



Factor Nine News

La Coalition for Hemofilia B

PRIMAVERA 2019
¡EN ESPAÑOL!



TEMAS EN HEMOFILIA B

- ¡Simposio 2019!
- Gala anual de premios: Eternal Spirit
- Let's Play Nine
- Liderazgo de Generation IX Project
- Retiro de primavera para hombres
- Retiro de primavera para mujeres
- En nuestra memoria
- Washington Days
- HFA
- Activismo de B Voice
- Novedades en la hemofilia
- Noticias de tratamientos
- BCares
- BConnected
- ¡Aparta la fecha!
- ¡La esquina de los niños!





LA COMUNIDAD DE HEMOFILIA B SE REUNIO PARA TRES DIAS DE ENSEÑANZA, REGOCIJO Y AMOR

Por Glenn Mones



Del 14 al 17 de marzo, el Renaissance Orlando at SeaWorld, sirvió como sede para el simposio anual 2019 de la Coalition for Hemofilia B, una de las reuniones más grandes de familias e individuos afectados por la hemofilia B. Los asistentes participaron en casi 40 sesiones educativas, más de las que llevamos a cabo en nuestra reunión nacional anual anterior, las cuales brindaron muchas oportunidades para compartir nuestras experiencias y brindar apoyo mutuo.



Nuestros miembros de la Coalition tuvieron la oportunidad de informarse de las últimas novedades de los tratamientos por medio de algunos de los más destacados doctores del país. El Dr. Christopher Walsh, quien encabeza el Departamento de Medicina y Hematología, en el hospital Monte Sinai, de la ciudad de Nueva York, presentó el discurso de apertura, el cual se centró tanto en los últimos tratamientos disponibles como en las terapias en desarrollo. Con tantas nuevas drogas disponible para las personas afectadas por hemofilia B, este tema fue de gran interés para todos los participantes que están considerando la mejor opción de tratamiento.

El Dr. Robert Sidonio, director asociado del programa de hemostasia y trombosis en el Children's Healthcare de Atlanta y director del departamento de

operaciones e investigación clínica, compartió nuevos conocimientos sobre la investigación, de los varios indicadores biológicos diferentes al los niveles de factor que influyen el sangrado. Estos datos están ayudando con la producción de novedosas terapias que pueden reducir o eliminar episodios de sangramiento.

Uno de los puntos destacados del simposio fue la presentación del film Bonbardier Blood, el cual documenta el extraordinario viaje del miembro de la comunidad, Chris Bonbardier, a la cima del Monte Everest. Chris es una persona con hemofilia B, quien no permitió que su condición medica interfiriera con la pasión de su vida. La película relata la historia de cómo Chris no solo consigue escalar el Everest, sino que además logra llegar a la cúspide de





diferentes elevaciones en otros siete continentes y durante el recorrido logra ser consistente con sus tratamientos de infusión. Chris estuvo presente durante la proyección del film y se hizo disponible para una sesión de preguntas y respuestas. La película atrajo a una gran cantidad de participantes del simposio, los cuales se mostraron conmovidos e inspirados por la presentación.

El programa ofreció muchas sesiones dedicadas

específicamente a mujeres, hombres, jóvenes y niños. En ellas se proveyó un “ambiente seguro” para compartir experiencias personales y brindar apoyo; y esto resultó ser más eficaz, que si se hubiera llevado a cabo en “grupos mixtos” más grandes. Otras sesiones se enfocaron en una variedad de importantes temas que incluyeron: la salud mental, el activismo social, la obtención de servicios de salud económicos y temas de empleo.





Women with hemophilia
 "A woman who has less than 40 percent of the normal level of clotting factor is no different from a man with the same factor levels – she has hemophilia."





Además de la increíble cantidad de enseñanza que se suministró, el simposio proporciono actividades de esparcimiento.

Una de las atracciones más entretenidas fue la presentación del jueves en la noche de la banda musical los Bleeders, la cual está compuesta en su totalidad por miembros de la comunidad, y con la actuación especial del presidente de la Coalition for Hemophilia B, Wayne Cook, en la batería. La banda, que interpretó grandes éxitos de esta y pasadas generaciones, mantuvo a los asistentes bailando y rocanroleando toda la noche.

Cuando el simposio terminó el día domingo, los participantes compartieron sus comentarios acerca de lo mucho que habían aprendido,

los amigos que habían vuelto a ver, las nuevas amistades que habían creado y lo fortalecidos que se sentían para seguir lidiando con la hemofilia con fuerza, empeño, y convicción.

La Coalition for Hemophilia B desea expresar nuestra gratitud a la gran cantidad de patrocinadores, exhibidores, conferenciantes, voluntarios y miembros del personal quienes hicieron posible el éxito del simposio. Por favor acompáñenos en nuestras otras reuniones familiares que tendrán lugar durante el resto del año y manténgase informado acerca de nuestro próximo ¡Simposio 2020 en Orlando!







Para mirar más fotografías de los eventos de la Coalition, por favor ¡visite nuestra pagina de Facebook!

www.facebook.com/HemophiliaB/







¡LES DAMOS ESPECIALES GRACIAS A TODOS LOS PATROCINADORES DE NUESTRO SIMPOSIO 2019!

NIVEL DIAMANTE



ORO

PLATA

BRONCE



AMIGOS Y EXHIBIDORES





LA COALITION FOR
HEMOPHILIA B

12º GALA ANUAL
DE PREMIOS:
ETERNAL SPIRIT

*A Night of
Inspiration*

28 DE FEBRERO DE 2019





Miembros de la comunidad de Hemofilia B, familiares y amigos reunidos el 28 de febrero para la 12ª Gala Anual de Premios: Eternal Spirit.

El momento destacado de la noche fue la presentación de los premios Eternal Spirit al Dr. Glenn Pierce y a la enfermera registrada, Hope Woodcock-Ross, por los muchos años de servicio y dedicación a la comunidad con hemofilia.

El evento provee fondos para el Dr. William N. Drohan Scholarship Fund. Bill Drohan, un reconocido microbiólogo y educador, perdió su lucha contra un cáncer metastásico de pulmón, a la edad de 60 años. Él fue un pionero en el uso de la biología molecular con la cual se producen proteínas recombinantes; también fue un científico visionario quien dedicó su vida a mejorar la seguridad del uso de la sangre y sus productos derivados. Él sirvió como miembro de la junta directiva de la Coalition for Hemophilia B y fue un instrumento esencial en su creación.

La Coalition for Hemophilia B estableció el William N. Drohan Fund para ofrecer becas escolares a jóvenes con hemofilia B y a sus hermanos y hermanas. Los solicitantes tenían que haber aplicado o haber sido aceptados a una universidad acreditada y tener la necesidad de asistencia financiera. Todos los años nosotros concedemos cuatro (4) o más becas a estudiantes con hemofilia B y en los pasados 12 años, \$220,000 han sido entregados. Dos de los galardonados





para la beca escolar 2019 estuvieron presentes para esta noche, ellos fueron: William Patsakos Jr. y Jibin Jonhs. Otros ganadores incluyeron a Nitya Bhattarai y Alecia Sclafani. ¡Felicitaciones a todos los seleccionados!

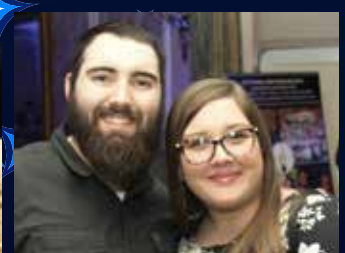
El evento también benefició a nuestro B Cares Emergency Family Assistance Fund, una importante red de seguridad financiera, que ayuda a familias afectadas durante tiempos de crisis, y al B Voice Advocacy Program, el cual se asegura de que las personas afectadas por la hemofilia B tengan acceso a cuidados de salud de alta calidad, con precios accesibles.

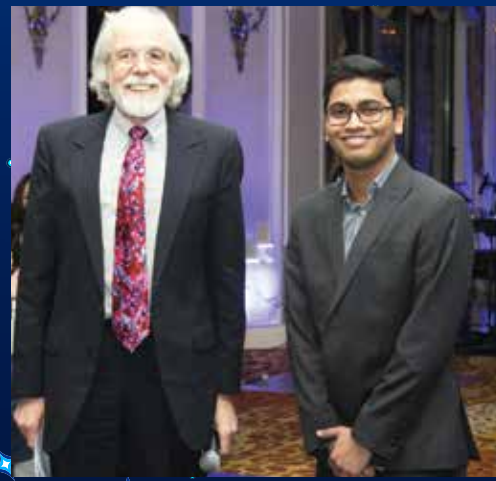


Los asistentes disfrutaron de cocteles, una cena, música y entretenimiento en vivo, rifas, y una noche maravillosa donde se ayudó y se celebró a la comunidad. La Coalition for Hemophilia B está muy agradecida a todos los patrocinadores, donantes financieros y de premios de rifas, participantes, galardonados, miembros del personal, voluntarios y otros que ayudaron hacer de esta noche un gran éxito. Para más información acerca de estos y otros programas, por favor visitemos en la pagina www.hemob.org.



