



# Factor Nine News

## The Coalition for Hemophilia B

**INVIERNO  
2018  
¡EN ESPAÑOL!**



### TEMAS EN HEMOFILIA B

- Iluminando el Camino:  
Fisioterapeuta Michael Zolotnitsky
- BCares
- Reuniones en el Camino:  
San Francisco, CA  
Anaheim, CA  
Cortland, NY
- B Connected
- Noticias de Tratamientos
- Reuniones en el Camino:  
San Antonio, TX
- Kendall Fitzpatrick: La madre  
detrás del “Helpful Hemo RNs”
- El programa de música Beats
- Futuros Eventos del 2019



# ILUMINANDO EL CAMINO FISIOTERAPISTA MICHAEL ZOLOTNITSKY

Por Michael Perlman

“Estoy agradecido de poder vivir la vida con hemofilia sin ningún dolor articular asociado con esta enfermedad, agradezco aun más que pueda viajar por todo el país y compartir mi conocimiento con otras personas para que ellas también puedan vivir sin dolor”, dice el Dr. Michael Solotnitsky, un altamente calificado fisioterapeuta de 29 años de edad y es miembro del NJ Spine and Wellness en Old Bridge, Nueva Jersey. Durante los últimos cuatro años como fisioterapeuta, y aun antes, él ha exhibido gran generosidad de espíritu. “Tengo un gran trabajo, el cual me permite ayudar a otros todos los días”, dice él. Adicionalmente, él expresa mucha gratitud por tener un a familia que lo apoya, lo cual ha jugado un papel primordial en su vida.

Dr. Zolotnitsky es nativo de Roma, Italia, y creció en Brooklyn antes de relocalizarse en Nueva Jersey. En el 2014, él recibió su Doctorado en terapia física de la Chatham University de Pittsburg, Pennsylvania. Él está muy familiarizado con sus pacientes y con muchos hemofílicos y sus familias, es particularmente conocido en los simposios de la hemofilia B. En 2015, él dio un discurso para la Hemophilia Federation of America, donde conoció a Wayne Cook, presidente de la Coalition for Hemophilia B y mentor de la comunidad. Se le extendió una invitación para que se presentara en el retiro para hombres de la coalición. “Desde ese momento en adelante”, dice Zolotnitsky, “He podido orgullosamente hacer mis presentaciones para la Coalition for Hemophilia B”

La labor del Dr. Zolotnitsky es instruir a los participantes de los eventos de la Coalición de cómo el ejercicio puede aliviar el dolor articular y mejorar la movilidad. Él explica: “me encanta darle consejos a otras personas en cuanto a cómo lograr conseguir una vida llena de salud y bienestar.



El año pasado, empecé a ir a los retiros para hombres, donde conocí a excelentes individuos y realizamos terapia física acuática. Después participé en el simposio del 2016, en Ponte Vedra Beach, Florida, con alrededor de 300 concurrentes, en esta ocasión practicamos la kinesiotapin, la cual tuvo un gran éxito. De ese tiempo en adelante, he estado viajando con la Coalición a varios estados del país. Mi meta es poder visitar todos los estados y enseñar a la mayor cantidad posible de personas”.

En 1989, el Dr. Zolotnitsky fue diagnosticado con hemofilia A y convirtió esta circunstancia en una columna de fortaleza e independencia. Después de desarrollar un interés por el ejercicio y la salud articular, persiguió su objetivo de convertirse en un físico terapeuta. Él recuerda, “la hemofilia me enseñó a manejar una condición crónica que incluye dolor y limita la movilidad articular, no permití que esta nueva circunstancia redujera mi nivel de actividad física. Aprendí a cómo modificar las actividades de manera segura, y a partir de esto desarrollé una gran pasión por el ejercicio y el buen estado físico. No quería que un trastorno hemorrágico fuera un obstáculo para mí y perseveraré. Mi objetivo ahora es enseñar a otros cómo manejar sus condición y poder tener una vida activa para reducir el riesgo de hemorragias en las articulaciones”

En las sesiones del Dr. Solotnitsky se enfatizan los beneficios de la kinesiotaping, la terapia acuática, medicinas alternativas para el dolor, y el ejercicio físico en general. “Trato de educar a las familias, para que las personas con trastornos hemorrágicos puedan vivir una vida normal”, dice él. Además, su experiencia ha contribuido a sus logros no solamente a nivel nacional, pero también en el ámbito internacional. “Recientemente asistí a la conferencia del World Federation of Hemophilia efectuada en Escocia”, dice él.



