



Factor Nine News

The Coalition for Hemophilia B

**VERANO 2018
EN ESPAÑOL**

Topics in Hemophilia B

- GENERACION IX: PORTLAND, OREGON
- HORNEANDO SONRISAS DANIELA'S "LITTLE WISH"
- UNA SOLUCIÓN AL ESTRÉS
- NOTICIAS DE TRATAMIENTO
- ¿PUEDO SER UN ATLETA SI PADEZCO DE HEMOFILIA?
- UNA PERSPECTIVA EN LA CIRUGÍA DE RECONSTRUCCIÓN DEL TOBILLO
- TRASTORNOS HEMORRÁGICOS RAROS DEFICIENCIA DEL FACTOR X
- UN AÑO ATRÁS, MUERE EL ÚLTIMO RUSO DE LA FAMILIA REAL CON HEMOFILIA
- NHF WALK NEW YORK
- ¡CELEBRAMOS UNA BODA!
- BCARES
- HOLIDAY FUND



GENERACION IX: PORTLAND, OREGON



GENERACION IX: PORTLAND, OREGON

POR CHRISTIAN VILLARREAL Y SHAD TULLEDGE



El programa de desarrollo personal para adolescentes Teen/Mentor Program, tuvo lugar en las hermosas áreas de campamentos de Camp Collins en Troutdale, Oregon, del 4 al 6 de junio de 2018. El número de participantes incluyó a 22 concejeros y 21 adolescentes. Los mentores llegaron el día martes para realizar su propio entrenamiento. Ellos participaron en diferentes deportes que les ayudo a utilizar sus habilidades para trabajar en equipo. Entre estas actividades se incluyeron: salas de escape, entrenamiento de iniciativa, campos de obstáculos con cuerdas altas, análisis de riesgos y evaluación de aprendizaje, esfuerzo de equipo, entrenamiento para Hunger Games y ejercicios rompehielos.

“Las salas de escape fueron una manera divertida de empezar la semana. Al estar en un cuarto con personas que acababa de conocer, me pareció un poco intimidante, pero fue una manera rápida para llegar a conocernos entre nosotros y formar lazos de unión con la meta de escapar de la sala – felizmente unimos fuerzas. Teníamos una carrera contra reloj para encontrar las pistas que nos ayudarían a escapar el cuarto. Con tan solo 2 minutos para que sonara el reloj, ¡logramos salir en perfecto estado! Esta actividad me enseñó que a veces es bueno dar un paso atrás, y evaluar donde puedo colaborar más, para que se logre el objetivo del grupo. También me ayudo a entender que el trabajo en equipo es mucho mejor que tratar de hacerlo individualmente”.

S. T. - Indiana

Durante la siguiente noche, los mentores participaron en Team Training Hunger Games.

En esta actividad trabajaron en parejas, sobrepasando las limitaciones que se les impuso, tuvieron la oportunidad de usar sus habilidades con el fin de encontrar la pieza que necesitaba el equipo. Rápidamente los grupos se percataron de que no podían completar la misión por si solos. Debían comunicarse con los otros equipos para encontrar los objetos que todos necesitaban. Este entrenamiento ayudó a los mentores a mejorar su habilidad de comunicación y su aptitud para colaborar coherentemente tanto en grupos pequeños como grandes.

El jueves, los mentores fueron al aeropuerto para dar la bienvenida a los jóvenes y almorzaron todos juntos. Al regresar al campamento, los participantes se instalaron en sus cabinas y se reunieron pronto para cenar y participar de un divertido concurso de doblaje de canciones. Los mentores y los adolescentes fueron organizados en grupos y debían asignarse entre ellos diferentes trabajos tales como diseñador de moda, director de luces o actores. Cada equipo debía escoger la canción que iban cantar en frente de un panel de jueces (Coalition and GutMonkey staff) y una audiencia. Los participantes entraron en acción rápidamente para crear el mejor espectáculo y lograr ganar el concurso. Como resultado conseguimos una noche con presentaciones como la de Barbie Girl, Eminem’s Lose Yourself, Disney’s Frozen Let It Go, Carlie Rae Johnson’s Call Me Maybe, y ¡muchas más! Los grupos se rieron y se animaron mutuamente lo cual produjo que los participantes se acercaran y formaran vínculos con sus compañeros. El viernes, los mentores trabajaron con los jóvenes y formaron 3 grupos. Cada grupo





participaría de una de las tres diferentes actividades preparadas: circuito de cuerdas altas, juegos de iniciativa emprendedora o lanzamiento de hachas. En el circuito de cuerdas altas, a una altura de más de 30 pies de alto, los equipos trabajaron en parejas para manipular diferentes obstáculos. Cada persona participó según su nivel de comodidad, ya que el programa está diseñado para permitir que cada individuo escoja su propio desafío libremente. Los participantes del tiro de hachas practicaron su puntería sobre los blancos de madera. Los mentores utilizaron parte de su previo entrenamiento introduciendo actividades rompehielos como el laberinto de obstáculos y equilibrio en equipo, donde tuvieron que trabajar juntos para conseguir la meta, utilizando paciencia y perseverancia y trabajo en equipo! Los mentores explicaron, dirigieron y apoyaron los grupos a medida que completaban sus actividades. Después de un día de practica, todos se reunieron para una de las actividades favoritas, The Nighttime Rappel. Tanto los jóvenes como los mentores se alistaron con arneses de seguridad y se organizaron en parejas para descender una pared de 50 pies de altura, durante las horas del anochecer. Los mentores ayudaban a los participantes sujetaban las cuerdas, mientras todos los demás los apoyaban con palabras ánimo.

Durante el día final, todos regresamos

a la hermosa ciudad de Portland para participar en otras entretenidas actividades en equipo. La primera parada fue en DIY Soda Shop, donde el grupo tuvo la oportunidad de unir sus habilidades en un proyecto artesanal. Las opciones artesanales fueron: etiquetas de identificación para el equipaje, protectores para pasaportes, billeteras, materas de concreto o decorado de puntillas en madera. Los integrantes se ubicaron en mesas donde se organizaron en grupos de 6-8 personas y disfrutaron de sodas, mientras trabajaban en sus proyectos.

Las actividades brindaron la oportunidad de generar conversaciones entre mentores y adolescentes acerca de viajes futuros donde usarían sus nuevos protectores para el pasaporte, y como la billetera serviría para guardar el dinero de un nuevo trabajo que uno de los jóvenes iba a emprender pronto. Esta fue una excelente manera de generar vínculos de unión mediante la creatividad. Continuamos el día con el grupo de GutMonkey, quienes organizaron una búsqueda de pistas llamada Geocaching Scavenger Hunt. Durante esta actividad los grupos de mentores y adolescentes recorrieron la ciudad de Portland para encontrar pistas que les dejarían saber su siguiente destino. Después de un largo día en la ciudad, los participantes regresaron a campamento; allí, descansaron, cenaron y se reunieron por ultima vez alrededor de una fogata,

donde expresaron y compartieron las entretenidas experiencias que efectuaron durante el día. El domingo, los mentores y los adolescentes disfrutaron del desayuno y se despidieron para regresar a casa. Estamos muy agradecidos a nuestro generoso patrocinador Aptevo por su apoyo, y a GutMonkey por planificar un maravilloso programa para nuestra comunidad con hemofilia B.

Esta fue mi primera vez con GenIX en Portland. Compartí una semana repleta de diversión con mi familia de hemofilia B. No sabia que esperar, pero me encanto y ¡pasé unos días maravillosos! Especialmente me gustó las diferentes actividades con el circuito de cuerdas. Fue una gran oportunidad para salir de mi zona de confort, estrechar lazos con mi comunidad de hermanos y hermanas, y experimentar algunas lecciones transformadoras. La actividad del Rappel fue muy entretenida, nunca había hecho algo parecido antes – ¡fue verdaderamente una experiencia única para mí! Fue fortalecedora, divertida, excitante y escalofriante (pero no tanto). Finalmente, fue definitivamente una experiencia que ¡nunca voy a olvidar! – A. I. Missouri

A special THANK YOU to our generous sponsor!



HORNEANDO SONRISAS DANIELA'S "LITTLE WISH"

POR MICHAEL PERLMAN

Conoce a Daniela Delgado, una niña de 11 años humanitaria, quien ha demostrado mucha pasión y dedicación desde que tenía 4 años de edad, cuando estableció su fundación "Daniela's Little Wish." Con la misión de "hornear sonrisas para niños que padecen enfermedades graves o discapacidades", ella continúa logrando éxito en su esfuerzo por ayudar a los niños y sus familias en la localidad y gradualmente en toda América.



Daniela es hija única y vive con sus padres en Sandy Hook, Connecticut y es estudiante del sexto grado. Ella es muy espiritual y agradecida por pertenecer a una familia muy unida, que se extiende más allá de su ciudad de residencia y la cual incluye a su abuela maternal, Tita. Ella también quiere mucho a sus dos schnauzers, Toby y Luna, y a un yorkie llamado Nina.

A la edad de 4 años, Daniela observó a sus padres preparar un pastel, y encontró su inspiración en el talento que sus padres desplegaban para el decorado de pasteles. Desde entonces ella hizo una promesa, ella recuerda: "Levante mi varita mágica - 'la espátula' - y pedí el deseo de poder hornear pasteles para niños con enfermedades que amenazaran su vida o serias discapacidades. Les pregunte a mis padres si me podrían ayudar, y ellos me han apoyado desde aquel día".



Pero la mayor inspiración de Daniela se originó de un niño con el que asistió a la guardería infantil. Ella explica: "Él tenía parálisis cerebral, todos los días lo ayudaba y disfrutaba con su compañía. No me gustaba cuando los otros niños se burlaban de la manera de caminar o cuando lo veían comer. Esto me hizo darme cuenta que, no importa que condiciones tengamos o como nos vemos, estos niños son como yo y todos los niños merecen ser tratados debidamente".