Para mirar más fotografías de los eventos de la Coalition, por favor ¡visite nuestra pagina de Facebook! www.facebook.com/HemophiliaB/



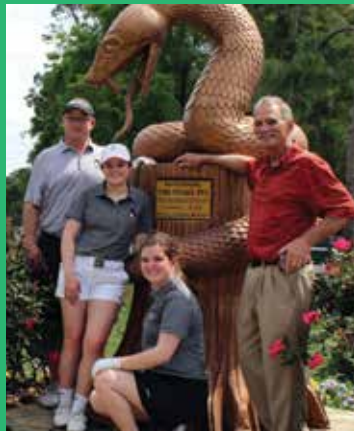


Para mirar más fotografías de los eventos de la Coalition, por favor ¡visite nuestra pagina de Facebook! www.facebook.com/HemophiliaB/



La Coalition for Hemophilia B

LET'S PLAY NINE Golf Fundraiser



El miércoles, 13 de marzo, el celebrado Copperhead Course ubicado en el hermoso Innisbrook Resort en Tampa, fue el lugar de emplazamiento de nuestro Third Annual Let's Play Nine torneo de golf. Let's Play Nine se formó para brindarle a los jóvenes de la comunidad de hemofilia B la oportunidad de participar en un deporte seguro, que puede convertirse en un hobby o una pasión. Las bases fundamentales del golf promueven la flexibilidad y el fortalecimiento del torso, mientras que se minimiza el choque y el impacto. Al trabajar con los profesionales del PGA, se les muestra a los jóvenes golfistas las formas básicas del juego y se les enseña a golpear la pelota de una manera segura, lo cual previene daños en las articulaciones. Let's Play Nine también recauda fondos para proveer a los participantes con instrucción adicional y equipo. Los ingresos también respaldan nuestro B Cares Assistance Fund.

Los participantes tuvieron la excepcional oportunidad de poder jugar en el mismo campo de golf que se usaría durante el campeonato del PGA Tour, seis días después. El campo estaba en óptimas condiciones, desde las cuidadas calles y los



asientos del estadio, hasta los verdes (greens), los cuales alcanzan alrededor de 12 en el medidor de velocidad.

El día comenzó con un desayuno buffet y prácticas de golf, estas fueron organizadas por uno de los miembros de la comunidad y participante del campeonato: Perry Parker. Los participantes también disfrutaron de un corto entrenamiento de golf, que incluía técnicas de tiro, lanzamiento y posición, este fue organizado por el personal de Copperhead. Nuestro increíble día de golf se

finalizó con sorteos, subastas y premios especiales para el tiro más largo y el más cercano al pin.

La Coalition for Hemophilia B agradece por nuestro evento a todos los patrocinadores, incluyendo Aptevo, CSL Behring, CVS Specialty Pharmacy, y Novo Nordisk. También estamos agradecidos a nuestro personal, voluntarios y a nuestro comité de Let Play Play Nine incluidos: Jim y Becky Vansant, Wayne Cook, Hope Woodcock-Ross y Jim Ross, Chad Brown, Debbi Adamkin, y Shad Tulledge.



Nivel Diamante
CSL Behring

Nivel Platino
Aptevo
Therapeutics


Nivel Oro

novo nordisk

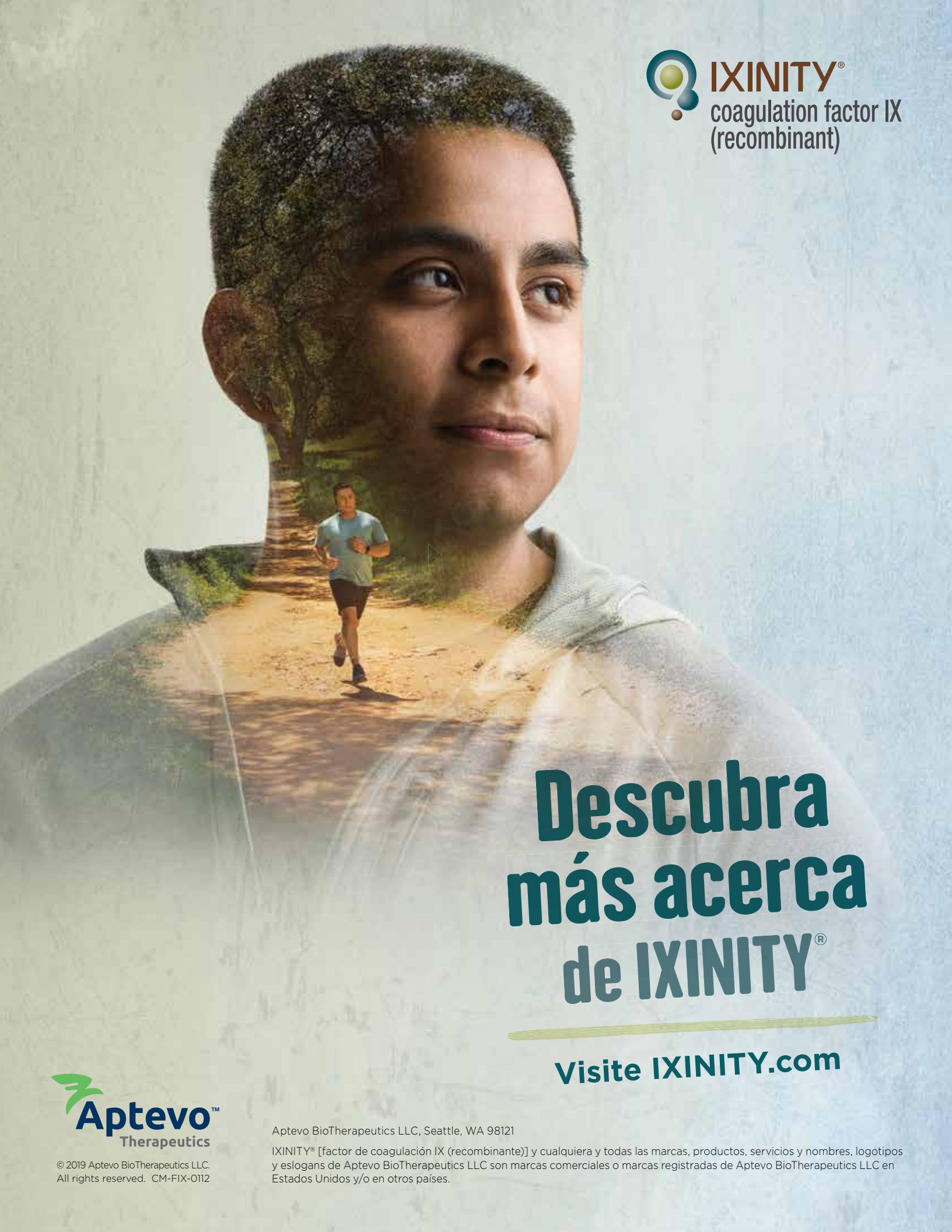
Nivel Bronce

CVS specialty
uniQure





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.



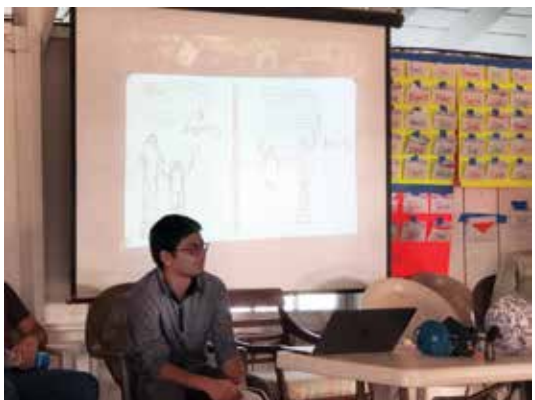
LIDERAZGO DE GENERATION IX PROJECT

Del 9 al 12 de enero, el histórico Pigeon Key, en la costa sur de Florida, fue anfitrión del retiro de entrenamiento de liderazgo para jóvenes adultos con hemofilia B. Este es el evento más actual del Generation IX Project; anteriores sesiones se enfocaron en temas de consejería y activismo.

Del 9 al 12 de enero, el histórico Pigeon Key, en la costa sur de Florida, fue anfitrión del retiro de entrenamiento de liderazgo para jóvenes adultos con hemofilia B. Este es el evento más actual del Generation IX Project; anteriores sesiones se enfocaron en temas de consejería y activismo.

El programa de Pigeon Key fue diseñado para identificar, reunir y fortalecer a los líderes jóvenes dentro de la Comunidad de hemofilia B. El taller se enfocó específicamente en ayudar a los participantes a entender e incorporar la idea del liderazgo inclusivo. Una parte esencial en este estilo de liderazgo es que todas las

opiniones y las necesidades de los participantes se toman en cuenta al tomar decisiones, como resultado, se proporciona tanto equidad e igualdad a todos los participantes. Este concepto fue comunicado mediante una variedad de sesiones interactivas, en las que se les pidió a los participantes que utilizaran





EN LOS FLORIDA KEYS

El 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.

el conocimiento y estrategias que estaban adquiriendo para desarrollar soluciones a problemas reales de la comunidad.

Una característica importante de cada día del programa fue la sesión en la que dos o tres participantes tuvieron la ocasión de compartir con

los presentes, sus historias y retos personales. Uno de los objetivos era brindar al grupo, dentro de un ambiente seguro y de apoyo, la oportunidad de practicar abiertamente la comunicación honesta y salir de sus zonas confortables. Los participantes también tuvieron la oportunidad de establecer y lograr retos personales

físicos, con opciones que incluyeron la natación y el buceo, estas se llevaron a cabo dentro del hermoso entorno natural de la zona de los Keys.





