



Factor Nine News

La Coalition for Hemofilia B

OTOÑO 2019



TEMAS EN HEMOFILIA B

- El Beats Music Program
- Programa de la Generación IX
- Retiro para hombres
- Retiro para mujeres
- Noticias de tratamientos
- Actualización de investigaciones
- ¡Completa la Encuesta 2019!
- The Coalition *En El Camino*:
 - Columbus, OH
 - Knoxville, TN
 - Atlanta, GA
 - Seattle, WA
 - Baton Rouge, LA
 - Fort Smith, AR
 - Phoenix, AZ
 - Schaumburg, IL



DIFUNDIENDO ARMONÍA CON EL NUEVO BEATS MUSIC PROGRAM

POR MICHAEL PERLMAN

Un melodioso tono y repertorio de armonías están propagándose por la Coalition for Hemophilia B, cuya misión se continua expandiendo a medida que logra llegar a un público más diverso por medio del recién lanzado The Beats Music Program. El programa de música para los miembros de la Coalition de 18 años en adelante debutó en el Gaylord Opryland Resort en Nashville, conocida como “Music City, U.S.A.” desde el 31 julio hasta el 4 de agosto de 2019, ¡y se convirtió en un radiante éxito! Diseñado con el propósito de envolver al público a través de la música y establecer vínculos fuertes dentro de la comunidad con trastornos hemorrágicos, una tradición anual que se ha puesto en marcha.



La música ofrece una multitud de beneficios, se convierte en una terapia cultural y terapéutica de moda para aquellos que tocan instrumentos musicales, cantan, son parte de la audiencia o son músicos. La música es capaz de lograr unidad y disminuir la soledad. Puede convertirse en un marcador para las habilidades de liderazgo, alivio del estrés, elevar el estado de ánimo, promover interacciones sociales y entablar amistades, promover la creatividad y la independencia, trabajar en equipo y aumentar el espíritu de generosidad. La música tiene la capacidad de liberar endorfinas, hormonas secretadas dentro del sistema nervioso y el cerebro para reducir la percepción del dolor y fomentar un mejor estado de bienestar.

Basado en una investigación científica, se estima que del treinta al sesenta por ciento de las personas con hemofilia sufren de depresión. Conforme a una encuesta reciente de miembros de la Coalición, una mayoría se ha “inclinado hacia la música como medio de expresión y exploración”. The Beats Music Program está diseñado para nutrir y fortalecer a aquellos que han mostrado interés en la música como fuente de consuelo y un medio de autoexpresión. Ofrece la oportunidad para que los miembros de la coalición adquieran conocimiento e inspiración mutua y de músicos profesionales. Más importante aún, este nuevo e innovador programa mejora la calidad de vida para personas con hemofilia De acuerdo con la Coalition, “establece una red de apoyo entre los participantes y sus mentores y motiva a los participantes a expresar y compartir



sus experiencias con otros, dentro y fuera del comunidad de hemofilia B”.

Los participantes compartieron una amplia serie de comentarios. Algunos de los testimonios son: “The Beats es un programa que deberían haber creado hace años. Hay muchas personas talentosas con hemofilia. Reunirlas a todas ellas con instrumentos en un mismo lugar es algo que nosotros como personas con hemofilia habíamos estado esperando desde siempre” y “¡Fomentamos la confianza! ¡la colaboración fue increíble!” Un miembro de la Coalición dijo: “El programa no solo fue beneficioso para el espíritu, también nos ayudo a compartir con otros, nos unió en torno a la pasión común por la música, fue inspirador y ¡edificante!” Los comentarios inspiradores también fueron evidentes. “Aunque he estado en la música desde que era un niño, el programa me ayudó a reavivar mi amor por crear música. ¡Fue genial poder tocar con otros hermanos de sangre!” Otro miembro declaró: “Esta experiencia fue todo un espectáculo! Esta comunidad se unió y produjo una función musical memorable.

Las conexiones que se formaron, el conocimiento que obtuvimos y el poder haber salido de nuestra zona de confort para lograrlo todo, ¡fue increíble!”

Tres músicos con hemofilia que participaron en el evento, dedicaron su tiempo para compartir sus historias a fondo, sus antecedentes, aspiraciones y cómo contribuyeron a The Beats Music Program, y a la vez, cómo el programa los había ayudado a ellos.

Conozca a Michael Mohon, que está a punto de cumplir 32 años. Fue diagnosticado al nacer. La hemofilia corre en su familia hace algunas generaciones. Fue criado en Phoenix, Arizona, es el subdirector de un bar y restaurante y tiene aspiraciones de dirigir su propio restaurante. Él dijo: “Desde temprana edad, aprendí que la vida es muy valiosa. La vida que conozco y vivo puede cambiar el día de mañana; por lo tanto, celebro mi vida en la mayor medida posible y esto me hace una persona fuerte. Sin mi madre ni la atención que ella me brindó, yo no sería la persona que soy hoy día. También estoy agradecido por



mi H.T.C. por darnos a mi madre y a mí las herramientas para lograr ser un persona exitosa con hemofilia y tener mínimas hemorragias y problemas en las coyunturas”.

También, conozca a Zach Marcella, diagnosticad a los 9 meses, tiene 27 años. Nació y creció en París, Tennessee, y ahora reside en Dickson. Su meta profesional es obtener credenciales de BSN para servir más apropiadamente a organización con la que trabaja, así como “convertirse en un mejor servidor dentro de la comunidad de hemofilia”, explicó.

“EL ÉXITO DEL PROGRAMA HA ABIERTO LAS PUERTAS A ASISTENTES QUE AHORA ESTÁN PARTICIPANDO EN EVENTOS A LOS QUE NORMALMENTE NO ASISTIRÍAN”.
Kim Phelan Vicepresidente

Shelby Smoak tiene 47 años y fue diagnosticado con hemofilia B severa a los 18 meses. Ya que la hemofilia no corría en su familia, el diagnostico los tomó por sorpresa después de una hemorragia significativa. Shelby llama a las montañas de Virginia Shenandoah su hogar y es un defensor y educador de Biomatrix Specialty Pharmacy. También es un miembro activo en los programas de la Coalition incluyendo el Simposio Anual.

Hace dos años en el Retiro de hombres de la Coalición en Arizona, Michael se sintió privilegiado de asistir a su primer programa. Regresando a The Beats Music Program, él dijo: “Él momento que más se destacó para mi fue poder escribir, actuar y grabar una canción en menos de 72 horas.

La química entre Zach Marcella en la voz, Collin Johnson en la guitarra, Adam Smith como productor e ingeniero, y yo en la guitarra fue mágica. ¡Fue todo lo que me imaginé que Nashville sería!” Su canción titulada Silver Linings se convirtió en una atracción. Él explicó: “Durante la proceso de la composición, nos centramos en buscar las cosas que nos ayudan a salir de la oscuridad y los momentos tormentosos que la hemofilia pueden traer. Siempre hay un aspecto positivo”. Durante el primer año de secundaria, Michael tomó su primera guitarra. Él recordó: “La música era la única opción que yo tenía para entretenerme mientras atravesaba por un sangrado ya que un videojuego solo se puede vencer cierta cantidad de veces. Una vez que empecé a tocar, se abrieron más puertas para mi, y lo que era una terapéutica de relajación se convirtió en una pasión”.



En cuanto a The Beats Music Program, dijo, “pude conectarme con otras personas quienes han estado en el mismo bote que yo, y pronto me di cuenta que el este bote era más como un crucero con un sinfín de posibilidades y oportunidades para crecer”. Él sintió que obtuvo más recompensas, de lo que podía imaginar, desde su temporada de inauguración. “El entorno ayudó a elevar mi nivel de creatividad hasta la cumbre. La música, las historias increíbles y la gente a mi alrededor, fue inexplicable. Mi primera impresión fue que yo iba a ser como un insecto pegado en la pared absorbiendo todo lo que veía. Pero pronto me abrí a la oportunidad y empecé a interactuar, permitiéndome aprender más acerca de lo que puedo hacer para convertirme en un músico equilibrado”.

Él siente que el provecho principal fue la oportunidad de colaborar con participantes increíbles. “Logramos que una idea que teníamos en nuestros cerebros la convirtiéramos en algo palpable que un día será escuchado por otras personas con hemofilia y conseguí, en este viaje, prender ese fuego que hay dentro de mi. Nuestra canción recibió generosos halagos y comentarios, han sido muy edificante y ha incrementado mi confianza”.

“Las escuelas están eliminando los programas de música en todo el país, así que este puede ser el único medio que la comunidad de hemofilia tiene”, dijo Michael. Mirando hacia el futuro, él visualiza “una expansión de la familia musical a una red de músicos” para crear aún más música. “Desearía qu fueran al menos diez días. Si se provee más tiempo para colaborar con otros músicos,



se producirían más ideas y más canciones. Si algunos compañeros y yo podemos escribir y grabar una canción en tres días, entonces cualquier cosa puede pasar”.

Zach Marcella colaboró con Michael Mohon y Collin Johnson en la canción Silver Linings, con el enfoque principal en escribir la letra de la canción

e interpretar las voces. Como cantante, él también colaboró con otros músicos. “Disfruté de la experiencia de interpretar canciones, así como presentar nuevas ideas y ver lo que se creaba”, dijo él. Descubrió su pasión por la música a la edad 5. “Le rogué a mi madre y a la directora de música de mi iglesia para que me dejaran cantar en frente de toda la congregación. Nunca sabré que fue lo que provocó mi deseo de cantar, pero desde entonces ha sido una pasión”. También recordó el período en que su voz comenzó a cambiar. “Simultáneamente, estaba tomando clases de piano, así que mi amor por el canto se transformó en ejecutar las más intrincadas piezas de música clásica que podía comprender. Después de esto, comencé a sentir curiosidad por las mujeres y pensé que

me destacaría más si agarraba un micrófono y cantaba, el resto es historia”.

Zach sintió que su experiencia en la inauguración de The Beats Music Program fue “completamente positiva”. Explicó: “Disfruté de mi tiempo en el Gaylord Opryland Resort, además logree aprender mucho de la experiencia compartida con los participantes en actividades fuera del predio. Si bien, salir de la zona de confort no es fácil, es importante hacerlo para poder crecer. Empujarse a uno mismo para actuar en el escenario por primera vez, poniendo su corazón y alma en un instrumento, o simplemente participando en actividades de las que anteriormente me hubiera excluido, demostró que el programa es capaz de proporcionar oportunidad para el crecimiento personal positivo”. Continuó: “A menudo tengo momentos en los que dudo de mí capacidad para sobrevivir, pero este programa le proporcionó un impulso inspirador a mi moral, además me brindó más confianza y vigor para continuar con mi vida diaria”.

A menudo reflexiona sobre la famosa cita de Bruce Lee sobre la naturaleza adaptativa del agua. “La música también puede abarcar ese principio adaptativo.



Puede proporcionar acompañamiento a cada estado emocional conocido por el ser humano. La música toma su propia presencia y propósito, incluso por encima de las intenciones del compositor original. He obtenido esperanza de canciones sobre la desesperación y felicidad de canciones sobre la rabia y viceversa”.

Zach siente que la música clásica es la mejor para reflexionar, pues no tiene palabras que pueden confundir al oyente. “Solo hay una sola persona u orquesta que ofrece su alma a un instrumento, dejando que el sonido que se emite transmita sus emociones. Una gran ventaja de The Beats Music Program es la capacidad de dejar que las personas experimenten esta transferencia emocional y la naturaleza terapéutica de poder liberar la acumulación emocional a través del instrumento que elijan”.

Para Zach, las conexiones que estableció son historias extremadamente positivas. Explicó: “No se trata sólo de reunirse con los miembros y líderes de la Coalition, también se estrechan los lazos de afecto con otros hermanos y hermanas de sangre que comparten similares cargas emocionales. Ahora tengo una canción nueva completamente escrita y grabada por miembros de esta

comunidad para recordar The Beats Music Program”.

Él mantiene comunicación con Michael y Collin. “A nosotros nos encantaría continuar componiendo nuevas ideas y música que resuene con los miembros de esta comunidad y otras personas, lo cual es el resultado directo de este programa”.

A largo plazo, Zach imagina la expansión del programa. “Me encantaría ver músicos tocando la trompeta, el trombón y el saxofón en futuros programas, así como una mayor representación de Big Band y jazz”.

Como paciente de hemofilia, los desafíos de su vida han tenido un impacto significativo en su sistema de creencias y su filosofía. “Mi trastorno hemorrágico me ha requerido encontrar fuerzas más allá de lo que creía posible y de lo que soy capaz de hacer. Todos tenemos nuestro propio rompecabezas que formar. Nacimos en este mundo sin





un manual de instrucción. Para algunos, intentar encontrar la manera de encajar todas las piezas de la caja puede ser tan estresante que el individuo se desanima y nunca comienza realmente a armar el rompecabezas. Otros se ven obligados a armar el rompecabezas desde el primer día. A veces armar ese rompecabezas es la única forma en que un individuo puede continuar sobreviviendo”.

Zach siente que la vida nunca debe darse por sentada y cree que es esencial luchar por soluciones individuales a los problemas. Él explicó: “Debemos dedicarnos más allá del 110% a convertirnos en la mejor versión de nosotros mismos, el individuo a menudo encontrará que la ayuda en el camino sólo mejora. Mantener una salud espiritual, física y bienestar emocional es primordial para poder desempeñarse en la máxima capacidad posible”.

Shelby Smoak comenzó a tomar clases de piano en la escuela primaria, pero al descubrir la guitarra en la escuela secundaria, “su amor por ella se consolidó”. En The Beats Music Program, él interpretó como solista temas originales, entre ellos: *Hey There Devil* y *Rusted and Raw*. La experiencia superó todas sus expectativas. Él explicó: “Salí de allí con mi primera clase de guitarra ‘oficial’, y eso que había estado tocando ¡por más de 30 años! Comprendí que hay mucho que aprender, también desarrollé nuevas amistades y un gran aprecio por todo el talento que nuestra comunidad tiene para ofrecer. Nashville proporcionó el telón de fondo perfecto para este musical inspirador!”

“The Beats Music Program puede introducir a cualquier persona los valores terapéuticos de la música, especialmente si es alguien que constantemente afirma que “no tiene talento musical”, Shelby afirma que la última declaración es un mito. “Todo el mundo puede encontrar algo musical que hacer y se beneficiará de esa experiencia”. En cuanto a los músicos más experimentados, declaró: “El programa proporciona una conexión musical sin igual con otros músicos que son miembros de la comunidad, los cuales luchan en formas similares con trastornos del sangrado”. Sobre todo, el programa “ofrece a todos una mejor manera de apreciar la música y sus beneficios”.

Entre las muchas observaciones positivas que Shelby tuvo se destacó la ocasión donde participó una persona muy tímida a la hora de cantar. “Ellos pensaban que tenían muy poco que ofrecer musicalmente. Lograron involucrarse y ‘cambiar las cosas’, les oí decir que algunos estaban cansados de la programación típica de las conferencias. Por ser tímido, esta persona tuvo poca participación al principio, pero luego a través del ánimo y del apoyo, él comenzó a encontrar su voz, y al final estuvo lo suficientemente cómodo como para cantar ante los grupos. A muchos les impactó que este no es un programa que



necesariamente busca encontrar talento, sino encontrar algo como la música que pueda romper las inhibiciones y barreras que se han formado en las personas con trastornos del sangrado”.