De acuerdo con Daniela, todos los pasteles realizados a través de los años, han sido personalizados y "hechos con amor," para un gran número de causas. Ella recuerda haber ofrecido de 15 a 20 pasteles de cumpleaños de manera gratuita para niños enfermos. "Yo les pregunto a los niños o a los padres cual es su personaje o tema favorito, y que sabor y relleno prefieren para los pasteles. Mis bizcochos están cubiertas con fondant o crema de mantequilla dependiendo del diseño". Además, hacemos disponible magdalenas o pasteles para eventos de

recaudación de fondos, escuelas con necesidades especiales y organizaciones sin ánimo de lucro.

Daniela's Little Wish empezó como un programa local en Stamford, donde ella creció. A medida que ella tenía la oportunidad de conocer más niños en otras ciudades vecinas, empezó a entregar pasteles en diferentes áreas de Connecticut, seguidas por Nueva York, Rhode Island, y Nueva Hampshire. Recientemente, ella ha expandido su trayectoria, viajando a Chicago y Arizona y tiene en mira el estado de Ohio. "No me gusta perder la oportunidad de poder llevarle un pastel de cumpleaños a un niño con hemofilia severa, pues este grupo es mi comunidad", dijo Daniela.

Daniela fue diagnosticada con von Willebrand tipo 1c, un severo problema de coagulación, el cual heredó de su madre. Ella dijo: "Pasé un tiempo con muchas dificultades, pues tuve hemorragias por 3 meses sin parar. Mis medicamentos no estaban trabajando apropiadamente, y estaba perdiendo muchos días de escuela. Algunos días sentía tanto dolor que no podía caminar o hacer ninguna actividad, pero nunca perdí la esperanza de que algún día íbamos a encontrar la cura". Además, también ha sido diagnosticada con síndrome de hiper movilidad articular, también conocido como el síndrome de Ehlers-Danlos, el cual ha afectado sus rodillas y tobillos. Sin embargo, Daniela es un gran ejemplo de esperanza y perseverancia. Ella dice: "Mi enfermedad nunca definirá quien soy. Yo soy fuerte, independiente, motivada y una niña normal que tiene una larga vida por delante. Mientras viva en esta tierra, haré todo lo que esté en mi poder para ayudar cualquier persona, en cualquier tiempo y lugar".

Al reflexionar en sus experiencias, ella las considera como diferentes formas de inspiración. Daniela dice, "Ellas no solo me abren puertas, pero también sus corazones, y comparten su tristeza, preocupaciones, esperanzas y



alegrías. Cada entrega es única”. Hay historias de niños que han fallecido y aunque ella las considera difíciles de pasar, se mantiene motivada al saber que ella ayudo a generar sus sonrisas.

Con el fin de cumplir su sueño, su iniciativa está en curso a convertirse en una organización sin ánimo de lucro. Ella ha establecido una página Web llamada GoFundMe para ayudar a pagar gastos asociados con la labor. “Quiero organizar eventos para recolectar fondos, hacer talleres de pastelería, y quiero viajar a través de la nación y distribuir pasteles para más niños”. Además, Daniela concibe la idea de viajar al extranjero. “Los niños con enfermedades graves o discapacitados tienen menos oportunidades que los niños en nuestro país. Ellos necesitan saber que alguien como ellos se interesa, y también necesitan muchas sonrisas y esperanza, aunque venga de un pastel de cumpleaños”.

Daniela’s Little Wish mantiene una presencia en Facebook, Instagram, LinkedIn, y YouTube. La iniciativa es costeada principalmente por sus padres, mientras que algunas donaciones son colectadas por individuos y organizaciones como The Coalition for Hemophilia B y CT Block Party. Aunque sus padres no son adinerados, ellos hacen sacrificios para ayudar a Daniela a marcar la diferencia. Ella explica: “Mis padres son personas muy trabajadoras, ellos son inmigrantes de Colombia y México. Yo soy su primera generación. Aunque mis padres no dicen nada, muchas veces cancelan trabajos para ayudarme hacer los pasteles y viajar. También contribuyen con dinero para comprar los ingredientes y otros materiales”.

La meta de Daniela a largo plazo es que su organización llegue a reconocerse mundialmente, pero para esta próxima década ella ya tiene una misión. “Yo aspiro a estar en la universidad y estudiar medicina, pero también luchar por los derechos de los seres humanos y los animales”.

Daniela le debe mucha gratitud a todos los que la rodean y han sido, de alguna manera una influencia positiva en su vida. Ella comenta: “Yo estoy muy agradecida con mis padres. La manera de educarme y transmitirme sus altos valores, su moral y su preocupación por los demás es lo que me ha inspirado. Ellos me enseñan el respeto, la igualdad y el amor por las demás personas, los animales y la naturaleza. Por medio de Daniela’s Little Wish, he tenido el honor de conocer a personas que cuidan de otras con amor, intensidad, y hoy son nuestros queridos amigos. Son personas con un corazón maravilloso”.

Cuando ella no está atendiendo la escuela o realizando su misión, su esfuerzos humanitarios continúan como benefactora de su comunidad con hemofilia B. Ella dice: “Participo de eventos para aprender más acerca de mi condición, ayudo a recaudar fondos, y hablo en publico acerca de mi condición”. Este mes ella estará viajando por toda la nación haciendo presentaciones acerca de su situación medica mientras le enseña a otros a decorar pastelitos.

Hay muchas formas de ser humanitarios. “Las personas pueden donar fondos para pagar los gastos de entrega de un pastel y convertirse en un hada de pasteles de cumpleaños”, ella expresó con una sonrisa. Otras donaciones podrían ser utensilios de pastelería e ingredientes. La comunidad también puede seguirnos haciendo un clic en el botón ‘Me gusta’ de la pagina de Facebook: www.facebook.com/DanielasLittleWish, compartir su experiencia con los demás, o referir a un niño enfermo.

Con la ayuda de sus padres, ella ha creado otra pagina, www.facebook.com/freeservicesforchildrenwithillnessesordisabilities, la cual se ha convertido en un valioso medio para promover organizaciones sin fines de lucro y personas que ofrecen servicios complementarios y regalos para los niños y familias con enfermedades o discapacidades.

EL TOQUE HUMANITARIO

ROBERT LAWRENCE FRIEDMAN

UNA SOLUCIÓN AL ESTRÉS

POR MICHAEL PERLMAN



Una persona puede otorgar más sentido al sonido de los tambores después de tener un encuentro con Robert Lawrence Friedman, quien denomina a Forest Hills, Nueva York, su casa. Él es el fundador y presidente de Stress Solutions, Inc. Y Drumming Events, entre sus muchas labores esta la de entrenador corporativo, conferenciante, autor y psicoanalista. Él dice: “Por medio de ofrecer este programa a más de 10.000 individuos en siete países, mis participantes me han enseñado que todos podemos beneficiarnos de los sonidos de la percusión”.

Friedman introdujo el taller Healing Power of the Drum, un programa comunitario positivo, interactivo que brinda beneficios físicos, emocionales y psicológicos con una amplia gama de variedad desde alivio para el estrés hasta control de la ira. Él asegura que no hay necesidad de tener experiencia previa y explica: “Sin importar raza, religión, color, antecedentes o ideologías, todos se integran por medio de este antiguo llamamiento instrumental. El tambor se convierte en un vehículo que transporta a los que lo utilizan, a través de las fronteras a una experiencia de integración y comunidad”.

La Coalition for Hemophilia B y la comunidad han recibido grandes beneficios de la experiencia y guía del señor Friedman. Él proveyó para la coalición el programa del simposio del 2018, efectuado en Florida y su éxito continua al participar en los retiros para hombres y mujeres realizados en Arizona.

Kim Phelan, vicepresidente de la Coalition for Hemophilia



B, dijo al respecto: “Estoy encantada por el éxito de las sesiones de tambores en grupo para las personas que padecen hemofilia. Este es otro gran instrumento para ellos, pues ayuda a disminuir el estrés en tanto que los vigoriza”

Friedman ha publicado tres libros, *The Healing Power of the Drum – A Psychotherapist Explores the Healing Power Rhythm* (2001). *The Healing Power of the Drum – A Journal of Rhythm and Stories* (2010), y *How to Relax in 60 Seconds or Less* (2011).

Tan versátil como los tambores han resultado ser, el sector demográfico también es bastante extendido. Él ofrece sesiones de tambores que abarcan desde niños hasta jóvenes de 3 a 19, adultos desde 20 a 80, y personas mayores de 75 a 104 años de edad. Él dice: “Actualmente, estoy proveyendo un programa en Barcelona a 300 personas en un taller de cinco días. Esta sesión es diferente de la que ofrezco a un grupo de 25 adultos interesados en una reunión familiar interactiva”.

“Estoy muy agradecido por esta, y las muchas oportunidades que me han permitido trabajar con tantas personas extraordinarias”, dijo Friedman, quien se ha convertido en una fuente de inspiración para pacientes de Alzheimer, cáncer, Parkinson y apoplejía, así como también ayuda a niños con autismo. Entre sus muchos logros está la ayuda que ha prestado a estudiantes que han pasado por intimidación en la escuela, las prisiones y adolescentes que han sido detenidos, veteranos de guerra, niños abandonados, y niños en situación de alto riesgo que están encarcelados. Él también colabora con personas, que por definición funcionan normalmente, tales como ejecutivos corporativos, adultos jóvenes, adultos y ancianos.

