

**MONOGRÁFICO II**

*APROXIMACIONES ACTUALES A LAS  
ENFERMEDADES RARAS*

Coordinado por

Juan R. Coca (Universidad de Valladolid)



# Fraternidad política y enfermedades raras

## Political Fraternity and Rare Diseases

Angel Puyol<sup>1</sup>

Universitat Autònoma de Barcelona (España)

ORCID: <https://orcid.org/0000-0002-4691-4372>

Recibido: 05-11-2020

Aceptado: 24-12-2020

---

### Resumen

Las enfermedades raras reciben, en general, menos financiación para su investigación y tratamientos médicos que el resto de enfermedades. Al margen de explicaciones científicas y económicas conocidas, existen dos grandes posiciones éticas respecto a este hecho, la que lo aprueba por razones de ética utilitarista, y la que lo condena insistiendo en razones igualitaristas y de derechos individuales. En este artículo, analizo los problemas de ambos tipos de justificación moral, y propongo una alternativa ética basada en la idea de fraternidad política que, aplicada a las enfermedades raras, evita las peores consecuencias tanto del utilitarismo como del lenguaje del derecho individual a la salud y el mero igualitarismo.

**Palabras-clave:** Enfermedades raras, enfermedades huérfanas, solidaridad, fraternidad, ética de la salud pública, bioética

### Abstract

Rare diseases generally receive less funding for their medical research and treatments than other diseases. Apart from well-known scientific and

---

<sup>1</sup> (angel.puyol@uab.cat) Catedrático de Ética en la Universitat Autònoma de Barcelona. Es autor de los siguientes libros: *Justicia i salut. Ètica per al racionament dels recursos sanitaris* (UAB, 1998, Premio de Investigación de la Fundación Víctor Grífols), *El discurso de la igualdad* (Crítica, 2001), *El sueño de la igualdad de oportunidades* (Gedisa, 2010), Rawls. *El filósofo de la justicia* (Colección “Descubrir la Filosofía”, 2015; traducido a tres idiomas), *El derecho a la fraternidad* (Catarata, 2017) y *Political Fraternity. Democracy beyond Freedom and Equality* (Routledge, 2019).

Este artículo se ha beneficiado del proyecto de investigación “La solidaridad en bioética” (PID2019-105422GB-I00) del Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades.

economic explanations, there are two major ethical positions regarding this fact, the one that approves it for reasons of utilitarian ethics, and the one that condemns it by insisting on egalitarian and individual rights reasons. In this article, I analyse the problems of both types of moral justification, and propose an ethical alternative based on the idea of political fraternity that, applied to rare diseases, avoids the worst consequences of both utilitarianism and the language of individual rights to health and mere egalitarianism.

**Key-words:** Rare Diseases, Orphan Drugs, Solidarity, Fraternity, Public Health Ethics, Bioethics.

## Introducción

Entre 27 y 36 millones de personas están viviendo con una enfermedad rara solo en Europa. En el mundo, la sufren más de 300 millones de personas, el 5'9% de la población mundial<sup>2</sup>. No obstante, a pesar de ser padecidas por una gran mayoría, se les considera raras porque cada una de estas enfermedades afecta a menos de 5 personas por cada 10.000<sup>3</sup>. Existen casi 8.000 enfermedades catalogadas como raras, un 80% de ellas tienen un origen genético (y el resto son mayoritariamente afecciones autoinmunes y cánceres raros), y resultan altamente invalidantes, a menudo crónicas y progresivas y, por esa razón, con un pronóstico vital amenazante. Las que afectan a los niños tienen una alta tasa de mortalidad antes de los 5 años de edad y, en ocasiones, la enfermedad se ceba, por razones genéticas, en todo un grupo étnico. Cada año se diagnostican aproximadamente 250 nuevas enfermedades raras. Algunas de ellas incluso se denominan ultra-raras, cuando tienen una prevalencia de menos de 1 persona por cada 50.000<sup>4</sup>.

Las enfermedades raras también se denominan huérfanas debido a la escasa o nula investigación científica que se les dedica, lo que se traduce en unos tratamientos igualmente ausentes. Son enfermedades huérfanas porque están prácticamente abandonadas por la investigación. En ocasiones, las enfermedades huérfanas son raras en algún lugar del planeta, como ocurre con la talasemia en el norte de Europa, pero son habituales en otros sitios, como sucede con esa enfermedad en la región mediterránea, o incluso comunes en

<sup>2</sup> S. Nguengang Wakap, D.M. Lambert., A. Olry, et al. "Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database". *Eur J Hum Genet* vol. 28, 2020, pp. 165–173. <https://doi.org/10.1038/s41431-019-0508-0>.

<sup>3</sup> European Comission, DG Health and Food Safety, *Public health, rare diseases*. Disponible en: [https://ec.europa.eu/health/non\\_communicable\\_diseases/rare\\_diseases\\_en](https://ec.europa.eu/health/non_communicable_diseases/rare_diseases_en)

Último acceso: 28 Oct 2020.

<sup>4</sup> National Institute for Clinical Excellence. NICE Citizens Council Report. *Ultra Orphan Drugs*. 2004.

lugares concretos, como en Armenia. La característica de huérfanas acierta en enfatizar lo que es común a casi todas las enfermedades raras: la escasa o nula investigación que la ciencia médica y la industria farmacéutica les dedica y la falta de tratamiento eficaz y de cura. Eso convierte a esas enfermedades en especialmente dolorosas también para los familiares (sobre todo si los enfermos son niños o niñas), que persiguen durante mucho tiempo un diagnóstico esquivo o muy difícil de lograr, para toparse finalmente con el desespero de la falta de tratamiento y cura para la dolencia. Por esa razón, los afectados por las enfermedades raras y huérfanas son además particularmente vulnerables desde un punto de vista psicológico, económico y social.