ESTO ES LO QUE ALGUNOS DE LOS PARTICIPANTES DIJERON DEL PROGRAMA:

“Este fue mi primer año asistiendo al programa de liderazgo GenIX en Pigeon Key, Florida. ¡Fue absolutamente una experiencia EXTRAORDINARIA! Durante la semana tuvimos la oportunidad de acercarnos mutuamente y seguir creciendo dentro de la comunidad de hemofilia B. La oportunidad de conocer y hablar con compañeros hemofílicos fue mucho más valiosa de lo que yo pueda expresar. Pasar una semana con estas personas realmente cambia la forma de ver nuestro diagnóstico y honestamente, hasta de como percibir el mundo. El poder ser capaz de pasar una semana juntos, en una isla, realmente saca a relucir la mejor versión de uno mismo y uno puede llevar esta experiencia de vuelta al mundo. Además de eso, el programa de liderazgo es muy aplicable a la vida y me ha ayudado a ser una mejor persona y líder. No cambiaría la oportunidad de asistir a Gen IX por ninguna otra cosa.” - C.S.

“Como hombre de 35 años con

hemofilia B severa y padre de un niña de seis años con hemofilia leve, estoy agradecido a la Coalition for Hemophilia B por haber patrocinando mi asistencia al retiro de liderazgo del Proyecto Gen IX. Debido a mi edad, sé que esta será la única oportunidad que tengo para asistir a este evento, puesto que el programa es disponible para nuevos participantes cada año. Dicho esto, pude entender mejor lo que es el sentido de comunidad y sentir orgullo por los logros de los que encabezan el liderazgo en nuestra comunidad. Conocí a jóvenes estudiantes universitarios que están estudiando medicina, enfermería y servicios sociales, así como otros, que ya están establecidos en su carreras, y buscan maneras de defender y guiar a otras personas dentro de la comunidad. La oportunidad de participar en los ejercicios de los grupos grandes, como el intercambio de historias en las sesiones más íntimas, me permitió ganar un mejor entendiendo de que aunque todos compartimos la hemofilia, nuestras

dificultades y éxitos personales en la vida son el factor determinante en nuestro deseo por defender y ayudar a nuestra comunidad.”- B. R.

“Estaba totalmente inseguro de qué esperar cuando abordé el avión para reunirme con un grupo de extraños en el llamado Generation IX Leadership Experience. Estaba muy nervioso por tener que conocer a todas estas personas, y como tengo 30 años, me preocupaba que no pudiera encajar bien en el grupo, que a mi parecer era mucho más joven. Me tomó una sola noche para darme cuenta de que el miedo no tenía fundamento. Nunca me he sentido tan apegada a un grupo como me siento con este. El fin de semana me dejó inspirado para mejorar en mi vida personal y la de los demás, utilizando las técnicas que se nos enseñaron. Puedo decir honestamente que fue una experiencia que cambia la vida, y que llevaré conmigo a estos nuevos amigos y lecciones por siempre.” - J. S.





La Generation IX ofrece a los jóvenes en nuestra comunidad muchas oportunidades de aprendizaje y liderazgo. Manténgase informado de los detalles de los futuros programas y déjenos saber si tiene interés personal en participar.

Le expresamos nuestro inmenso agradecimiento a Aptevo por su generoso patrocinio y por hacer posible este evento!



MEN'S RETREAT SPRING 2019

SPONSORED BY



RETIRO DE PRIMAVERA PARA HOMBRES ¡OTRO GRAN ÉXITO!

“La rareza de la hemofilia B hace que sea difícil sentirse conectado con otras personas que padecen del mismo problema. A pesar de tener algo tan personal que nos conecta, a menudo estamos separados por grandes distancias”. Esta observación de un participante resume por qué los retiros que organiza nuestra Coalición son tan importantes para unir a los miembros de nuestra comunidad.





Durante cuatro soleados días de abril, el Hilton Grand Vacations en Orlando, Florida, fue el lugar de alojamiento para los hombres con hemofilia B, que participaron en nuestro retiro anual de primavera.

Los padres de familia se reunieron para aprender sobre técnicas de infusión y retos que enfrentan al prestar cuidados, mientras otros hombres con hemofilia B tuvieron una sesión de nutrición, la cual se enfocaba en los peligros del azúcar, la diabetes, y consejos prácticos de nutrición que se pueden incorporar

fácilmente en la vida diaria.

Una parte favorita del retiro fue la actividad rompehielos y la sesión de apertura de rap. En ese momento se empiezan a formar lazos afectivos, donde todos tienen la oportunidad de conocer a los otros participantes, sincerarse compartiendo historias y experiencias personales, y ofrecerse apoyo emocional dentro de un espacio seguro.

Uno de los oradores destacados fue el abogado y activista comunitario Donnie Akers. Donnie dirigió dos

sesiones importantes, en una de ellas se explicó lo que consiste el documento llamado *formato de consentimiento* y los procedimientos estándares en la sala de emergencias y la segunda se enfocó en entender el área compleja de activismo en pro del seguro médico.

El Dr. David Clark, presidente de la Coalition, presentó un sumario general de la hemofilia B.

Robert Friedman, conocido por su uso de tambores para liberar el estrés y promover la salud y el bienestar,





efectuó una sesión titulada *What's So Funny?* Animó a los participantes a aumentar el optimismo y las ganas de reír. El uso del juego de palabras, el humor físico, y las vocalizaciones crearon un ambiente positivo y lleno de risas.

Se presentaron otras oportunidades para la camaradería y la diversión en una cena que tuvo como tema la época de los gánsteres y los juegos anuales Bleeder Olympics, los cuales incluyen una variedad de juegos de patio. Al final del retiro los participantes se sintieron energizados y motivados, y con muchas amistades nuevas y renovadas.

Muchas gracias a nuestro patrocinador, Pfizer.



Esperamos verlos a todos en otro evento de la Coalition for Hemophilia B muy pronto!



Para mirar más fotografías de los eventos de la Coalition, por favor ¡visite nuestra pagina de Facebook!

www.facebook.com/HemophiliaB/



COMMENTS

“La rareza de la hemofilia B hace que sea difícil sentirse conectado con otras personas que padecen del mismo problema. A pesar de tener algo tan personal que nos conecta, a menudo estamos separados por grandes distancias.” Esta es una oportunidad increíble, por la cual estoy muy agradecido, en ella he logrado conocer mejor a mis distantes hermanos de la hemofilia. El retiro y otros eventos como este son una gran alegría de asistir y siempre aprendo mucho y me siento más conectado y vivo”. — A.J.

“Soy padre de un niño con hemofilia B, en el comienzo, no sabía exactamente qué esperar en el retiro fin de semana. Mi objetivo era adquirir conocimiento para criar a mi hijo con esta enfermedad, de la mejor manera posible. Después de estar allí menos de un hora, sentí que mi viaje ¡había valido la pena! Todos los asistentes fueron muy acogedores y estaban dispuestos a hablar sobre sus experiencias personales con la hemofilia B. Me fui sintiendo un gran aprecio por los que vinieron para brindarle a mi hijo una vida mejor”. — C.P.



WOMEN'S RETREAT SPRING 2019

SPONSORED BY



Mujeres de diferentes condiciones de vida a lo largo de los Estados Unidos, se reunieron para un retiro de fin de semana, colmado de eventos, en el Hilton Grand Vacations Tuscany Village, de Orlando, Florida.





Nuestra primera sesión comenzó con una relajante clase de yoga Savasana guiada, con Dalia Stoffer. Mediante la meditación y la relajación corporal, las participantes encontraron un estado de tranquilidad por medio de una guía suave y un ambiente meditativo que logró calmar sus mentes, cuerpos y almas. Ellas lograron embarcarse en un viaje al Savasana – un estado de paz y quietud mental de la yoga - para aprender una nueva forma de sustentarse a sí mismo dentro de un ámbito de serenidad.

Los días viernes y sábado por la mañana, después del desayuno hubieron dos actividades para elegir: una tranquila caminata por la naturaleza o una clase de

aeróbicos acuáticos con un instructor profesional. La sesión interactiva comenzó con Amy Brock con temas como: creencias curativas y técnicas para entrenar la mente con nuevos procesos mentales que nos ayudan a reemplazar los pensamientos negativos y reforzar la actitud positiva.

Después del almuerzo, tuvimos una sesión que incluyó: *Diálogo interno* y *El poder de la palabra*, estos talleres animaron a las participantes a hablar de sus experiencias personales y entender como el practicar el perdón puede simplificar la vida y afectar positivamente las relaciones que tenemos. Dentro de un ambiente seguro, las participantes pudieron expresar







abiertamente sus sentimientos y conocer los aspectos que tenían en común. Después, todas se reunieron para una descanso y continuar fortaleciendo los vínculos. El viernes por la noche disfrutamos de una cena encantadora y terminamos el día con una clase de Arte terapéutica. Cada uno de los lienzos pintados, reflejaron sus verdaderas y singulares personalidades.

