia.

Se vulneró este derecho al no recibir tratamiento oportuno para erradicar inhibidores y con ello se complejizó el manejo farmacológico al requerir medicamentos de mayor desarrollo investigativo y costo más alto. Al respecto se debe tener claro que la beneficencia de la que se habla desde la mirada bioética no es un concepto de *caridad*, sino del acceso real a los beneficios que se tienen en cuenta se es un ser humano sujeto de derechos. La no obtención oportuna de los tratamientos ha privado a Juan del disfrute de una mejor calidad de vida y lo han expuesto a situaciones de agravamiento de su caso clínico.

Con relación a la participación de Juan como sujeto de investigación clínica y teniendo en cuenta que la intervención tiene riesgos potenciales estos se sopesaron con los beneficios potenciales para él. El estudio ha sido muy riguroso en los cuidados que atañen a la seguridad del paciente y ha mostrado amplios beneficios en términos físicos y de su bienestar social y emocional.

Como parte de la beneficencia se hace notar que al finalizar el estudio de investigación clínica, Juan volverá a consulta con su médico de la IPS correspondiente y ya será decisión del médico tratante que Juan regrese al tratamiento previo o pueda continuar con el medicamento del estudio una vez que esté aprobado su uso en nuestro país, a cargo del SGSSS.

Conclusiones

La salud es uno de los derechos humanos fundamentales por el cual el Estado deben propender, por lo cual el acceso a la salud se debe dar en condiciones de una real justicia distributiva que globalmente ampare a las diferentes persona, independiente de su condición social, de manera que el uso de los productos y tecnologías de la salud no esté restringido por condiciones sociales u otros criterios discriminatorios.

El cubrimiento de la demanda de tratamiento y atención de salud de las personas que viven con hemofilia le establece al Estado decisiones y acciones que desde una justicia distributiva con el debido fondo ético-moral evite que los recursos de la salud queden a merced de la fría dinámica de los mercados de medicamentos de alto costo, con una perspectiva humanitaria equitativa, pero sobre todo socialmente responsable.

El dilema ético-moral entre el gasto de salud en poblaciones huérfanas de baja incidencia y el gasto en personas con afecciones prevalentes deben ser resueltos con la debida justicia distributiva centrada principalmente en los personas con mayores condiciones de marginalidad y con la suficiente autoridad estatal que racionalice los costos, evite la dispersión (inclúyase, la corrupción y el malgasto) y potencie la buena calidad de vida de las personas, incluso con afecciones de alto costo.

A nivel moral y con una impronta bioética sin ser una solución simplista, se debe considerar que las pautas estatales, las acciones de sus funcionarios, el quehacer de sectores privados como la industria farmacéutica, comercializadores y los diferentes agentes de salud incluidas las personas, deben confluir en la complejidad del acceso justo a la salud, que no se mejora sin que medie un acuerdo de voluntades que desde una perspectiva ética propenda por la buena salud para todos.

Una perspectiva bioética, que no necesariamente jurídica, debe conllevar a los diferentes actores de la salud, desde la industria farmacéutica, de las empresas comercializadoras, e

incluso de las EPS e IPS a que sus niveles de rentabilidad no busquen llegar a niveles exorbitantes: no es ético que las entidades o empresas busquen o pretendan sobreganancias exageradas en el ámbito de la salud, sin que con ello se entienda que se les debe llevar a la quiebra o a la inviabilidad financiera.

Desde una moral humanitaria como estado social, los actores de la salud (incluidos desde la persona que vive con enfermedades de alto costo hasta los funcionarios del SGSSS, incluyendo a la industria farmacéutica) deben considerar una perspectiva bioética de justicia distributiva, la cual debe ser más que buena intención, una realidad práctica cotidiana.

Con la descripción de un caso clínico se puso en evidencia cómo las condiciones restrictivas del sistema de salud se confabulan con las particularidades de las situaciones individuales, para complejizar el manejo expedito de una personas que convive con hemofilia tipo A severa, con esperanza de ser beneficiada con su participación en el ensayo experimental de una molécula que en estudios clínicos ha mostrado mayor eficacia que los agentes estándar.