La falta de investigación, además de motivaciones científicas y económicas, tiene que ver con un dilema ético que envuelve a las enfermedades raras. Por una parte, existe un número muy reducido de personas que sufren una enfermedad rara concreta, lo que significa que la inversión económica y en esfuerzos humanos (ambos deben ser a menudo inevitablemente enormes) que se necesita para la investigación de dichas enfermedades supone un coste de oportunidad muy elevado para la sociedad, ya que se deja de invertir en enfermedades más comunes. Eso puede ser considerado como poco ético desde un punto de vista utilitarista, es decir, si asumimos la finalidad de optimizar los recursos disponibles para lograr la mayor salud agregada de la población. En otras palabras, investigar en enfermedades raras es muy poco rentable, no solo económicamente (se prevé un escaso o nulo retorno económico de la inversión), sino también sanitariamente (muy pocas personas se van a beneficiar del gasto ingente que necesita toda investigación en enfermedades nuevas o sobre las que existe poco conocimiento)<sup>5</sup>. Por otra parte, resulta éticamente discutible que una sociedad abandone a los enfermos que han tenido la mala suerte de contraer una enfermedad rara o huérfana, a los que podría ayudar si se invirtiese más en la investigación sobre sus dolencias. Podríamos establecer el dilema ético en términos del deber de igualar las oportunidades de superar una enfermedad grave y el deber de optimizar la utilidad social de los recursos disponibles, lo que se traduce finalmente en beneficiar a un mayor número de personas. O, en otras palabras, existe un dilema entre una concepción de la justicia utilitarista y una concepción basada en los derechos individuales de cada persona a recibir las mismas oportunidades o los mismos recursos que los demás.

En el presente artículo, voy a plantear el conflicto ético en unos términos diferentes con el objetivo de deshacer el dilema expuesto a favor de una

<sup>5</sup> Hay investigaciones médicas que son poco rentables económicamente, pero lo son mucho sanitariamente, como la investigación sobre la malaria, que, de tener éxito en forma de tratamientos eficaces, salvaría la vida de millones de personas cada año, pero, debido a que la incidencia de la enfermedad se produce mayoritariamente en países pobres, el retorno económico a la inversión es bajo. No es el caso de las enfermedades raras, en las que la baja rentabilidad se produce tanto en lo económico como en lo sanitario, lo que las vuelve aún menos atractivas para la financiación en investigación.

perspectiva ético-política también diferente que huya tanto de la perspectiva de los derechos individuales como de la visión utilitarista. Me refiero al enfoque de la solidaridad, y más concretamente de la fraternidad política, como fundamento ético de las políticas a llevar a cabo sobre las enfermedades raras. A diferencia de los derechos individuales, el enfoque de la fraternidad política favorece la perspectiva comunitaria del problema de la salud en general, y del abordaje social y político de las enfermedades raras en particular; y, a diferencia del utilitarismo, la fraternidad política no abandona a su suerte a los enfermos con dolencias raras, sino que les concede una oportunidad equitativa de superar la enfermedad dentro también de un concepción comunitaria de la salud.

En lo que sigue, tras exponer con mayor detalle el planteamiento habitual del dilema entre derechos y utilidad que se produce en el caso de la investigación sobre enfermedades raras, y de ver sus insuficiencias tanto prácticas como teóricas, expondré las ventajas de abordar el problema desde un enfoque de la solidaridad y de la fraternidad política basado en los deberes de justicia y no en la idea habitual y sociológica de solidaridad, ligada, esta última, a los sentimientos morales, el voluntarismo y la virtud.

## Utilidad y derechos en las enfermedades raras

El utilitarismo es una teoría normativa que considera que el bienestar es la base de la moralidad, y se ha convertido en la principal teoría *bienestarista* de la justicia. El *bienestarismo*, en general, considera que la bondad de una situación se mide según el grado de bienestar o utilidad de dicha situación. El utilitarismo, por su parte, va más allá y afirma que la bondad de las utilidades puede ser juzgada según su total global. El utilitarismo, por tanto, es una teoría especial del *bienestarismo* más restrictiva, pero, por tal motivo, también más informativa, es decir, deja mucho más claro, por lo general, cuál es la distribución propuesta en cada caso. Así pues, el objetivo del utilitarismo es maximizar el bienestar de la gente, obtener el mayor bien para el mayor número de personas. En términos sanitarios, la propuesta utilitarista tiende a favorecer los tratamientos y servicios con mayor efectividad a un coste menor<sup>6</sup>.

Quienes aplican el punto de vista utilitarista a la salud asumen que la justicia de las políticas sanitarias consiste en la maximización de la suma de los estados de salud de las personas, (dando por supuesto que los estados de salud equivalen aquí al bienestar o utilidad)<sup>7</sup>. Para los utilitaristas de la salud,

<sup>6</sup> Para un estudio crítico con el utilitarismo de la salud, véase Angel Puyol, *El discurso de la igualdad*, Barcelona, Crítica, 2001; y Angel Puyol, ¿A quién debemos dejar morir?, *Claves de Razón Práctica*, n. 103, 2000. Buena parte de las ideas de este apartado del artículo están recogidas en esos textos.

<sup>7</sup> Dentro de esta línea de razonamiento, destacan los trabajos de la escuela de York. Véase, por

entonces, el sistema sanitario justo es aquel que consigue aumentar la salud sumada de todos los ciudadanos.