El sábado, Daysi Fardales disertó acerca de la *Adversidad, fuerza, y resistencia*. Las participantes adquirieron información esencial para pacientes, se consideraron diversos temas, entre ellos: cómo hacer frente a una enfermedad crónica,

cómo comunicarse con personal de salud, cómo abogar por nosotros mismos y nuestros seres queridos, las consideraciones financieras de la salud que se deben tomar en cuenta través de las diferente etapas de la vida, y la importancia de mantenerse físicamente activo realizando actividades apropiadas. A continuación, Donnie Akers expuso el tema: *Medicare & Medicaid 101*, Donnie presentó las diferentes opciones para las familias que buscan información sobre el Seguro Social por Incapacidad (SSD), y la Seguridad de Ingreso Suplementario (SSI). Equipadas con nuevos métodos e información para llevar a casa, las participantes disfrutaron

de un almuerzo saludable y luego la nutricionista, Sheri Johnson demostró por qué el azúcar y los alimentos procesados son tan adictivos y peligrosos para el cuerpo y las opciones saludables alternativas disponibles.

Por la noche, mamas de niños con Hemofilia B Sherry Stacey, Milinda DiGiovanni, y Stormy Johnson, compartieron abiertamente sus historias durante la última sesión del día. Al compartir sus experiencias, otras personas se sintieron motivadas a desahogarse. La sesión de *Chit-chat y chocolate* siempre ha sido una de nuestras más poderosas experiencias de integración.





Con risas, lágrimas y chocolate, las participantes concluyeron su motivador fin de semana compartiendo sus historias, conectándose con ellas mismas y con las demás asistentes. Esta fue una experiencia muy fortalecedora y permitió formar vínculos emocionales de unión. Nuestra noche final culminó con una cena temática de los años 50, titulada: 'Prom Sock Hop' Murder Mystery Dinner la cual proveyó mucha diversión, alegría y risas. Vestidas con sus mejores trajes de los años cincuenta, las participantes bailaron y disfrutaron, mientras ¡resolvían una misteriosa muerte!

El domingo por la mañana asistimos

a una liviana clase de yoga y al desayuno. Sabemos que durante este retiro las participantes forjaron amistades para toda la vida y se fueron a casa más sosegadas, fortalecidas con información importante y con una fuerte red de apoyo.

Gracias a nuestro patrocinador, Pfizer, por apoyar nuestro programa de primavera para mujeres 2019.



COMENTARIOS SOBRE EL RETIRO DE MUJERES

"La intención de este retiro fue sacar tiempo para mí y conectarme con mujeres extraordinarias para compartir nuestras luchas y triunfos. Nuestro cuidado personal es tan importante como nuestra labor de cuidadoras y la Coalition sobrepasa y va más allá para proveer esto para nosotras". - N.S.

"El retiro de mujeres me ayuda a entender mejor temas de la hemofilia por medio de escuchar las experiencias de otras madres que pasan por situaciones parecidas con las hemorragias de sus hijos. Ayuda mucho saber que no estamos solas. Estoy muy agradecida por haber conocido a muchas madres especiales y haber podido crear amistades. Se que tengo *hermanas de sangre* a ¡sólo una llamada de distancia! ¡Gracias de nuevo por el retiro!" - M.D.

"Fue un fin de semana maravilloso con mujeres que han pasado a través de muchas más adversidades que yo. Fue muy interesante escuchar sus historias y ver que no tenían miedo de compartir o dar sugerencias cuando se les pedían. Disfruté de cada momento del retiro de las mujeres. Muchas gracias por dejarme ser parte de esto". - E.T.

"Realmente ansió la llegada de este evento, gracias por el patrocinio de este retiro para mujeres. Es refrescante pasar un fin de semana con un grupo de mujeres que pueden entender esta gran parte de mi vida con la que muchas personas no pueden identificarse. La oportunidad de estar con mis *hermanas de sangre* y amigas a las cuales solo veo una o dos veces al año es la mejor manera de aprender y rejuvenecer. Ustedes son increíbles y yo aprecio todo lo que hacen por nuestra comunidad". - T.M.

Para mirar más fotografías de los eventos de la Coalition, por favor ¡visite nuestra pagina de Facebook! www.facebook.com/HemophiliaB/



En memoria de Kevin Scates

En el mes de marzo de 2019, perdimos en la muerte a uno de nuestros hermanos de la hemofilia B, Kevin Scates. Él fue una persona amable y amorosa quien cuidaba con mucho interés su familia y su comunidad. Nuestros pensamientos y oraciones están con todos sus seres queridos.

WASHINGTON DAYS



Representantes del equipo de la Coalition for Hemophilia B se unieron a los miembros de la comunidad de trastornos hemorrágicos de Nueva York para los NHF's Washington Days, el 28-29 de marzo de 2019. Además de funcionarios elegidos y personal de Capitol Hill, nuestro grupo se reunió con la congresista Grace Meng, quien representa el distrito 6 del congreso, del municipio de Queens, Nueva York. Este es un año crítico para estar presente en Washington, puesto que el Affordable Care Act está siendo amenazada por procesos judiciales y legislativos.



25° SIMPOSIO ANUAL DE HFA



La Coalition for Hemophilia B pasó un tiempo maravilloso en el 25° simposio anual de la Hemophilia Federation of America en San Diego, del 4-7 de abril de 2019. ¡Nos alegró ver a muchos de nuestros amigos de Factor 9!



B VOICE

NOTICIAS DE ACTIVISMO

El activismo es el medio que nuestra comunidad de hemofilia B tiene para expresar nuestras preocupaciones a los funcionarios electos y otros líderes y pedir las cosas que necesitamos para vivir vidas felices y saludables. Por eso llamamos a nuestro programa de activismo “B Voice”.

Por Glenn Mones

Hay muchas maneras de involucrarse para expresar *NUUESTRA B Voice*, y el mantenerse informado sobre temas clave es el primer paso. La Coalition for Hemophilia B está monitoreando los desafíos que se presentan para el acceso a la atención médica y se esfuerza por superar estos retos. Las noticias de activismo de B Voice aparecerán regularmente en la sección de Factor Nine News. Este será el lugar para mantenerse al día sobre temas que afectan a toda nuestra comunidad, incluyéndolo a usted y a su familia.

En medio de nuestros boletines trimestrales, emitimos correos electrónicos, anuncios en el Web, y alertas en las redes sociales – las cuales les animamos a seguir. Recuerde que usted siempre podrá encontrar más información en nuestro sitio web www.hemob.org.

TEMA 1: PROGRAMAS DE AJUSTE DE ACUMULADOR

El pasado otoño informamos sobre una creciente tendencia de las empresas de seguros a negarse a aceptar los pagos realizados por terceras entidades como parte del desembolso máximo anual del asegurado. Estos programas, en los cuales, esencialmente, las aseguradoras obtienen un “doble pago”, tienen el potencial de aumentar dramáticamente el costo de los medicamentos para las personas con hemofilia y otras condiciones de alto costo.

La comunidad de la hemofilia, al igual que la National Hemophilia Foundation (NHF), tomando la iniciativa, han estado trabajando para eliminar o minimizar el impacto de estos programas. El día 18 de abril de 2019, estos esfuerzos dieron fruto puesto que el centro de servicios para el Medicare y Medicaid (CMS) emitió la ordenanza

final de los beneficios y reglas de parámetro de pagos para el año 2020.

Esta reglamentación, publicada anualmente, establece los límites de lo que los planes de seguro privados pueden o no hacer. Aunque el nuevo reglamento no prohíbe completamente los programas de acumuladores, limita su aplicación a los medicamentos de marca que tienen alternativas genéricas igualmente efectivas. Ya que no existen medicamentos genéricos para la hemofilia, todos los medicamentos actuales disponibles para tratarla deberían estar exentos.

Aunque el nuevo reglamento de CMS no prohíbe completamente los programas de acumuladores, limita su aplicación a los medicamentos de marca que tienen alternativas genéricas igualmente efectivas. Ya que no existen medicamentos genéricos para la hemofilia, todos los medicamentos actuales disponibles para tratarla deberían estar exentos.

Esta es una victoria muy importante para toda la comunidad con hemofilia. Sin embargo, es probable que las aseguradoras continúen buscando otras formas de limitar lo que pagan mientras obligan a los pacientes a pagar más. Por eso es vital que nosotros llevemos un registro consistente de cualquier desafío a los cuales los miembros de la comunidad se enfrentaron al tratar de obtener sus tratamientos cubiertos.



Si usted o alguien que conoce encuentra tales desafíos, por favor informe a la Coalition for Hemophilia B, así como a las personas de su división local y otras organizaciones nacionales.

TEMA 2: DESAFÍOS A LA LEY DE CUIDADOS DE LA SALUD ASEQUIBLE (ACA)

La Ley de Cuidados de la Salud Asequibles (ACA), también conocida como “ObamaCare”, trajo muchas mejoras a la manera como se reembolsa la asistencia médica en los Estados Unidos. Se eliminaron los límites máximos de los seguros de vida en la mayoría de las pólizas, se prohibió la discriminación de seguros basándose en condiciones preexistentes, se amplió la cobertura del Medicaid y otras opciones en muchos estados y permitió a la gente joven quedarse dentro de las pólizas de sus padres por periodos de tiempo más largos. Estas reformas han sido de inmenso beneficio para las personas afectadas por la hemofilia y otras enfermedades crónicas de alto costo.

La ley ACA, que por ahora sigue en efecto, ha sobrevivido a muchos ataques. Desafortunadamente, está siendo amenazada como nunca antes.

