



## CARTAS AL COMITÉ DE REDACCIÓN / *Letters to the Editor*

# MEDICINA BASADA EN LA EVIDENCIA Y LAS ENFERMEDADES RARAS

En relación con la editorial de Francisco Maglio sobre gerenciamientos de salud y medicina basada en la evidencia (MBE) y los aspectos críticos y problemas éticos que enlista,<sup>1</sup> a los que adhiero en principio, quisiera resaltar que en la especialidad que nos ocupa, la osteología, la problemática puede ser más acuciante aún. En efecto, la gran mayoría de las condiciones mórbidas del metabolismo fosfocálcico son de baja prevalencia y escaso interés para el desarrollo científico integral, es decir, el que termina en la disponibilidad de un producto diagnóstico o uno terapéutico para aliviarlas. Son entonces enfermedades raras y huérfanas de recursos específicos. Cuando los tienen, han sido consecuencia de un hallazgo fortuito, aislado, o porque los afectados han sido estudiados como escalón a fin de producir conocimientos intermedios para aplicar luego en enfermedades de mayor prevalencia. Esto hace casi imposible aprovechar la MBE en osteología, y la propuesta de Maglio se torna entonces más interesante.

La lista de críticas a la MBE para enfermedades raras es larga pero, entre las principales, se encuentra el origen monopólico u oligopólico de la información, que sesga cualquier intento de equilibrio de intereses, si solo existen 2 o 3 estudios pivotaes y estos provienen del mismo patrocinador o grupo de estudio pues no pueden considerarse como parte de una MBE balanceada.

Los diseños de los estudios clínicos, el tamaño de la muestra y la inferencia estadística de los datos idealmente deben ser discretos, es decir, ajustados a lo posible. Las autoridades regulatorias, salvo excepciones, no consideran aún normas para estudios discretos y no admiten estudios para enfermedades raras simplemente porque no se parecen o no se encuadran en las normas de los estudios de costumbre. Entonces, un valioso estudio discreto les parece calidad inferior a la de un mal diseñado estudio habitual. Pero no son sino las unidireccionales normas regulatorias las que conforman una barrera contra el desarrollo de investigaciones en enfermedades raras. La ciencia, por el contrario, es diversidad e ingenio.

En el otro extremo, los comités de ética aprueban, compasivamente quizás, muchos estudios incompletos, los que generalmente tienen destino de tesis de doctorado, publicaciones exóticas, o ensayos de técnicas arriesgadas en pacientes sin otras ofertas al alcance. Cada afectado por una enfermedad rara es una persona vulnerable y muy valiosa para la ciencia y no debería ser incluido en estudios que no tengan finalidad traslacional. Para aprobarlos, los comités deberían conocer si son parte de un programa integral o solo un ensayo ocasional y sin otro destino que el despilfarro de información.

La evidencia justa, en su punto justo, es lo que necesita la gran mayoría de las enfermedades del metabolismo óseo.

**Emilio J. A. Roldán**

Fundación GEISER

Cap. de Enfermedades Raras del Esqueleto-IOF.

Research Working Group-ICORD.

### Conflicto de intereses:

Dirección Científica. Gador SA, Buenos Aires.

(Recibido: junio 2015.

Aceptado: junio 2015).

### Referencias:

- 1) Maglio F. Qué paso en la medicina de los últimos diez años. *Actual. Osteol* 2015; 11:7-11.