Para llevar a cabo el cálculo del bienestar o de la salud agregada, los utilitaristas de la salud emplean habitualmente el criterio de los años de vida ajustados por calidad (AVAC)<sup>8</sup>. Esta fórmula tiene la interesante propiedad de concebir la salud como una combinación entre la cantidad de años de vida que una persona puede ganar gracias al tratamiento médico y la calidad de vida que este último le deja. En un contexto de restricciones presupuestarias, el AVAC interpreta perfectamente los requisitos del coste-efectividad. Lo único que hay que hacer es incorporar el coste del tratamiento al valor en AVAC, lo que se consigue dividiendo el coste total del tratamiento por el número de AVAC que se espera obtener de él. El resultado proporciona el coste-utilidad o coste-por-AVAC de la intervención, expresado con un número de unidades monetarias por AVAC. Lo que sigue es la elaboración de una lista de prioridades, en la que los valores inferiores de unidades monetarias por AVAC ocuparían la parte más alta de las prioridades. En el caso de las enfermedades raras, el coste-efectividad tanto de la inversión en investigación como de los tratamientos y medicamentos disponibles (generalmente poco efectivos y muy caros) es desfavorable a su priorización<sup>9</sup>.

El criterio utilitarista tiene numerosos partidarios en el ámbito de la salud. Ello se debe a algunas de las importantes virtudes, tanto éticas como metodológicas, de ese criterio. De ellas se pueden destacar tres. En primer lugar, si el principal objetivo del sistema sanitario es incrementar la salud de la población tanto como sea posible, el criterio utilitarista o del coste-efectividad es la manera más eficiente de llevar a cabo ese objetivo. En segundo lugar, la regla utilitarista garantiza el principio de igualdad formal gracias a la reserva del anonimato: la salud de cualquiera vale como la de todos. En tercer lugar, la fórmula utilitarista se muestra muy eficaz en la resolución de casos particulares. Así, por ejemplo, no favorece al paciente más grave y difícilmente recuperable respecto al paciente menos grave y con muchas probabilidades de mejorar gracias al tratamiento médico. Sin embargo, y a pesar de esas innegables virtudes, los criterios utilitaristas de la salud se enfrentan a la objeción común de saltarse uno de los principios más intuitivos de nuestro sentido moral: la igualdad de oportunidades. Aunque formalmente salvaguardan la igualdad gracias a la

---

ejemplo, Alan Williams, "Economics, QALYs and medical ethics", *Discussion Paper*, 121, Centre for Health Economics, Universidad de York, 1995; o también A.J. Culyer y A. Wagstaff, "Need, equity and equality in health and health care", *Discussion Paper*, 95, Centre for Health Economics, Universidad de York, 1992.

<sup>8</sup> En inglés QALY (*Quality Adjusted Life Year*). Existen versiones aún más sofisticadas de este criterio, como, por ejemplo, los años de vida ajustados por discapacidad.

<sup>9</sup> R. Rodríguez, T. Spargo, E. Seoane-Vázquez, "Ethical imperatives of timely Access to orphan drugs: is possible to reconcile economic incentives and patients' health needs?", *Orphanet Journal of Rare Diseases*, vol. 12, n. 1, 2017.

misma consideración de la salud de todos, en realidad no protegen por igual a las personas, porque no tienen en cuenta que estas generan diferencias de salud por motivos de los que no siempre son responsables, como, por ejemplo, padecer una enfermedad rara de origen genético.

La argumentación habitual para objetar moralmente al criterio utilitarista se basa en la defensa de la igualdad. El utilitarismo está comprometido con la eficiencia en la maximización de la salud agregada, pero no con la distribución de la salud entre la población. Sin embargo, si la vida y la salud de cada persona cuentan, y cuentan tanto como las de cualquiera otra, y a eso añadimos que todas ellas deben ser tratadas con igual consideración y respeto, tanto en la distribución de los recursos sanitarios como en la atención que reciben por parte de los profesionales de la salud, entonces la prioridad moral no debería ser el incremento de la suma global de años de vida de la población, sino evitar o aliviar —cuando esto sea técnicamente posible— los peores males de cada enfermo. Por esa razón, si aceptamos el valor moral de la vida, hemos de afirmar el principio de igualdad que se deriva de la defensa de ese valor.

La igualdad va ligada a los derechos. Del convencimiento de que existe una igualdad moral entre todos los seres humanos surge el derecho de todos ellos a recibir un trato igual, “el derecho de toda persona al disfrute del más alto nivel posible de salud física y mental”<sup>10</sup>. Esta declaración tan genérica, no obstante, genera algunos problemas. Uno de ellos es que garantizar el disfrute del más alto nivel posible de salud a todo el mundo puede ser tremendamente caro, tanto que agotaría los recursos económicos para otros servicios como la educación, el transporte, etcétera. Imaginemos que todos los enfermos del planeta deben tener el mismo acceso a la última tecnología médica. No solo es enormemente costoso, sino que puede ser imposible, puesto que la última tecnología y los mejores profesionales, por ser en muchas ocasiones escasos, no estarían disponibles para todos. A esto hay que añadir la posibilidad de que el mantenimiento de un derecho como el de la salud suponga una inflación de los derechos que, en la práctica, juega en contra de la necesidad de garantizar los derechos humanos más básicos. La objeción sostiene que no todas las nobles aspiraciones humanas tienen que convertirse en derechos humanos. Por ejemplo, el derecho a disfrutar de vacaciones periódicas pagadas (artículo 24 de la Declaración Universal de Derechos Humanos) no debería tener el mismo rango ético y jurídico que el derecho a no estar sometido a esclavitud ni servidumbre (artículo 3). El derecho a la salud parecería que contribuye a una inflación de los derechos que acaba perjudicando al mismo objetivo de la declaración de derechos humanos.

---

<sup>10</sup> Art. 12 del Pacto Internacional de Derechos Sociales, Económicos y Culturales, aprobado por la Asamblea General de las Naciones Unidas en 1966, que entró en vigor en 1976. Para un análisis crítico del derecho a la salud, véase Angel Puyol, “Del derecho a la salud al racionamiento sanitario”, *Anales de la Cátedra Francisco Suárez*, n. 52, 2018. Una parte de lo dicho aquí está reflejado en ese texto.