Desde los 7 años de edad hasta los 18, Friedman se crió en Rochdale Village en el sur de Jamaica, Nueva York. A pesar de las memorias negativas de intimidación en sus años de juventud, él reorientó su energía. “Tomaba mi rabia, mi frustración y mi tristeza y cuando llegaba a casa golpeaba los tambores. Después recibí un grado de maestría en consejería escolar de Hunter College, y un certificado de



posgrado en psicosis. Yo adquirí 100 tambores para ver si personas que no tenían experiencia con ellos, podían obtener los mismos beneficios. En 1986, el New Age Health Spa decidió ensayar una idea radical, ubicar tambores frente a personas que nunca los habían usado, esta idea fue tan exitosa que desde entonces he dirigido mi programa por 17 años. Mi pasión por los tambores fue algo que siempre estuvo presente conmigo, pero mi pasión por asistir a otros, se originó de la ayuda que me brindó el uso de los tambores para sobrellevar mis dificultades". Friedman disfruta tocando los tambores que se tocan con las manos, llamados congas, los cuales se originaron en Cuba, y el yembé, proveniente de África occidental. Sus talentos continúan en calidad de artista Remo.

Friedman le debe mucha gratitud a los gran ejemplos que ha tenido, tales como su madre, Sylvia, quien falleció este año. "La llamaba 'the world's diplomat,' porque le hablaba a cualquier persona que conocía, y desarrollaba una amistad instantánea por medio de su calidez y amor. Recordaré siempre sus palabras: 'sé tu mismo y tendrán suerte de conocerte'". Otras personas que le han servido de inspiración son: Martin Luther King, Jr. y Mahatma Gandhi, quienes se dedicaron a mejorar el mundo por medio de sus creencias y acciones.

La secuencia de sesiones y programación cambia en base a los asistentes, pero un programa empieza escuchando el sonido del tambor, lo cual logra la tendencia de seguir el ritmo dominante. Esto es parecido a cuando uno sigue el ritmo con el pie. Friedman explica, "He tenido participantes que simplemente escuchan el sonido de los tambores mientras respiran lenta y regularmente por aproximadamente cinco minutos. Al disminuir el ritmo de su respiración, ellos reducen el ritmo cardiaco y empiezan a normalizar su presión arterial; al incrementarse la circulación se produce un cambio en el ritmo cerebral y se entra en un estado alfa de paz interior y tranquilidad". Por medio del ejercicio Take One Pass One, introducido por el músico terapeuta Barry Bernstein, los participantes se pasan alrededor unas maracas en forma de huevo, se va incrementando el paso hasta que todos los huevos caen al piso. Seguidamente los participantes se expresan a través de los tambores, potencialmente como solistas, repitiendo, construyendo ritmos o aprendiendo ritmos africanos. Friedman continua: "Terminamos la sesión con meditación o un ejercicio de imaginación". Mientras el sonido del tambor libera, consiente e inconscientemente, el estrés

acumulado, los participantes usualmente experimentan una combinación de euforia, paz o energía al final de la sesión".

Tal como el autor Layne Redmond manifestó en su libro, *When the Drummers Were Women*, cuando un grupo de individuos tocan los tambores juntos, los hemisferios cerebrales, típicamente operan en un ciclo dominante de 20 minutos, y al mismo tiempo pueden estar sincronizados; esto se conoce como Sincronización Hemisférica. Friedman explica: "Los científicos creen que la integración de los hemisferios solamente ocurre en un estado profundo de meditación y cuando las personas tocan los tambores en grupo. Y es la base científica para la para trascender los diferentes estados de conciencia. Lo que ocurre al final de un programa de tamborileo es realmente extraordinario, los participantes se van sintiéndose energizados, pero también sosegados, dos emociones polarmente opuestas. Creo que estas emociones se producen a raíz de la sincronización hemisférica cerebral".

Después de la masacre de Sandy Hook, Friedman recibió una invitación para coordinar una sesión de tambores en grupo para los niños, padres y profesores. Él recuerda, "Estas experiencias fueron particularmente conmovedoras, pues el redoble de los tambores generó beneficios terapéuticos para ayudar a liberar cargas emocionales. Recuerdo a una mujer que dijo que ella sintió que el uso de los tambores le permitió liberar un poco del dolor que sentía y le ayudo a recordar la felicidad, aunque fuera solo por el corto espacio de tiempo que estuvieron tocando los tambores en grupo". También recuerda su encuentro con una residente de Cliffs Nursing Home, de 97 años de edad. "Mientras tocaba los tambores ella me dio las gracias por ayudarle a recordar su joven y alegre actitud."

En un hospicio de la Republica Dominicana, conoció a un niño que tenía cáncer. Él explica: "Cuando le pregunté si le gustaría tocar los tambores conmigo, me respondió que sí, pero que solo podría usar una sola mano como resultado de la quimioterapia. Entonces miré este preciso niño levantarse lentamente de donde estaba acostado, se sentó y sonrió. A medida que le enseñaba los ritmos, observé como este dulce niño de 12 años de edad, por un momento, olvidaba su enfermedad y se desplazaba a un estado de felicidad. Su madre entró en la habitación rebotante de alegría, al ver a su hijo enfocado en los tambores. Ella comentó que antes de la enfermedad, al niño le gustaba esta actividad. Decidí darle un tambor y un

set de baquetas. Él me miró y me preguntó: '¿Cuándo vas a regresar?'" Friedman se entero que el niño había sido dado de alta del hospicio y actualmente se encontraba en su casa.

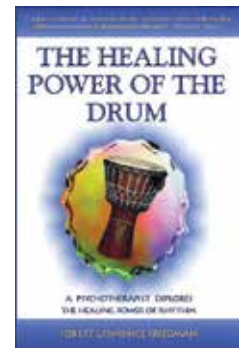
Cuando el International Burn Congress, una organización que provee apoyo a los sobrevivientes de quemaduras, invito a Friedman a ofrecer un programa de tambores en grupo en su conferencia anual, él se sintió admirado por los individuos que encontró. Algunos bomberos habían experimentado quemaduras del 75 por ciento de sus cuerpos durante 9/11. Él recuerda una interactiva y conmovedora experiencia. "Estar quemado a ese grado crea enormes cicatrices físicas, emocionales y psicológicas".

Otra persona que conoció fue una mujer que practicaba la meditación. Él explica: "Un día ella estaba en su casa y llevaba puesto un vestido largo, se estaba preparando para meditar. Había una pequeña vela de té en el suelo, y en el momento en que se levantó, su vestido cogió fuego. Ella pensó que podía llegar hasta el baño, pero en lo que llegó su vestido estaba completamente en llamas. Entró en la ducha, pero ese día habían cambiado los grifos del agua y ella había olvidado cual era cual. Ella abrió la llave de agua caliente. Ella logró llamar a su esposo, el cual se puso pálido al verla en ese estado. Ella fue admitida al hospital con quemaduras en el 75% de su cuerpo, perdió una pierna, un brazo, y tenía cicatrices en todo su cuerpo. La tuvieron que inducir en un coma médico por tres meses".

Friedman señaló que esta experiencia con los tambores habían despertado en ella una apreciación por la vida, la cual no tenía antes. Él continua diciendo: "Cuando estaba conduciendo mi taller, ella saltaba mientras tocaba el tambor, con una sonrisa radiante. El ver como una persona con tantas adversidades, encuentra un gozo tan vigoroso, me conmovió en lo más profundo de mi ser".

En Nueva York, las sesiones de Friedman han sido llevadas a cabo en residencias de ancianos, como el Parker Jewish Institute y Fairview Rehab & Nursing Home, bibliotecas tales como: la Great Neck Library y Lynbrook Library, también centros de educación superior que incluyen el Queens College, Nassau Community College, y escuelas como: Francis Lewis High School, PS 130, PS

200, PS 5, PS 8, y PS 9. Además ha trabajado con campamentos como Mohawk Day Camp, y corporaciones como: Standard & Poor's, HBO, y hoteles Hyatt. También se le puede encontrar en hospitales, incluyendo: Cornell y Monmouth Medical Center, asimismo trabaja con profesores de NYC Board of Education, y organizaciones de beneficencia, incluyendo a Big Brothers y las Girl Scouts. "Internacionalmente, he suministrado eventos de tambores en grupo enfocados en los temas de liderazgo y trabajo en equipo por un espacio de 12 años, al YPO y los Village Camps en Leysin, Suiza, una conferencia de terapia musical en Singapur, y programas de liderazgo en Malasia, España, Inglaterra, e Irlanda", comentó.



Mediante la organización de Friedman, Stress Solutions, Inc, él provee asesoría para RWJ Barnabas Health, y es un entrenador corporativo, y ofrece útiles programas a enfermeras, doctores y miembros del personal con títulos como: Managing Stress, Conflicts in Relationships, y Staying Motivated. Actualmente, su éxito es evidente en el desarrollo y asesoramiento de aproximadamente 30 seminarios. Él ha provisto distintos programas a corporaciones como: Pitney Bowes, Accenture, y S&P Global. Muchos de sus cursos se encuentran disponibles en www.stress-solutions.com.

Friedman sirvió como presidente de el Health and Wellness Committee para la Persuasive Arts Society por un periodo de 14 años, y actualmente sirve en la junta asesora de Drum Circle Facilitators Guild. En 2014, recibió el premio Hearst Scholar Award, otorgado por la universidad de Iowa por su trabajo como baterista, y programas de bienestar. Se presentó en calidad de experto en estrés, en Class of '75, un documental de un año de duración, en el canal Discovery Health. Otras presentaciones han sido en el Today Show en NBC, Fox News, CNBC, y numerosos programas de televisión en Japón. Ha aparecido en medios de comunicación impresa tales como: The Wall Street Journal, The Washington Times, U.S. News & World Report y un artículo de tres paginas en Newsday.

En junio 15, de 6 pm a 7 pm, Friedman ofreció al público: Healing Power of the Drum, un taller gratuito en Forest Hills en el Genesis Tree of Life Yoga & Wellness Center, localizado en la avenida Metropolitan, número 102-06. "Mi meta a corto plazo es poder proporcionar más seminarios a nivel local y lanzar una serie regular en el centro Genesis Tree of Life".

Friedman mantiene una presencia activa en las redes sociales: www.stress-solutions.com, www.drumming-event.com, y www.mypersonaloasis.com, donde sus libros están disponibles, además del sitio web de Amazon. Él se siente honrado al interactuar con el público por medio de su correo: rlf@stress-solutions.com.