La ley ACA, que por ahora sigue en efecto, ha sobrevivido a muchos ataques. Desafortunadamente, está siendo amenazada como nunca antes. Es posible que usted haya leído el pasado diciembre, que un tribunal federal de distrito dictaminó en Texas v. Estados Unidos que la Ley de Cuidados de la Salud Asequible es inconstitucional en su totalidad. Y para empeorar las cosas, el 25 de marzo de 2019, el Departamento de Justicia (DOJ) decidió la

medida inusual de no defender la ley ACA, esencialmente, tomaron la posición de que toda esta ley y sus provisiones deben ser terminadas.

Entonces, ¿Qué va a suceder ahora? Primero, es importante saber que por ahora, la ley ACA y sus provisiones siguen vigentes. Su cobertura de ObamaCare o Medicaid (si es que tiene una de ellas) no desaparecerá mañana.

Funcionarios electos que apoyan la protección del acceso del paciente a los cuidados médicos están trabajando para encontrar formas de contrarrestar estos ataques. H.R.1884 – Protecting Pre-Existing Conditions y Making Health Care More Affordable Act de 2019 – fueron presentadas recientemente por el representante Frank Pallone Jr. Este proyecto de ley está ahora en debate y tiene 146 copatrocinadores. La legislación está diseñada para proteger los logros alcanzados por la ley ACA, mientras consigue que el seguro de salud sea mucho más accesible y asequible para todos los estadounidenses. Este no es un proyecto de ley bipartidista, si bien podría pasar en la Cámara de Representantes controlada por los demócratas, es poco probable que obtenga suficiente apoyo en el Senado controlado por los republicanos. Por lo tanto, aunque esto representa un fuerte punto en la última batalla sobre el cuidado de la salud, es probable que sea incorporado en algún momento por una legislación más amplia, que sería el producto de compromisos incorporados.

En conclusión, podemos anticipar que va a haber mucha más actividad en temas salud en las próximas semanas y meses. Nosotros continuaremos monitoreando estos problemas, lo mantendremos informado, y solicitaremos su ayuda para asegurarnos de mantener acceso a cuidados de salud asequibles.

NOVEDADES EN LA HEMOFILIA

Por Dr. David Clark

TASA DE REEMPLAZO ARTICULAR SIMILAR EN HEMOFILIA A Y B

Se ha debatido mucho en la comunidad de investigación cuál hemofilia es más severa, la A o B. Algunos estudios han sugerido que con el tiempo, los pacientes de la hemofilia A pueden sufrir peores daños en las articulaciones, pero el problema es que siempre han participado muy pocos pacientes con B en los estudios, como para llegar a una conclusión definitiva. Actualmente, un grupo en Taiwán ha realizado un gran estudio basado en la población. Observaron el número total de la frecuencia de los reemplazos articulares (TJR: cadera, hombro, rodilla, codo y tobillo), en 782 varones con hemofilia A y 153 varones con hemofilia B. Los datos se recogieron desde el año 1997 hasta 2013, de la Taiwanese National Health Insurance Database, que cubre esencialmente el 100% de los ciudadanos taiwaneses.



Los resultados no mostraron ninguna diferencia en la estadística, los pacientes de hemofilia A que recibieron TJR mostraron un 10,6% en comparación con un 10,5% de los pacientes con hemofilia B. El estudio excluyó a los pacientes con inhibidores, pero no a los pacientes con comorbilidades como el VIH o la hepatitis C. Las edades promedio de los pacientes en el estudio fueron 35.1 para los de A y 31.6 para los de B. La articulación reemplazada con más frecuencia fue la rodilla (72.3% en A; 68,8% en B), seguido de la cadera (20,5% en A; 18,8% en B). [Lin W-Y et al., Clinical and Applied Thrombosis/Hemostasis (2018) publicado en línea 13/9/18]

PREVALENCIA DEL TRASTORNO DEL ESPECTRO AUTISTA EN NIÑOS CON HEMOFILIA



Un reciente estudio británico ha demostrado que la prevalencia del trastorno del espectro autista (TEA) es mayor en niños con hemofilia que en los controles no hemofílicos. En la población general, alrededor de 10/1000 tienen TEA, con una prevalencia de 3:1 en niños sobre niñas. No se conoce ninguna conexión entre la hemofilia y el TEA, pero los investigadores han notado un alto nivel de prevalencia del TEA en su centro para la hemofilia. Ellos han encontrado una prevalencia de 74.8/1000, un número muy superior al de la población general. El estudio incluyó 11 pacientes con hemofilia A (9 severos) y 5 con B (3 severos). Tres pacientes (23%) tenían antecedentes de hemorragia intracraneal (sangrado en el cerebro). La

edad promedio al momento del diagnóstico de TEA era de 6.46 años. Se necesita más investigación para explicar los hallazgos y explorar los factores de riesgo del TEA en la hemofilia

[Bladen M et al., Presentado en la European Association for Hemophilia and Allied Disorders (EAHAD), 6–8 de febrero de 2019, Praga, República Checa, Resumen P210]

LA DISFUNCION ERECTIL ES MÁS PREVALENTE CON LA EDAD EN HOMBRES CON HEMOFILIA

A medida que las personas con hemofilia viven más tiempo, estamos encontrando más trastornos relacionados con la edad dentro de esta población. Una de las condiciones que rara vez se discuten, a pesar de su impacto en la calidad de vida, es la disfunción eréctil (DE) en hombres mayores. Un grupo de investigadores canadienses evaluaron a 44 sujetos masculinos. (27 con hemofilia A; 17 con B). Se utilizó un cuestionario estándar para la DE, así como información clínica y pruebas de laboratorio, encontraron que el 39% de los sujetos presentaban síntomas de disfunción eréctil. El riesgo pareció aumentar con la edad. Otros factores de riesgo fueron: fumar, presión arterial alta, mayor proporción de cadera-cintura, y altos niveles de homocisteína en la sangre (un marcador de inflamación de los vasos sanguíneos). Los resultados no fueron comparados con controles no hemofílicos. Se necesita más investigación antes de proponer cualquier conexión entre la disfunción eréctil y la hemofilia. Si le preocupa la DE, hable con su doctor. Hay una serie de medicamentos que funcionan extremadamente bien, y recientemente, varios de ellos se han vuelto genéricos, así que los precios han bajado. [Yang M et al., Haemophilia, 25(2), 283–288, 2019]

EL RIESGO DE SANGRADO ENDOSCÓPICO NO ES MAYOR EN PACIENTES DE HEMOFILIA EN PROFILAXIS

Los procedimientos endoscópicos se han vuelto comunes en la medicina moderna. Un endoscopio es un tubo largo y estrecho que los médicos pueden utilizar para mirar dentro del cuerpo y también para realizar muchos procedimientos quirúrgicos. Un grupo de investigadores canadienses, preocupado por si el uso del endoscopio podría plantear un mayor riesgo de sangrado para pacientes con trastornos sanguíneos, realizó un estudio en su hospital con 48 adultos, que estaban recibiendo endoscopias gastrointestinales (esófago, estómago, colon, incluida la extirpación de pólipos en el colon). Los pacientes tenían hemofilia A o B, enfermedad de von Willebrand, o deficiencia de factor VII o XI. En general, en las 104 endoscopias no encontraron riesgo de sangrado excesivo, siempre y cuando los pacientes estuvieran en profilaxis preoperatoria. [Tomaszewski M et al., Haemophilia, 25(2) 289–295, 2019]

Somos una organización nacional comprometida a brindar servicios excepcionales, con un ambiente familiar.

BIOMATRIX

BioMatrix ayuda a individuos y familias a mejorar la salud y a manejar con éxito la vida con trastornos sanguíneos.



Dedicadas a hacer la diferencia en la vida de las personas con trastornos sanguíneos.

Para obtener más información,
llame o visite nuestro sitio web:
(877) 337-3002 / biomatrixsprx.com



DEDICATED
TO MAKING
A DIFFERENCE

NOTICIAS DE TRATAMIENTOS

Por Dr. David Clark

APTEVO APROBADO PARA 3000 IU IXINITY VIALS. ADEMÁS PLANES DE ESTUDIO PEDIÁTRICO



15/4/19 Aptevo Therapeutics anunció que han recibido la aprobación de la FDA para producir viales de 3000 UI de Ixinity, su producto recombinante del factor IX. Planean lanzar el nuevo tamaño a mediados de 2019. Aptevo también está planeando lanzar un estudio de Fase IV (posterior a la licencia) de Ixinity para uso en la población pediátrica, en el 3er trimestre de 2019. [Comunicado de prensa de Aptevo]

ACTUALIZACIÓN DE LA DISPUTA SOBRE LA PATENTE DE BIOVERATIV/CSL



6/6/19 Bioverativ (ahora parte de Sanofi) presentó una demanda contra CSL Behring en 2017 afirmando que Idelvion de CSL infringe varias de las patentes de Bioverativ para los productos de extensión de vida-media. CSL contrademandó objetando que la patente de Bioverativ no era válida. El Patent Trial and Appeal Board (PTAB) rechazó la refutación de CSL (la refutación de una patente se denomina en inglés *inter partes review* o IPR) a la patente de Bioverativ. Expresaron que CSL no proporcionó explicación suficiente de por qué la tecnología de Bioverativ debió haber sido evidente para una "persona de habilidad común en la materia". La demanda original de Bioverativ contra CSL está programada para un juicio con jurado, a partir del 30/03/20. El sistema legal se mueve lentamente. (La Coalition, NHF y HFA han presentado sus comentarios al tribunal, oponiéndose a la posible retirada de Idelvion del Mercado estadounidense, si Bioverativ gana la demanda). [https://www.biosimilarsip.com/2019/01/31/the-ptabdenies-institution-of-two-iprs-involving-a-patent-directed-to-the-treatment-of-hemophilia-b/]

CATALYST ANUNCIA UNA ACTUALIZACIÓN DEL VARIANTE DEL FACTOR IX



18/12/19 Catalyst Biosciences está desarrollando DalcA (dalcinonacog alfa), una variante del factor IX de vida-media prolongada que se puede inyectar subcutáneamente. DalcA es 22X más activo que el factor IX regular. Catalyst (no la FDA) había detenido su estudio clínico de fase I / II de DalcA, después de que dos pacientes desarrollaron anticuerpos (inhibidores) al producto. Un inhibidor fue temporal y el otro de duración más prolongada. Ambos reaccionaron únicamente a DalcA y no al factor IX regular. Catalyst ha llevado a cabo una impresionante cantidad de investigaciones y

determinó que DalcA no es más inmunogénico (propenso a reacciones inmunitarias y desarrollo de inhibidores) que el factor IX normal. Es decir, que los pacientes tienen las mismas posibilidades de desarrollar inhibidores para productos de factor IX normales como para DalcA. Este hallazgo permitió que la FDA otorgará permiso para proceder a la Fase IIb.