Shelby participa en varios programas de educación musical. Siente que el efecto de la música en el cerebro es diferente a cualquier otra forma de arte. “Todo es cerebro. Algunos describen el efecto como fuegos artificiales que estallan en tu cerebro. Implica muchas partes del cerebro con respecto al movimiento, la memoria, el habla y funciones auditivas entre otras. La música ha sido una ayuda que me calma durante el dolor y me da soporte durante un trauma. Es terapéutica en todos los aspectos”.

“Otro evento como el de The Beats Music Program realmente es necesario, esperemos que más personas se enteren de esta oportunidad y la aprovechen”, señaló.

Pasando a otro tema, Renae Baker es una residente de Westfield NJ, ella es cantante profesional, actriz, autora, e instructora de actuación y música, no tiene hemofilia, pero ha marcado la diferencia en The Beats Music Program y mucho más. Junto con Joe Turley acompañando en el piano, dirigió una clase magistral, denominada: *Expressing Yourself Through Song*, también coordinó sesiones de canto individuales. Ella ofreció su ayuda para crear la función y se convirtió en lo que ella llama el “MC accidental del show”. Ella planea voluntariamente coordinar y organizar el programa del próximo año.

Hasta donde ella puede recordar, siempre ha tenido “una pasión por el coro en armonía”. Ella explicó: “Me inspiró a crear una empresa de villancicos navideños en 1997. Esto me ha provisto de gran de experiencia uniendo a la gente por medio del canto, pues crea paz entre las personas. Presenté una charla en la plataforma de TEDx titulada: *Can Caroling Lead to World Peace?* En los muchos años de experiencia con los villancicos, también he aprendido sobre el espíritu navideño, lo qué simboliza para las personas, qué puede hacer por ellas y cómo afecta su ausencia”. Esto la llevó a escribir un libro, *Defeating Scrooge – How to Harness the Power of Christmas Carols to Revive Your Spirit Any Time of Year* (Derrotando a Scrooge – ¿Cómo emplear el poder de los villancicos para revivir el espíritu en cualquier tiempo del año?), además conduce talleres, como *Spirit Saver*, que incluyen una versión en línea.

Como coach de actuación, Renae ayuda a niños y adultos durante audiciones, conduciéndolos a Broadway, TV y el cine. “Para The Beats Music Program, guí a los cantantes a actuaciones significativas por medio de que eligieran emociones fuertes y verdaderamente se expresaran a través de la canción”, ella explicó. Ella ha estado cantando desde la infancia y comenzó tocando el piano a los 9 años, lo que ayuda en sus habilidades de entrenamiento musical.

Entre los números de las actuaciones que Renae ha entrenado se encuentran: *The Apple Tree Song, Don't Let the Old Man In, Great Balls of Fire, Photograph*, y







Hootchie Cootchie Woman. Ella compartió una ventaja significativa de The Beats Music Program. “La mayoría de los participantes que no son profesionales necesitan un proceso de curación y la experiencia edificante de hacer música, son animados a unirse para crear, aprender y expandirse en un ambiente seguro, dentro del grupo especial que comprende su experiencia”.

Renaee también explicó el inmenso efecto terapéutico de la música. “Físicamente, la música vibra a través de nosotros y aumenta el nivel de endorfinas, lo que nos hace sentir más felices y con menos dolor. Cantar hace que respiremos más profundamente, y logra que te sientas bien. Lo gracioso es que necesitamos un recordatorio para que respiremos profundamente, pero al hacerlo, la mayoría de nosotros nos sentimos mejor casi instantáneamente. Además, las personas necesitan relajar los músculos del cuello y la mandíbula cuando cantan y al dejar ir esa tensión no solo se sienten bien, sino que además puede evitar enfermedades. Al cantar haciendo elecciones emocionales importantes, dramáticas para respaldar la voz, expande nuestra esfera, nos lleva a un punto más elevado y conecta nuestra experiencia con otros”.

Renaee sintió que las clases y talleres fueron informativos, divertidos y ofrecieron un gran medio para conectar con otros. Ella explicó: “Tener a Joe como nuestro acompañante fue una bendición, ya que él tiene la rara habilidad de estar tan en sintonía con el cantante, que puede casi imperceptiblemente improvisar cuando no se encuentran las palabras o se presenta un momento de emoción, luego retoma cuando están listos. Esto contribuyó a la sensación de seguridad de los cantantes mientras intentaban algo nuevo. Les brindó espacio para explorar opciones de actuación y se sorprendieron de lo lejos que pudimos llevar cada actuación en solo unos minutos”. En cuanto a trabajar con los cantantes individualmente, Renaee compartió: “No esperábamos que los cantantes hicieran actuaciones profesionales, sino que se sintieran lo suficientemente cómodos como para cantar frente a otros y expresarse abiertamente. Dieron actuaciones significativas”.

Renaee aprendió como es el día a día para una persona con hemofilia. “Aprendí que estas queridas personas tienen tanto dolor, dificultades y preocupaciones por





seguros y atención médica en sus vidas que son comprendidas por relativamente pocas personas. Prosperan cuando pueden estar juntos con otros que realmente los entienden. ¡Nunca antes había visto tantos ‘payasos de clase’ en la misma habitación! Deben reír, hacer música y expresarse, o la vida sería demasiado dolorosa”. Cada cantante que Renae ayudó salió de su zona de confort y acogió los desafíos que se le presentaron. “Descubrí que una mujer con la que trabajé en la sesión *Express Yourself Through Song* vive solo a 15 minutos de mí en Nueva Jersey. Pude acompañarla en el hospital recientemente mientras su madre estaba muriendo. En el pasillo del hospital cantamos la canción que ella interpretó en The Beats Music Program. La ayudé a sobrellevar su dolor y canté en el funeral de su madre. El junio pasado no la conocía, ahora ella es una querida amiga a la que pude ayudar durante un momento doloroso”.

Renae dijo: “Estoy agradecida por el buen espíritu de la Coalition y por haber compartido sus historias y experiencias con personas como yo que tenemos un conocimiento mínimo de su situación. También estoy agradecida de que se tengan el uno al otro para aprender, reír, hacer música y crear”.

Tara Smith, residente de Nashville, TN, es la gerente de una oficina de una firma de pre-construcción e investigación de ingeniería, y es la esposa del productor y compositor Adam Smith. Se familiarizaron con la Coalition al asistir al Simposio Anual del 2018 y reunirse con la vicepresidenta de la Coalition, Kim Phelan quien, según ellos es una fuente de inspiración la cual condujo a que ellos colaboraran, Ella dijo, “Kim es tan amable, su pasión es muy contagiosa, y ella ama intensamente a nuestra comunidad”.

Tara escribió una canción con su esposo. Ella dijo: “Puedo ver por qué a la gente le encanta escribir y colaborar en proyectos musicales. Es muy unificador y ofrece una gran sensación el poder ser parte de la creación de algo”. Como resultado del programa, Adam pudo hacer conexiones y colaborar con Michael, Colin y Zach en un canción titulada *Silver Linings*, que compusieron durante el evento. Ella explicó: “Se quedaron un día más después de que el evento terminara y vinieron a nuestra casa para grabar con Adam. Es una preciosa canción que tiene como tema ¡la fuerza que proviene de una comunidad! Es un reflejo perfecto de nuestra experiencia. Me imagino que van a venir muchos días más en el estudio para estos cuatro!” continuó: “Fue genial ver a todos compartiendo sus pensamientos para la canción que estaban creando. Varias personas se turnaron para la grabación de los





instrumentos, y se les dio la libertad de tocar cualquier parte que quisieran. La creatividad fue mágica, y la energía fue positiva y motivadora”.

El hijo de Tara y Adam, Arlo, fue diagnosticado con hemofilia B severa hace casi dos años y medio. Ella compartió una historia de superación. “Fue un shock total ya que no había un historial familiar. A una persona le impacta el ver a un bebé que se le inyecta con agujas varias veces, tratando de encontrar una vena y haciendo esto semanalmente. Los desafíos que nosotros hemos enfrentado hasta ahora y la calma que tuvimos que mantener me hizo darme cuenta de que puedo aguantar mucho más de lo que yo pensaba; puedo encontrar la paz en un momento difícil, y es más fácil para mí recordar la imagen completa y mantener la perspectiva. A través de los eventos y con el apoyo y el ánimo que se nos brinda, siento que cada vez tengo más confianza dentro de ambientes sociales y reconozco el valor de conectarse con otras personas y la importancia de establecer comunidad”.

Tara se enorgullece de ser espectadora. “La música es terapéutica ya que nos obliga a centrarnos en otras cosas, nos ayuda a escapar a un lugar diferente por un espacio de tiempo. Aunque uno use una prueba actual o experiencias difíciles del pasado para escribir una canción, está utilizándolas con un propósito, y estamos eligiendo asumir esas dificultades”. Ella también siente que el poder colaborar con otros es terapéutico ya que el proceso de creación fomenta lazos afectivos al instante. “Crea un nivel de vulnerabilidad y sinceridad que es muy curativo cuando

se comparte con otros. The Beats Music Program facilitó un ambiente seguro y creativo, que motivó a colaborar y compartir”.

¡Tara está para quedarse! “Me encantaría mantenerme involucrada en este programa y verlo continuar inspirando y conectando a diferentes personas, ya que realmente puede llegar a ser una experiencia transformadora. Con tanto talento y pasión dentro de la comunidad, hay muchas posibilidades para componer canciones, artistas & repertorio. Estoy agradecida por ser apoyada y motivada en nuestro trayecto familiar con la hemofilia, de cierto modo nos ha inspirado a querer infundir esperanza en otras personas!”

“Estoy muy orgulloso de nuestra organización y ver hasta dónde hemos llegado. Planeo seguir siendo el presidente de la coalición todo el tiempo que pueda”, dijo Wayne Cook, quien ha ocupado su cargo durante más de diez





años, y es un mentor de por vida para el comunidad con la hemofilia B. Él reside en una pequeña localidad, al sur de Albany, Nueva York, y es retirado de la compañía General Electric.

“Siempre trato de mirar mi hemofilia de frente y decirle: ‘Oye, no me vas a ganar”, dijo Wayne, quien ha enfrentado muchos desafíos durante su vida, desde múltiples hemorragias articulares y reemplazos de coyunturas hasta la pérdida de empleos y seguros médicos y una larga batalla contra la hepatitis. Sin embargo, explicó: “Todavía estoy de pie y les demuestro a los médicos que hicieron mi diagnóstico, ‘Oye, mi vida no terminó a los 20 años como le dijeron a mi padres, todavía estoy aquí y no me iré pronto a ningún lado’. Todavía lucho contra los desafíos no solo de mi hemofilia, sino también con mi depresión, pero trato de hacer de cada día un buen día y siempre trato de reiterarme el por qué estoy aquí”. Lo que lo ayuda a sentirse bendecido es su familia. “Todos los días estoy agradecido de poder vivir para tener esposa, hijos y nietos”, dijo.

La música es una plataforma que lo trasciende del ajetreo y el bullicio de la vida cotidiana. Wayne explicó: “Cuando tengo días que mi depresión está activa, pongo algo de música, me siento y comienzo a tocar mis tambores al ritmo de la música o trabajo en la música para mi banda. Siento que The Beats Music Program abrirá las puertas para que otras personas que no les atrae los deportes, se puedan expresar. Va a ser terapéutico para las personas que padecen depresión y otras enfermedades crónicas. Será una oportunidad para reunirnos, componer música y disfrutar de camaradería en un terreno común, donde nadie juzga a nadie”.

Wayne se sorprendió no solo con el programa sino también con los magníficos conferenciantes y los excelentes maestros. “Ellos trabajaron arduamente para enseñarle a las personas su oficio o perfeccionarlo, y los asistentes aprendieron cuán talentoso es cada individuo. Ellos se unieron inmediatamente por medio de lo que todos tenían en común. Yo reaprendí mi amor por la música y tocar con otros que aman lo mismo”.

Wayne fue testigo del crecimiento a través de varias historias. Un amigo suyo, quien es bajista, tenía el deseo de aprender a cantar, desempeñarse como solista y no tener miedo a fallar, él nos desplegó una hermosa actuación. Además, un niño pequeño, que no tenía previa experiencia musical, aprendió a cantar y a actuar en el escenario por primera vez. En cuanto a un hombre joven sin experiencia musical que aprendió a tocar los tambores, Wayne dijo:

“Estaba tan en sintonía con las lecciones, que pudo subir al escenario con otros cinco bateristas y realizar un impresionante solo de un círculo de tambores”. Acerca de la colaboración de tres músicos jóvenes, dijo: “En 24 horas, escribieron e interpretaron





una hermosa canción que consistía en un dúo de guitarra y otro que cantaba. Fue realmente ¡asombroso!”

La Coalition for Hemophilia B ha recibido por unanimidad comentarios positivos para implementar un programa que alcance a una audiencia más diversa en la comunidad de hemofilia. Kim Phelan, vicepresidente de la Coalition for Hemophilia B explicó: “Queremos ver que este programa llegue a todos los que desean expresarse a través del amor a las artes y para atraer a los asistentes más jóvenes. El éxito del programa ha abierto las puertas a asistentes que ahora están participando en eventos a los que normalmente no asistirían. Estamos muy agradecidos con nuestros patrocinadores Aptevo y CVS por su apoyo a este programa”.

Lindsay J. Goats, fotógrafa del evento y residente de Nashville, compartió su perspectiva a través del lente. “Como un fotógrafo, esperas que una de tus fotos abra los ojos de una persona al dolor de otra. Veo música siendo producida por la Coalition, y veo que nace la confianza en uno mismo. ¡Es increíble! Espero que alguien vea una fotografía mía y lea sobre esa persona”.

Lindsay está muy admirada de cómo las personas con hemofilia viven la vida al máximo, incluso cuando no se sientan bien. Ella dijo: “Fue genial darme cuenta del sentido de comunidad, apoyo y aceptación por quienes tienen curiosidad por aprender sobre su condición. Ellos fueron muy

honestos”. Entre sus personas favoritas estaban Shelby Smoak y Ramon Starks, Jr. “Las historias de sus vidas percibidas dentro de cada centímetro de su cara ... es el sueño de un fotógrafo!”

Lindsay tiene una fascinación por las manos y le gusta tomar fotografías de ellas. Ella dijo: “Hay la misma cantidad de historia en las manos de alguien que en la cara. Tuve el privilegio de leer el libro de Shelby Smoak, *Bleeder*. Él es una persona muy interesante, poder tener la oportunidad de conectar su rostro con su historia fue realmente asombroso”.

Ella recuerda una historia que Rick compartió sobre su infancia después de que él y su hermano fueron diagnosticado con hemofilia. Él nos relató que a veces sus maestros actuaban como si ellos fueran bienes dañados y cómo esto los hacía sentir rechazados.