NOTICIAS DE TRATAMIENTO

Desarrollo de tratamientos para la Hemofilia B: Se necesitan pacientes

En comparación con algunas décadas atrás, cuando no sucedía nada, en el presente, hay una tremenda cantidad de nuevos tratamientos en desarrollo para la Hemofilia B. Esta es una buena noticia, pero también se está agotando el suministro de pacientes dispuestos a participar como voluntarios en los ensayos clínicos requeridos. Todos los tratamientos nuevos deben probarse en seres humanos antes de que puedan ser aprobados por la FDA y puestos en el mercado. Hay solamente 4.000 pacientes con hemofilia B en los EE. UU. y muchos de ellos no pueden participar debido a varios factores (cada estudio tiene diferentes requisitos de ingreso). Otros pueden desconfiar de los riesgos o no tienen tiempo, otros pacientes nunca han pensado en participar o no sabían que era necesario.

Muchos pacientes mayores han estado participando en varios ensayos a lo largo de los años. Sienten que quieren devolver algo a la comunidad que los ha ayudado en las buenas y en las malas y quieren contribuir al bienestar de las generaciones más jóvenes. A estos participantes les debemos mucha gratitud por su contribución.

Si usted está interesado (a) en participar en un estudio o si está buscando opciones y solo quiere saber más sobre el tema, hable con su hematólogo o su CTH (Centro de Tratamiento Para La Hemofilia). Muchos de ellos actualmente están tratando pacientes en varios ensayos o tienen colegas que lo están haciendo. Los estudios clínicos generalmente son realizados por médicos externos para eliminar posibles conflictos de intereses que pudieran ocurrir si los estudios fueran ejecutados directamente por las compañías que desarrollan los productos. Debido a que nuestra comunidad de hemofilia es relativamente pequeña, muchos de los participantes están involucrados en múltiples ensayos.

Otra fuente de información es www.clinicaltrials.gov. Allí encontrará una lista de todos los estudios aprobados por la FDA. Busque bajo la referencia "hemofilia B". Sin embargo, las descripciones en esta página web realmente no contiene toda la información necesaria, por lo que, si está interesado en una prueba específica, lo mejor es ponerse en contacto directamente con la persona mencionada en la lista o pedirle más información a su hematólogo en su CTH.

Catalyst anuncia resultados Positivos para la variante del Factor VIIa



Catalyst Biosciences ha reportado en el intermedio, resultados positivos para los estudios de Fase II/III de su variante subcutánea del factor VIIa utilizados en el tratamiento de los inhibidores de la Hemofilia A y B. La variante, llamada Marzeptacog Alfa (activado) o MarzAA tiene una actividad más alta y una vida media más larga que el factor VIIa normal. Tres pacientes han sido tratados. El primer paciente que tenía una tasa anual de sangrado (ABR) de 26.7 antes del tratamiento, con la aplicación de MarzAA no tuvo hemorragias durante 50 días con una dosis de 60 µg/kg y una hemorragia el día 46 con una dosis menor de 30 µg / kg. El segundo y tercer paciente, quienes se habían mostrado antes del estudio un ABR de 16.6 y 15.9 tampoco presentaron hemorragias por 50 y 44 días, respectivamente, con una dosis de 30 µg / kg. No se han observado inhibidores con MarzAA. El catalizador también encontró que MarzAA tiene una vida media de 3.5 horas cuando se administra por vía intravenosa, pero 9.5 horas por vía subcutánea.

Catalyst también ha tenido algunos problemas con su producto de factor IX subcutáneo en desarrollo (ver último número). Debido a esto y otros asuntos, un grupo de inversionistas están llevando a cabo una investigación sobre posibles violaciones de las leyes de seguridad. Los inversionistas creen que una serie de declaraciones de Catalyst concerniente a sus negocios, prospectos y operaciones, podrían haber sido falsas y engañosas. Eso puede o no ser cierto, pero muestra algunas de las dificultades que enfrentan las pequeñas empresas cuando dependen de financiamientos externos. R & D es un negocio complicado. Siempre se está lidiando con lo desconocido y su próximo gran problema puede estar a la vuelta de la esquina. La mayoría de esos problemas finalmente se resuelven, pero a los inversionistas no les gusta la incertidumbre. Los precios de las acciones de estas pequeñas empresas dan grandes saltos subiendo o bajando dependiendo de las últimas noticias y eso puede afectar la cantidad de dinero que tienen disponible para la investigación.

City of Hope desarrolla nueva tecnología de edición de genes

Investigadores del City of Hope Medical Center en California



están desarrollando un nuevo método de edición de genes para la hemofilia A que, si tiene éxito, también podría ser adaptada para tratar la Hemofilia B. Muchas compañías de terapia génica están usando vectores virales adeno-asociados (AAV) para administrar genes normales a pacientes con enfermedades genéticas. La mayoría de estos genes se agregan al núcleo de las células afectadas y no reemplazan los genes mutados en el genoma del paciente. Los investigadores de City of Hope han aislado un subtipo de AAV de células madre de sangre humana (células que residen en la médula ósea y continuamente producen nuevas células sanguíneas) llamadas AAVHSC. Los AAVHSC pueden entregar secuencias de genes a células específicas que realmente corregirán las mutaciones en los genes de un paciente, lo que debería conducir a un efecto de por vida. City of Hope ha licenciado su tecnología a Homology Medicines, Inc., que continúa financiando la investigación

Controversia de CRISPR

CRISPR / Cas9 es un método de edición de genes que se ha promocionado como el futuro de la terapia génica. Ninguna



de las terapias génicas que se están desarrollando actualmente para la hemofilia usa CRISPR/Cas9, pero varias compañías la están utilizando para desarrollar terapias génicas para otras enfermedades y podrían apuntar a la hemofilia en el futuro. Sin embargo, algunos estudios recientes han sugerido que CRISPR / Cas9 podría causar cáncer en algunos tipos de células y otros efectos indeseables en otras partes del cuerpo. Tanto los beneficios potenciales de CRISPR/Cas9 como sus posibles peligros han sido exagerados por la prensa. Los científicos parecen tener una visión más equilibrada de los beneficios y los peligros, y prefieren proceder con cautela. Ninguna empresa quiere gastar grandes cantidades de dinero desarrollando un tratamiento de terapia génica, solo para descubrir que causa problemas.

Express Scripts limita los productos disponibles para la Hemofilia A



Express Scripts es uno de los Administradores de Beneficios de Farmacia (PBMs) más grandes en los Estados Unidos. Los PBMs trabajan con compañías de seguros y Medicare para administrar la parte de farmacia de una póliza de seguro de salud. Express Scripts hizo público recientemente su formulario para el 2019 y excluye varios productos recombinantes de Factor VIII

para pacientes con hemofilia A. Eso significa que esos productos no estarán cubiertos y los pacientes tendrán que cambiar a productos “comparables” o pagar el precio completo. “Comparable” está entre comillas porque es bien sabido en la comunidad de hemofilia que no todos los productos funcionan de la misma manera para todos los pacientes.

Hasta el momento, no se han excluido productos de Factor IX ni productos derivados de plasma. Sin embargo, algunos otros medicamentos utilizados por los pacientes con hemofilia B han sido excluidos, como algunos tratamientos para el VIH y la hepatitis C, algunos de los anticoagulantes más nuevos utilizados por pacientes cardíacos, algunos tratamientos para la epilepsia y algunos medicamentos para el dolor. Los productos de factor VIII que se han excluido son Eloctate de Sanofi/Bioverativ, Recombinate de Shire/Baxalta y Xyntha de Pfizer. Hay que tener en cuenta que Eloctate es un factor VIII de acción más larga, análogo a Alprolix, el factor IX de acción más larga también de Sanofi/Bioverativ. ¿Es este un pronóstico de lo que viene para los productos de larga duración del Factor IX? Tenga en cuenta el informe que se presenta a continuación de Prime Therapeutics, donde indica que el costo del tratamiento para los pacientes que cambian a los productos de acción más larga, casi se duplica.

Los pacientes de Express Scripts pueden solicitar una excepción si no pueden usar uno de los medicamentos seleccionados. Sin embargo, este puede ser un proceso largo y es posible que el paciente tenga que tratar diferentes medicamentos primero, y probar que estos fallan en su propósito.

Express Scripts culpa a las compañías farmacéuticas por aumentar sus precios y retrasar la competencia genérica/biosimilar. Express Scripts afirma que sus cambios proporcionarán “mejores resultados para el paciente”. Creen que ellos serán mejores que el hematólogo del paciente para elegir el medicamento adecuado para ese paciente. Si otros PBMs y administradores adoptan este enfoque, este puede ser el comienzo de un cambio importante en el tratamiento de la hemofilia.

Express Scripts habla de distribuir exclusivamente terapias génicas



Express Scripts está en conversaciones con la farmacéutica BioMarin (Hemofilia A) y la farmacéutica Spark (A and B) para ser el distribuidor exclusivo de sus productos de terapia génica por medio de su farmacia especializada. Express Scripts tiene actualmente un convenio con Spark para distribuir su reciente autorizada terapia génica que trata a una singular enfermedad

óptica hallada en niños. Al usar su farmacia especializada, la compañía tiene la capacidad de retener para sí misma más ganancias de la larga cadena de distribución.

La FDA quiere acelerar el desarrollo de la terapia génica

El comisionado de la FDA Scott Gottlieb dice que está decidido a despejar el camino para el desarrollo de terapias génicas. Dijo que la FDA se enfocará primero en la hemofilia porque es un área en donde actualmente se ve mucha actividad de desarrollo. Esta entidad está recompilando una serie de documentos de orientación para la industria, incluido uno específicamente para la hemofilia. El boceto inicial del documento Human Gene Therapy For Hemophilia (Terapia génica humana para la hemofilia) está disponible en el sitio web de la FDA y está abierto para recibir comentarios del público.