En el año 2000, la OMS volvió sobre el asunto del derecho a la salud con un texto<sup>11</sup> todavía más concreto y extenso a fin de clarificar de qué modo hay que interpretar y garantizar ese derecho. En dicho texto, se aclara que el derecho a la salud no consiste en estar sano, sino en disfrutar de los bienes y servicios necesarios para llegar a estar sano, y que la obligación de los Estados con respecto al acceso a esos bienes y servicios no es absoluta, sino que debe realizarse progresivamente, es decir, en función de los recursos disponibles.

No obstante, la perspectiva del derecho a la salud no soluciona el dilema moral de la investigación en enfermedades raras. Aunque se reconozca el derecho a la salud y la igualdad de trato de todos los enfermos, persiste la cuestión de la interpretación de la igualdad en el contexto de la justicia distributiva. Hay al menos cuatro alternativas a esa interpretación igualitarista, y todas ellas generan problemas. La primera de las alternativas es la igualdad de resultados, es decir, una distribución de los recursos sanitarios de modo que todos los enfermos alcancen una igualdad de salud hasta donde sea posible. El principal problema de este enfoque es que cae fácilmente en la conocida regla del rescate, que sostiene que tenemos la obligación de atender a los enfermos más graves con independencia tanto del coste económico como de las posibilidades de beneficio sanitario. El resultado puede ser lo que en inglés se llama el *levelling down*, una igualdad a la baja que descuida la salud de la inmensa mayoría de los enfermos. La segunda alternativa es el *suficientismo*, que se traduce en ofrecer una atención sanitaria mínima o suficiente a todos los enfermos por igual. Eso significaría, en el caso de las enfermedades raras, que estas recibiesen una financiación mínima, con independencia de los logros sanitarios que finalmente se alcancen. El problema principal de este enfoque es que las enfermedades raras son, precisamente, aquellas en las que es difícil lograr siquiera un beneficio sanitario suficiente o significativo desde el punto de vista de la salud. Además, este no sería un argumento que necesariamente beneficiase a las enfermedades raras, ya que enfermedades comunes y graves podrían acabar teniendo prioridad después de todo con el criterio *suficientista*. La tercera alternativa consiste en interpretar la igualdad como una forma de priorizar a los que están peor en términos de salud. El problema del *prioritarismo* es que, a igual gravedad, beneficia a las enfermedades comunes precisamente porque afectan a una mayoría de la población, dejando sistemáticamente en la cola de la priorización a las enfermedades raras, que son padecidas, por definición, por una minoría de personas. La cuarta y última alternativa es la igualdad de oportunidades. El objetivo aquí es que los enfermos tengan las

<sup>11</sup> OMS, *El derecho a la salud*, Folleto informativo nº 31, 2008. Este texto es el colofón a la conocida Observación General nº 14 (2000) sobre el derecho a la salud, aprobada por el Comité de Derechos Económicos, Sociales y Culturales. En el año 2015, la UNESCO aprueba por aclamación la Declaración Universal sobre Bioética y Derechos Humanos, que recoge aspectos importantes, aunque vagos, de justicia, solidaridad y responsabilidad social por la salud.

mismas oportunidades de tener una buena salud. No obstante, este criterio podría desfavorecer a quienes padecen enfermedades raras, puesto que a menudo necesitan más recursos u oportunidades (en forma de inversión en investigación y acceso a tratamientos sanitarios) que los demás enfermos para alcanzar un nivel de salud similar.

Los problemas señalados en el principio de igualdad y en el derecho individual a la salud no significa que las enfermedades raras estén condenadas a la marginación en inversión, investigación y acceso a tratamientos, ni que el utilitarismo se erija como el criterio ético victorioso. Todavía persiste la intuición moral fuerte de que no deberíamos abandonar a su suerte a los afectados por enfermedades raras. Lo que estos problemas ponen sobre la mesa, en cambio, es que tenemos que dar con un tipo de fundamento moral diferente al igualitarismo de la salud capaz de enfrentarse al desafío utilitarismo y de favorecer, de algún modo relevante, a los afectados con enfermedades raras. En lo que sigue, voy a explorar los principios de solidaridad y de fraternidad política como una vía diferente a favor de las enfermedades raras.

### **Solidaridad, fraternidad política y enfermedades raras**

A diferencia de la igualdad y los derechos individuales, la solidaridad exige que las personas sacrifiquen una parte de su bienestar (o incluso su salud) por el bienestar y la salud de los que están peor. El enfoque de la solidaridad no parte de los derechos individuales, sino del compromiso de todos y cada uno de los individuos con el bien común. La solidaridad nos pide que prioricemos la salud comunitaria (como parte del bien común) a los intereses particulares. Por lo tanto, no se trata de que cada persona haga valer su derecho individual a la salud, sino de que, asumiendo que la salud de un individuo depende en buena medida de la salud de la comunidad, se priorice la salud pública como condición de la salud individual. Eso significa que se deberían favorecer las políticas de salud pública por encima de los logros individuales en salud. Por ejemplo, habría que tener en cuenta los determinantes sociales de la salud para priorizar políticas sanitarias que contribuyan a una disminución de las desigualdades en salud antes que fomentar una sanidad privada socialmente excluyente, y habría que incentivar la investigación sanitaria en enfermedades graves, aunque sean minoritarias como las enfermedades raras, a pesar de que, por el coste de oportunidad, la investigación sobre enfermedades menos graves y comunes incrementa la salud global de la población. La salud comunitaria no privilegia la salud global entendida como simple salud agregada, como la suma total de estados individuales de salud, con independencia, por ejemplo, de la distribución de la salud entre los individuos o de cómo estos conciben

su propia salud en relación con los demás. A la salud comunitaria le importa, por ejemplo, la interacción entre las personas, el modo en que estas deciden individual y colectivamente sobre su salud, el modo en que se organizan para estar sanas, y la influencia que los factores sociales, políticos y económicos tienen en la salud de las personas.