Después del evento de cuatro días, ella razona que a veces toma mucho por sentado. Ella dijo: “Estas personas padecen sangrados, donde cada decisión médica tiene que ser tomada con extremo cuidado. Mi fe en la humanidad del hombre renació mientras trabaja en este evento” dijo Lindsay. “La gente juzga mucho en nuestro mundo, pero estas personas que no me conocían me dieron la bienvenida y compartieron libremente algunas de sus emociones más intensas, y no les importaba quién lo oía”

**GRACIAS A NUESTROS
PATROCINADORES POR
SU GENEROSO APOYO A LA
COALITION FOR HEMOPHILIA B
Y EL PRIMER EVENTO ANUAL DE
THE BEATS MUSIC PROGRAM**

NIVEL CONDUCTOR



NIVEL EJECUTANTE





PROTECCIÓN DE SANGRADO DURADERA PARA SU HÉROE INTERIOR

— LA ÚNICA TERAPIA PARA EL FACTOR IX DE SEMIVIDA EXTENDIDA QUE FUNCIONA —

0 SANGRADOS
ESPONTÁNEOS*

Ya sea que se administren dosis cada 7 o 14 días en los ensayos clínicos

MÁXIMO
DE
14 DÍAS DE
ADMINISTRACIÓN
DE DOSIS†
APROBADO POR LA FDA

Cronogramas de administración de dosis que se adaptan a su estilo de vida

20% DE CONCENTRACIONES
MÍNIMAS
EN EQUILIBRIO
ESTACIONARIO
CON USO PROFILÁCTICO DE 7 DÍAS‡

Concentraciones altas y sostenidas de FIX en equilibrio estacionario

*Mediana de la tasa anualizada de sangrado espontáneo de cero cuando se administran dosis cada 7 o 14 días en ensayos clínicos.

†Una vez que estén bien controladas (1 mes sin sangrado espontáneo o sin requerir de ajustes en la dosis en una dosis semanal de ≤ 40 UI/kg), las personas de 12 años y más pueden realizar la transición a la administración de dosis cada 14 días.

‡La dosis promedio para las personas que recibieron profilaxis cada 7 días fue de 37 UI/kg y cada 14 días fue de 73 UI/kg.

§Evaluación de mercado de FIX y hemofilia. Investigación de mercado de terceros.

¿Es momento de un cambio?

Obtenga más información en IDELVION.com



Información de Seguridad Importante

IDELVION se usa para controlar y prevenir episodios de hemorragia en personas con hemofilia B. Su médico también podría administrarle IDELVION antes de los procedimientos quirúrgicos. Cuando se usa regularmente como profilaxis, IDELVION puede reducir la cantidad de episodios de hemorragia.

IDELVION se administra por inyección intravenosa en el torrente sanguíneo, y se puede autoadministrar o ser administrado por un cuidador. No inyecte IDELVION sin recibir capacitación y aprobación por parte de su proveedor de atención médica o del centro de tratamiento de hemofilia.

Informe a su proveedor de atención médica sobre cualquier afección que tenga, incluidas alergias y embarazo, así como todos los medicamentos que está tomando. No use IDELVION

si sabe que es alérgico a alguno de sus componentes, incluidas las proteínas de hámster. Informe a su médico si tuvo previamente una reacción alérgica a algún producto de FIX.

Consulte la Información de Seguridad Importante adicional y el breve resumen de información de prescripción en la página contigua, y la información de prescripción completa que incluye la información del producto para el paciente en IDELVION.com.

Se recomienda que informe los efectos secundarios negativos de los fármacos recetados a la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA). Visite www.fda.gov/medwatch o llame al **1-800-FDA-1088**.

IDELVION es fabricado por CSL Behring GmbH y distribuido por CSL Behring LLC. IDELVION® es una marca comercial registrada de CSL Behring Lengnau AG. Biotherapies for Life® es una marca comercial registrada de CSL Behring LLC.

©2019 CSL Behring LLC 1020 First Avenue, PO Box 61501, King of Prussia, PA 19406-0901 EE. UU. www.CSLBehring.com www.IDELVION.com IDL-0354-AUG19

Biotherapies for Life® **CSL Behring**

Información de Seguridad Importante (continuar)

Interrumpa el tratamiento y comuníquese de inmediato con su proveedor de atención médica si observa signos de una reacción alérgica, incluido sarpullido o urticaria, picazón, opresión en el pecho o la garganta, dificultad para respirar, vahídos, mareos, náuseas o una disminución de la presión arterial.

El cuerpo puede producir anticuerpos, llamados inhibidores, contra el factor IX, que podrían evitar que IDELVION actúe de forma adecuada. Es posible que se le deban realizar análisis de vez en cuando para la detección de inhibidores. IDELVION también podría aumentar el riesgo de coágulos de sangre

anormales en su cuerpo, especialmente si tiene factores de riesgo. Llame a su proveedor de atención médica si tiene dolor en el pecho, dificultad para respirar, o sensibilidad o hinchazón en las piernas.

En los ensayos clínicos para IDELVION, el dolor de cabeza fue el único efecto secundario que se produjo en más del 1 % de los pacientes (1.8 %), pero no es el único efecto secundario posible. Informe a su proveedor de atención médica sobre cualquier efecto secundario que le moleste o que no desaparezca, o si no puede controlar la hemorragia con IDELVION.

IDELVION®, factor IX de coagulación (recombinante), proteína de fusión de albúmina
Aprobación inicial en EE. UU.: 2016

RESUMEN BREVE DE LA INFORMACIÓN DE PRESCRIPCIÓN

Estos aspectos destacados no incluyen toda la información necesaria para usar IDELVION de manera segura y efectiva. Consulte la información de prescripción de IDELVION, que tiene una sección con información dirigida específicamente a los pacientes.

¿Qué es IDELVION?

IDELVION es un medicamento inyectable que se usa para reemplazar el factor IX de coagulación ausente o insuficiente en personas con hemofilia B. La hemofilia B, también llamada deficiencia congénita de factor IX o enfermedad de Navidad, es un trastorno hemorrágico hereditario que evita que la sangre se coagule normalmente.

IDELVION se usa para controlar y evitar episodios de hemorragia. Su proveedor de atención médica puede administrarle IDELVION cuando se someta a una cirugía. IDELVION puede reducir la cantidad de episodios de hemorragia cuando se usa regularmente (profilaxis).

¿Quiénes no deben usar IDELVION?

No debe usar IDELVION si tiene reacciones de hipersensibilidad potencialmente mortales a IDELVION o si es alérgico a lo siguiente:

- proteínas de hámster
- algún componente de IDELVION

Informe a su proveedor de atención médica si tuvo una reacción alérgica a algún producto de factor IX antes de usar IDELVION.

¿Qué debo informar a mi proveedor de atención médica antes de usar IDELVION?

Analice lo siguiente con su proveedor de atención médica:

- Su salud general, incluida cualquier afección médica que tenga o haya tenido, incluidos embarazos, y cualquier problema médico que esté teniendo
- Cualquier medicamento que esté tomando, recetado y no recetado, incluidas vitaminas, suplementos o remedios a base de hierbas
- Alergias que tenga, incluidas alergias a proteínas de hámster
- Inhibidores conocidos al factor IX que haya experimentado o que le hayan dicho que tiene (porque IDELVION podría no funcionar para usted)

¿Qué debo conocer sobre la administración de IDELVION?

- IDELVION se administra por vía intravenosa, directamente en el torrente sanguíneo.
- IDELVION se puede autoadministrar o ser administrado por un cuidador con capacitación y aprobación por parte de su proveedor de atención médica o del centro de tratamiento de hemofilia. (Para obtener instrucciones sobre cómo reconstituir y administrar IDELVION, consulte las Instrucciones de uso en la sección del prospecto para pacientes aprobado por la FDA de la información de prescripción completa).
- Su proveedor de atención médica le informará sobre la cantidad de IDELVION que debe usar en función de su peso, la gravedad de su hemofilia B, su edad y otros factores. Llame a su proveedor de atención médica de inmediato si la hemorragia no se detiene después de recibir IDELVION.
- Es posible que sea necesario realizar análisis de sangre después de iniciar el tratamiento con IDELVION para asegurarse de que el nivel de factor IX en sangre es lo suficientemente alto como para coagular adecuadamente la sangre.

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de IDELVION?

Se pueden producir reacciones alérgicas con IDELVION. Llame de inmediato a su proveedor de atención médica e interrumpa el tratamiento si tiene sarpullido o urticaria, picazón, opresión en el pecho o la garganta, dificultad para respirar, vahídos, mareos, náuseas o una disminución de la presión arterial.

El cuerpo puede producir anticuerpos, llamados inhibidores, contra el factor IX, que podrían evitar que IDELVION actúe de forma adecuada. Es posible que su proveedor de atención médica deba analizarle la sangre de vez en cuando para la detección de inhibidores.

IDELVION podría aumentar el riesgo la formación de coágulos de sangre anormales en el cuerpo, especialmente si tiene factores de riesgo de estos coágulos. Llame a su proveedor de atención médica si experimenta dolor en el pecho, dificultad para respirar, o sensibilidad o hinchazón en las piernas mientras recibe tratamiento con IDELVION.

Un efecto secundario frecuente de IDELVION es el dolor de cabeza. Este no es el único efecto secundario posible. Informe a su proveedor de atención médica sobre cualquier efecto secundario que le moleste o que no desaparezca.

Consulte la información de prescripción completa, incluido el prospecto para pacientes aprobado por la FDA.

Basado en la revisión de mayo de 2018

IDELVION es fabricado por CSL Behring GmbH y distribuido por CSL Behring LLC. IDELVION® es una marca comercial registrada de CSL Behring Lenggau AG. Biotherapies for Life® es una marca comercial registrada de CSL Behring LLC.

©2019 CSL Behring LLC 1020 First Avenue, PO Box 61501, King of Prussia, PA 19406-0901 EE. UU.
www.CSLBehring.com www.IDELVION.com IDL-0354-AUG19





GENERATION IX PROJECT PROGRAMA ACTIVISTA EN PORTLAND, OREGÓN

Del 25 al 29 de septiembre, jóvenes líderes de la comunidad de hemofilia B se reunieron en Camp Collins en Portland, Oregón, para recibir capacitación en activismo. Camp Collins es un campamento de YMCA el cual cuenta con un largo historial y antigüedad que alberga programas recreativos y educativos para jóvenes, por lo que fue un lugar perfecto para llevar a cabo nuestro programa innovador.



Generation IX Project es un esfuerzo de la Coalition for Hemophilia B en unión con Gutmonkey y patrocinado por Aptevo Therapeutics. Gutmonkey es una empresa de aprendizaje experiencial, la cual tiene un largo historial de trabajado con la comunidad de la hemofilia. Este es el evento más actual del Generation IX Project; anteriores sesiones se han enfocado en temas de consejería y activismo.

El programa de activismo de este año se enfocó en el tema de la Reparación. Los participantes meditaron en lo natural e inevitable de las fracturas dentro de las relaciones y la comunidad, aprendieron habilidades que ayudan a reparar estas fracturas a través de la solución creativa de los problemas, relatos innovadores, destacando nuestros puntos fuertes, buscando apoyo en otros y apreciando el poder transformador del descanso.

El grupo comenzó cada día con una invitación para

aprender a hacer “café elegante” con una variedad de utensilios e ingredientes, dirigido por Joe, el “profesional residente”. Este ritual matutino les dio a todos la oportunidad de participar en una práctica habitual, para cultivar la seguridad y el autocuidado en nuestras rutinas diarias.

Con cálidas y reconfortantes bebidas a mano, la agenda de cada día comenzaba con una reunión de todo el grupo en un círculo: *un círculo comunitario*. Este era un momento para reflexionar sobre las experiencias individuales y grupales del día anterior, las necesidades en el momento presente y las expectativas y deseos para el día venidero.

Durante todos los días el programa continuaba con actividades específicas diseñadas para reflexionar y ampliar el tema de la reparación. El primer día completo del programa, el grupo viajó a Portland para explorar el





río Willamette, que atraviesa el centro de la ciudad. Los participantes del Gen IX se asociaron con un equipo local de botes dragones, remaron por el río logrando observar el maravilloso panorama de la ciudad así como muchos entornos naturales. El Wasabi Paddling Club, constituido por un grupo de mujeres aventureras, algunas de las cuales eran sobrevivientes de cáncer, sirvieron como increíbles instructoras y guías para esta novedosa experiencia. Unidos, todos los remadores exploraron los conceptos de comunidad, competencia y camaradería.

Después de la aventura en el río, el grupo visitó el Hollywood Theatre, un lugar sin fines de lucro de la ciudad, para asistir a un festival de cine local.



Siguiendo con el tema de la reparación, los participantes vieron varios cortometrajes y aprendieron diferentes convenciones y técnicas de la cinematografía para transmitir mensajes y contar historias de manera única y convincente. Esta actividad los preparó a todos para que más adelante en el programa pudieran crear guiones gráficos documentales centrados en los trastornos hemorrágicos.

Durante el programa de otro día, el grupo manejó el tema de la reparación a otro nivel por medio del Kintsugi, el arte japonés de reparar cerámica rota; se reparan las fracturas con barniz de resina espolvoreada o mezclada con polvo de oro, plata o platino. Esta actividad fue facilitada por el increíble apoyo del miembro de la comunidad, Kevin Finkle. Kintsugi considera la rotura y la reparación como parte de la historia de un objeto, en lugar de algo para disimular. Los participantes exploraron esta metáfora en relación con nuestras comunidades, relaciones, cuerpos y vidas.





En la penúltima noche, el grupo tuvo el honor de ser guiado en una práctica de yoga restaurativa por la terapeuta e instructora local, Megan Peterson. Usando accesorios como mantas, almohadones, bloques y correas de yoga, los participantes fueron guiados hacia Asanas (posturas y poses) que permiten que el cuerpo se relaje, descanse y se repare.

Los asistentes también aprendieron mucho en una gran variedad de talleres dirigidos por miembros del personal médico. Los temas incluyeron la *Importancia del lenguaje*, *Habilidades de infusión* y *Escenarios para abogar con los doctores*. Todos los participantes asistieron a cada uno de los talleres con un grupo pequeño, el personal médico aportó su experto conocimiento y habilidades personales y profesionales.



El programa también contó con una excelente y profunda sesión titulada: *Blood Product Safety and Insurance (Seguridad con los productos sanguíneos y seguros médicos)*, dirigida por Kim Isenberg, vicepresidente de políticas, defensa y gobierno de la Hemophilia Federation of America.



Programas adicionales de Gen IX se llevarán a cabo en el 2020, así que manténgase atento y visite nuestro sitio web, www.hemob.org, para más información. La coalición para la hemofilia B agradece a Aptevo por su generoso patrocinio para este programa.

COMENTARIOS DE LOS ASISTENTE

(presentados anónimamente)

“Realmente disfruté el aspecto experiencial y cómo presentaron los temas de defensa. Los barcos de dragón fueron capitaneados por sobrevivientes del cáncer de mama, y no hay más intensos defensores que los que son sobrevivientes ... El festival de cine [nos enseñó] varios niveles de defensa, desde personal hasta gubernamental”.

“Aprendí mucho del dialogo con otros sobre qué puedo abogar por y cómo hacerlo”.

“Este programa me conecta con una comunidad más amplia por medio de formar fuertes lazos interpersonales con otras personas con hemofilia. Esto me inspira a tener un mayor deseo de defender mis derechos y los de ellos. Me inspiraron los ejemplos de activismo y los defensores presentados a lo largo de la semana [y] mostraron nuevas formas de pensar sobre problemas y cómo trabajar mejor con diferentes entidades para resolverlos”.





RETIRO DE OTOÑO PARA HOMBRES EN PHOENIX, ARIZONA

Hombres de todo el país se reunieron del 19 al 22 de septiembre del 2019, para nuestro muy esperado retiro de otoño para hombres de la Coalition for Hemophilia B. El evento fue organizado en el escénico Arizona Grand Resort en Phoenix.



Los retiros de hombres, que se llevan a cabo dos veces al año, son momentos en que tanto los hombres que viven con hemofilia B, como hombres que son cuidadores pueden reunirse en un espacio seguro, aprender, compartir experiencias y sentimientos, y desplegar apoyo mutuo mientras lidiamos con algunos de los desafíos de la vida que se presentan al padecer este trastorno de sangrado.