Todos los productos con licencia están aprobados sobre las bases de seguridad y eficacia. El documento inicial de orientación sugiere que la evidencia de eficacia puede basarse únicamente en ABR o actividad de factores. La información sobre la efectividad a largo plazo, por ejemplo, provendría de estudios posteriores a la comercialización (recopilación de datos de pacientes regulares después de que el producto esté en el mercado). Los productores también serían elegibles para la designación de Terapia Avanzada de Medicina Regenerativa para acelerar la obtención de licencias. Esto beneficiaría a la industria grandemente, ya que tendrían el potencial de lanzar sus productos al mercado más rápido y con menos pruebas.

Sin embargo, ¿sería esto algo bueno para los pacientes? La FDA piensa que es un beneficio porque entre más rápido se expediten las licencias, acrecentará la producción de nuevos productos y más competencia, lo cual presentaría mayores beneficios para el paciente.

Creen que esto también podría ayudar a reducir los costos, pero eso nunca ha sucedido en el área de la hemofilia. La FDA también está promoviendo métodos de fabricación innovadores para reducir costos, pero los costos de fabricación no son los principales generadores del precio de los medicamentos.

La FDA y el National Institutes of Health (NIH) han propuesto que el NIH descontinúe su labor de control sobre la seguridad de los tratamientos de terapia genética en desarrollo. El NIH continuará con la supervisión de los productos recombinantes.

Entonces, ¿qué le sucede a un paciente que se inscribe en una nueva terapia génica que ha sido aprobada a través de esta vía pero que no ha sido completamente evaluada? Esta persona se convierte en un conejillo de

indias que nunca se ofreció como voluntario para un estudio clínico. Confiando en que el producto funcione bien. La mayoría de las principales compañías de terapia génica están siendo muy diligentes en sus esfuerzos de elaboración. Saben que el éxito o el fracaso de su producto depende de su aceptación en el mercado, no solo si la FDA lo aprueba. La comunidad de hemofilia mantiene lazos muy estrechos y las noticias sobre los nuevos productos se esparcen rápidamente. Debido al daño sufrido a la comunidad de hemofilia en el pasado, tendemos a ser un grupo escéptico.

Hay muchas preguntas sobre la terapia génica para la hemofilia: ¿Cuánto durará el tratamiento?; ¿Puede un paciente ser tratado por segunda vez si la primera falla?; ¿Qué ocurre con el desarrollo de inhibidores y pueden tratarse pacientes que usan inhibidores? ¿Cuál será el costo y quién lo paga?, etc. La terapia génica ha sido promocionada como una posible cura desde la década de 1990. Se han producido muy buenos resultados en los estudios recientes y la terapia génica probablemente sea un éxito a largo plazo. Desafortunadamente, el paciente y su médico pueden quedar sin el apoyo necesario para hacer una buena elección, entre si probar o no, formas tempranas de terapia génica, puesto que no tienen toda la información completa que pudiera proveer la FDA.

Investigadores franceses exploran el desarrollo de inhibidores

El mecanismo para el desarrollo de inhibidores en la hemofilia aún es poco conocido. Los inhibidores son anticuerpos que un paciente desarrolla contra un factor que se ha suministrado y que evita que el factor funcione. Los pacientes con hemofilia A y B pueden desarrollar inhibidores, aunque son mucho más comunes en la hemofilia A. Los investigadores franceses que estudian la hemofilia A y el factor VIII han determinado que la oxidación (reacción con oxígeno) del factor VIII juega un papel importante en el desarrollo de los inhibidores.

Después de una lesión, las células en el área de la lesión (incluyendo la articulación sangrante) liberan moléculas pro-inflamatorias como parte del proceso de curación. Algunas de las moléculas pro-inflamatorias son especies de oxígeno reactivo (ROS), moléculas que contienen oxígeno y pueden oxidar fácilmente otras moléculas. Para detener el sangrado asociado con la lesión, los factores de coagulación también se juntan en el sitio de la lesión donde son susceptibles a la oxidación por parte de los ROS. El estudio francés demostró en ratones, que la oxidación del factor VIII aumenta su inmunogenicidad (lo hace más fácilmente reconocido por el sistema inmune como una molécula potencialmente indeseable) y aumenta el riesgo de desarrollo de inhibidores del factor VIII. Se necesitará más investigación para determinar si un proceso similar ocurre con el factor IX.

Medscape lanza nuevos programas de terapia génica



Medscape, el sitio web de medicina www.medscape.com, acaba de lanzar varios módulos nuevos de terapia génica en sus "Avances clínicos para la terapia génica" en la Serie de Hemofilia. Estos son cursos de educación médica continua (CME) destinados a profesionales médicos, pero son gratuitos y están disponibles para el público en general. Las series se presentan a través de una colaboración entre la Fundación Nacional de Hemofilia, el Consorcio Europeo de Hemofilia y la Federación Mundial de Hemofilia y son patrocinadas por BioMarin, una compañía que desarrolla un tratamiento de terapia génica para la hemofilia A. Los programas son bastante técnicos, pero pueden ser interesantes incluso para las personas que no son expertas, pero que tienen algún conocimiento básico de la terapia génica.

My Life, Our Future: Actualización



My Life, Our Future (MLOF) es un programa genético (que analiza los genes de) los individuos con hemofilia y sus portadores. Estos análisis se están llevando a cabo a través de la mayoría de los Centros de Tratamiento de Hemofilia (HTCs) en los Estados Unidos. La fase inicial del programa concluyó en diciembre del 2017 con 11.356 pacientes y portadores incluidos. La genotipificación se completó con 9.453 participantes. Hasta ahora, el estudio ha encontrado 687 variantes genéticas previamente desconocidas en 1.111 sujetos. El 81% de los participantes eligió tener sus muestras de sangre almacenadas en el depósito de datos de investigación para estudios futuros.

Ya se están realizando nuevas investigaciones con estas muestras. En colaboración con el Instituto Nacional del Corazón, los Pulmones y la Sangre (NHLBI, parte de NIH), 5.141 muestras están recibiendo secuenciación del genoma completo, es decir, están secuenciando todos los genes en la muestra de cada paciente, no solo los genes del factor. Esto es para tratar de comprender mejor los procesos biológicos fundamentales que subyacen a los trastornos cardíacos, pulmonares, sanguíneos y del sueño. Por ejemplo, el análisis de todo el genoma podría mostrar por qué los pacientes con el mismo nivel de factor pueden sangrar de forma muy diferente. La respuesta puede estar en otros genes aparte de los genes del factor. Los estudios son parte de la Iniciativa de Medicina de Precisión del Instituto Nacional de Salud (NIH, por sus siglas en inglés) para proporcionar tratamientos de enfermedades diseñados específicamente al "entorno y genes" de una persona.

My Life, Our Future: Estudio de telegenética femenina



Se invita a las participantes femeninas de MLOF a participar en un estudio para explorar el uso de la telemedicina (un video chat privado con un especialista médico a través del Internet) para proporcionar asesoramiento genético para los resultados del genotipo. El estudio es patrocinado por NHF. Los participantes se dividirán en dos grupos. Un grupo recibirá asesoramiento genotípico vía telemedicina y el otro recibirá el asesoramiento de la manera que usualmente lo haría a través de su HTC. Las sesiones de telemedicina se llevarán a cabo en un teléfono inteligente o computadora a través de un enlace seguro compatible con HIPAA. La sesión será privada y no se transferirá ninguna información del participante a los médicos, aseguradores u otras personas sin la aprobación del sujeto. La sesión será seguida por encuestas seguras en línea durante un período de seis meses para evaluar si los comportamientos de salud del participante han sido influenciados en comparación con el grupo de control (el grupo que no utilizó la telemedicina). Las mujeres interesadas en participar en el estudio deben comunicarse con María Santaella al número de teléfono (347) 918-6608 o vía correo electrónico a msantaella@hemophilia.org.

Pfizer y Spark inician ensayo de terapia génica Fase III



Pfizer, que se ha hecho cargo del desarrollo continuo del tratamiento de terapia génica con hemofilia B desarrollado por Spark

Therapeutics, está iniciando su estudio clínico Fase III. La primera parte será un estudio introductorio de seis meses



para recopilar información sobre la experiencia de cada paciente con su producto actual de factor IX y su régimen profiláctico. Esto proporcionará una línea de base contra la cual comparar los resultados del paciente después de la terapia génica. El tratamiento con Spark/Pfizer recibió el nombre genérico Fidanacogene Elaparvovec y consiste en un vector AAV que transporta el gene para el factor IX de alta actividad.

(El que Pfizer haya tomado este proyecto de Spark puede ser un cambio beneficioso. Ellos son más inmunes a la inestabilidad del mercado de valores. Recientemente Spark obtuvo resultados muy limitados en sus estudios de una terapia génica para la hemofilia A y sus acciones bajaron casi el 30% en un día. Wall Street no tiene la paciencia necesaria para los altibajos de R & D, lo cual acarrea dificultades a las pequeñas empresas que no cuentan con los recursos de una empresa como Pfizer).

En otra área, Pfizer anunció que se está reorganizando en

tres nuevas unidades comerciales, todas bajo el nombre de Pfizer. Estas serán: Medicinas Innovadoras, Medicinas Establecidas y Atención Médica al Consumidor. También están trasladando sus oficinas corporativas de Nueva York desde su conocida ubicación en la calle 42 a The Spiral, un nuevo rascacielos de oficinas en el complejo Hudson Yards de Manhattan.

Prime Therapeutics encuentra que los costos se duplican para los productos extendidos de vida media



Prime Therapeutics, un administrador de beneficios de farmacia (PBM) propiedad de Blue Cross/Blue Shield, anunció los resultados de un estudio de costo para pacientes con hemofilia que cambian a productos de vida media extendida (EHL). Descubrieron que los costos reales son aproximadamente el doble. Utilizando los datos de reclamaciones médicas y de farmacia de sus pacientes, identificaron 20 pacientes con hemofilia B que habían cambiado. Descubrieron que el costo promedio de seis meses para los productos de semivida estándar era de \$116.909 dólares. Después del cambio, el costo promedio de seis meses fue de \$230.210 dólares, 1.97 veces más, para los productos EHL. Para la hemofilia A, los números semestrales comparables incrementaron 2.36 veces más y van desde los \$127.168 dólares hasta los \$300.429 dólares.