En el contexto de las enfermedades raras, se pueden producir hasta cinco tipos diferentes de solidaridad<sup>12</sup>. Así, tenemos la solidaridad 1) entre los afectados por una misma enfermedad rara, luchando, por ejemplo, de manera común por el reconocimiento social de su enfermedad singular y por una mayor financiación de la investigación y acceso a los tratamientos; 2) entre afectados por diferentes enfermedades raras, aunando esfuerzos a favor de que el conjunto de las enfermedades raras cuente con mayor financiación en la investigación; 3) entre los investigadores y los afectados por enfermedades raras, identificando las líneas de investigación más prometedoras para los pacientes, colaborando con las necesidades reales de estos, ayudándose de la experiencia de los enfermos, y compartiendo información y resultados con los pacientes; 4) entre los propios investigadores sobre enfermedades raras, compartiendo información sobre los casos estudiados con el fin de mejorar la investigación de algunas enfermedades raras; y 5) entre la sociedad y los enfermos, asegurando que estos reciben una parte justa de los recursos sociales necesarios para avanzar en la investigación de sus dolencias y sus posibles tratamientos<sup>13</sup>.

A continuación, me voy a centrar en el último tipo de solidaridad, en la solidaridad social, y lo voy a hacer a partir de la definición de solidaridad que proporcionan Barbara Prainsack y Alena Buyx. Según ellas, la solidaridad consiste en “manifestaciones de un compromiso colectivo para asumir los costes de ayudar a otros con quienes se comparte una situación o causa común”<sup>14</sup>. Angus Dawson y Bruce Jennings rechazan explícitamente los niveles uno y dos de la solidaridad que exponen Prainsack y Buyx como identificativos de la verdadera solidaridad<sup>15</sup>. El nivel uno equipara la solidaridad a la disposición moral o buena voluntad de asumir los costes de ayudar a otros y para Prainsack y Buyx representa la base de los otros niveles, es decir, el fundamento moral de la solidaridad. Sin embargo, Dawson y Jennings piensan -como yo- que esa disposición moral se explica mejor con la idea de beneficencia o incluso

<sup>12</sup> D. Mascalzoni, C. Petri, D. Taruscio, S. Gainotti, “The Role of Solidarity(-ies) in Rare Diseases Research”, *Advances in Experimental Medicine and Biology*, n. 1031, 2017.

<sup>13</sup> Se pueden producir otros tipos de solidaridades. Por ejemplo, entre países o entre investigadores médicos en general con los investigadores de enfermedades raras, y otras tantas. No he tratado de ser exhaustivo en la lista de solidaridades en el contexto de las enfermedades raras, sino de mostrar que hay diferentes relaciones solidarias posibles en ese contexto, y que todas ellas responden a un ideal de salud comunitaria que no coincide necesariamente con un esquema de salud agregada sin más.

<sup>14</sup> B. Prainsack y A. Buyx, *Solidarity: Reflections on an Emerging Concept in Bioethics*, NcoB, London, 2011, p. 48.

<sup>15</sup> A. Dawson y B. Jennings, “The Place of Solidarity in Public Health Ethics”, *Public Health Reviews*, 34, n. 1, 2013.

de altruismo, sin necesidad de nombrar a la solidaridad. El tercer nivel de la solidaridad para Prainsack y Buyx –que Dawson y Jennings también rechazan como identificativo de la solidaridad– es la institucionalización del compromiso colectivo con la solidaridad a través de normas y contratos (leyes y políticas). Para Prainsack y Buyx, el Estado del bienestar sería un ejemplo de solidaridad del tercer nivel siempre que se den los niveles uno y dos, es decir, siempre que los individuos muestren una disposición moral a la ayuda desinteresada a los demás (nivel uno) y que esa buena voluntad se traduzca en la identificación personal con un compromiso colectivo (nivel dos) que, finalmente, permita organizar (nivel tres) el Estado del bienestar. Obsérvese que, para ambas autoras, sin esa buena voluntad inicial no se puede afirmar que haya solidaridad. En el fondo de esta idea, se considera que la solidaridad y cualquier forma de coerción pública son incompatibles. Si existe el Estado del bienestar es porque los individuos tienen una disposición moral a ser solidarios o porque, de no existir la solidaridad, existe entonces alguna forma de coerción que se debe justificar con otras razones –ajenas a la solidaridad– como la justicia o la equidad. En cualquier caso, la solidaridad no es vista como una parte necesaria de la justicia social (asociada a deberes y obligaciones sociales y políticas). Dawson y Jennings también están de acuerdo en desvincular la solidaridad de cualquier forma de justicia, pero, además, a diferencia de las autoras citadas, sostienen que también hay que desvincularla de cualquier forma de institucionalización. No creen que la institucionalización de la solidaridad sea parte de sus exigencias como principio ético. Para ellos, lo que identifica a la solidaridad es fundamentalmente la disposición moral (probablemente ontológica) a un compromiso colectivo.

Pues bien, como he analizado en otro lugar<sup>16</sup>, la concepción de la solidaridad que proponen Prainsack, Buyx, Dawson y Jennings da lugar a tres contradicciones. La primera consiste en confundir el carácter normativo de la solidaridad con su carácter descriptivo. La segunda contradicción surge de mezclar la idea de solidaridad como motivación con la idea de solidaridad como justificación. La tercera contradicción aparece al utilizar la idea de solidaridad para resolver problemas de injusticias en salud pública cuando, en realidad, se niega que la solidaridad sea una parte de la justicia.