Recomendaciones

En el ámbito institucional es evidente la necesidad de diseñar y establecer un arreglo institucional fuerte que resuelva las asimetrías y las distorsiones de la comercialización de bienes y servicios de salud, con la perspectiva real de ser un estado comunitario orientado humanitariamente. El Estado y la sociedad civil (incluye academia, medios y ONG) podrían mitigar las implicaciones adversas de un mercantilismo, alejado de una real justicia distributiva.

El Estado y los agentes tomadores de decisiones en el SGSSS deben contar con herramientas institucionales y jurídicas que les permitan un accionar social centrado en las personas con necesidades especiales, como son las afecciones de alto costo para la incorporación de criterios de conceptualización social de la costo-efectividad y definición de techo o un umbral costo-efectivo para la toma de decisiones.

La discusión bioética y moral sobre el accionar y las perspectivas del sistema de salud debería

ser una de la cotidianidad en la que participen todos los agentes de salud desde la persona afectadas hasta los gestores y ejecutores de políticas pública en salud, pasando obviamente por la academia, las ONG, los gremios y la industria de salud.

Es necesario el fortalecimiento de los centros de investigación y el trabajo investigativo conducente al desarrollo de nuevos horizontes terapéuticos y farmacológicos dentro del ámbito universitario, como cuna del conocimiento científico de punta y alejados del patrocinio condicionante de la industria farmacéutica.

En el contexto académico del Programa de Bioética en los niveles de especialización, maestría y doctorado se podría establecer y desarrollar una línea de investigación permanente sobre las implicaciones bioéticas de la atención en salud de las personas con enfermedades de alto costo, con la perspectiva de aportar a la consideración de la bioética como un saber disciplinar activo en el área de la salud.

Referencias

- Acta Médica de Costa Rica. Editorial. (1978). La lucha contra la Hemofilia en Costa Rica. *Act Méd. Cost.* Vol. 21 – N° 2, 1978; 139-140. Recuperado de <https://www.binasss.sa.cr/revistas/amc/v21n21978/art1.pdf>
- Bautista, L.A., Florián, I.E. y Urrego, J.R. (2015). *Costos médicos directos del tratamiento de pacientes adultos con hemofilia en Colombia*. Tesis de grado en Química Farmacéutica. Bogotá: Universidad de Ciencias Aplicadas y Ambientales UDCA. Recuperado de <https://repository.udca.edu.co/bitstream/11158/333/1/tesis-hemofilia.pdf>
- Blanchette, V.S. (2010). Prophylaxis in the haemophilia population. *Haemophilia*. 16 (supple 5):181-88.
- Brooker, M. (2012). Registry of Clotting Factor Concentrates, *9th edition. Facts and Figures*. Monograph no. 6. Montreal: World Federation of Hemophilia.
- Cancer.org (s.f.). *¿Cuáles son las fases de los estudios clínicos?* Recuperado de <https://www.cancer.org/es/tratamiento/tratamientos-y-efectos-secundarios/estudios-clinicos/lo-que-usted-necesita-saber/fases-de-los-estudios-clinicos.html>
- Chaves-Restrepo, A.P. (2016). Situación de los afectados con enfermedades raras en Colombia: Una población vulnerable y minoritaria que requiere abordaje con enfoque diferencial. *VI Simposio de Enfermedades Raras Asociadas a Procesos Genéticos*. febrero de 2016. Recuperado de https://www.academia.edu/28425418/situaci%3%b3n_de_los_afectados_con_enfermedades_raras_en_colombia_una_poblaci%3%b3n_vulnerable_y_minoritaria_que_requiere_abordaje_con_enfoque_diferencial.pdf
- Chaves-Restrepo, A.P. (2016a). *El problema social y de salud de las Enfermedades Raras: transitando de la invisibilidad a la visibilidad*. Recuperado de https://www.academia.edu/5271259/las_enfermedades_raras_en_colombia_transitando_de_la_invisibilidad_a_la_visibilidad
- Chowdary, P., Carcao, M., Holme, P.A., et al. (2019). Fixed doses of N8-GP prophylaxis maintain moderate-to-mild factor VIII levels in the majority of patients with sever