Prime afirmó que el aumento de los costos “debe justificarse clínicamente”. Este y otros estudios similares de otros PBM podrían dar lugar a restricciones sobre quién puede cambiar, qué productos podrán usarse y, potencialmente, cuántas unidades pueden adquirir. Esto ya está sucediendo para los pacientes con hemofilia A - consulte el informe anterior de Express Scripts.

TAF Anuncia un programa para ayudar con los costos médicos a pacientes con hemofilia



El Fondo de Asistencia Financiera (TAF, por sus siglas en inglés), una fundación benéfica independiente destinada a ayudar a los pacientes a pagar altos costos médicos de su propio bolsillo, inició recientemente el Programa de Asistencia Financiera para la Hemofilia. La información se puede encontrar en su sitio web: www.tafcares.org.

UniQure inscribe a pacientes en el estudio de Terapia Génica de Fase III



UniQure anunció que está inscribiendo pacientes para el estudio clínico de fase III de su tratamiento de terapia génica AMT-061. Mientras tanto, están llevando a cabo

un pequeño estudio de confirmación de dosis de Fase IIb con tres pacientes. UniQure obtuvo buenos resultados con su tratamiento original de factor IX, AMT-060, pero sus niveles de factor IX fueron más bajos que los de la competencia. Para remediar eso, cambiaron al AMT-061, que usa el gen para el factor IX de Padua, una variante de mayor actividad. Después de los estudios de comparabilidad para demostrar que los resultados anteriores con AMT-060 también respaldan la seguridad y eficacia de AMT-061, tanto la FDA como la Unión Europea aprobaron que UniQure continuara sus estudios con la nueva variante. Antes de comenzar el estudio completo de Fase III para adquirir los datos necesarios para obtener la licencia, UniQure está realizando un pequeño estudio de Fase IIb para asegurarse de que conocen la dosis óptima para AMT-061.

University College London está desarrollando terapia génica fetal



Investigadores de la University College London (UCL) están desarrollando un método de terapia génica para tratar fetos antes del nacimiento. Actualmente se están enfocando en la enfermedad de Gaucher, pero si el método es exitoso, probablemente podría adaptarse para tratar la hemofilia. El método usa vectores AAV-9 que contienen los genes correctores inyectados directamente en el feto en el útero. Hasta ahora, han obtenido buenos resultados en ratones y monos.

XaTek está desarrollando ClotChip, un analizador de coagulación portátil



XaTek, una nueva compañía en Cleveland, OH, está desarrollando tecnología inventada en Case Western Reserve University para producir ClotChip, un analizador de coagulación portátil que solo usa una gota de sangre. ClotChip utiliza espectroscopia dialéctica para ver cambios como la coagulación y también puede monitorear la calidad y la firmeza del coágulo. Los pequeños dispositivos portátiles podrían usarse en tiempo real en la oficina de un médico, evitando la necesidad de enviar muestras a un laboratorio externo. XaTek tiene como objetivo el tratamiento de la hemofilia y la monitorización de anticoagulantes en pacientes con cardiopatía. Planean comenzar un estudio de Fase I (seguridad) en septiembre en Cleveland.

¿PUEDO SER UN ATLETA SI PADEZCO DE HEMOFILIA?

POR UN PADRE DE FAMILIA, ANGELA FORD BARDEN

Cuando me contactaron inicialmente para compartir nuestra historia, fue a raíz de un anuncio en las redes sociales, donde publiqué una fotografía de mi hijo Austin, de 16 años de edad, preparándose para el maratón anual de Illinois llamado Marathon 5-k Run. Me sentí honrada cuando me pidieron que contara su historia para que otros pudieran ver el verdadero gozo que causa la experiencia de ser un atleta y el orgullo que puede sentir un padre, aunque su hijo estuviera diagnosticado con hemofilia. Bueno, aquí va mi historia...

En el 2004, un mes antes del segundo cumpleaños de mi hijo, mi sobrino de 5 meses, Zacharay, tuvo un episodio médico que causó que lo transfirieran al Dallas Children's Hospital para una cirugía de emergencia. La severidad de la condición de Zacharay y la posibilidad de que pudiera perder su vida en esta operación, nos motivó a viajar a Dallas para apoyar a mi familia durante esta dificultad. Recuerdo que me senté en el salón de conferencias con mi hermana llorando, mis padres, los doctores, y la trabajadora social. Nos preguntábamos si teníamos una historial de trastornos hemorrágicos en la familia. Nuestra respuesta fue no. Fue entonces cuando nos informaron que Zacharay tenía hemofilia B severa.

El personal empezó explicándonos lo que era la hemofilia, lo que debíamos esperar y lo que significaría para Zacharay durante su vida. Miré a mi hijo jugar con sus juguetes en el piso en una esquina del salón e inmediatamente percibí que él también padecía de esta condición. Los profesionales médicos procedieron con la reunión y nos informaron que Zacharay pertenecía a la primera generación de mutación genética; sin embargo, entre más escuchaba, más me convencía de que Austin también tenía hemofilia. Le hicimos las pruebas y fuimos sorprendidos con la misma noticia, mi hijo había sido diagnosticado con hemofilia B severa. Esto nos llevo a concluir que tanto mi hermana, mi madre y yo éramos todas portadoras.

Aunque todo esto era extremadamente emocional en ese momento, cuando lo recordamos entendemos lo mucho que fuimos bendecidos, pues Dios nos cuidó por esos dos primeros años. Aunque la situación en ese momento puso en riesgo la vida de Zacharay, creo que permitió que yo estuviera presente en ese salón de conferencias. Creo que Dios mantuvo a Zacharay en buenas manos en el Dallas Children's Hospital. Esta ciudad es mucho más grande, los doctores estaban más familiarizados



con los trastornos hemorrágicos y supieron reconocer los síntomas de mi sobrino, sabían como diagnosticarlo y cuales los tratamientos debían aplicar.

En la región central de Illinois, donde vivimos, la hemofilia no es tan conocida en los hospitales locales y pasa desapercibida. Durante los dos primeros años de la vida de mi hijo, expresé, mi preocupación por las múltiples e inexplicables contusiones y tobillos inflamados, al pediatra de mi hijo. Sus síntomas siempre eran resumidos en: los niños serán siempre niños, y nos enviaban a casa con las instrucciones de cubrir sus ligaduras con vendajes elásticos ACE. Así que ese día de abril del 2004, en Texas, empezó nuestro viaje con la hemofilia.

Usted, como muchos de los padres que leen este artículo, sienten diferentes emociones al tener que enfrentarse a una enfermedad como la hemofilia y quieren proteger

a sus hijos. Es muy fácil decir: envuélvalos con embalaje de burbujas de aire y no dejen que se lesione, pero yo creo que es más importante educar al niño para que la hemofilia no dicte su vida, sino que él se pueda trazar su propia historia. Esto me trae a lo que es la vida de Austin en el presente. Él es un atleta con mucha determinación, compasivo, disciplinado, y competitivo. Tiene una gran tolerancia hacia el dolor, y escribe su propia historia en la cual la hemofilia no es más que otro capítulo en su vida.

El recorrido de Austin ha incluido juegos competitivos de fútbol, béisbol, baloncesto, y carreras de pista de 5k. Por supuesto, todos aprobados por su doctor, aunque algunas veces se han dado serias negociaciones entre él y su doctor. Siempre le hemos explicado los riesgos y las consecuencias en caso de que se hiciera daño, y le permitimos tomar su propia decisión en sí vale la pena el riesgo. Aunque lo quiero proteger, comprendo que únicamente él sabe lo que él siente por dentro, solo él sabe hasta donde llegar, así que la meta siempre ha sido educarlo, apoyarlo, y animarlo a hacer lo que se propone. Tenemos una regla estricta que es no al fútbol americano, aparte de esto lo hemos dejado tratar una gran variedad de deportes y actividades. Él es, en general un buen atleta. Por su cuenta, él decidió dejar el fútbol y el béisbol. Pero continúa jugando baloncesto y compitiendo en carreras de pista de 5k. El baloncesto es su pasión, él juega en el equipo de su colegio y en la temporada de descanso juega con una liga itinerante. Él aspira jugar básquetbol en la universidad en un par de años. Tiene como meta personal, correr en pista; lo hace para retarse a sí mismo a mejorar. Sí, han surgido lesiones a través de su recorrido, algunas han sido severas, pues lo han mandado al hospital y otras han sido las que usualmente experimenta un atleta. Sí, es extremadamente difícil ser el padre de familia que espera en la tribuna, sabiendo que un golpe lo puede mandar al hospital por un largo periodo de tiempo o algo peor, pero la alegría de verlo sonreír y disfrutar del



juego o la carrera es lo que hace que valga la pena. Lo que hay que hacer es educarse, asegurarse de que los tratamientos se estén haciendo a su debido horario, y administrarle inmediatamente el concentrado de factores, en caso de que se sospeche que hay una lesión. Actualmente, tanto Austin como yo siempre pensamos que el tratamiento no es más que una rutina, tal como lo es cepillarse los dientes.

Entonces, ¿qué es lo que Austin ha aprendido de ser un atleta? Él ha aprendido que el trabajo duro que uno hace ahora, facilita el que está por venir; ha aprendido que su desempeño está basado en su sentido de perseverancia, y no de fuerzas externas, ha aprendido que solo él puede marcar sus limitaciones y que pueden surgir obstáculos, pero que la vida continúa. Ha aprendido a manejar el tiempo, a reflexionar, y que uno no siempre gana. Él también ha aprendido que se debe trabajar duro para lograr las metas; ha aprendido lo que significa ser parte de un equipo y

muchas cosas más.