Esta última contradicción me parece especialmente importante en el caso de las enfermedades raras. Recordemos que el utilitarismo resulta enormemente persuasivo como criterio de justicia para priorizar la financiación pública sobre enfermedades comunes por encima de las enfermedades raras. Y, a pesar de que la alternativa igualitarista basada en los derechos sea insuficiente para vencer al desafío utilitarista, tiene la ventaja, respecto a la solidaridad

<sup>16</sup> Angel Puyol, “La idea de solidaridad en salud pública”, *Revista de Bioética y Derecho*, n. 40, 2017.

entendida en los términos de Dawson, Jennings, Prainsack y Buyx, de que pretende ser un criterio de justicia, que obliga social y políticamente, y no una mera exhortación moral a actuar individualmente de un modo determinado. Así pues, la solidaridad entendida como mera exhortación moral sigue sin poder responder al desafío utilitarista. No obstante, existe una variante de la solidaridad que sí puede convertirse en criterio de justicia. Hay versiones de la solidaridad que la consideran una parte sustancial de la justicia, que la asocian a las obligaciones que los individuos tienen entre ellos, lo que nos debemos unos a otros con independencia de nuestros deseos y preferencias contingentes<sup>17</sup>.

No hay que olvidar que el concepto de solidaridad nos llega del Derecho Romano, donde cumplía una función técnica vinculado a las obligaciones jurídicas: regulaba los inconvenientes de la pluralidad de acreedores (solidaridad activa) o de deudores (solidaridad pasiva). En dicho Derecho, la solidaridad significaba que el acto de los otros no disminuye la responsabilidad de cada uno (Digesto, 45: 2,2). La teoría política europea de finales del siglo XIX vio con buenos ojos el uso de la solidaridad para evitar los excesos del individualismo sin la necesidad de reivindicar los lazos comunitarios del nacionalismo, la religión o el gremialismo de antes de la industrialización. La solidaridad permitió crear el Derecho Social como parte del Derecho de las Obligaciones, transformando las solidaridades “naturales” de la época preindustrial en una nueva solidaridad totalmente compatible con los principios de la libertad individual y la igualdad jurídica.

El Estado del bienestar desarrollado a partir de la segunda mitad del siglo XX, sobre todo en Europa occidental, es el heredero de esa concepción *solidarista* de la política que tuvo su origen en la Revolución francesa y que se consolidó en Europa a finales del siglo XIX con la construcción del Estado social. El conjunto de derechos sociales y económicos desarrollados en el siglo XX brota de esas fuentes. El derecho a la educación, al trabajo, a la jubilación, a la sanidad, al subsidio de desempleo, etcétera, no son simples apelaciones a los sentimientos morales de fraternidad y solidaridad, sino derechos de la ciudadanía. Lo que caracteriza a la solidaridad como principio del Derecho Social es la institucionalización de una hucha común, a la cual cada uno debe contribuir según sus capacidades y puede extraer según sus necesidades. Esta mutualidad de los riesgos y los beneficios sociales sustituye el cálculo de utilidad individual por una concepción comunitaria de la provisión y reparto de los bienes necesarios para la subsistencia, dejando a la libre competencia la provisión y distribución de los bienes que no son imprescindibles ni para la subsistencia ni para la garantía de la libertad individual.

<sup>17</sup> Para un estudio de la idea de solidaridad dentro de una teoría de la justicia, véase Angel Puyol, *Political Fraternity. Democracy beyond Freedom and Equality*, New York, Routledge, 2019.

Esa concepción de la solidaridad adquiere un mayor compromiso con la justicia social si la entendemos como una fraternidad política. Si la solidaridad es compatible con sociedades muy desiguales en las que los poderosos ejercen cierta generosidad con los más vulnerables, aunque sin cuestionar la relación desigual entre ellos (sus causas moralmente injustas y/o socialmente ilegítimas), la fraternidad (en el sentido político que aquí propongo<sup>18</sup>) exige que los ciudadanos fraternos se traten entre sí como individuos libres e iguales en derechos y obligaciones hacia los demás. Y, entre las obligaciones fraternas, cabe destacar el deber de ayudar a los otros iguales (que son todos los miembros de la comunidad fraterna) en caso de necesidad.

La idea de fraternidad política supone un fundamento moral y político nuevo para el modo en que una sociedad debe abordar el trato a las personas afectadas por enfermedades raras. Hemos comprobado que el utilitarismo nos deja moralmente insatisfechos porque sistemáticamente margina la financiación pública de la investigación y los tratamientos para las enfermedades raras debido a que su coste-efectividad es bajo o muy bajo. Con el criterio ético del utilitarismo, nunca parecen haber buenas razones para dedicar un sobreesfuerzo a favor de las enfermedades raras. También hemos visto que el derecho individual a la salud olvida, también sistemáticamente, las razones de eficiencia o de coste de oportunidad que una sociedad debe tener en cuenta para distribuir sus recursos, precisamente lo mejor que aporta el utilitarismo. La solidaridad entendida como fraternidad política, en cambio, ofrece una alternativa normativa más razonable para encajar nuestras intuiciones morales complejas sobre cómo incorporar a las enfermedades raras en el conjunto de las obligaciones de una sociedad justa. Desde la perspectiva de la fraternidad política, reconocemos que existen obligaciones morales hacia los demás que van más allá del estrecho margen del utilitarismo, pero no olvida que el bien común de la salud supone que debemos tener en cuenta la salud de todos a la hora de distribuir los recursos sociales, es decir: sería tan injusto marginar las necesidades de los afectados por enfermedades con un coste-efectividad muy bajo (como sucede, habitualmente, con las enfermedades raras) como entregar los recursos a estas (siguiendo las obligaciones ciegas de un derecho individual innegociable o una idea de igualdad estricta) sin tener en cuenta la salud de los demás miembros de la comunidad. La fraternidad política supone que los individuos deben sacrificar una parte de su bienestar a favor del bienestar de los demás como parte del compromiso común de vivir juntos entre iguales y de ayudarse mutuamente en caso de necesidad, pero no aprueba ni el abandono social de los más débiles (o los que peor convierten en salud y bienestar los