- hemophilia A. *Res Pract Thromb Haemost.* 2019 11; 3(3):542-554.
- Chowdary, P., Shapiro, S., Davidoff, A.M., et al. (2018). A single intravenous infusion of FLT180a results in factor IX activity levels of more than 40% and has the potential to provide a functional cure for patients with haemophilia B. *Blood.* 2018;132:631.
- ColHemofilicos (s.f.). *Historia de ColHemofilicos.* Recuperado de <http://colhemofilicos.org.co/index.php/educacion-hemofilia-en-colombia/historia>
- ColHemofilicos (2001). *Guía de Manejo Integral para Pacientes con Hemofilia.* Bogotá: Ministerio de Salud.
- ConsultorSalud (2014). En firme decreto sobre medicamentos biotecnológicos. *ConsultorSalud.com.* Recuperado de <https://consultorsalud.com/en-firme-decreto-sobre-medicamentos-biotecnologicos/>
- Cuenta de Alto Costo Fondo Colombiano de Enfermedades de Alto Costo (2018), *Situación de la hemofilia en Colombia 2017.* Bogotá: CAC.
- Cuenta de Alto Costo Fondo Colombiano de Enfermedades de Alto Costo (2019), *Situación de la hemofilia en Colombia 2018.* Bogotá: CAC. Recuperado de https://cuentadealtocosto.org/site/images/Publicaciones/Situacion_Hemofilia_2018.pdf
- Darby, A., Kan, S.W., Spooner, R.J., et al. (2007). Mortality rates, life expectancy, and causes of death in people with hemophilia A or B in the United Kingdom who were not infected with HIV. *Blood,* 2007; (10): 815-25.
- De Currea-Lugo, V. (2010). *Salud y neoliberalismo.* Colección Bios y Oikos. Bogotá: Ed. Universidad El Bosque.
- Decreto No. 1782 de 2014. Ministerio de Salud y Protección Social. Requisitos y evaluaciones farmacológicas y farmacéuticas de los medicamentos biológicos en trámite del registro sanitario. Bogotá: Recuperado de https://www.minsalud.gov.co/normatividad_nuevo/decreto%201782%20de%202014.pdf
- Defensoría del Pueblo. (2019). *La tutela y los derechos a la salud y a la seguridad social 2018.* Bogotá: Defensoría del Pueblo de Colombia. Recuperado de <http://www.defensoria.gov.co/public/pdf/Tutela-los-derechos-de-la-salud-2018.pdf>
- Den Ujil, E., Mauser Bunschoten, E.P., Roosendaal, G., et al. (2011). Clinical Severity of Haemophilia A: does the classification of the 1950s still stand? *Haemophilia.* 2011;

17(6):849.53.