En el fin de semana se presentaron varias sesiones fortalecedoras y experiencias de aprendizaje. Por ejemplo, varios talleres abordaron problemas psicosociales que muchos hombres de la comunidad de la hemofilia B sobrellevan. Una sesión, llamada *There Is No Health Like Mental Health* (*No hay mejor salud que la mental*) reveló el impacto que un trastorno de sangrado puede tener en salud mental y se ofrecieron técnicas para lidiar con estos problemas. La sesión fue dirigida por Debbie de la Riva, LPC.



Debbie es una profesional licenciada, consejera y líder de mucho tiempo dentro de la comunidad con trastornos hemorrágicos.

En una sesión sobre manejo del estrés, Fernando Reyes, M. Ed. Psy, proporcionó técnicas a los participantes para disminuir los pensamientos estresantes y el nerviosismo. Además, el frecuente presentador de la Coalition Robert Friedman dirigió una sesión llamada *What's So Funny* (*¿Qué es tan divertido?*) enfocada en los beneficios físicos, mentales y emocionales que aporta el sentido del humor y cómo lograr estos beneficios e incorporarlos en la vida diaria.

Los participantes estuvieron muy envueltos en la sesión llamada *It's Your Story: Pen It! Prep It! Perform It!* (*Es tu historia: ¡Escríbela! ¡Prepárala! ¡Realízala!*) dirigida por Natalie J. Sayer. La sesión ofreció técnicas dinámicas que los miembros de la comunidad pueden usar para abogar





por sí mismos y sus familias al relatar sus valientes historias.

Varios talleres dieron a los asistentes información clave que puede fortalecerlos en una variedad de situaciones. Hubieron talleres sobre como hablar con nuestros hijos, dirigido por uno de los padres de hemofilia, el Dr. William Patsakos; Actualizaciones de las terapias genéticas, dirigido por el miembro de la junta directiva, el Dr. David Clark; y una sesión llamada *Getting and Keeping a Job with a Bleeding Disorder (Conseguir y mantener el trabajo con un trastorno hemorrágico)*, dirigido por Donnie Akers abogado y asesor de la Coalition, desde hace mucho tiempo.

Además de los programas, los hombres participaron de vigorosas sesiones de rap, reuniones sociales divertidas y otras oportunidades para que los asistentes se conectaran a un nivel más profundo, aprendiendo que no están solos

al enfrentar los desafíos de la hemofilia y la vida. Esta fue una oportunidad para renovar viejas amistades, hacer nuevas y volver a casa con más conocimiento, fuerza y un sentido de empoderamiento.

La Coalition for Hemophilia B quisiera expresar su profunda gratitud a Pfizer por patrocinar este importante programa. Los beneficios para los miembros de la comunidad que participaron son incalculables y nada de esto hubiera sido posible sin el apoyo de Pfizer. También nos gustaría agradecer a los presentadores, voluntarios y miembros del equipo cuyas contribuciones individuales ayudaron a hacer del evento un gran éxito. Más programas llegarán en 2020, así que no se los pierda. Visite el sitio web: hemob.org para obtener más información a medida que se vaya haciendo disponible.





COMENTARIOS DE LOS ASISTENTES

“Como padre de un niño con hemofilia, no estaba seguro de pertenecer a un evento como este. Hice muchos amigos y aprendí muchas cosas, estoy muy agradecido de que mi esposa me animara a asistir. ¡Todos hicieron un trabajo increíble!”


“El retiro de hombres es un programa increíble donde podemos pasar un tiempo donde olvidar nuestros problemas cotidianos y aprender de muchos temas educativos que nos preparan para volver a nuestras vidas con una mejor actitud y sintiéndonos más empoderados, también hice muchas nuevas amistades”.

“Una gran experiencia. Realmente disfruté del programa haciendo conexiones con otros y compartiendo historias/experiencias. Gracias por el retiro y por permitirme asistir. Pase un muy buen tiempo”.

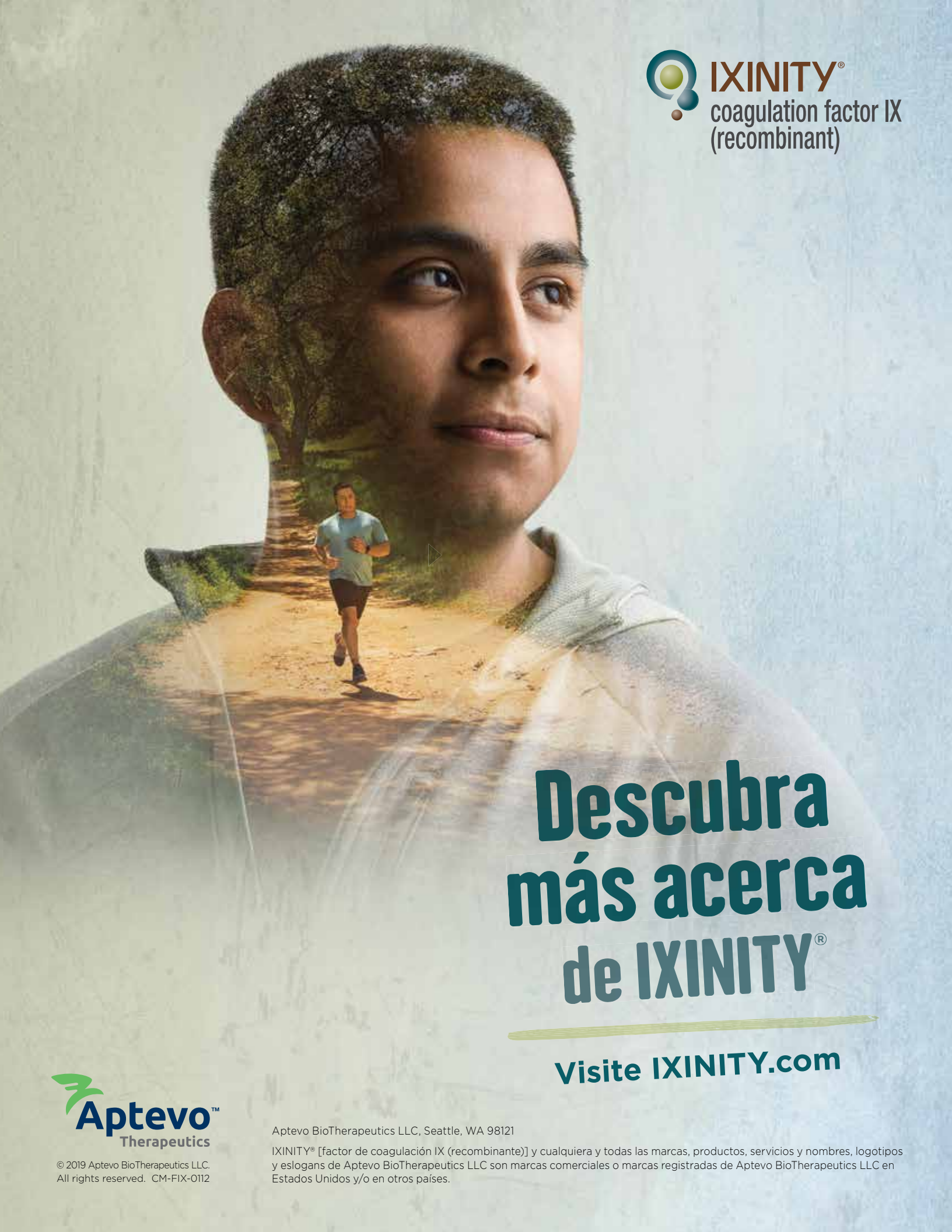
“Un evento excepcional con aprendizaje pertinente y muchas oportunidades para conectarse con otros”.

“¡No me imaginaba que iba a aprender tanto en este evento!”





IXINITY[®]
coagulation factor IX
(recombinant)



**Descubra
más acerca
de IXINITY[®]**

Visite IXINITY.com



Aptevo[™]
Therapeutics

© 2019 Aptevo BioTherapeutics LLC.
All rights reserved. CM-FIX-0112

Aptevo BioTherapeutics LLC, Seattle, WA 98121

IXINITY[®] [factor de coagulación IX (recombinante)] y cualquiera y todas las marcas, productos, servicios y nombres, logotipos y eslogans de Aptevo BioTherapeutics LLC son marcas comerciales o marcas registradas de Aptevo BioTherapeutics LLC en Estados Unidos y/o en otros países.

RETIRO DE OTOÑO PARA MUJERES EN ARIZONA



Abrazos, risas, lágrimas de alegría y cálidas bienvenidas se desplegaron cuando mujeres de todo el país se reunieron del 25 al 29 de septiembre del 2019, para asistir al retiro de otoño para mujeres de la Coalition for Hemophilia B. El evento se realizó en el Arizona Grand Resort en Phoenix.

Por Chris Villarreal

El programa fue una oportunidad para las mujeres de esta comunidad, incluyendo las que viven con un trastorno hemorrágico y cuidadoras, para compartir un fin de semana de cuidado personal, amor propio, educación y abogacía, lo cual no solo las impacta a ellas mismas pero también sus familias. El cuidado personal diario comenzaba con un caminata por la naturaleza, clase de aeróbicos acuática o yoga.

Las participantes asistieron a una variedad de sesiones que les proporcionaron educación e

información que puedan utilizar para hacer frente a los desafíos que puede acompañar a la hemofilia B. La sesión dirigida por Donnie Akers, abogado y asesor de la Coalition for Hemophilia B desde hace mucho tiempo, se enfocó en cómo defender nuestro derecho de paciente durante nuestra estancia en la sala de emergencias, el consultorio clínico y otros ambientes médicos. La presentación incluyó la importancia de los formularios de consentimiento informado y los derechos del paciente en relación con su doctor.

Varias sesiones analizaron formas

en que las mujeres pueden sentirse empoderadas ya sea física, mentalmente o como defensoras. La trabajadora social Debbie de la Riva, LPC, dirigió una sesión





donde les enseñó a las participantes la importancia de la salud mental y cómo entrenar la mente para que trabaje positivamente cuando nos enfrentamos con desafíos y situaciones mentales difíciles. En otro taller, la entrenadora ejecutiva y conferenciante de liderazgo, Natalie J. Sayer les enseñó a las asistentes a cómo relatar sus historias personales de manera que las puedan usar en para abogar por ellas mismas y sus familias. Las mujeres que asistieron también tuvieron la oportunidad de aprender con Nikita Lyons Murry, directora central de educación de Sanofi Genzyme. Ella habló sobre el *Poder del empoderamiento*, para ayudar a las mujeres a cultivar seguridad en sí mismas, fuerza, confianza y la capacidad de establecer asociaciones de apoyo con otros.

Durante las sesiones del sábado, las mujeres aprovecharon su lado creativo asistiendo a un taller denominado: *Art Therapy (Terapia por medio del arte)*. En esta clase, utilizaron diferentes herramientas y suministros para decorar su propio mandala y llevarlo a con ellos. Los mandalas son intrincadas obras de arte circulares con raíces en tradiciones espirituales asiáticas. En este

caso, el objetivo era crear algo que le recordara a cada participante que deben seguir sus sueños, tomarse su tiempo y nunca olvidar su propio cuidado personal.

Siguiendo con el tema de compartir historias y sentimientos en formas que son profundamente fortalecedoras, las asistentes se reunieron para dos sesiones especiales. Una, llamada *Seeing The Good in Others (Ver el lado positivo en otros)*, fue dirigido por Jenifer Fraker, y el otro, llamado *Chit Chat and Chocolate*, fue dirigido por Deena Lipinski, Heidi Lynch y Brittany Williams. En estas sesiones, las instructoras trabajaron conjuntamente para crear un espacio enriquecedor donde las participantes pudieran compartir sus historias y sentimientos. En uno de los ejercicios las mujeres debían usar una aplicación en el celular para enviar palabras de fortalecimiento a otra mujer que estaba compartiendo su historia. Más tarde, estas palabras fueron enmarcadas en un cuadro a manera de souvenir personal el cual podrían llevarse a casa como recordatorio de lo que habían compartido.







El retiro ofreció muchas oportunidades para que las mujeres se reunieran en grupos pequeños, pudieran hacer nuevas amistades y compartir fortaleza y apoyo. Todas se fueron sintiéndose fortalecidas, renovados y equipados con herramientas y conexiones para toda la vida.

Si tiene interés en asistir a los retiros del 2020, visite nuestro sitio web en hemob.org para obtener más información y registrarse a medida que se encuentre disponible o envíe un correo electrónico a farrahm@hemob.org

La Coalition for Hemophilia B desea expresar un profundo agradecimiento al patrocinador del evento, Sanofi Genzyme. También nos gustaría agradecer a los muchos presentadores, voluntarios, miembros del equipo y, por supuesto, a las participantes por haber hecho posible este increíble programa.



COMENTARIOS DE LAS ASISTENTES

“Estuve tan feliz de poder asistir al retiro y finalmente conocer a otras mujeres dentro de la comunidad de hemofilia B. Esta fue mi primer evento en cualquier organización de hemofilia, y me sentí conectada al instante. Honestamente puedo decir que estas mujeres serán mis amigas de por vida. Cada día que recuerdo sus historias, siento que puedo perseverar a través de cualquier obstáculo que surja en nuestra vida en lo relacionado con la hemofilia”. - T. P.

“El retiro me dio la oportunidad de ser yo misma: no la esposa, la madre o la maestra, solo yo. Fue una experiencia increíble. Volví renovada y con dos cosas importantes: conocimiento para ayudarme a ser una mejor esposa, madre y maestra, y nuevas amistades increíbles. Gracias por apoyar tanto a las mujeres en nuestra comunidad”. - J. F.

“¡Aprendí mucho! Fue mi primera vez en asistir y me hicieron sentir muy bienvenida. Gracias al equipo de la Coalition y a todos las mujeres maravillosas que conocí y que compartieron abiertamente desde lo profundo de sus almas. Me siento muy agradecida por esta oportunidad. Este es un programa muy fortalecedor”. - K. S.



NOTICIAS DE TRATAMIENTO

Por el Dr. David Clark

Las empresas de terapia génica publican una guía de ética

27/08/19 La Alianza para la Medicina Regenerativa (ARM), un grupo industrial de compañías de terapia génica, publicó el Statement of Principles (Declaración de Principios) que establece un marco ético para la edición de genes. La declaración incluye la aprobación de la edición de genes en células somáticas (cualquier célula de el cuerpo excepto las células reproductivas) y una desaprobación para la edición de células reproductivas. También apoyan el uso de estándares y marcos regulatorios en el desarrollo de métodos seguros de edición de genes. Según ARM, "Las tecnologías de edición genética no se han desarrollado lo suficiente como para conducir ensayos apropiados de edición en células humanas germinales [reproductivas]. Muchas cuestiones importantes de seguridad, ética, legalidad y problemas sociales relacionados con este tipo de edición de genes permanecen sin ser resueltas. La declaración ARM fue en parte una respuesta al caso de las gemelas nacidas en China que fueron las primeras bebés modificadas por edición genética. [Comunicado de prensa de la Alliance for Regenerative Medicine 27/08/19]

Informes del progreso de los catalizadores DalcA y



7/11/19 Catalyst Biosciences proporcionó noticias sobre dos de sus productos en desarrollo durante su actualización corporativa del tercer trimestre. Dalcinonacog alfa (DalcA) es una variante del factor IX de actividad elevada y vida media que se está desarrollando como un tratamiento subcutáneo para la hemofilia B. En su estudio de Fase IIb, los dos pacientes tratados hasta el momento han superado la meta primaria de eficacia (un objetivo para el estudio) de más del 12% de actividad del factor IX, sin evidencia de desarrollo de inhibidores. Esperan informar los resultados del estudio final en el primer semestre de 2020.