<sup>18</sup> Para una exposición amplia sobre el sentido de la fraternidad política, véase Angel Puyol, *El derecho a la fraternidad*, Madrid, Catarata, 2017; y la obra ya citada de Angel Puyol, *Political Fraternity. Democracy beyond Freedom and Equality*.

recursos sociales disponibles, dicho en términos utilitaristas) ni se muestra ciego a la necesidad de llegar a acuerdos equitativos cuando los derechos entran en conflicto o cuando la igualdad es tan estricta que parece condenarnos a una igualdad a la baja en la que desaprovechamos el bienestar y la salud que nos podrían proporcionar los recursos existentes. Lo que añade la idea de fraternidad política a la mera solidaridad es el compromiso político de que la ayuda mutua debe tener siempre como objetivo la emancipación de todos los miembros de la comunidad; en el caso de las enfermedades raras, eso quiere decir que el fin de la solidaridad no es responder a la exigencia moral de la compasión, la caridad, o la beneficencia, sino al deber político de tratarnos como ciudadanos iguales que merecen un igual respeto, que sus enfermedades, cuando aparecen, merecen ser tratadas con un mismo interés y respeto en la distribución de la financiación que va más allá del mero coste económico y de la efectividad de los tratamientos.

Ese trato fraterno no se traduce en una fórmula matemática o fija de distribución de la financiación, como sí sucede en el utilitarismo, sino que exige una deliberación moral y equitativa entre todos los miembros de la comunidad y llegar a acuerdos razonables en los que se acepte, por un lado, cierta pérdida de bienestar y salud posible entre los afectados por enfermedades comunes con tratamientos médicos más efectivos (un bienestar y salud que se podría incrementar si se marginase completamente a las enfermedades raras) y, por otro lado, se acepte también que el coste-efectividad, la mejor baza ética del utilitarismo, cuenta a la hora de elegir la financiación, es decir, que la salud de muchos tiene un peso (relevante, pero no decisivo) respecto de la salud de pocos en la distribución justa de los recursos disponibles, o en los que hay que poner a disposición de los enfermos. Ese marco de deliberación entre iguales en la búsqueda del bien común que propone la fraternidad política es una alternativa moralmente superior tanto al utilitarismo como a los derechos individuales y la igualdad en relación a las enfermedades raras.

Pongamos un ejemplo. En la actualidad, el reto de la financiación de las enfermedades raras se está jugando en los incentivos fiscales a la industria médica y farmacéutica. Dicha industria tiene, en el mercado libre, escasos u nulos incentivos egoístas a invertir en este tipo de enfermedades porque los clientes potenciales son pocos por definición y el coste de la inversión suele ser muy alto. Así pues, el retorno esperado en beneficios es inexistente o muy poco atractivo. No debería llamar la atención que el criterio ético utilitarista coincida con los intereses comerciales (y egoístas) de la industria farmacéutica porque la base ética del utilitarismo es la optimización de los intereses egoístas de la población. Y, en el contexto de las enfermedades raras, los únicos beneficiarios objetivos desde un punto de vista egoísta son los afectados y sus familiares, es decir, un número bajo de personas. Aunque sumásemos todos los afectados

directa e indirectamente por las enfermedades raras, su número seguiría siendo bajo desde el punto de vista de los incentivos comerciales a la investigación, porque la inversión en una determinada enfermedad rara no beneficia, en principio, a los afectados por los otros tipos de enfermedades raras. Aun así, la presión social del conjunto de los damnificados por las enfermedades raras puede cumplir (y lo hace) un papel importante en la lucha política para que se incentive la investigación más allá de los meros intereses comerciales producidos por el mercado.

Existen diferentes tipos de incentivos a la industria y la investigación médica, basados, en su inmensa mayoría, en ventajas fiscales, pero una de sus características comunes es que resultan claramente insuficientes<sup>19</sup>. Además, los incentivos actuales para desarrollar un mercado de medicamentos y tratamientos en enfermedades raras no promueve la innovación a largo plazo y suelen aumentar los precios de los medicamentos de manera desorbitada. El resultado es que no resultan un estímulo eficiente para el desarrollo de los llamados medicamentos huérfanos y su acceso a los enfermos<sup>20</sup>.

Ante la insuficiencia de los estímulos fiscales, han surgido otras iniciativas. Entre ellas, quiero destacar una propuesta ética basada en tres medidas financieras: 1) acordar un presupuesto mínimo para la investigación en enfermedades raras, 2) garantizar que el acceso a parte de ese presupuesto, entre las diferentes enfermedades raras, obedezca a prioridades éticas utilitaristas, y 3) distribuir aleatoriamente una parte del presupuesto para algunas de las enfermedades raras menos favorecidas por la selección anterior<sup>21</sup>. La primera medida tiene como objetivo ético responder a la intuición moral de no abandonar a la suerte del mercado a las enfermedades raras, y supone una inyección de financiación pública alejada de consideraciones utilitaristas<sup>22</sup>. La segunda medida reconoce la validez de la racionalidad moral utilitarista para optimizar los recursos disponibles dedicándolos a aquellas enfermedades raras que más van a beneficiar médicamente a más personas. Y la tercera opción vuelve a sintonizar con la intuición moral de dar alguna oportunidad (aunque sea producto de la suerte inherente a la aleatoriedad) a las enfermedades raras menos eficientes de todas.