Curiosamente, el hecho de que los inhibidores no reaccionaron a factor IX normal, podría significar que DalcA podría usarse como un tratamiento alternativo para pacientes con inhibidores del factor IX. No hay información de si Catalyst persistirá en esto.

4/2/19 Catalyst Biosciences anunció el comienzo de la inscripción para su estudio de Fase IIb de DalcA. El estudio constará a seis pacientes que recibirán DalcA durante 28 días con el objetivo de mantener sus niveles de factor IX por encima del 12%. Se espera que el estudio se complete a finales de 2019. [Comunicados de prensa del catalizador]

(Nota: Esto es Catalyst Biosciences, no Catalyst Pharmaceuticals. Catalyst Pharmaceuticals, la cual no está en el mercado de la hemofilia, fue recientemente señalada por aumentar el costo de un medicamento previamente gratuito a \$375,000.)

CATALYST ANUNCIA RESULTADOS ACTUALIZADOS PARA MARZAA



2/8/19 Catalyst Biosciences anunció resultados actualizados para *marzeptacog alfa* (activado) (MarZAA), su producto diario de activación subcutánea de factor VII para el tratamiento con inhibidores. MarZAA es una variante FVIIa actualmente en estudios clínicos de Fase II / III. Los resultados han mostrado una marcada reducción en el sangrado sin eventos adversos significativos y no hay evidencia de que se produzcan inhibidores contra MarZAA. El estudio también está investigando el nivel de calidad de vida (CVRS) de los pacientes con inhibidores. Después de sólo 50 días de tratamiento, los sujetos mostraron mejoría en su calidad de vida según lo medido por las herramientas de evaluación de HAL y Haem -A-QOL. Ellos han completado la inscripción y esperan tener resultados en el tercer trimestre del 2019. [Presentado en la European Association for Hemophilia and Allied Disorders (EAHAD), del 6 al 8 de febrero, 2019 en Praga, República Checa]

Hemophilia B Connected es un panel de discusión en línea donde los pacientes, los cuidadores y sus seres queridos tienen la oportunidad de hacer preguntas, compartir experiencias y conectarse entre sí sobre una amplia variedad de temas de apoyo y compañerismo: activismo, problemas psicológicos (depresión, manejo del dolor, hermanos no afectados), terapia física, nutrición y ejercicio, inhibidores, apoyo para las nuevas familias, envejecimiento con hemofilia y ¡mucho, mucho más! Los usuarios pueden personalizar y controlar el contenido que reciben. Para solicitar acceso a Hemophilia B Connected, póngase en contacto con los administradores Rick Starks y Shad Tullidge en: bconnected@hemob.org.

Tenga en cuenta que la sección de Noticias de tratamiento se actualiza regularmente en B Connected. Busque el canal de *Treatment News*. Las noticias se publicarán en línea poco después de que se anuncien.

CATALYST ENTRA EN LA CARRERA DE LA TERAPIA GENÉTICA



2/6/19 Catalyst Biosciences presentó resultados preclínicos de su terapia génica CB 2679d-GT para el tratamiento de la hemofilia B. CB 2679d-GT utiliza el gen de su variante de factor IX DalcA, que se está desarrollando para el tratamiento de la hemofilia B (ver arriba). En ratones con hemofilia B, CB 2679d-GT redujo el tiempo de sangrado 4X e incrementó la actividad de coagulación 3X, en comparación con FIX-Padua. FIX-Padua es aproximadamente nueve veces más activo que el factor IX normal. FIXPadua está siendo utilizado por uniQure y Pfizer en sus tratamientos de terapia génica. [Presentado en la European Association for Hemophilia and Allied Disorders (EAHAD), del 6 al 8 de febrero, 2019 en Praga, República Checa]

CSL ESTUDIOS DE CALIDAD DE VIDA Y SALUD DE NIÑOS EN IDELVION



14/11/18 CSL Behring publicó un estudio sobre la salud y la calidad de vida (CVRS) de los pacientes pediátricos en Idelvion, su factor IX de vida-media prolongada. Veinte pacientes en profilaxis fueron estudiados en dos grupos: doce pacientes, de 4 a 7 años y ocho pacientes de 8 a 12 años. Utilizando cuestionarios válidos, tanto para los pacientes como para sus cuidadores, CSL encontró que el grupo más joven mostró una mejora significativa en la "salud física". El grupo de más edad mostró mejoras en la salud física y en muchas otras áreas. La conclusión de CSL es que la CVRS ha mejorado sustancialmente en pacientes en profilaxis con Idelvion y los proveedores de cuidados están más satisfechos. No está claro si los resultados también se aplicarán a otros productos de vida-media prolongada. [von Mackensen S et al., Haemophilia 25(1), 45-53, 2019]

CSL CANCELA ESTUDIO CLÍNICO DEL FACTOR DE ACCIÓN PROLONGADA FVIIA



1/4/19 CSL Behring ha cancelado el estudio clínico NCT02484638 de su producto de factor de acción prolongada VIIa, utilizada para el tratamiento de pacientes con inhibidores. El producto, CSL 689 o rFVIIa-FP, era un recombinante activo del factor VII fusionado con albúmina para darle una vida-media más larga. El

proyecto fue terminado debido a decisiones comerciales, no por razones de seguridad o eficacia del producto. [NCT02484638 en clinicaltrials.gov]

FDA AUTORIZA BIOSIMILAR RITUXIMAB



12/10/18 La FDA ha aprobado Truxima (rituximab-abbs), un producto biosimilar al Rituxan de Roche (rituximab). El Rituximab es un agente anticancerígeno que a veces se utiliza para tratar a pacientes con inhibidores de la hemofilia. Estos conducen a la destrucción de las células B del sistema inmunológico, las cuales están implicadas en la producción de los inhibidores.

Un biosimilar es el equivalente genérico de un medicamento biológico. Cuando un medicamento de molécula pequeña pierde su patente de protección después de muchos años, la FDA alienta a otras empresas para producir el mismo medicamento de manera genérica. Esto se ve como una forma de aumentar la competencia, bajar los precios y evitar la escasez en el mercado. Dado que el medicamento de marca ya ha sido probado extensivamente, los productores genéricos no tienen que repetir los mismos costosos estudios. Ellos solo tienen que demostrar que su producto es equivalente al producto de marca.

Los biosimilares funcionan de la misma manera. Ahora que Rituxan de Roche está fuera de patente, otras empresas pueden producirlo, así lo han hecho Teva Y Celltrion, los fabricantes de Truxima. Esto puede ayudar a reducir el costo para los pacientes con inhibidores que usan rituximab. [<http://www.biopharminternational.com/fda-approvescelltrion-y-teva-s-biosimilar-rituxan-0>]

12/2/18 Pfizer también está desarrollando rituximab, un biosimilar. Están a la mitad de su estudio de comparabilidad clínica de PF-05280586, su candidato. [Comunicado de prensa de Pfizer]

Tenga en cuenta que ninguno de estos biosimilares de rituximab será indicado para el tratamiento de los inhibidores de la hemofilia, pero los doctores pueden usarlos fuera de las recomendaciones, como lo hacen ahora para Rituximab.

“Una de las cosas más importantes que puedes hacer en este mundo es dejarle saber a los demás que no están solos” — Shannon L. Alder

BCares

PROGRAMA DE ASISTENCIA DE LA COALITION FOR HEMOPHILIA B

El alto costo de los servicios de salud suelen ser un reto para las personas que padecen hemofilia B. Afortunadamente, la cobertura del seguro médico, los programas de asistencia del gobierno, y otras formas de asistencia al paciente, cubren la mayor parte de los costos. Sin embargo, estos programas no abarcan el costo de cuidados médicos que no sean de emergencia, lo cual complica la habilidad que tiene la familia o el individuo que padece trastornos de coagulación, para hacer frente a la vida cotidiana. Estas emergencias pueden incluir hacer grandes esfuerzos por conseguir los recursos suficientes para cubrir los gastos de vivienda, alimentación, transportación o una gran variedad de servicios que son críticos y necesarios.