Estas lecciones lo llevarán lejos. En un par de años, él dejará nuestra casa para ir a la universidad. Anticipo que ese día estará cargado de emociones para mí, pero confío en que él estará listo para desenvolverse en el mundo y de que se convertirá en un adulto exitoso. Todos los padres queremos esto para nuestros hijos. Todos esos momentos esperando en la tribuna, a la expectativa de algún golpe o rasguño, apretando los dientes y con el corazón a toda velocidad, merecen la pena.

Mi enfoque primordial para este artículo era compartir la historia de mi hijo Austin, la cual inicié contando la forma inusual de como me enteré de su diagnóstico. Mi sobrino Zacharay también es un atleta. Él juega béisbol y golf; es un fantástico lanzador y juega por amor al juego. Para terminar, contestaré la pregunta del título del artículo ¿Puedo ser un atleta si padezco de hemofilia? La respuesta es ¡SÍ! ¡Vive la vida al máximo!

UNA PERSPECTIVA EN LA CIRUGÍA DE RECONSTRUCCIÓN DEL TOBILLO

POR RICK STARKS

Durante la primavera del 2018 estuve a la expectativa, incluso me sentí angustiado. Estaba programado para una cirugía de reconstrucción del tobillo el día 23 de mayo del 2018, a las 5:30 a.m. Hacia unos meses atrás había hablado con mi terapeuta físico y debido al aumento del dolor, decidí que era tiempo de someterme a la cirugía. Los dos tobillos estaban en mal estado. Como resultado de las muchas hemorragias que había tenido desde mis años de infancia, tomografías computarizadas (CT) y rayos X mostraron una deterioración masiva en los dos tobillos. De niño, siempre me torcía y me esguinzaba los tobillos. En cada ocasión, me admitían en el hospital por lo menos por una semana, con mi brazo sujetado a un soporte intravenoso, recibía infusiones de plasma fresco congelado. Duraba de 4-6 semanas o más con el pie enyesado. Tuve que sortear cual tobillo debía ser reemplazado primero. La mañana del martes a las 5:30 a.m., me admitieron en el hospital Anschutz Center, en Denver, Colorado y me reporté para el preoperatorio.

Los procedimientos preoperatorios usuales prosiguieron – cambiarme en atuendo y modelar la moderna bata del hospital, el constante monitoreo de los signos vitales, el remover toda la joyería y cambiarla por el hermoso brazalete de identificación del hospital. El anesthesiólogo me revisó la garganta, me colocaron una sonda IV, me tomaron muestras de sangre, y tuve una conversación pre operatoria con mi cirujano, el Dr. Kenneth Hunt. La enfermera responsable por mi tratamiento de hemofilia llegó y me proveyó una dosis del 100% de factor de coagulación. Los anesthesiólogos me suministraron un medicamento entumecedor para el nervio. Este fue el procedimiento que decidí llevar a cabo, porque me permitía evitar tomar otras medicinas para el dolor mientras estaba hospitalizado. El sistema de ultrasonido se uso para cerciorarse de la localización correcta, y un catéter se introdujo a un lado de mi rodilla. El entumecedor para el nervio fue administrado por un goteo intravenoso, para anestesiar mi pierna desde la rodilla hacia abajo. ¡Esto trabajó muy bien!

Me administraron 'happy juice' vía intravenosa mientras me trasladaban hacia la cirugía. Luego solo recuerdo que desperté en la sala de recuperación con una férula en mi pierna que cubría desde mi rodilla hasta los dedos del pie. El Dr. Hunt me visitó y me dijo que la cirugía había salido bien. En la cirugía se utilizaron los instrumentos denominados Prophecy Total Ankle System del Wright Medical Group N.V., la cirugía se completó en 2 horas. Por la falta de movimiento en el transcurso de tantos años, mi tendón de Achiles se había encogido y tenía que ser estirado. Adicionalmente, el tendón de la parte superior de mi pie que conecta el dedo grande, también se había encogido. Cada vez que trataba de extender mi tobillo, el dedo grande del pie ¡se levantaba! Además de



reemplazar el ligamento del tobillo, se hicieron 3 incisiones para corregir estos problemas. El resto del día paso sin sin novedades y me trasfirieron a una habitación donde pasé el resto de mi estadía en el hospital.

Al siguiente día empecé la terapia física y caminé con un andador ortopedico. Este ejercicio me hacia saltar y causaba dolor en mi otro tobillo, y para soportar el peso del cuerpo usaba los codos, en los cuales padezco de artritis, era algo muy difícil de hacer. Sin embargo, creía que podía soportar el dolor y pedí que redujeran la cantidad de medicina para el dolor. Estaba equivocado – en solo 20 minutos se fue el efecto del medicamento y el dolor empezó a ser intenso. La enfermera incrementó la dosis para disminuir el dolor. Me inyectaron el factor de coagulación para alcanzar el 100%. El día siguiente me dieron de alta.

La mayor parte del resto de la semana, la pasé en cama y con el pie elevado. Sentía un dolor punzante cada vez que bajaba el pie, por esto la almohada de soporte para el pie era mi mejor amiga. Dos semanas después, regrese para una visita de seguimiento y la férula y los puntos fueron removidos. Aunque el tobillo todavía estaba hinchado, ¡sentía mas movimiento que antes de la cirugía! Perdí un poco de sensación, pero está mejorando diariamente. Han pasado aproximadamente 5 semanas desde la operación y las contusiones y la incomodidad son mínimas, ya puedo apoyar mi peso y caminar sin ayuda.

Aunque han pasado solo unas semanas, no siento ningún dolor en mi tobillo. La incomodidad que tengo es en el tobillo que todavía no ha sido reemplazado. Las terapias continúan dos veces a la semana, me siento fuerte y muy tranquilo porque finalmente me hice la operación. ¿Lo haría de nuevo? ¡Absolutamente! Es más, ¡voy a operarme el otro tobillo en diciembre!

TRASTORNOS HEMORRÁGICOS RAROS

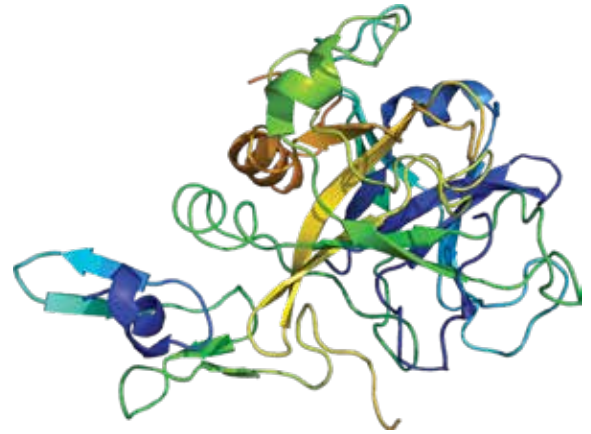
DEFICIENCIA DEL FACTOR X

POR DR. DAVID CLARK

La hemofilia B, deficiencia del factor IX, es un trastorno hemorrágico relativamente raro con una prevalencia de uno en 25.000, a 30.000. Se estima que hay cerca de 4000 pacientes de hemofilia B en los Estados Unidos. Sin embargo, hay un número de trastornos hemorrágicos poco conocidos, incluyendo la deficiencia del factor X. Se estima que la deficiencia del factor X tiene una incidencia de uno en un millón, en su forma severa. Esto significa que hay alrededor de 325 pacientes con esta deficiencia en los Estados Unidos.

En el proceso de coagulación, los factores VIII y IX trabajan juntos para activar el factor X. Después el factor X activa el factor II, el cual convierte el fibrinógeno a fibrina para formar la coagulación. Por lo tanto, si hay una deficiencia en alguno de estos tres factores, II, IX, o X, el proceso de coagulación tiende a disminuir o parar en ese nivel y se producen insuficientes cantidades de fibrina. Aunque los síntomas de la deficiencia del factor X son similares a los de la hemofilia A y B, no son idénticos.

Antes de desarrollar los productos purificados del factor IX, los pacientes de hemofilia B eran tratados regularmente con el Complejo de factor IX, y antes de esto, con plasma. Hasta el 2015, ese era el caso de los pacientes con deficiencia del factor X. Estos tratamientos son efectivos, pero problemáticos. El plasma tiene una gran cantidad de volumen en comparación a la que contiene en el factor X, así que solo se pueden administrar, paulatinamente cantidades limitadas. Esto resulta en largas estadías en el hospital, para pacientes con hemorragias severas. El complejo del factor IX es una mezcla de factores de coagulación, incluyendo los factores II, IX y X, y algunos productos del factor VII. Este tratamiento fue usado por muchos años para tratar la hemofilia B, pero tiene el inconveniente de ser trombogénico cuando es usado en grandes cantidades o por extendidos periodos de tiempo. Esto es peligroso porque puede causar mucha coagulación, lo cual puede ser fatal. Los pacientes de hemofilia pueden ser tratados con el Complejo de factor IX para hemorragias



rutinarias, pero las profilaxis o las cirugías son muy arriesgadas.

El desarrollo de los productos purificados del factor IX, primero del plasma y después recombinado, revolucionó el tratamiento de la hemofilia B. Actualmente, está sucediendo lo mismo con la deficiencia del factor X. Coagadex, un concentrado purificado del factor X derivado del plasma, fue autorizado en EEUU en el 2015 para el tratamiento de pacientes con deficiencia del factor X. Coagadex es producido por Bio Products Laboratory (BPL), una compañía británica. BPL es una compañía relativamente nueva, pero su patrimonio proviene del Lister Institute y Elstree, una instalación para el fraccionamiento de plasma, laboratorios pioneros en el desarrollo de productos sanguíneos y vacunas.