- El Tiempo. (29 de abril de 2014). Hemofilia, la enfermedad más costosa para el sistema de salud: Solo 2.200 personas la padecen y su atención vale más de \$400.000 millones al año. *Redacción Salud El tiempo*. Recuperado de <https://www.eltiempo.com/archivo/documento/cms-13901057>
- Escobar J. (1999). Ley 100 de seguridad social: implicaciones bioéticas. En: Escobar J, Da Costa M, Jácome S, Málaga H, Maldonado C, Montt J, et al., eds. *Bioética y Justicia Sanitaria. Colección Bios y Ethos No. 9*. Bogotá: Universidad El Bosque.
- Escobar, J. (2013). Obstinación jurídica: el caso de la Ley 100 de 1993. *Revista Colombiana de Bioética*. 2013; Vol. 8 No 2, Julio-Diciembre. Bogotá: Universidad El Bosque. Recuperado de http://www.bioeticaunbosque.edu.co/publicaciones/Revista/rev82/arti9_Jaimeescobartriana.pdf
- Escobar, J. y Aristizábal, Ch. (2011). Los principios en la bioética: Fuentes, propuestas y prácticas múltiples. 2011. *Revista Colombiana de Bioética 2011*. Vol. 6 No. Especial. pp. 76-109.
- Etimologías. (s.f.). Etimologías de hemofilia. Recuperado de <http://etimologias.dechile.net/?hemofilia>
- Eurodis. (2005) *Rare Diseases: understanding this public health priority*. Recuperado de <http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Education.php?lng=ES>
- Federación Mundial de Hemofilia [FMH]. (2012). *Guías para el tratamiento de la hemofilia*. 2da edición. Montreal: Blackwell Publishing Ltd. DOI: 10.1111/j.1365-2516.2012.02909.x. Recuperado de <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1513.pdf>
- Gafo, J. (1998). Los principios de justicia y solidaridad en Bioética. *Cuadernos del Programa Regional de Bioética OPS/OMS*. 1998, No. 6. Bogotá: Universidad El Bosque.
- Giangrande, P.L. (2001). Blood products for hemophilia; past, present and future. *BioDrugs*. 2001; 18(4):225-34.
- Gracia, D. (2016). Ética de investigación en enfermedades raras. En Ayuso C, Dal-Ré R y Palau F. (Ed.) *Ética en la investigación de las enfermedades raras*. Madrid: Editorial Ergon. Recuperado de <https://www.ciberer.es/media/602599/%C3%A9tica-en-la->

[investigacion-de-las-enfermedades-raras.pdf](#)

- Hardy, A.E. y Rovelo, J.E. (2015). Moral, ética y bioética. Un punto de vista práctico. *Medicina e Investigación*. 2015: vol. 3 issue 1 (2015) pp: 79-84.
- Herrera, J.A. García, R.H. y Herrera, K. (2016). La encrucijada bioética del sistema de salud colombiano: entre el libre mercado y la regulación estatal. *Rev Bio y Der*. 2016; 36: 67-84.
- Jadhav, U., Mukherjee, K. & Lalwani, A. (2014). Ethical issues in the care of persons living with haemophilia in India. *Indian Journal of Medical Ethics*. Vol XI No 4 October-December 2014.
- Kasper, C.K. (2005). Products for clotting factor replacement in developing countries. *Semin Thromb Hemost*. Nov; 31 2005; (5):507-12.
- Kerguelén Botero, C.A. (2008). *Calidad en salud en Colombia. Los principios. Programa de Apoyo a la Reforma de Salud*. Bogotá. Ministerio de la Protección Social. ISBN: 978-958-8361-49-9.
- Kesselheim, A.S., Avorn, J. & Sarpatwari, A. (2016). The high cost of prescription drugs in the United States: Origins and prospects for reform. *JAMA*. 2016; 316(8):858-71.
- Kitchen, S., McCraw, A. & Echenagucia, M. (2010). *Diagnosis of Hemophilia and Other Bleeding Disorders: A Laboratory Manual*, 2nd edition. Montreal: World Federation of Hemophilia.
- Ley 1392 de 2010. Congreso de Colombia. *Reconocimiento de las enfermedades huérfanas como de especial interés y adopción de normas tendientes a garantizar la protección social por parte del Estado colombiano a la población que padece de enfermedades huérfanas y sus cuidadores*. Diario Oficial 47.58. 2 de julio del 2010.
- Ljung, R. et al. (2003) Genetic counseling of hemophilia carriers. *Semin Thromb Hemost*. 2003; 29 (1): 31- 6.
- Makris, M., Preston, F.E. Triger, D.R., Choo, K.L. & Kuo, G. (1990). Hepatitis C antibody and chronic liver disease in hemophilia. *Lancet*. 1990; 335: 1117–9.
- Miesbach, W., Meijer, K., Coppens, M., et al. (2018). Gene therapy with adeno-associated virus vector 5-human factor IX in adults with hemophilia B. *Blood*. 2018; 131(09):1022–1031.
- Ministerio de Salud y Protección Social (s.f.). *Atributos de la Calidad en la Atención en*