Cuando estas necesidades no se cumplen, la salud y el bienestar del paciente, al igual que el del resto de la familia, pueden ser afectados negativamente. En muchas ocasiones la ayuda inmediata que se presta en estas circunstancias previene que la situación se salga de control.

La Coalition for Hemophilia B se preocupa profundamente por las familias, los individuos, y las necesidades urgentes que se les pueden presentar. Hace unos años, este sentimiento y el deseo de cumplir la misión de la coalición, nos motivó para establecer el programa de asistencia para los pacientes de hemofilia B y sus familias. El programa se introdujo con el nombre: BCares.

Los contribuyentes comparten nuestras convicciones – en caso de una situación de emergencia, todos podemos hacer más para ayudar. Es nuestra obligación como parte de la comunidad tender la mano y prestar ayuda a corto plazo, durante situaciones difíciles. La Coalition for Hemophilia B ofrece una cantidad limitada de ayuda financiera a los miembros de la comunidad de factor 9, que se enfrentan a emergencias financieras. Las personas que solicitan la ayuda pueden llenar una confidencial y sencilla aplicación. Esta será revisada cuidadosamente por un comité, quien determina y prioriza las solicitudes.

Como puede ayudar usted:

Estamos sumamente agradecidos con los donantes, quienes con su generosidad y compasión han hecho que este imprescindible programa sea posible. Por favor, considere participar en esta gran labor por medio de aportar recursos adicionales; de esta manera, podremos seguir brindando ayuda a los pacientes de hemofilia B en tiempos difíciles de manejo.

Para más información, por favor comuníquese con:

Farrah Muratovic
farrahm@hemob.org
The Coalition for Hemophilia B

Tel: 212•520•8272
hemob.org



NOTICIAS DE TRATAMIENTOS

GC PHARMA ESTÁ DESARROLLANDO EL INHIBIDOR TFPI



Sin fecha. GC Pharma, anteriormente conocida como Korean Green Cross Corporation, está desarrollando un inhibidor en un anticoagulante (TFPI tissue factor pathway inhibitor). El MG1113A de GC es un anticuerpo monoclonal para inyecciones subcutáneas que tiene una vida-media prolongada. Varias compañías también están desarrollando productos anti-TFPI. La idea es que al reducir la cantidad de TFPI se restaurará el equilibrio en el sistema de coagulación por lo que se formarán coágulos más fácilmente en pacientes con hemofilia. Estos productos deberían funcionar para la hemofilia A y B. [Sitio web de GC Pharma]

HEMA BIOLOGICS ANNOUNCES FDA RESPONSES TO FVIIA LICENSE APPLICATION



10/04/18 HEMA Biologics informó que la FDA no tiene preocupaciones sobre la eficacia o seguridad de la solicitud de licencia de HEMA para su tratamiento LR769 Eptacog Beta de factor activado VIIa, utilizado en el tratamiento de pacientes con hemofilia A y B con inhibidores. Eptacog Beta Activated se produce en la leche de conejos transgénicos, la cual se purifica para producir el producto final. [Comunicado de prensa de HEMA Biologics]

INTELLIA PRESENTA LOS RESULTADOS DE LA TERAPIA GENÉTICA CRISPR / CAS9 FACTOR IX



29/4/19 Intellia Therapeutics en colaboración con Regeneron Pharmaceuticals presentaron los resultados de la terapia génica del factor IX empleando el editor genético CRISPR / Cas9, por medio del uso de nanopartículas lipídicas (LNPs) y vectores virales AAV. En estudios de ratones y primates no humanos, Intellia obtuvo niveles de factor IX en el rango normal. El método utiliza LNPs para transportar las moléculas genéticas de edición CRISPR / Cas9 y una guía ARN a las células del hígado, al mismo tiempo que un gen del factor IX se entrega a las células utilizando un vector viral AAV. El sistema CRISPR / Cas9 inserta el gen del factor IX en el genoma, bajo el control del generador de albúmina. [Comunicado de prensa y presentación de Intellia]

ROCHE RETRASA LA COMPRA DE SPARK THERAPEUTICS



26/04/19 Roche ha retirado su notificación a los reguladores de los Estados Unidos acerca de su plan de adquisición por el monto de \$ 4.8. de billones de Spark Therapeutics, una destacada compañía de terapia génica. Los reguladores necesitan más tiempo para

una revisión antimonopolio porque ambas empresas son activas en el campo de la hemofilia A. Tenga en cuenta que esto no afecta la terapia génica Spark SPK-9001 para la hemofilia B, la cual ya ha sido transferida a Pfizer. SPK 9001 se encuentra actualmente en estudios clínicos de fase III bajo Pfizer. [Comunicado de prensa de Roche]

ST. JUDE Y LA FMH COLABORAN EN TERAPIA GENÉTICA



17/4/19 St. Jude Children's Research Hospital y la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) anunciaron una colaboración entre ellos, para seguir desarrollando el tratamiento de terapia génica de St. Jude, con el objetivo de tratar a pacientes de países de bajos y medianos ingresos. St. Jude, junto con el University College de Londres (UCL) fueron pioneros en uno de los primeros tratamientos de terapias genéticas exitosas, el cual fue explicado en un artículo del *New England Journal of Medicine* (NEJM), del 2011. En 2014 un artículo de seguimiento en el NEJM informó que los pacientes del estudio todavía se estaban beneficiando del tratamiento. Tenga en cuenta que el método de St. Jude / UCL también está siendo desarrollado por la empresa comercial Freeline Therapeutics, una empresa derivada de la UCL. [S t. Comunicado de prensa de Judas]

SANGAMO COMIENZA Y FINALIZA EL PRIMER ESTUDIO CLÍNICO DE "EDICIÓN DE GENES" COMO TRATAMIENTO PARA LA HEMOFILIA B



17/12/18 Sangamo Therapeutics anunció el tratamiento del primer paciente en su estudio de Fase I / II, que evalúa a SB-FIX, su terapia génica para la hemofilia B. Sangamo usa el método de edición genética denominada *zinc finger nuclease* (ZFN), para integrar un gen de factor IX directamente en el genoma de las células del hígado. La mayor parte de las terapias genéticas anteriores han utilizado una construcción génica no integradora- los genes existentes no se editan (modifican), en lugar de esto, un nuevo gen se transmite al núcleo de una célula hepática, pero continua siendo una pieza de ADN que flota libremente.

El método de Sangamo es realmente el primer método de "edición de genes" probado para la hemofilia B. Los ZFNs realmente modifican los genes existentes, colocando un nuevo gen de factor IX en el genoma, bajo el control del gen de albúmina existente. La albúmina es la proteína más prevalente en el plasma, la parte líquida de la sangre. Bajo el control del gen de la albúmina, Sangamo espera que el nuevo gen produzca suficiente factor IX.

2/4/19 Sangamo Therapeutics obtuvo malos resultados



Gratis para individuos y familias con hemofilia B. Para obtener instrucciones de cómo registrarse con B Connected, contacte a los administradores del programa: Rick Starks y Shad Tullledge a la dirección electrónica: bconnected@hemob.org

HAY UNA NUEVA MANERA

DE ESTAR CONECTADO A

LOS AMIGOS-FAMILIARES-EXPERTOS

TEMAS DE PROGRAMAS ANTERIORES:

- DR. KIM MAUER: MANEJO DEL DOLOR
- DONNIE AKERS, ESQ: HERRAMIENTAS LEGALES PARA MANTENER
- LOS BENEFICIOS PÚBLICOS
- DR. DAVID CLARK: PRODUCTOS EN DESARROJO Y TERAPIA GENÉTICA
- DEBBIE DE LA RIVA, LPC: SALUD MENTAL Y TRASTORNOS SANGUÍNEOS



¿Por qué conectarte?

El mercado está inundado de nuevas terapias. Es muy importante hoy en día, que todos en la comunidad con hemofilia B tengan la manera de:

- » Obtener información esencial en el tiempo oportuno
- » Diseminar falsos rumores de inmediato y recibir información veraz de los expertos
- » Participar con la comunidad virtualmente, aunque se encuentre físicamente limitado por la hemofilia
- » Hacer preguntas y compartir experiencias con otros pacientes y proveedores de salud
- » Personalizar y controlar el contenido de las notificaciones que desea recibir

contacte: bconnected@hemob.com

APOYO DE GRUPO & PREGUNTAS A LOS EXPERTOS

Por medio de B Connected usted puede conectarse en línea y hacer **Preguntas a los expertos** en la sesión Preguntas a los expertos – sesión por una hora de duración, en la cual se plantean en temas como: apoyo social, depresión, control del dolor, familiares no afectados, terapia física, reducción de las hemorragias en las articulaciones, nutrición y ejercicio, inhibidores, apoyo para las nuevas familias, envejeciendo con hemofilia, y ¡muchísimos temas más!

¡ÚNETE HOY!

Los debates en línea del foro de B Connected son presentados en la plataforma de SLACK y se ajustan 100% a las normas de seguridad de la HIPAA.



NOTICIAS DE TRATAMIENTOS

(bajos niveles de factor) en su estudio de Fase II de SB-FIX, un tratamiento genético terapéutico para la hemofilia B. El estudio está en espera y han vuelto a los estudios preclínicos utilizando un ZFN de segunda generación (ZFN 2.0) que tiene un incremento de cinco a veinte veces más alto. No hay información adicional disponible en este momento.