La Coalition for Hemophilia B fue originalmente fundada para prestar asistencia a pacientes con trastornos hemorrágicos relativamente desconocidos, como la hemofilia B. A través de los pasados 27 años, se ha prestado mucha más atención a la hemofilia B y a los productos del factor IX, y ahora confiamos en que esta atención se extienda a pacientes con otros tipos de trastornos hemorrágicos raros. La Coalition for Hemophilia B y otras organizaciones alrededor del país están participando activamente en el respaldo para estos pacientes. Estamos todos juntos para proveer una vida mejor a los individuos y familias afectadas por algún trastorno hemorrágico.



UN AÑO ATRÁS, MUERE EL ÚLTIMO RUSO DE LA FAMILIA REAL CON HEMOFILIA

POR DR. DAVID CLARK



Infante Gonzalo of Spain

La hemofilia ha sido denominada algunas veces como “la enfermedad de la realeza” porque la reina Victoria (1819-1901) de Gran Bretaña era portadora y sus hijos propagaron la enfermedad por medio de los matrimonios con otros gremios reales de Europa, incluyendo a España, Alemania, y Rusia. Se determinó hace poco que la enfermedad que padecían era la hemofilia B, después de que los restos del nieto de la reina Victoria, príncipe Alekséi de Rusia, fueran analizados. El príncipe Alekséi, igual que todos los miembros de su familia, fueron asesinados por los Bolcheviques durante la Revolución Rusa del 17 de julio del 1918, cien años atrás. La salud de Alekséi fue un factor contribuyente a la caída de la Rusia Imperial, ya que él era el heredero al trono.



Queen Victoria

La reina Victoria, aparentemente era una portadora espontánea ya que no hay evidencia de hemofilia en su familia o la de su esposo, el príncipe Alberto. Las mutaciones espontáneas ocurren más frecuentemente con padres de edad avanzada, y el padre de

Victoria tenía 51 años de edad cuando ella nació. Victoria tuvo nueve hijos, solo tres de ellos han sido confirmados con la enfermedad: su hija Alicia y Beatriz eran portadoras y su hijo Leopoldo padecía de hemofilia B. La condición de las otras tres hijas es desconocido. Ninguno de los hijos de Victoria se casó de nuevo con la familia real británica, por consiguiente, la hemofilia fue removida de ese linaje. Su hijo mayor no fue afectado y se convirtió en el rey Eduardo VII.

Los gobernantes usualmente unificaban sus fuerzas políticas por medio de casar a sus hijos e hijas con los aliados de las familias reales. Victoria no fue la excepción; tres de sus hijos se casaron con familias europeas pertenecientes a la realeza. Los descendientes de estos matrimonios ayudaron a propagar la hemofilia aún más. El Zar Nicolás II de Rusia se casó con

la nieta de Victoria, Alix. Ellos tuvieron cuatro hijas y un hijo, Alekséi, de quien sabemos hoy en día que padecía hemofilia B. Los modernos análisis genéticos muestran que una de las hijas parece haber sido portadora, pero se discute cual de ellas era. Puede haber sido María o Anastasia. María reportó severas hemorragias durante una amigdalotomía y podría haber tenido hemofilia. Se rumoraba popularmente que Anastasia había escapado del atentado de asesinato y había sobrevivido hasta las últimas décadas del siglo XX, pero nunca ha sido comprobado.

En un estado de desesperación, Alix, en ese momento conocida como Alexandra de Rusia buscó ayuda médica en Europa para proporcionar una cura a su hijo Alekséi. Al ver que nada funcionaba solicitó métodos poco ortodoxos como curanderos, incluyendo a Rasputín, un misterioso y autoproclamado hombre santo. Supuestamente Rasputín curó a Alekséi, aunque datos posteriores atribuyeron “la cura” a la hipnosis, la cual alivió temporalmente a Alekséi. Rasputín se introdujo con más profundidad dentro del núcleo de la familia real y se convirtió en el conde del Zar. Sin embargo, muchos en Rusia lo consideraban un charlatán, lo que contribuyó a la impopularidad de la familia real. Rasputín fue asesinado en diciembre del 1916 por un grupo de nobles quienes lo consideraban un amenaza para el imperio. La revolución Rusa de 1917 condujo a la caída del Zar.

Actualmente, no se conoce que alguno de los sobrevivientes de las diferentes dinastías reales europeas

padezca de hemofilia. El último descendiente conocido de Victoria que tenía hemofilia era su nieto el Infante Gonzalo de España quien murió a causa de una hemorragia durante un accidente de carro en 1934 a la edad de 19 años. Hay una pequeña posibilidad de que la hemofilia B pueda reaparecer en uno de los linajes femeninos de las descendientes de Victoria, pero a medida que transcurre el tiempo, la probabilidad se hace menor.



NHF WALK NEW YORK



El domingo, 3 de junio del 2018, el New York City Hemophilia Chapter llevo a cabo su décima tercera caminata anual, la New York City Hemophilia Walk en Riverside Park. Formando parte ahora de la National Hemophilia Foundation's Unite for Bleeding Disorders Walk, el NYC Walk es el evento más grande y antiguo de este tipo en el país. Este año, se recaudaron mas de \$320,000 dólares y miles de miembros de la comunidad participaron.



¡CELEBRAMOS UNA BODA!

El día sábado, 21 de julio, Shannon Cook contrajo matrimonio con Michael Degenero en un romántica hacienda decorada con girasoles en Lakeside Farms, localizada en Ballston Lake, Nueva York. Shannon es la hija de Wayne Cook, el presidente de la Coalition for Hemophilia B. Después de la boda se llevo a cabo una recepción íntima con familiares y amigos cercanos, quienes celebraron a los recién casados. ¡Les deseamos una vida llena de felicidad!

“Tuve la oportunidad de lograr cumplir otra meta en la lista de mi vida – caminar con mi hermosa hija Shannon por el pasillo en el día de su boda. El sol estaba resplandeciente, el cielo estaba azul, y mientras bailábamos la danza especial de padre e hija, al ritmo de la canción Butterfly Kisses, los dos llorábamos mientras compartía con ella mi memoria del día en que ella nació, cuando dio su primer paso, y otros preciosos recuerdos de su vida. Michael bailó el tradicional baile de madre e hijo con su hermana, en memoria a su madre, quien falleció el año pasado. Shannon siempre será mi pequeña niña y como dice el dicho: no perdí una hija, sino que he ganado un hijo. Le damos la bienvenida a Michael a nuestra familia con los brazos abiertos y esperamos todos los momentos de felicidad que les aguarda en los años por venir” – Wayne Cook





Él puede infundirse solo una vez cada 14 días. **¿Y usted?**

El único tratamiento aprobado por la FDA para la hemofilia B con una dosificación de hasta 14 días.* **Visítenos en IDELVION.com.**



Cronograma de dosificación que se ajusta a su estilo de vida



Niveles altos y sostenidos de factor IX en estado estacionario[†]



Tasa anualizada de hemorragias espontáneas (AsBR) con una mediana de cero, cuando se administra a los 7 o 14 días en ensayos clínicos

Protección con tranquilidad; baja incidencia de efectos secundarios

*Las personas adecuadas de 12 años y más pueden ser elegibles para una dosificación de 14 días. Hable con su médico.
[†]Niveles de FIX promedio con una dosificación de 7 días durante 92 semanas en ensayos clínicos.

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.

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, vómitos, 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.

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**.

Consulte el resumen breve de la información de prescripción de IDELVION en la página siguiente.

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

Referencias: 1. Datos en archivo. Disponible de CSL Behring como DOF IDL-002.

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

©2018 CSL Behring LLC 1020 First Avenue, PO Box 61501, King of Prussia, PA 19406-0901 EE. UU. www.CSLBehring.com www.IDELVION.com IDL-0166-MAR18

- 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



“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 manejar.

Para más información, por favor comuníquese con:

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

Tel: 212•520•8272
hemob.org



La Coalition for Hemophilia B es consciente de que existen muchas familias dentro de nuestra comunidad de trastornos de coagulación, quienes son afectadas por los efectos de la actual situación económica. Aunque la coalición continuará aportando fondos a esta causa, queremos hacer una petición a las familias más afortunadas de Factor nueve para que nos ayuden con sus contribuciones monetarias para el **“Holiday Fund.”** Sus donaciones se usaran para comprar regalos a los niños con hemofilia.



Para hacer una donación, por favor envíe su cheque a la siguiente dirección:

**The Coalition for Hemophilia B “Holiday Fund”
757 Third Avenue, 20th Floor; New York, NY 10017**

Por favor hagan sus contribuciones antes del **19 de noviembre del 2018**, de esta manera el Santa del Factor nueve podrá cargar su trineo con los regalos de navidad para ¡todos los niños y niñas buenas!

Para las familias en nuestra comunidad que necesiten un poco de alegría navideña, ¡queremos contribuir con algún regalo para sus hijos! Por favor llene la aplicación y envíela al polo “Este,” a Kim, una de las ayudantes de Santa. Factor Nine Santa tiene una agenda muy ocupada, así que pedimos que por favor envíen este formulario antes del 19 de noviembre del 2018. Su nombre e información personal será tratada confidencialmente.

Envíe el formulario a la siguiente dirección:

**The Coalition for Hemophilia B Holiday Cheer
757 Third Avenue, 20th Floor
New York, NY, 10017**

Nombre: _____

Numero de teléfono: _____

Domicilio: _____

Por favor provea una descripción exacta del regalo que desea su hijo/a. Los regalos serán comprados y enviados a su domicilio.

Nombre y edad del niño/a:

Nombre y edad del niño/a:

Nombre y edad del niño/a:

Lista de regalos:

Lista de regalos:

Lista de regalos:



¡Les deseamos a todos una hermosa temporada festiva llena de amor, felicidad y buena salud!



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

Visit our social media sites:

Website: www.hemob.org

Facebook: www.facebook.com/HemophiliaB/

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

Instagram: www.instagram.com/coalitionforhemophiliab



For information, contact Kim Phelan
kimp@hemob.org or call 917-582-9077