Marzeptacog alfa (activado) (MarZAA) es un tratamiento subcutáneo, variante activado del factor VII para el tratamiento de la hemofilia A y B en pacientes con inhibidores. Los resultados finales de su estudio de fase II mostraron reducciones del promedio en la tasa anual de sangrado (ABR) de 19.8 a 1.6 mientras cumple con todas las metas secundarias de seguridad, tolerabilidad y ausencia de formación de inhibidores. Siete de los nueve pacientes no presentaron hemorragias en el nivel de su dosis final. Planean comenzar un estudio de Fase III en 2020. Catalyst también está realizando un estudio de fase I para refinar aún más la farmacocinética y la selección de dosis. [Comunicado de prensa de Catalyst 7/11/19]

Terapia génica catalizadora

8/1/19 Catalyst Biosciences tiene tecnología AAV con licencia de Stanford University para terapia génica y actualmente está optimizando el vector AAV. [Comunicado de prensa del catalizador 8/1/19]

La FDA anuncia nuevos raras Iniciativas de enfermedades



22/10/19 En la conferencia de la National Organization for Rare Diseases (Organización Nacional de Enfermedades Raras) (NORD), el Dr. Norman Sharpless, Comisionado interino de la FDA, describió la nueva iniciativa de la FDA denominada *Rare Disease Cures Accelerator (Acelerador de curaciones para enfermedades raras)* (RDCA), la cual tiene el objetivo de acelerar el desarrollo de medicamentos para tratar al menos 7000 enfermedades raras (incluidas hemofilia) que afectan a 25,000 - 30,000 personas en los EE. UU. Planean establecer una mayor cooperación y colaboración en encontrar estrategias para la investigación y el desarrollo de tratamientos para las enfermedades raras. Además de esto, la FDA planea ofrecer asistencia financiera para investigadores que estudian enfermedades raras. Ellos también esperan atraer más voces de pacientes y datos al campo. [FDA.gov; "Dr. Sharpless's remarks to the 2019 NORD Conference on Rare Diseases"]

Las variantes del Factor X muestran eficacia en animales hemofílicos



9/9/19 Freeline Therapeutics, una compañía británica de terapia génica, anunció resultados actualizados para su tratamiento de terapia génica con hemofilia B, FLT180a. Los dos primeros pacientes, que fueron tratados con una dosis baja del producto en Fase I / II del estudio, mostraron niveles estables del factor IX de $40.0 \pm 5.5\%$ durante 66 y 74 semanas después del tratamiento. No hubieron reacciones relacionadas con la infusión y no se encontró evidencia de inflamación del hígado. [Comunicado de prensa de Freeline 9/9/19]

Las variantes del Factor X muestran eficacia en animales hemofílicos

Factor VIII (FVIII) y factor IX (FIX) trabajan juntos en el cascada de coagulación para activar el factor X. Esa es la razón por la que una deficiencia de FVIII o FIX produce similares síntomas en la hemofilia A o B, respectivamente. Si cualquiera de los FVIII o FIX falta, el proceso de coagulación se detiene en el paso VIII / IX y no puede continuar. Varios grupos están trabajando en productos del factor X como posibles tratamientos para la hemofilia A y B. El factor X activado (FXa) no necesitaría factores VIII o IX para producir la coagulación. Sin embargo, el FXa

puede ser tóxico porque es relativamente incontrolable en el proceso de coagulación y puede producir trombosis grave (demasiada coagulación). FXa también tiene una vida media muy corta de solo unos 50 minutos.

Los diversos grupos que trabajan en FX están utilizando dos diferentes enfoques. Uno es crear una molécula FXa modificada que tenga una actividad menor y, por lo tanto, pueda ser controlada más fácilmente. El otro es hacer un FX que pueda ser activado por la trombina, una proteína generada durante varias etapas en el proceso de coagulación. De esa manera, el FX puede circular de forma segura y de un modo inactivo hasta que se necesite. Tenga en cuenta que estos productos deberían funcionar tanto para la hemofilia A como para la B y para pacientes con inhibidores. Dos grupos de Francia han publicado recientemente los resultados de sus productos FX en desarrollo:

22/10/19 Un grupo de institutos de investigación franceses y el Nantes HTC informaron sobre estudios en ratones con hemofilia A (ratones deficientes en factor VIII) con un trombina activable FX. Encontraron una mejor coagulación en comparación a los ratones de control que recibieron un placebo. Ellos también midieron el nivel de la coagulación en el laboratorio utilizando plasma de pacientes con hemofilia A y B, incluida una paciente A con inhibidores. Toda la las muestras mostraron una mejor coagulación después de ser complementadas con El FX modificado. [Muczynski et al., Thrombosis and Haemostasis, Epub antes de imprimir 22/10/19]

7/11/19 Un grupo de LFB Biotechnologies, una empresa francesa de biotecnología, está trabajando en una trombina activable del factor X llamado Actiten. Lo han intentado previamente en ensayos de coagulación de laboratorio con el factor VIII (hemofilia A) y plasma deficientes, algunas de pacientes con inhibidores, y en plasmas deficientes del factor X. Logró corregir el defecto hemostático (la falta de capacidad de coagulación) en los plasmas. En el informe actual, han demostrado que normalizó el tiempo de coagulación en conejos con hemofilia A, que era bien controlado por el sistema anticoagulante y que no produjo evidencia de trombosis (demasiada coagulación) [Abache et al., Haematologica, Epub antes de imprimir 7/11/19]

LogicBio muestra la durabilidad de FIX Expresión en ratones

23/10/19 LogicBio Therapeutics está desarrollando vectores de virus AAV modificados para tratamientos de terapia génica de pacientes pediátricos con hemofilia B. Genes transportados a las células hepáticas por sus vectores GeneRide™ patentados se integrarán en los genomas de las células (la copia completa de todos los genes del cuerpo que están en cada célula), a diferencia de la mayoría de los métodos actuales que intencionalmente no quieren que sus genes se integren en el genoma. El tratamiento de los pacientes pediátricos

es un objetivo importante porque los niños comienzan a desarrollar degradación articular a una edad temprana. Cuando las células del hígado se dividen, cada célula nueva tiene un copia de todos los genes que están en el genoma de los cromosomas (estructuras en el núcleo de una célula que contienen todos los genes) de la célula en división. Sin embargo, con la mayoría de los métodos actuales de terapia génica, el nuevo gen permanece como una molécula independiente en el núcleo celular, no en el cromosoma. Los genes que no se han integrado se pierden cuando la célula se divide. Este no es un gran problema para los adultos, puesto que su hígado ya está desarrollado, pero en un paciente pediátrico, el nuevo gen terapéutico se perdería rápidamente ya que sus hígados están creciendo rápidamente por medio de la división celular.

El uso actual de genes no integrables para la terapia génica es un asunto de precaución y seguridad. La mayor parte de los estudios anteriores de terapia génica utilizaron genes integradores, pero los genes simplemente se insertaban al azar en el genoma. Ellos no hicieron ningún intento de controlar dónde se insertaba el nuevo gen, y en dos pacientes (en estudios no relacionados con la hemofilia) los nuevos genes se insertaron en ubicaciones que inadvertidamente activaron a los genes del cáncer, ocasionando leucemia a los pacientes. Después de esto, hubo un aplazamiento en los estudios de terapia génica clínicos (en humanos) hasta que se pudiera entender mejor el proceso y controlarlo mejor.

Después de mucha investigación, los estudios se reanudaron gradualmente. La mayoría de los nuevos tratamientos usan vectores no integrables. Esa es una respuesta más simple pero elimina la posibilidad de tratamiento de pacientes más jóvenes. Sin embargo, varias organizaciones, incluyendo LogicBio, han decidido atacar el problema más directamente usando métodos de edición de genes para integrar su nuevo gen del factor IX en el genoma en una ubicación donde no causará problemas. Hasta ahora, todas estas compañías están insertando su nuevo gen del factor IX en el gen de la albúmina. La albúmina es la proteína más prevalente en el plasma. Al poner el nuevo gen bajo el control de la albúmina (la sección de ADN que controla cuánto proteína se produce), puede producir mucho factor IX, sin El peligro de causar cáncer u otro trastorno.

LogicBio ha demostrado que su método funciona en ratones jóvenes. Han demostrado una expresión duradera (continua) de factor IX a niveles del 50% de lo normal o mayor sin efectos secundarios graves. Estos son resultados prometedores que podrían conducir al tratamiento futuro de pacientes pediátricos. [Comunicado de prensa de LogicBio 16/10/19 y pósteres presentados en el European Society of Gene and Cell Therapy Annual Congress, 23/10/19]

Mitsubishi Tanabe ingresa en la carrera de la terapia génica para la hemofilia B

8/6/19 Mitsubishi Tanabe Pharma, una empresa farmacéutica japonesa, se está uniendo con la Jichi Medical University para desarrollar un tratamiento de terapia génica para la hemofilia B. Ellos utilizarán un vector de virus adeno-asociado (AAV, por sus siglas en inglés), pero poco más ha sido anunciado. El proyecto está siendo financiado por un subsidio de la Japan Agency for Medical Research and Development (Agencia Médica de Investigación y Desarrollo de Japón). [Comunicado de prensa de Mitsubishi Tanabe Pharma 8/6/19]



Estudio de seguridad para NovoSeven

18/09/19 Un estudio reciente muestra que la tasa de eventos tromboticos (coagulación no deseada) para NovoSeven en el tratamiento de pacientes con hemofilia A y B y con inhibidores permanece bajo, como se observó originalmente en estudios clínicos del 1999 al 2009. Sólo se han producido 21 eventos tromboticos, observados en 18 pacientes, los cuales fueron tratados por 12,288 hemorragias y episodios quirúrgicos. Los factores de riesgo para la trombosis incluyen tratamiento simultáneo con FEIBA y pacientes con un antecedente de enfermedades cardíacas (corazón) y enfermedades cardiovasculares (vasos sanguíneos). [Rajpurkar et al., J. Blood Med., 10: 335-340, 2019]



Seguridad y efectividad de Concizumab de Novo en estudios de fase II

23/08/19 Novo Nordisk está desarrollando Concizumab como inhibidor del anticoagulante Tissue Factor Pathway Inhibitor (Inhibidor de la vía del factor tisular) (TFPI, por sus siglas en inglés). Este es uno de varios fármacos en desarrollo utilizados para restaurar la coagulación por medio de una modificación en el sistema de coagulación. Los anticoagulantes son los “frenos” en el proceso de coagulación que lo mantiene bajo control para que la sangre solo coagule cuando sea necesario. Al reducir la actividad de TFPI (inhibición del inhibidor), Concizumab “reduce los frenos” un poco para permitir la coagulación, incluso en ausencia de factores VIII y IX. Esto debería funcionar tanto para pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores (hacia el factor VIII o IX).



Un estudio de fase II se realizó en pacientes con hemofilia A sin inhibidores y otro con pacientes con hemofilia A o B con inhibidores. Concizumab, administrado diariamente por medio de inyección subcutánea, no produjo eventos adversos graves o resultados tromboembólicos (demasiada coagulación). Se observaron reducciones significativas en la tasa anual de las hemorragias (ABR). Novo continúa con los estudios de Fase III.

Según la Dra. Amy Shapiro, una de las líderes del estudio, “La población más crítica para la cual existen necesidades insatisfechas son los pacientes deficientes en el factor IX con inhibidores”. [Shapiro et al., Blood, epub antes de imprimir 23/8/19]

Informes de Pfizer sobre el inhibidor TFPI Marstacimab

23/7/19 Pfizer está desarrollando Marstacimab (anteriormente PF-06741086) como otro inhibidor de TFPI - ver arriba. Marstacimab Actualmente se encuentra en estudios clínicos para el tratamiento tanto de la hemofilia A como B. Pfizer publicó los resultados de estudios de laboratorio que analizan cómo funciona el Marstacimab en ensayos de coagulación (pruebas) tanto en sangre y plasma normal como con hemofilia (sangre o plasma de un paciente con hemofilia). Descubrieron que funciona tan bien como el factor VIII o IX recombinante en los ensayos. Pfizer actualmente está reclutando para un estudio clínico de fase II a largo plazo de el tratamiento. [Patel-Hett et al., Hemofilia, Epub antes de imprimir 23/7/19]



Pfizer anuncia expansión de producción de terapia génica en Carolina del Norte

22/08/19 Pfizer adquirió Sanford, instalaciones de fabricación de Carolina del Norte, NC, en el año 2009 como parte de su compra de Wyeth Pharmaceuticals y BeneFIX. Ellos invirtieron \$100 millones de dólares en la instalación en el 2007 y han anunciado que gastarán \$500 millones adicionales en la instalación para apoyar la producción de terapia génica. Pfizer actualmente tiene en desarrollo tres tratamientos de terapias genéticas en etapa clínica más diez proyectos preclínicos. Uno de los programas en etapa clínica es su terapia génica para hemofilia B, adquirida de Spark Therapeutics.



Pfizer está concentrando actualmente la mayor parte de su operaciones de terapia génica en Carolina del Norte. Tienen una instalación de desarrollo a pequeña escala en Kite Creek, una instalación de desarrollo y optimización de procesos a mediana escala en Chapel Hill, así como una instalación de producción a gran escala la cual se está construyendo actualmente en Sanford. Pfizer está invirtiendo considerablemente en terapias de genes. Además de la compra del tratamiento para hemofilia B de Spark, compraron Bamboo Therapeutics en 2016 y en marzo de 2019 acordaron comprar varias terapias genéticas en desarrollo de Vivet Therapeutics. Ellos también están licenciando tecnología de Asklepios BioPharmaceutical (AskBio) para la planta de Sanford. AskBio's Jude Samulski fue uno de los primeros que desarrollaron la terapia génica AAV, desde el año 1978. [Comunicados de prensa de Pfizer y AskBio más artículos de noticias de Reuters, Bloomberg y BioSpace]

Restablecimiento de un analgésico para la artropatía hemofílica



10/9/19 Tremeau Pharmaceuticals está re-desarrollando Rofecoxib como un tratamiento para el dolor causado por la artropatía hemofílica (daño en articulaciones). Bajo el nombre comercial Vioxx, rofecoxib fue uno de varios inhibidores de COX-2 que fueron medicamentos para controlar el dolor de éxito, hasta que varios fueron retirados del mercado en 2004. Se descubrió que los medicamentos descontinuados podían duplicar el riesgo de ataque cardíaco derrame cerebral en algunos pacientes. La ventaja del fármaco Vioxx's era que no causaba problemas de sangrado gastrointestinal. Esto fue un duro golpe para la comunidad de hemofilia porque Vioxx era excelente para reducir el dolor articular.