- Salud. Bogotá: MinSalud. Recuperado de <https://www.minsalud.gov.co/salud/paginas/atributos-de-la-calidad-en-la-atenci%c3%93n-en-salud.aspx>
- Ministerio de Salud y Protección Social. (2016). *Avances y retos en hemofilia y otros defectos de la coagulación*. Recuperado de <https://www.minsalud.gov.co/sites/rid/lists/bibliotecadigital/ride/de/ca/avances-retos-hemofilia.pdf>
- Ministerio de Salud y Protección Social. (2016a). *Estudio técnico del mecanismo de cálculo para definir el monto que las EPS y EOC deben aportar sobre los recursos de la UPC de los regímenes contributivo y subsidiado y su distribución, para el manejo de la enfermedad huérfana "déficit congénito del factor VIII" (hemofilia A severa)*. Bogotá: MinSalud.
- Ministerio de Salud y Protección Social (2019). Autonomía médica y calidad en la atención al paciente va de la mano: ministro Uribe. *Boletín de Prensa No 095 de 2019*. 05/06/2019. Recuperado de <https://www.minsalud.gov.co/Paginas/Autonomia-medica-y-calidad-en-la-atencion-al-paciente-van-de-la-mano-ministro-Uribe.aspx>
- Ministerio de Salud y Protección Social e Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud. (2015). *Protocolo Clínico para Tratamiento con profilaxis de Personas con Hemofilia A Severa sin Inhibidores*. Bogotá: MinSalud / IETS.
- Ministerio de Sanidad (2013). *Estrategia en Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud*. Madrid: Servicios Sociales e Igualdad. Madrid: Ministerio de Sanidad. Recuperado de http://www.msbs.gob.es/organizacion/sns/plancalidadesns/pdf/estrategia_enfermedades_raras_sns_2014.pdf
- Molina, G. y Ramírez, A. (2013). Conflicto de valores en el sistema de salud de Colombia: entre la economía de mercado y la normativa constitucional, 2007–2009. *Rev Panam Salud Publica*. 2013; 33(4):287–93.
- National Hemophilia Foundation (s.f.). *Historia de la hemofilia*. Recuperado de <https://www.hemophilia.org/Bleeding-Disorders/History-of-Bleeding-Disorders>
- Nilsson, I.M. et al. (1992). Twenty-five years's experience of prophylactic treatment in severe haemophilia A and B. *J Intern Med*. 1992; 232: (1).25-32.

- Nogami, K. & Shima, M. (2019). New therapies using nonfactor products for patients with hemophilia and inhibitors. *Blood*. 2019; 133(5):339-406.
- Organización Mundial del Comercio [OMC] (s.f.). *Mercado de medicamentos de alto costo*. Recuperado de <https://www.wto.org/indexsp.htm>
- Osorio-García, S. N. (2010). John Rawls: una teoría de justicia social: su pretensión de validez para una sociedad como la nuestra. *Rev. Relac. Int. Estrateg. Segur.* 2010; 5(1):137-160.
- Pipe, S., Stine, K., Rajasekhar, A., et al. (2017). 101HEMB01, a phase 1/2 openlabel single ascending dose-finding trial of DTX101 (AAVrh10FIX) in patients with moderate/severe to severe hemophilia B demonstrated meaningful but transient expression of human factor IX. *Blood*. 2017; 130:3333.
- Quirland-Lazo C., et al. (2017). Modelos de atención en salud en enfermedades raras: revisión sistemática de la literatura. *Rev Gerenc Polít Salud*. 2017; 17(34): 1-9. Recuperado de <https://doi.org/10.11144/javeriana.rgps17-34.mase>
- Rawls J. (2000). *Teoría de la justicia*. 2ª ed. México D.F.: Fondo de Cultura Económica.
- Rawls J. (2012). *La justicia como equidad. Una reformulación*. Barcelona - España: editorial Paidós.
- Resolución No. 3681 de 2013, Ministerio de Salud y Protección Social. Requerimientos de la información a reportar en la Cuenta de alto Costo para elaboración del censo de pacientes con enfermedades huérfanas. Diario oficial No. 48.922.
- Resolución No. 123 de 2015. Ministerio de Salud y Protección Social. Reporte de información de pacientes diagnosticadas con hemofilia y otras coagulopatías asociadas a déficit de factores de coagulación en la Cuenta de alto Costo. Bogotá.
- Resolución No. 5265 de 2018. Ministerio de Salud y Protección Social. Actualización del listado de enfermedades huérfanas y otras disposiciones. Bogotá: MinSalud.
- Rodríguez-Merchan, E.C. (2010). Musculoskeletal complications of Hemophilia. *HSSJ*. 2010; 6:37-42.
- Roselli, D. y Rueda, J.D. (2011). *Enfermedades raras, huérfanas y olvidadas*. Recuperado de https://www.academia.edu/5271337/estudio_enfermedades_raras_hu%C3%89rfanas_y_olvidadas
- SaluDerecho (2019). El acuerdo de la OMS sobre transparencia en los precios de