[Comunicado de prensa de Sangamo y correo electrónico del 4/2/19]

SANOFI ANUNCIA MENOS VECTORES INMUNOGENICOS DE TERAPIA GENÉTICA PARA EL FACTOR IX

22/05/19 Sanofi (Bioverativ) y el San Raffaele Telethon Institute for Gene Therapy (SR-TIGET) en Italia, publicó los resultados de un estudio que busca formas de que los vectores virales utilizados para la terapia génica tengan menos probabilidades de que desencadenen una reacción inmunológica. Un problema con el uso de vectores virales es que a menudo son atacados por el sistema inmunológico, lo cual puede disminuir la eficacia del tratamiento. Los investigadores encontraron que modificando la ingeniería de la superficie de los vectores, para contener la proteína CD47, los vectores se vuelven menos susceptibles a la detección de las células del sistema inmunológico. Ellos mostraron, en primates no humanos, que los vectores lentivirales modificados con CD47 mostraban una transferencia mejorada de los genes del factor IX a células hepáticas, produciendo niveles de factor más altos que con los vectores no modificados.

[Milani et al., Sci. Transl. Med., 11, eaav7325 (2019)]



SHIRE SE CONVIERTE EN PARTE DE TAKEDA

1/8/19 Shire plc, que había adquirido a Baxalta después de haber sido separada de Baxter Internacional, se convirtió en parte de Takeda Pharmaceutical Company Limited en 1/8/19. Takeda es una empresa global biofarmacéutica con sede en Japón. Takeda se enfoca en cuatro áreas: oncología, gastroenterología, Neurociencias y enfermedades singulares. También tienen un negocio de vacunas, y como parte de la compra de Shire, también tendrán una participación importante en mercado farmacéutico de los derivados del plasma. El ingreso anual combinado de las empresas superan los 30 billones de dólares.

Además, Shire/ahora Takeda ganó el premio International Society of Pharmaceutical Engineers (ISPE), por la remodelación de sus instalaciones en Los Ángeles, las cuales eran originalmente la planta de fraccionamiento de plasma de Baxter.

[Comunicados de prensa de Shire e ISPE]



SIGILON AND MIT COLLABORATE ON GENE THERAPY FOR HEMOPHILIA A AND B

1/7/19 Sigilon Therapeutics and Massachusetts Institute of Technology (MIT) are collaborating on a gene therapy approach for both hemophilia A (SIG-001) and B (SIG-003). Sigilon has developed novel engineered human cells that have a synthetic biomaterial covering called Afibromer. The Afibromer coating keeps the cells from being seen by the immune system, thus preventing immune reactions. The cells can be programmed to produce factor VIII or IX. They would be implanted in the body to produce the missing factor in hemophilia patients.

[Sigilon press release]



UNIQUIRE INFORMA DATOS CLÍNICOS ACTUALIZADOS DE TERAPIA GENÉTICA DE LA HEMOFILIA B

2/8/19 uniQure N.V. anunció los resultados del estudio AMT-061 en Fase IIb, su candidato a la terapia génica para la hemofilia B. El estudio de fase IIb se realizó para determinar la mejor dosis para el producto, después de que uniQure cambió a la variante del gen factor Padua IX. Los tres pacientes de hemofilia B severa en el estudio lograron un factor IX de nivel promedio del un 38%. Los tres pacientes presentaron niveles bajos de anticuerpos preexistentes contra el vector AAV5, pero fueron tratados con éxito. Además, dos de los pacientes habían sido excluidos de una terapia génica diferente porque tenían anticuerpos preexistentes al vector AAV utilizado en ese estudio. El tratamiento fue bien tolerado sin reacciones adversas graves. Ninguno de los pacientes requirieron inmunosupresión.

[Presentado en la European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD) Congress, del 6 al 8 de febrero, 2019 en Praga, República Checa]

5/10/19 uniQure NV anunció resultados adicionales de su estudio de Fase IIb de AMT-061, su tratamiento de terapia génica para la hemofilia B. Seis meses después de la administración del tratamiento AMT-061, los niveles de factor IX en los tres pacientes inscritos en el estudio de Fase IIb, han aumentado al 33%, 51% y 57% de lo normal.

[Comunicado de prensa de uniQure]

2/28/19 uniQure N.V. está reclutando pacientes para su estudio de Fase III de AMT-061, su tratamiento para la hemofilia B, con el primer paciente tratado a principios de febrero. Ellos planean inscribir a aproximadamente 50 pacientes para finales del 2019.

[Comunicado de prensa de uniQure]





THE COALITION FOR
HEMOPHILIA



APARTA LAS FECHAS

Suministrando educación
y apoyo a las familias
afectadas con
la hemofilia B.
¡Esperamos verlos pronto!

Registración en nuestro sitio de internet
www.hemob.org/new-events



19 DE OCTUBRE
Columbus, OH
Knoxville, TN

26 DE OCTUBRE
Atlanta, GA
Seattle, WA

2 DE NOVIEMBRE
Baton Rouge, LA
Fort Smith, AR

9 DE NOVIEMBRE
Phoenix, AZ
Schaumburg, IL

Servimos desayuno,
almuerzo y cena.

Se provee cuidado de niños
desde edad infantil a 5 años.

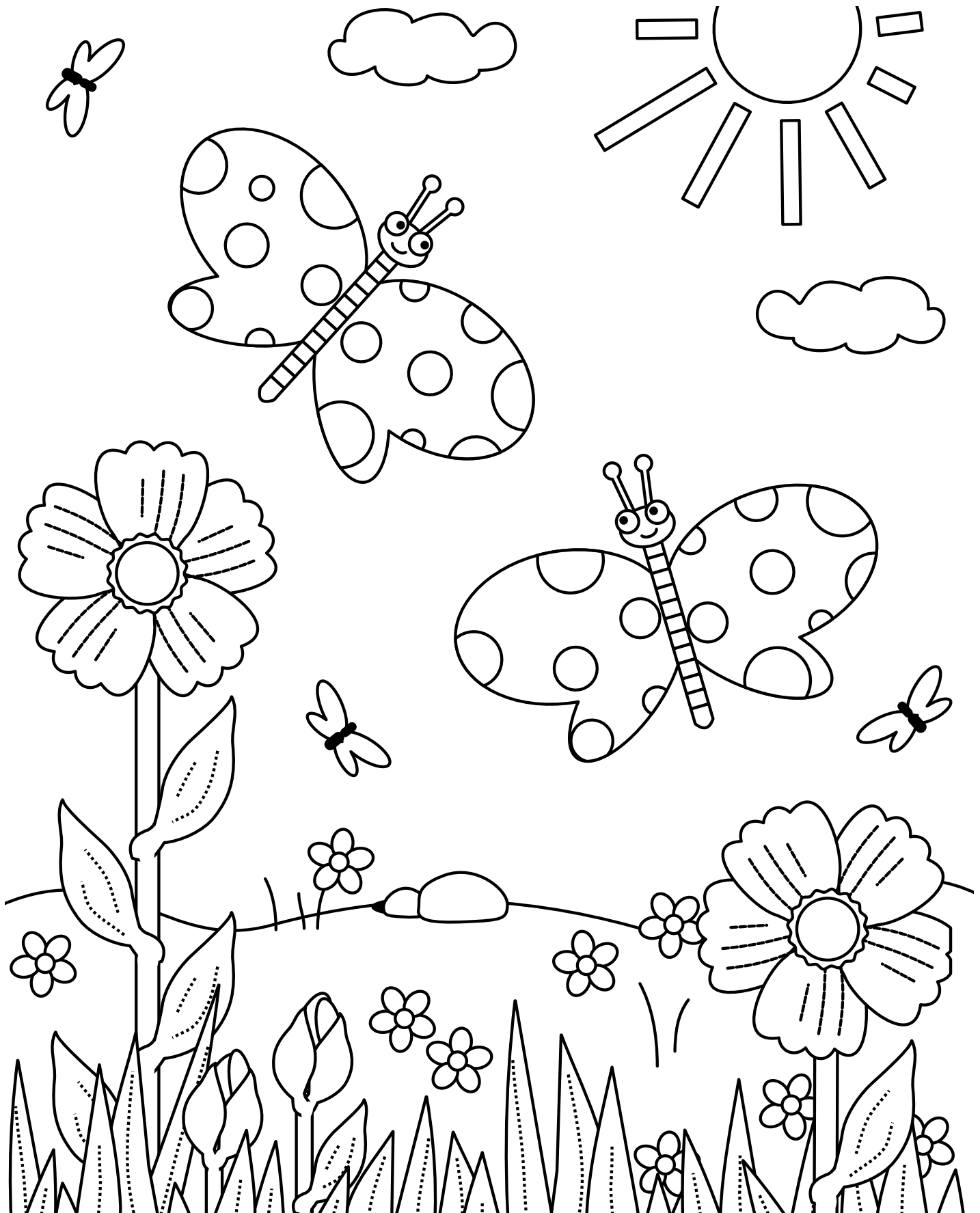
Paseo de un día para niños
de 6 años en adelante.

Gasolina, peaje y
estacionamiento obsequiado
por la Coalition.

Si usted tiene que manejar
por 3 horas o más,
comuníquese con farrahm@hemob.org
para proveerle
una noche en un hotel.



¡LA ESQUINA DE LOS NIÑOS!





The Coalition for Hemophilia B

757 Third Avenue, 20th Floor; New York, New York 10017
teléfono: 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