Ahora que el mecanismo por el cual Rofecoxib causaba problemas cardiovasculares se comprende mejor, Tremeau cree que podría ser utilizado de nuevo. Su uso sería limitado a pacientes de bajo riesgo que serían monitoreados de cerca por los efectos secundarios. Tremeau ha anunciado están en conversaciones activas con la FDA y la comunidad de la hemofilia y planea comenzar un estudio clínico de fase III de Rofecoxib en 2020. [Artículo de STAT News, 10/9/19]

uniQure completa la inscripción para estudio de terapia génica

3/9/19 uniQure está desarrollando un tratamiento de terapia génica para hemofilia B llamado AMT-061, su nombre genérico es etranacogene dezaparvec. Actualmente están en la fase III del estudio clínico, esta es la fase final antes de la solicitud para la licencia. Ellos anunciaron que han inscrito a los 56 pacientes planeados para el estudio, y que debido al gran interés en el tratamiento, probablemente se sobre inscriba un grupo adicional de seis pacientes. Todos los participantes del estudio son evaluados para encontrar anticuerpos preexistentes contra el vector AAV5, pero ninguno de los

pacientes ha sido excluido debido a que presente estos anticuerpos. Estudios previos de uniQure sugieren que el vector AAV5 puede ser viable para el 97% de todos los pacientes con hemofilia severa y moderadamente severa. Los sujetos serán seguidos durante cinco años después del tratamiento. UniQure espera proporcionar resultados preliminares del estudio de la fase III para fines del 2020 y presentar una BLA (Solicitud de licencia de productos biológicos) a la FDA en 2021. [comunicados de prensa de uniQure 3/9/19 y 28/10/19]

30/10/19 uniQure anunció nuevos resultados provisionales de los tres pacientes tratados en su estudio de fase IIb de AMT-061. A las 26 semanas después del tratamiento, los pacientes presentaron niveles de factor IX de 33 a 57% de lo normal. Los pacientes no experimentaron ningún sangrado y ninguno de ellos requirió infusiones de productos de factor. [Von Drygalski et al., Blood Advances, Epub antes de imprimir 30/10/19]

UniQure anuncia oferta de acciones al público

4/9/19 uniQure, una compañía que desarrolla una terapia génica para la hemofilia B, anunció que han comenzado a ofrecer al público acciones en su inventario. Esperan recaudar aproximadamente \$ 225 millones para apoyar su continua actividad del desarrollo de productos. [comunicado de prensa de uniQure 4/9/19]

UniQure anuncia la tercera patente para variante de Padua de factor IX

5/11/19 uniQure anunció la emisión de su tercera patente de los Estados Unidos la cual cubre el uso de la variante Padua del factor IX. La variante de Padua es una mutación del factor IX de alta actividad que fue descubierta en una familia en Padua, Italia. Esta y otras variantes de alta actividad han demostrado ser prometedoras tanto en el reemplazo de factores como en estudios de terapia génica en progreso. [comunicado de prensa de uniQure 10/5/19]



Resultados suecos sobre hipertensión y enfermedad cardiovascular



17/7/19 Debido al sistema nacional de sanidad, todos los pacientes suecos con hemofilia (A y B) han recibido profilaxis por décadas. Los registros de sus datos proporcionan un gran recurso de información para estudiar los efectos de la hemofilia y su tratamiento sobre la salud. Un informe publicado recientemente encontró que los pacientes con hemofilia suecos tienen un aumento en la incidencia de hipertensión (presión arterial alta: HBP, por sus siglas en inglés) en comparación con el grupo de control (personas de género y edad similar pero sin hemofilia). Los investigadores encontraron que el 19.7% de los pacientes con hemofilia habían sido diagnosticados con HBP, en comparación con el 11,2% para el grupo de control. Pacientes con hepatitis, pero no con VIH, tenían un riesgo de 3.3 veces mayor de HBP que el grupo de control. Esta diferencia se aplica tanto a pacientes graves como a leves o moderados. El estudio encontró tasas similares de enfermedad cardíaca en pacientes y el grupo de control, pero un menor porcentaje de muertes entre los pacientes de hemofilia. HBP es un factor de riesgo importante para un derrame cerebral, pero los autores no examinaron esto. [Lövdahl et al., Thromb Res, 181, 106-111, 2019]

Los factores de coagulación son efectivos contra bacterias resistentes a los medicamentos

8/9/19 La mayoría de las cosas en el cuerpo, ya sean moléculas u órganos, tienen múltiples funciones. Además de la coagulación, el factor IX, por ejemplo, parece jugar un papel separado en la curación de las heridas. Actualmente un grupo de investigadores chinos han descubierto que los factores VII, IX y X también tiene efectos antibacterianos. Estos tres factores son parte de un grupo más grande de factores de coagulación y anticoagulantes que tienen estructuras químicas similares. Se les llaman Proteínas dependientes de vitamina K (VKDP, por sus siglas en inglés) porque dependen de la vitamina K para su producción en el cuerpo. Cuando los tres los factores de coagulación se activan, se dividen en dos secciones, una cadena pesada y una cadena ligera (LC, por sus siglas en inglés). Los investigadores encontraron que los LC tienen actividad contra bacterias Gram-negativas, incluyendo varias formas resistentes a los medicamentos. Los LC causan la ruptura de la pared celular bacteriana, destruyendo a la bacteria. Esta función previamente desconocida es aparentemente parte del complejo proceso del cuerpo para proteger y sanarse a sí mismo después de una lesión. [Chen et al., Cell Res, Epub antes de imprimir 8/9/19]

Tratamiento para pacientes con alergias al factor

22/8/19 Joe MacDonald y su esposa Cazandra son los padres de dos hijos con hemofilia A. Ellos son muy activos en la comunidad de hemofilia y ambos escriben regularmente para Hemophilia News Today . Su hijo menor se desarrolló una alergia al factor VIII (FVIII), lo que significaba que este factor no podía ser usado para tratarlo. Su caso es solo el tercero que reporta una alergia al FVIII, aunque pacientes con inhibidores de la hemofilia B a menudo desarrollan alergias al factor IX. Evitando agentes que se utilizan para tratar inhibidores ayudó un poco, pero como Joe escribe: "Mi familia vivía con miedo, preguntándose si el hospital llegaría a ser nuestro segundo hogar".

Un día, Joe y Cazandra pensaron: "¿Por qué no tratar esto como se trata la alergia al maní?" Mientras trabajaban con sus hematólogos y un alergólogo del National Jewish Health Hospital en Denver, decidieron probar un medicamento llamado Xolair, que se usa para tratar pacientes con asma alérgica. Después de finalmente convencer a su compañía de seguros para aprobar sus reclamos, su hijo fue tratado con FVIII y Xolair durante dos años. Este el régimen finalmente eliminó la alergia de su hijo, y ahora cinco años después de su primer tratamiento con Xolair, su hijo ya no está en silla de ruedas, juega baloncesto y monta su bicicleta.

Un planteamiento como este podría ayudar a pacientes con la hemofilia B que presentan alergias al factor IX. Esto es altamente experimental y solo se ha probado en esta ocasión, pero usted se encuentra en una posición similar, valdría la pena hablar con su hematólogo. Un enlace al artículo de Joe está abajo. [<https://hemophilianewstoday.com/2019/08/22/allergyfactor-viii-xolair-omalizumab-leap-faith/>]

Alerta de seguridad de la FDA para tratamientos contra la hepatitis C



28/08/19 La FDA lanzó un anuncio de seguridad sobre el uso de Mavyret, Zepatier y Vosevi para el tratamiento de pacientes con hepatitis C. En casos raros, el tratamiento de pacientes con insuficiencia hepática, de moderada a severa, ha resultado en el empeoramiento de la función hepática o insuficiencia hepática. En la mayoría de los pacientes, los síntomas de empeoramiento o falla han mejorado después de interrumpir el tratamiento con los fármacos. Todas las drogas han sido ampliamente utilizadas, de manera segura y efectiva, en pacientes con insuficiencia hepática leve o nula

Los pacientes que toman estos medicamentos deben

comunicarse con su médico si desarrollan fatiga, debilidad, pérdida de apetito, náuseas y vómitos, ojos o piel amarillos o heces de color claro. No deje de tomar los medicamentos sin consultar antes con su médico, porque eso podría permitir que su hepatitis C retorne más fuerte, si no se trata más. [<https://www.fda.gov/drugs/drug-safety-and-availability/fda-advierte-sobre-rara-ocurrencia-grave-lesión-hepática-use-hepatitis-c-medicamentos-mavyret-zepatier-y>]

MASAC recomienda biopsias del hígado en estudios de terapia génica de hemofilia



8/14/19 MASAC, el Medical and Scientific Advisory Committee of the National Hemophilia Foundation (Comité Asesor Médico y Científico de la Fundación Nacional de la Hemofilia), emitió una recomendación sobre el uso de biopsias hepáticas en ensayos clínicos de terapia génica: MASAC Documento # 256. Debido a las muchas incógnitas sobre la manera en que el AAV apunta al hígado, MASAC recomienda a los productores que recojan en serie muestras de biopsias hepáticas de al menos algunos de los pacientes sometidos a tratamiento. Las biopsias “seriales” son muestras que se obtienen periódicamente durante el curso del tratamiento para ver realmente qué sucede en el hígado con el tiempo. La biopsia de hígado es un procedimiento invasivo que presenta un potencial de sangrado, pero el documento MASAC # 233, que se emitió en 2013, proporciona procedimientos y pautas para biopsias hepáticas seguras en pacientes con hemofilia. [Sitio web de NHF: documento MASAC # 256]

Los ensayos de reemplazo de factores deben incluir mujeres

3/9/19 Shellye Horowitz es una mujer con hemofilia A quien escribe una excelente columna para *Hemophilia News Today*. En un artículo reciente, ella aborda a la industria farmacéutica sobre la falta de ensayos clínicos en mujeres con hemofilia. Ella cita a un representante farmacéutico que le dijo: “No podemos realizar fácilmente investigaciones sobre mujeres con hemofilia ya que no sangran como los hombres”. Para mí (Dave), esa es exactamente la razón por la que necesitamos estudios sobre mujeres. Si sangran de manera diferente, necesitamos investigar más sobre esto y encontrar las mejores formas de tratarlas. Nunca he comprendido las dudas de las empresas para estudiar a las mujeres. Deberían estar ansiosos al percibir que tienen la posibilidad de lograr una expansión potencialmente enorme en su mercado.

Estoy impresionado y motivado por Shellye y todas las demás portadoras y las mujeres con hemofilia. Ellas han sido ignoradas por demasiado tiempo, y me alegro de que estén dejando oír sus voces. Todos necesitamos apoyar a nuestras hermanas de sangre, de las cuales muchas son cuidadoras y familiares. [hemophilianewstoday.com, 3/9/19]

Beneficio del ácido tranexámico en cirugías de reemplazo articular

4/9/19 Tan pronto como se forma un coágulo de sangre, un conjunto de proteínas en la sangre llamado sistema fibrinolítico (fibrina es la proteína que forma un coágulo y lisis significa desintegrar algo) comienza a descomponerlo. Esto es parte de el proceso de curación para eventualmente eliminar el coágulo a medida que se forman nuevos tejidos para curar la lesión. En una persona sin un trastorno de sangrado, el sistema de coagulación puede mantenerse fácilmente a la par con la actividad inicial fibrinolítica, como resultado se forma un coágulo sólido. Sin embargo, en una persona con hemofilia, el proceso de coagulación es más débil y no puede seguir el ritmo de la fibrinólisis, a raíz de esto se forman coágulos flojos y débiles. El ácido tranexámico (TXA, por sus siglas en inglés) inhibe el sistema fibrinolítico para disminuir o detener la separación de los coágulos. Los productos TXA en el mercado de estadounidense incluyen a Cyclokapron de Pfizer y Lysteda de Ferring.

El Amicar de Akorn es un medicamento antifibrinolítico similar que funciona de la misma manera. Estos productos pueden usarse tanto para hemofilia A y B, así como la enfermedad de von Willebrand (vWD, por sus siglas en inglés). A menudo se usan para procedimientos dentales y pueden ser utilizados para tratar hemorragias en personas con hemofilia leve y moderada.

Un grupo de investigadores de la Sichuan University en China. estudió el uso de TXA en cirugías de reemplazo articular en pacientes con hemofilia A. Encontraron que el uso de TXA (además del factor VIII normalmente utilizado) en el proceso perioperatorio (“peri” significa alrededor del tiempo de: es decir, poco antes, durante y después de la cirugía) tuvo una serie de beneficios. Los participantes del estudio presentaron disminución de pérdida de sangre, menores tasas de transfusiones, menor consumo de factor VIII, reducción de inflamación y dolor en las articulaciones, disminución de inflamación y mejor función articular después de la cirugía. Aunque el estudio fue realizado en pacientes con hemofilia A que fueron sometidos a cirugías de reemplazo de cadera y rodilla, es probable que los resultados también se apliquen a pacientes con hemofilia B y vWD y en otros tipos de articulaciones. Se necesita más investigación, pero este es un prometedor resultado. [Huang et al, *BMC Musculoskeletal Disorders*, Epub antes de imprimir 4/9/19]

Número de personas con hemofilia superior a los estimados anteriores

10/09/19 Siempre ha habido una gran variación en el número de estimado de pacientes con hemofilia en el mundo. Un grupo de investigadores en colaboración con el World Federation of Hemophilia (WFH, por sus siglas en inglés) ha publicado un nuevo estudio concerniente a la prevalencia de la hemofilia. Ellos miraron datos de registro de Australia, Canadá, Francia, Italia, Nuevo Zelanda y el Reino Unido. Como todos estos países tienen asistencia médica del gobierno, los registros contienen información

sobre casi todos los pacientes en estos países. Además, los pacientes de estos países tienen más probabilidades de ser identificados y tratados.

Encontraron que la prevalencia al nacer para la hemofilia B es 5.0 casos por 100,000 nacimientos masculinos para todas las severidades y 1.5 por 100,000 para la hemofilia B severa. La prevalencia en la población general es de 3.8 por 100,000 para todas las severidades y 1.1 por 100,000. (los números respectivos para la hemofilia A son 24.6, 9.5, 17.1 y 6.0.) Observe que solo se tuvieron en cuenta a los varones. La diferencia entre la prevalencia al nacer y la prevalencia en la población general representa la mortalidad (muertes) en el población de todas las causas, no solo de la hemofilia. De estos datos se calcula una desventaja en la expectativa de vida, lo cual es un indicador de la reducción de la expectativa de vida comparada con el de las personas sin hemofilia. Para la hemofilia B, la desventaja (en países de altos ingresos como los estudiados) es 24% para todas las severidades y 27% para severos. (30% y 37% para A) Esto sugiere que incluso en países desarrollados, el cuidado de la hemofilia podría mejorarse.

Los autores estiman que en realidad hay aproximadamente 1,125,000 personas con hemofilia (A o B) en el mundo, 418,000 que son severos. Esto se compara con 196,706 pacientes de hemofilia que se habían identificado previamente. Se cree que la gran cantidad de pacientes incontables se encuentran principalmente en países subdesarrollados, lo que demuestra la gran necesidad de identificación y tratamiento en todo el mundo.

Según las últimas estimaciones de las Naciones Unidas para el 11 de septiembre, 2019, el número de la población de los Estados Unidos fue de 329,446,037. Según este número, habría aproximadamente 12,500 pacientes con hemofilia B en los Estados Unidos, 3600 son graves. Eso es aproximadamente tres veces más del estimado de 4000 pacientes que hemos estado usando anteriormente. De nuevo, esto representa un gran número de pacientes potencialmente no tratados. [lorio et al., *Annals of Internal Medicine*, Epub antes de imprimir 9/10/19]

Interrelación entre la depresión, la ansiedad, el dolor y adherencia en la hemofilia

20/09/19 En una encuesta de 200 pacientes con hemofilia A y B, la mayoría de los que participaron reportaron haber tenido síntomas de depresión y/o ansiedad, y más de la mitad de ellos no habían sido diagnosticados previamente. La depresión y la ansiedad están vinculadas, y pacientes con ansiedad/depresión moderada a severa son propensos a no adherirse a su régimen prescrito de factor de coagulación. Estos pacientes también tienden a tener más dolor incontrolado y menos apoyo social (amigos de la familia). Los autores sugieren que el diagnóstico y el tratamiento de la depresión/ansiedad puede mejorar la adherencia al tratamiento y mejorar el nivel de control del dolor en pacientes con hemofilia.