- medicamentos: un paso incompleto. Recuperado de <http://saluderecho.net/page/el-acuerdo-de-la-oms-sobre-transparencia-en-los-precios-de-medica>
- Silverman, E. (2015). How marketing exclusivity led to higher drug costs and questionable benefits. *The Wall Street Journal*, 5 de mayo. Recuperado de <http://blogs.wsj.com/pharmalot/2015/05/05/how-marketing-exclusivity-led-to-higher-drug-costs-and-questionable-benefits/>
- Tagny, C.T., Moudourou, S. & Mbanya, D. Hemophilia in Developing Countries; An analysis of the First Data in Cameroon, Africa. *J Blood Lymph* 2014; 4:2-4
- Tapper, M.I. (2006). Emerging viral diseases and infectious disease risks. *Haemophilia*. 2006; 12 (suppl 4): 47-54.
- Tobar F. Economía de los medicamentos genéricos en América Latina. *Rev Panam Salud Pública*. 2008; 23(1):59–67. Recuperado de <https://www.scielosp.org/pdf/rpsp/2008.v23n1/59-67/es>
- UNESCO (2008). *Recomendaciones de la UNESCO sobre la terminología y la redacción del material relativo al VIH y al SIDA*. Paris: Organización de las Naciones Unidas para la Educación, la Ciencia y la Cultura. Recuperado de https://unesdoc.unesco.org/ark:/48223/pf0000144725_spa
- Vaca, C. (2018). La industria farmacéutica presiona por una política de medicamentos a su medida. Centro de Pensamiento Medicamentos, Información y Poder. *UN periódico digital*. Universidad Nacional de Colombia. Bogotá. Recuperado de <http://eppu.unal.edu.co/index.php?id=30118>
- Vaca, C. (2019). Globalización, tensiones de poder e intereses en los procesos de aprobación y vigilancia de tecnologías médicas. En: *Verdades Incómodas en Salud Pública. Catedra Manuel Ancizar*. Sesión 5. Universidad Nacional de Colombia. Recuperado de <https://storage.ning.com/topology/rest/1.0/file/get/2648351478?profile=original>
- Villegas-Alzate, J.D., Martínez-Sánchez, L.M. y Jaramillo-Jaramillo, L.I. (2018). Calidad de vida: un aspecto olvidado en el paciente con hemofilia. *Arch Med (Manizales)* 2018; 18(1):172-80. Recuperado de DOI <https://doi.org/10.30554/archmed.18.1.2584.2018>
- WFH [World Federation of Haemophilia] (2017). *Annual report 2017*. Montreal: WFH. Recuperado de <https://www.wfh.org/es/informe-anual>
- White, G. C. (2010). Hemophilia: an amazing 35-year journey from the depths of HIV to the

threshold of cure. *Transactions of the American Clinical and Climatological Association*, 2010; 121, 61–75.

Wight, P. (2003). The epidemiology of inhibitors in haemophilia A: a systemic review. *Haemophilia*, 2003; 9.

Yamaguti-Hayakawa, G. & Ozelo, M.C. (2019). Gene Therapy: Paving New Roads in the treatment of Hemophilia. *Semin. thromb Hemost.* May 16. Doi: 10.1055/s-0039-1688445.