Esa propuesta tiene dos ventajas sobre los meros incentivos fiscales. La

<sup>19</sup> R. Rodríguez, T. Spargo, E. Seoane-Vázquez, (2017) *op. cit.*; y W. Pinxten, Y. Denier, M. Dooms, J.J. Cassiman, K. Dierickx, "A fair share for the orphans: ethical guidelines for a fair distribution of resources within the bounds of the 10-year-old European Orphan Drug Regulation", *Journal of Medical Ethics*, vol. 38, n. 3, 2012.

<sup>20</sup> W. Yin, "R&D policy, agency costs and innovation and personalized medicine", *J. Health Econ.* vol. 28, n. 5, 2009.

<sup>21</sup> La propuesta se encuentra en Pinxten et al., *op. cit.*

<sup>22</sup> Idealmente, en mi opinión, y siguiendo la definición de salud comunitaria dentro de una concepción política de la fraternidad como la que he propuesto aquí, el monto total reservado para la financiación de las enfermedades raras debería ser el resultado de una deliberación moral y democrática, y no tanto de una negociación dependiente de los equilibrios de poder político y social.



primera es que incrementará los recursos dedicados a las enfermedades raras en una proporción tan grande como grande sea el presupuesto acordado tras deliberación. Y la segunda es que no vincula dicho presupuesto a los criterios de la racionalidad utilitarista. Y, siendo así, ¿qué fundamento moral podría tener esa propuesta más allá de casar mejor con la intuición moral de no abandonar a las enfermedades raras y sus afectados? En mi opinión, el principio de solidaridad y, más específicamente, el de fraternidad política, resulta no solo inconscientemente inspirador, sino también un excelente fundamento ético de la bondad de la propuesta. Eso no significa que dicha propuesta sea la que mejor podamos asociar al fundamento moral de la fraternidad política. Otras propuestas o iniciativas podrían y deberían surgir a partir de él. Lo que significa es que la fraternidad política, en primer lugar, ofrece un marco ético convincente para valorar esta y cualquier otra propuesta política que tenga como finalidad no abandonar a su suerte a las enfermedades raras y sus afectados; y, en segundo lugar, es un marco moralmente superior al utilitarismo y al mero lenguaje de los derechos y la igualdad para enfocar la cuestión de la financiación de las enfermedades raras.

La propuesta concreta de Pinxten y sus colegas ofrece una alternativa a a) el abandono a su suerte de las enfermedades raras que se deriva de la ética utilitarista, y b) la retórica bienintencionada, pero improductiva en la práctica, del lenguaje de la igualdad y los derechos ciegos a la necesidad de elegir entre diferentes bienes morales. Tal vez se trate de una propuesta imperfecta y discutible, y deberían surgir otras que la mejoren. Lo que he querido mostrar en este artículo es que, más allá de la idoneidad de una propuesta concreta, lo importante es que la idea de fraternidad política ofrece un marco normativo ideal para buscar deliberativamente el modo de favorecer un mejor encaje de las enfermedades raras en el conjunto del sistema sanitario que evite tanto el abandono social de estas promovido por el utilitarismo ético como la retórica improductiva derivada del lenguaje de los derechos y el mero igualitarismo, así como también una mera apelación a intuiciones morales huérfanas de mayor justificación.

---

**Bibliografía:**

- Culyer, A.J. y Wagstaff, A., “Need, equity and equality in health and health care”, *Discussion Paper*, 95, Centre for Health Economics, Universidad de York, 1992
- European Comission, DG Health and Food Safety, *Public health, rare diseases*. Mascialzoni, A., Petrini, C., Taruscio, D. y Gainotti, S., “The Role of Solidarity(-ies) in Rare Diseases Research”, *Advances in Experimental Medicine and Biology*, n. 1031, 2017.
- National Institute for Clinical Excellence. NICE Citizens Council Report. *Ultra Orphan Drugs*. 2004.
- Nguengang Wakap, S., Lambert. D.M., Olry, A. et al. “Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database”. *Eur J Hum Genet* vol. 28, 2020, pp. 165–173. <https://doi.org/10.1038/s41431-019-0508-0>.
- OMS, *El derecho a la salud*, Folleto informativo nº 31, 2008.
- Pinxten, W., Denier, Y., Dooms, M., Cassiman, J.J. y Diericks, K., “A fair share for the orphans: ethical guidelines for a fair distribution of resources within the bounds of the 10-year-old European Orphan Drug Regulation”, *Journal of Medical Ethics*, vol. 38, n. 3, 2012.
- Prainsack, B. y Buyx, A.: *Solidarity: Reflections on an Emerging Concept in Bioethics*, NcoB, London, 2011.
- Puyol, A., ¿A quién debemos dejar morir?, *Claves de Razón Práctica*, n. 103, 2000.
- Puyol, A., *El discurso de la igualdad*, Barcelona, Crítica, 2001.
- Puyol, A., “La idea de solidaridad en salud pública”, *Revista de Bioética y Derecho*, n. 40, 2017.
- Puyol, A., “Del derecho a la salud al racionamiento sanitario”, *Anales de la Cátedra Francisco Suárez*, n. 52, 2018.
- Puyol, A., *Political Fraternity. Democracy beyond Freedom and Equality*, New York, Routledge, 2019.
- Rodríguez, R., Spargo, T. y Seoane-Vázquez, E., “Ethical imperatives of timely Access to orphan drugs: is possible to reconcile economic incentives and patients’ health needs?”, *Orphanet Journal of Rare Diseases*, vol. 12, n. 1, 2017.
- Williams, A., “Economics, QALYs and medical ethics”, *Discussion Paper*, 121, Centre for Health Economics, Universidad de York, 1995.
- Yin, W., “R&D policy, agency costs and innovation and personalized medicine”, *J. Health Econ.* vol. 28, n. 5, 2009.