[Witkop et al., *Patient Preference and Adherence*, 13: 1577- 1587, 2019]

¡Duerma más!

10/2/19 Un estudio reciente de Penn State indica que los pacientes con factores de riesgo cardíaco, incluida la hipertensión (alta presión) tienen más del doble de probabilidades de morir de enfermedades cardíacas o derrame cerebral si regularmente duerme menos de seis horas al día. Esto es importante para los pacientes con hemofilia ya que tienden a tener presión arterial más alta que los pacientes sin hemofilia. La presión arterial alta es un asesino silencioso y muchos pacientes con hemofilia no se dan cuenta de que pueden verse afectados. ¡Así que revise su presión arterial y a dormir!



Algunas personas piensan que la hemofilia los protege de ataques al corazón. Si bien se sabe poco sobre los riesgos, investigación reciente sugiere que los pacientes con hemofilia tienen tantos ataques cardíacos como la población general, ellos simplemente no mueren de ellos tan a menudo. Sin embargo, el daño causado por un ataque cardíaco que no es fatal, puede ser impactante y puede resultar en una calidad de vida significativamente menor. [Fernández-Mendoza et al., *Journal of the American Heart Association*, Epub antes de imprimir 10/2/19]

Cómo encontrar tratamiento sensible de hemofilia para mujeres



8/10/19 Shellye Horowitz escribe una columna para Hemophilia News Today acerca de su vida como mujer con hemofilia. Esta semana, ella describe cómo al alejarse de su HTC (centro de tratamiento para la hemofilia) se encuentran muchas frustraciones al momento de localizar atención en una zona rural. Ella brinda una serie de consejos útiles basados en sus experiencias. [hemophilianewstoday.com, 18/10/19]

Los humanos tienen la capacidad de regenerar cartílago en las articulaciones dañadas



10/9/19 Normalmente se creía que una vez dañada la articulación, esta no podía repararse sola. Sin embargo, esa suposición está siendo cuestionada. Primero, se han presentado algunos relatos anecdóticos (historias personales, no investigación científica formal) de la recuperación en las articulaciones de los pacientes con hemofilia A mientras se encuentran bajo el tratamiento de Hemlibra. Actualmente, un estudio de la Duke University School of Medicine muestra que los humanos pueden que tengan una capacidad oculta para regenerar el cartílago y los tendones en las articulaciones.

Los animales como las salamandras y el pez cebra pueden volver a regenerar secciones enteras. Investigaciones recientes han demostrado que estos animales tienen una capacidad nativa de regeneración

que depende del microARN (miARN; pequeñas moléculas de material genético del ARN que controlan los genes). Al investigar el cartílago humano eliminado en cirugías de reemplazo articular, los investigadores de Duke pudieron determinar que los humanos también tienen cierta capacidad para renovar el cartílago la cual es controlada por miRNA. Mientras que la capacidad humana es limitada, la investigación adicional puede encontrar formas para mejorar esa capacidad de curar articulaciones, e incluso establecer un método para regenerar secciones enteras. [Hsueh et al., Science Advances, 5 (10): eaax3203, 2019]

Defectos óseos detectados al nacer en ratones con hemofilia

8/10/19 El daño articular es uno de los problemas principales en hemofilia, pero los problemas menos reconocidos incluyen a la osteopenia (pérdida ósea) y la osteoporosis (baja densidad de los huesos). Al utilizar ratones con hemofilia A o B o con la enfermedad de von Willebrand (vWD, por sus siglas en inglés), un equipo internacional de investigadores observaron el efecto de la carencia de factores en la densidad e integridad ósea. Encontraron que una completa ausencia de factor VIII o IX tuvo como consecuencia la osteoporosis congénita (presente desde el nacimiento). En contraste, la completa carencia de factor en von Willebrand (vWF) no tuvo ningún efecto. El daño en las articulaciones causó más daño óseo, posiblemente debido a cambios durante la curación articular. Se necesitan más estudios para comprender los mecanismos detrás de estos hallazgos. [Taves et al., Scientific Reports, Epub antes de imprimir 8/10/19]

Menos polifarmacia en pacientes mayores con hemofilia

1/9/19 Un artículo del Dr. P. M. Mannucci de Italia muestra que pacientes mayores de hemofilia tienen tasas más bajas de polifarmacia (uso de múltiples medicamentos recetados) que pacientes de la misma edad sin hemofilia. Los pacientes mayores tienden a necesitar más medicamentos, pero eso aumenta el riesgo de los efectos secundarios e interacciones farmacológicas, lo que conduce a más ingresos hospitalarios y mala adherencia al los tratamientos. El Dr. Mannucci cree que la tasa más baja de polifarmacia en pacientes con hemofilia mayores puede deberse al hecho de que a menudo son tratados en un HTC, los cuales tienden a tomar una visión más colectiva de la salud de sus pacientes. [Mannucci, Mediterr. J. Hematol. Infect. Dis., Epub antes de imprimir 1/9/19]

Novo patrocina estudio de desarrollo cerebral en niños con hemofilia

8/10/19 La mayoría de la información que se sabe sobre desarrollo cerebral en niños con la hemofilia proviene de Hemophilia Growth and Development Study (Estudio del desarrollo y crecimiento de la hemofilia, HGDS, por sus siglas en inglés) que se publicó en el año 1994. Los resultados del HGDS indicaron que los niños



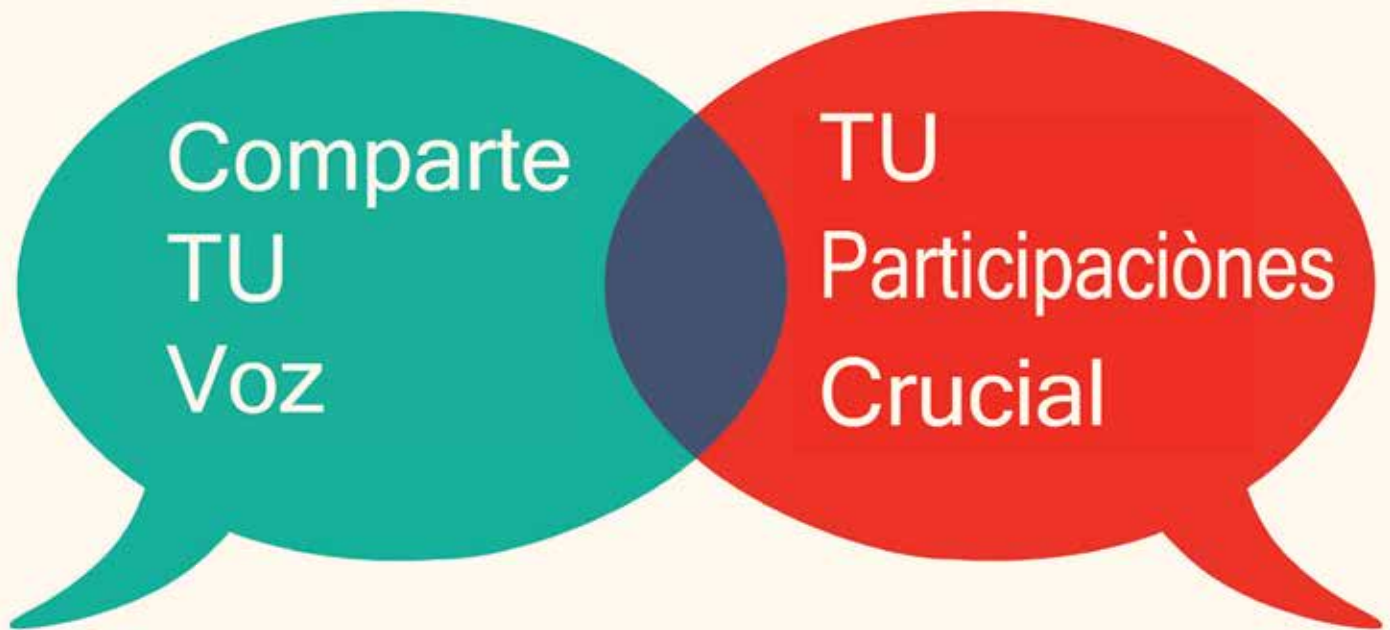
con hemofilia presentaron un aumento de disfunción cerebral, menor grado de inteligencia, habilidades académicas y adaptativas más bajas y más problemas emocionales y de conducta.

Desde entonces ha habido una serie de cambios en la población y los tratamientos. Actualmente la mayoría de los niños reciben tratamiento profiláctico, y hay menos pacientes con comorbilidades como la hepatitis C y el SIDA. Por lo tanto, Novo Nordisk ha comenzado el Evolving Treatment of Hemophilia's Impacto on Neurodevelopment, Intelligence and Other Cognitive Functions (Tratamiento evolutivo del impacto de la hemofilia en el desarrollo neurológico, la inteligencia, y otras funciones cognitivas, eThink, por sus siglas en inglés) para actualizar los resultados. Esperan inscribir a unos 510 niños entre edades de 1 año a 21 años con hemofilia A o B. El estudio se realizará principalmente a través de cuestionarios que completará el paciente o sus padres/cuidadores. Si usted o su hijo están interesados en participar, puede encontrar más información y contactos en clinicaltrials.gov bajo estudio NCT03660774, o en su centro de tratamiento de hemofilia. [Buranahirun et al., Pediatric Blood & Cancer, Epub ahead of impresión 8/10/19]

Estudio holandés sobre influencia de factores en el cambio de tratamiento

11/6/19 Un estudio holandés reciente examinó las razones que los pacientes y los cuidadores proveen al hacer un cambio de productos en el tratamiento de la hemofilia. Los investigadores entrevistaron a doce pacientes y dos cuidadores que cubren todo tipos de hemofilia, incluyendo diferentes edades, estado de infección (VIH y VHC), e incluso algunos con miedo a las agujas. Los principales factores fueron: la facilidad de uso, el costo, el miedo a los tratamientos nuevos y las recomendaciones de los proveedores de atención médica. La mayoría de los sujetos se sentían cómodos con su tratamiento actual. El costo de los tratamientos era para ellos una enorme preocupación, seis sujetos informaron omitir infusiones para ahorrar dinero. Ocho sujetos estaban dispuestos a cambiar, pero no veían la necesidad en el momento presente. Tres participantes más jóvenes con pocos problemas de sangrado dijeron que no sentían la necesidad para cambiar.

Todos los pacientes expresaron un miedo general a los tratamientos nuevos y no deseaban ser tratados como "conejiillos de indias" para los nuevos productos aprobados. También expresaron su temor a que los nuevos tratamientos no funcionaran para ellos. Un paciente informó sobre dos amigos que se habían inscrito en un ensayo de terapia génica. Uno de los amigos estaba contento porque el tratamiento había funcionado para él, pero el otro se había desanimado porque el tratamiento no le trabajó. En general, las recomendaciones de los médicos fueron consideradas como muy influyentes. [van Balen et al., The Patient, Epub antes de la impresión 11/6/19]



SE APROXIMA EN FEBRERO DE 2020 ENCUESTA PARA LOS MIEMBROS DE LA COALICIÓN

¿Por qué una encuesta?

- Nuestra última encuesta completa fue hecha hace más de 5 años.
- Los nuevos desarrollos exigen que hagamos un balance de las experiencias, necesidades y preocupaciones de los miembros a los que servimos.
- Sus respuestas nos proveen información útil para apoyar nuestros esfuerzos por mejorar o sostener los programas que ofrecemos y con la planificación de programas futuros.

Incentivo!

Los pacientes que completen la encuesta pueden participar en un sorteo separado para asistir a nuestro Simposio del 2020 en marzo en Orlando y recibir 4 entradas al Universal o un parque de diversiones de su elección. Para aquellos que completan la encuesta pero no puedan viajar, tendremos un segundo sorteo por el que pueden optar y le obsequiaremos un regalo de valor similar. Después de completar la encuesta, envíe un correo electrónico Farrahm@hemob.org con su nombre, número de teléfono y dirección de correo electrónico preferido para ser ingresado (sus respuestas a la encuesta son anónimas y no son vinculadas en modo alguno a los sorteos de premios).

**Todos los miembros recibirán una encuesta por correo.
¡Revise su buzón de correo electrónico y regular!
La encuesta es anónima.**

¡POR FAVOR COMPLETE LA ENCUESTA!

LA COALITION FOR HEMOPHILIA B

REUNIONES EN EL

CAMINO



Nuestros miembros nos dicen regularmente que una de las cosas favoritas sobre la Coalition for Hemophilia B es la amplia selección de oportunidades que brindamos para que conozcan a otros miembros de la comunidad, pasen tiempo juntos y aprendan dentro de un ambiente seguro y de apoyo. Para muchos, lo más destacado de estos programas es nuestro Simposio anual, el cual tendrá lugar este año, desde el jueves 19 de marzo a Domingo 22 de marzo de 2020, en el Renaissance Orlando at SeaWorld en Orlando, FL.

Para más información o para registrarse, visite: <https://www.hemob.org/symposium2020>).

Sin embargo, no todas las familias pueden viajar tan lejos o por tantos días. Por eso nosotros también organizamos una serie de programas durante todo el año tituladas “Reuniones familiares en el camino”. Esta serie de programas familiares gratuitas de un día se llevan a cabo en ciudades de todo el país durante todo el año, con un récord de 13 reuniones celebradas en 2019. En nuestra edición de verano de Factor Nine News (<https://www.hemob.org/newsletter>), informamos sobre la primera serie de reuniones que tuvieron lugar en Minneapolis, MN, St. Louis, MO, Boston, MA, Dallas, TX y Ann Arbor, MI. Después de un breve descanso, las reuniones se reanudaron en octubre, y finalmente llevaron la “On the Road MAGIC” (“La magia del camino”) a familias en ocho ciudades más.

¡Sigue leyendo!



Nuestra serie final de reuniones familiares en el camino comenzó el 19 de octubre en el Columbus Marriott Northwest en Dublin, OH. La reunión presentó una variedad de sesiones informativas dirigidas por destacados profesionales de todo el país. El objetivo era equipar a los participantes con herramientas prácticas e información que pudieran usar para mejorar la atención que se brindan a sí mismos y a los miembros de la familia.

En una sesión llamada *Learning from Experience: Living with Hemophilia B (Aprendiendo de las experiencias: viviendo con Hemofilia B)*, el Dr. Michael F. Guerrero, Director del Programa integral de hemostasia y trombosis en el Children's National Health System en Washington, D.C., proporcionó una actualización sobre los hallazgos del Estudio B-HERO-S (*Bridging Hemophilia B Experiences, Results and Opportunities into Solutions*), realizado por Novo Nordisk. El estudio presentó el resultado de la encuesta de 290 pacientes de hemofilia B y 150 cuidadores. Uno de los más significativos hallazgos fue el hecho de que la mayoría de los encuestados, incluidos aquellos con hemofilia B leve o moderada, informaron un impacto negativo en áreas como la educación, la vida laboral y la participación en actividades recreativas.

En otra sesión llamada *Constructive Conversations (Conversaciones constructivas)*, los participantes aprendieron y practicaron técnicas para incrementar la efectividad de su comunicación con proveedores de atención médica y así lograr mejores resultados. El taller fue dirigido por Michael Sager, agente de enlace del paciente con Pfizer Rare Disease.

Una de los puntos más destacado de cada reunión familiar es una actualización completa sobre las últimas innovaciones en tratamientos para hemofilia B. Los participantes aprenden no solo sobre mejoras de las

terapias de factor de coagulación pero también sobre nuevas tecnologías como inyecciones subcutáneas y terapia genética. En Columbus, la sesión fue presentada por David Cohenour, que enseña en Montana State University. David fue miembro fundador de la junta directiva y presidente de Rocky Mountain Hemophilia and Bleeding Disorders Association, y un ex miembro de la Junta de la National Hemophilia Foundation.

Las reuniones *On the Road* siempre incluyen talleres que abordar las necesidades emocionales, la mente y el cuerpo. En Colón, se presentó una sesión sobre el antiguo arte marcial chino del Tai Chi, conocido por sus movimientos lentos y suaves que fomentan la relajación profunda y aumenta la fuerza y la flexibilidad, e incluso ayuda a bajar la presión arterial y disminuir el dolor. La sesión en Columbus fue dirigida por Rick Starks, un hombre con hemofilia B severa que ha estudiado y enseñado artes marciales por más de cuarenta años.

En un taller sobre *Kinesiología y Soporte de las articulaciones*, los participantes aprendieron cómo aplicar la kinesiotaping para ayudar con la reducción del dolor en todas las articulaciones. El taller fue realizado por el Dr. Michael Zolotnitsky, PT, DPT, especialista en ortopedia y fisioterapeuta neurológico con hemofilia severa A.

Quizás lo más importante fue las muchas oportunidades que las familias tuvieron para pasar tiempo juntas, compartiendo sus historias, experiencias y fortaleza. Muchas familias descubren "las familias con hemofilia B vecinas" que no conocían, y muchos hacen nuevos amigos para toda la vida.

¡Un agradecimiento especial a Pfizer por el generoso patrocinio de nuestro evento en Columbus Ohio!







Mientras un grupo de familias se reunía en Columbus, otro grupo se reunió con el mismo propósito en el Holiday Inn World's Fair Park en Knoxville, TN. Entre los aspectos destacados de la reunión de Knoxville se incluyeron varias sesiones enfocadas en temas sobre la crianza de los hijos. En el taller denominado *El cielo es el límite: criando a sus hijos de manera responsable*, se motivó a los participantes para que animaran a sus hijos a “ser simplemente niños” mientras se les mantiene seguros y saludables. La sesión fue dirigida por John Vieke, un hombre con hemofilia que, a pesar de muchos obstáculos y esfuerzos de algunos para desanimarlo, cumplió su sueño de terminar una carrera en las fuerzas policiales.

En otra sesión orientada a los padres titulada: *Enfocando la atención en los hermanos no afectados*, los asistentes discutieron el impacto que un niño con hemofilia puede tener en la vida de sus hermanos o hermanas que no tienen una enfermedad crónica. Los participantes fueron capacitados con recomendaciones para ayudarlos a que se aseguren de que están satisfaciendo las necesidades de todos sus hijos. La sesión fue dirigida por Tanya Stephenson, una portadora de hemofilia que trabaja como gerente de relaciones comunitarias y educación de

Sanofi Genzyme.

Varios talleres abordaron temas similares a las sesiones ofrecidas en Columbus, con otros presentadores, por supuesto. La actualización de la encuesta B-HERO-S fue proporcionada por Cathy Tiggs- Johnson, MSSA, un trabajadora social de salud con experiencia en diversas poblaciones de pacientes. El taller de *Kinesología y Soporte de las articulaciones* fue impartido por el Dr. Douglas Stringham. Doug es un experto en medicina deportiva y rehabilitación física.

Finalmente, los talleres *Factor Nine Family Meeting (Reunión de las familias del Factor Nueve)* y *Hemophilia B Treatment Update (Actualización en los tratamientos de la Hemofilia B)* fueron dirigidas por el miembro de la junta directiva, el Dr. David Clark. Dave tiene un doctorado en ingeniería química de la Cornell University y cuenta con más de 35 años de experiencia haciendo investigación científica en la hemofilia.

Nos gustaría expresar nuestro gran agradecimiento a CSL Behring por su generoso apoyo a la reunión de Knoxville.

CSL Behring







Una semana después, reanudamos las reuniones en el camino y la Coalition for Hemophilia B visitó a Atlanta, GA y Seattle, WA. La reunión de Georgia se celebró en el Atlanta Airport Marriott Gateway. John Vieke, miembro de la comunidad habló con los padres en Knoxville, y dirigió una sesión diferente llamada *Hiding Behind* "Normal Opening Up About Your Diagnosis" (Ocultándose detrás "Revelando su diagnóstico con naturalidad"). John compartió su experiencia personal sobre su decisión de hablar más abiertamente acerca de su hemofilia, incluyendo a sus compañeros de trabajo en la policía.

En esta reunión, los resultados de la Encuesta B-HERO-S fueron presentados nuevamente por la trabajadora social de salud Cathy Tiggs-Johnson. La popular *Reunión de las familias del Factor Nueve* y la *Actualización en los tratamientos de la Hemofilia B* fueron ofrecidas por la

Dr. Lisa Hensley, quien tiene una maestría en Ciencias de Salud Pública y un doctorado en Epidemiología. Ella también es portadora de hemofilia B y tiene un hijo con hemofilia B.

Rick Starks dirigió sus populares talleres de *Movimientos de Tai Chi y Meditación*. Los cursos de *Kinesiología y Soporte de las articulaciones* fueron nuevamente dirigidos por el Dr. Douglas Stringham. Como siempre, la reunión contó con muchas oportunidades para que las familias interactuaran, hicieran amigos y compartieran su fortaleza.

Damos nuestro agradecimiento a CSL Behring por proporcionar los fondos para la reunión de Atlanta.

CSL Behring







El mismo día, más familias de hemofilia B se reunieron en Seattle, WA para otra Reunión familiar en el camino. El evento fue organizado en el Hyatt Regency Lake Washington.

En una sesión ofrecida por primera vez nombrada F.O.C.U.S: Strategies for Keeping a Positive Perspective (F.O.C.U.S: Estrategias para mantener una perspectiva positiva) la madre de familia y defensora Shonda Joshua compartió estrategias que ha desarrollado como madre de hijo con hemofilia para mantener una buena actitud mientras se educa con éxito a los niños con trastornos hemorrágicos.

La actualización de la Encuesta B-HERO-S fue presentada por Penni Smith, RN, enfermera registrada coordinadora de servicios, del Intermountain Hemophilia and Thrombosis Center en Salt Lake City, UT y miembro

de la junta de la Utah Hemophilia Foundation. El taller de Actualización en los tratamientos de la Hemofilia B fue dada nuevamente por el miembro directivo de la Coalition for Hemophilia B, el Dr. David Clark.

Chris Brain Maloney dirigió una sesión llamada Mindfull Movement (Movimiento consciente), fundadora del estudio de yoga y meditación Stressless en Seattle. Las técnicas que ella compartió en el taller fueron una fusión de poses de yoga tradicional y movimientos contemporáneos diseñado para liberar la rigidez y tensión del cuerpo. Los participantes también tuvieron la oportunidad de aprender sobre los beneficios de la kinesiología con el Dr. Michael Zolotnitsky.

¡Muchas gracias a CSL Behring por patrocinar la reunión de Seattle!

CSL Behring







El 2 de noviembre, la Coalición se dirigió al centro de *Cajun Country* para llevar a cabo la próxima reunión en Baton Rouge, LA. La conferencia se celebró en el Renaissance Baton Rouge Hotel.

En una sesión llamada *Be the Best Patient Advocate (Sea el mejor defensor de los derechos del paciente)*, el abogado y asesor de la Coalition de mucho tiempo, Donnie Akers enseñó a los participantes a cómo desenvolverse en la sala de emergencias y terminología médica y clínica en del área legal. La presentación puso énfasis en el requisito legal para los formularios de consentimiento informado y los derechos legales del paciente en relación con su doctor, incluyendo el derecho a rechazar un tratamiento.

En esta reunión, los resultados de la Encuesta B-HERO-S fueron presentados por Angela Forsyth, PT, DPT, una fisioterapeuta con amplia experiencia en la hemofilia dentro del Penn Hemophilia and Thrombosis Center. La

actualización en los tratamientos de la hemofilia B fue ofrecida por la Dr. Lisa Hensley. La madre de un hijo con hemofilia, Shonda Joshua, presentó un discurso sobre *Positive Parenting (Crianza positiva)*, Rick Starks dirigió su popular taller de movimientos y meditación del TaiChi, y el Dr. Douglas Stringham dirigió el taller de *Kinesiología y Soporte de las articulaciones*.

En una sesión llamada *What's So Funny (¿Qué es tan gracioso?)*, el psicoterapeuta, autor, conferenciante profesional y músico Robert Lawrence Friedman, MA se centró en los beneficios físicos, mentales y emocionales que proporciona el humor, y le enseñó a los participantes la manera de incorporar estos beneficios en su diario vivir.

Nuestro profundo agradecimiento a CSL Behring por su apoyo a la reunión de Baton Rouge.

CSL Behring







El mismo día, más familias de la comunidad. se reunieron en el Double Tree by Hilton Fort Smith City Center para nuestra reunión *On the Road* de Arkansas.

Los asistentes a Arkansas fueron invitados a un taller dirigido por el educador Ben Shuldiner. Ben fue fundador y director de la High School for Public Service en Brooklyn, NY. Actualmente, Ben es un distinguido conferenciante de liderazgo educativo, es el coordinador del Programa de liderazgo para escuelas y distritos en el Hunter College de la ciudad de Nueva York. Ben también tiene hemofilia B. El nombre del taller de Ben fue *Advocating for Your Child: 504 Plans and IEPs (Defendiendo los derechos de su hijo: Planes 504 y IEP)*. La presentación ofreció a los estudiantes y familias afectadas por trastornos hemorrágicos información sobre los diferentes procedimientos para recibir la acomodación necesaria en la escuela. La discusión incluyó una explicación de las leyes que garantizan y protegen este derecho.

En otra sesión nueva para Arkansas, Jeffery McFall presentó una conferencia denominada *Empowered: Tools for Self-Advocacy (Empoderamiento: herramientas para defender nuestros derechos)*. El taller destacó algunos de los particulares desafíos de vivir con hemofilia y proporcionó consejos prácticos y recursos para

defendernos a nosotros mismos en todas las áreas de la vida. Jeff es agente de enlace del paciente en Pfizer con más de treinta años de experiencia en los cuidados de la salud.

En Arkansas, *la Reunión de las familias del Factor Nueve y la Actualización en los tratamientos de la Hemofilia B* fueron ofrecidos por el Dr. David Clark, miembro de la junta directiva de la Coalition.

El fisioterapeuta Dr. Michael Zolotnitsky se unió a nosotros nuevamente para dirigir su taller de *Kinesiología y Soporte de las articulaciones*. Michael también dirigió un taller en compañía de Derek Houser llamado *Using Fitness to Fight Back (Usar el entrenamiento físico para recuperarse)*. Derek es un hombre con hemofilia B que está muy involucrado en el atletismo y el entrenamiento físico. El taller explicó cómo el ejercicio corporal puede fortalecernos contra las lesiones corporales que padecen las personas con hemofilia.

La Coalition for Hemophilia B está muy agradecida a Pfizer por su generoso apoyo a la reunión de Arkansas.







El 9 de noviembre las familias se reunieron en Phoenix, AZ, y Schaumburg, IL para las dos últimas Reuniones familiares en el camino.

La reunión de Arizona se celebró en el Sheraton Phoenix Hotel Tempe. El nuevo rostro en Phoenix fue Grace Hernández quien presentó los resultados de la Encuesta B-HERO-S. Grace es fisioterapeuta en el Center for Comprehensive Care and Diagnosis of Inherited Blood Disorders in Orange, CA.

Otra rostro nuevo en esta temporada fue el de Myles Ganley, un miembro de la comunidad con hemofilia B quien ha superado múltiples

obstáculos y desafíos para poder vivir su vida de una forma más plena. Myles proporcionó una charla sobre Usar el entrenamiento físico para recuperarse. Los participantes aprendieron a utilizar de forma segura diferentes componentes del entrenamiento físico tales como la flexibilidad, estabilidad corporal, nivel de fuerza y movimientos corporales los cuales los prepara para un estilo de vida saludable y activo.

Entre otros conferenciantes se presentaron Shonda Joshua, una madre de familia de la hemofilia, su tema se denominó Strategies for Keeping a Positive Perspective (Estrategias para mantener una

perspectiva positiva), el Dr. Douglas Stringham habló sobre Kinesiología y Soporte de las articulaciones y Robert Lawrence Friedman presentó ¿Qué es tan divertido? La Reunión familiar y la Actualización en los tratamientos de la Hemofilia B fue dirigida por el miembro de la junta directiva de la Coalition, Dr. David Clark

¡Muchas gracias a CSL Behring por su patrocinio de la reunión de Phoenix!

CSL Behring







Por último, pero no menos importante, el mismo día, un grupo de familias se reunieron en Schaumburg, IL para cerrar nuestra maravillosa serie de *Reuniones familiares en el camino* de este año. La reunión se celebró en el Chicago Marriott Schaumburg.

Nuevo para la serie pero ciertamente no para la comunidad, la reunión presentó una sesión de rap dirigida por un antiguo miembro de la comunidad, Rocky Williams. La sesión se desarrolló mediante un foro abierto para que los participantes expusieran asuntos actuales por los cuales están pasando en sus vidas y dentro de la comunidad.

También nuevo para esta temporada, los resultados de la Encuesta B-Hero-S fueron presentados por el Dr. Sandeep Rajang. El Dr. Rajan es el director médico del Hemophilia and

Thrombosis Treatment Center localizado en East Memphis, TN.

Otros presentadores regresaron de otras ciudades con sus populares temas incluidos Rick Starks con *Movimientos de Tai Chi y Meditación* y el Dr. Michael Zolotnitsky con *Kinesiología y Soporte de las articulaciones*. Las presentaciones de *Reunión de las familias del Factor Nueve y Actualización en los tratamientos de hemofilia* fueron exhibidas por la Dra. Lisa Hensley.

La Coalition for Hemophilia B quisiera expresar su profundo agradecimiento a Novo Nordisk por haber patrocinando la reunión en Schaumburg.



GRACIAS...

Estamos agradecidos por los muchos conferenciantes, voluntarios, miembros del personal y a todos los asistentes que hicieron esta increíble serie de programas posible.

Aunque nuestras Reuniones en el camino ya se completaron para el 2019, hay muchas más en el 2020 así que visite nuestro sitio web www.hemob.org para más información. Por favor recuerde que nuestro Simposio Anual tendrá lugar desde el día jueves 19 de marzo a domingo 22 de marzo de 2020 en Orlando, FL. (Para más información o para registrarse, visite la siguiente dirección electrónica: <https://www.hemob.org/symposium2020>).







The Coalition for Hemophilia B

757 Third Avenue, 20th Floor; New York, New York 10017
Phone: 212-520-8272 Fax: 212-520-8501 contact@hemob.org

Visite nuestros sitios de Internet:

Sitio oficial: www.hemob.org

Facebook: www.facebook.com/HemophiliaB/

Twitter: <https://twitter.com/coalitionhemob>

Instagram: www.instagram.com/coalitionforhemophiliab



Para más información, contacte Kim Phelan
kimp@hemob.org o llame 917-582-9077