## LA META DEL MOVIMIENTO SIN DOLOR

“La natación ha demostrado quemar más calorías que correr”, explica el Dr. Zolotnitsky, quien ofrece un programa personalizado de terapia acuática el cual ofrece varios beneficios y tiene como meta posibilitar ejercicios sin dolor. Como él explica: “La terapia acuática es segura para todos. Permite que se reduzca la inflamación usando presión hidráulica. Se ha comprobado que relaja los músculos permitiendo un mejor estiramiento. adicionalmente, permite que la persona ejercite la parte superior e inferior del cuerpo para fortalecer y tonificar todos los músculos en general. La natación fue la actividad que me ayudó con el dolor en un principio y me permitió hacer una transición a los ejercicios en tierra firme”.

El Dr. Zolotnitsky trabaja con pacientes de esclerosis múltiple, derrame cerebral y pacientes de Párkinson, y también trata los mareos y trastornos del equilibrio. “He sido testigo de resultados de excelentes” dice él. Sus técnicas terapéuticas siguen teniendo mucho éxito, como en el caso de los tratamientos neurológicos y el Concepto Mulligan. “Si se hace correctamente, los tratamientos pueden ayudar a las personas a recuperar su fuerza y equilibrio, y el concepto Mulligan permite tener movimiento sin dolor, técnicas que muchas personas no saben que existen”. Él también realiza actividades de equilibrio de alto nivel tales como caminar con los ojos cerrados, o sobre superficies desiguales y también el boxeo, ejercicio que ofrece desafíos adicionales.

La fuente de inspiración del Dr. Zolotnitsky proviene de “cualquier persona que pueda motivar a los demás”, dice él. Ellos son parte de su impulso motivador. “Mi padre me mostró lo importante que es trabajar con empeño para poder tener éxito”, recuerda él.

El mantenerse leal ha su deseo de ayudar a los demás ha sido un catalizador para lograr experiencias gratificantes. Él explica, “Un chico de 13 años de edad con hemofilia severa comenzó a visitarme, y después de dos meses de tratamiento, dijo que su cuerpo se sentía normal nuevamente. Otro paciente de mi clínica que había sufrido un derrame cerebral, me envió un video de sí mismo caminando por la playa por primera vez sin la ayuda de un bastón”



Con perseverancia, el Dr. Zolotnitsky completó la mitad de tres maratones, en Pittsburgh en el 2012, seguido de Pittsburgh y Filadelfia en el 2013, su objetivo es mantener un buen estado físico. Fuera de las actividades profesionales del Dr. Zolotnitsky, sus intereses incluyen hacer ejercicio, pasar tiempo de calidad con sus dos sobrinos, aprender idiomas, ver fútbol americano, viajar y bailar. Su enfoque humanitario está presente en todas sus actividades.

Las actividades profesionales del Dr. Zolotnitsky hacia el futuro es seguir educando a la comunidad que padece trastornos de coagulación, establecer un programa de ejercicios seguro y desarrollar su canal de YouTube HemoDoc, para que sirva como un recurso educacional y beneficioso. Para comunicarse con el doctor, puede llamarle al (732) 757-5430 o por correo electrónico (Atención: Dr. Zolotnitsky) a [info@spineandwellness.com](mailto:info@spineandwellness.com).



“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





# Reuniones en el Camino:

## San Francisco, California

Por Shad Tulledge

La Coalición para la Hemofilia B visitó la legendaria ciudad de los teleféricos y casas victorianas de San Francisco, California para efectuar otro evento familiar. El programa se realizó el día sábado, 17 de noviembre, en el San Francisco Airport Marriott Waterfront, con vista a la bahía.

Un numeroso grupo de entusiasmadas familias e individuos comenzaron el día con un delicioso desayuno y la oportunidad de visitar los puestos de exhibición de los representantes de la industria. Después, el miembro de la junta directiva de la coalición, el Dr. David Clark ofreció una cálida bienvenida a todos los presentes.

Los programas educativos comenzaron con una presentación liderada por la enfermera registrada Angélica Flores. La cual discutió sobre los diferentes métodos disponibles para abogar nosotros mismos por nuestras necesidades, y habló también de los desafíos específicos a los que se enfrentan los pacientes y

familias con hemofilia B.

La siguiente presentación la ofreció otra enfermera registrada, Patricia Amerson, quien presentó los resultados de la encuesta B-HERO-S que tenía como enfoque los problemas psicológicos y sociales que enfrentan los pacientes y las personas a cargo del cuidado de niños con hemofilia B. Las respuestas a esta encuesta están ayudando a la comunidad a identificar y abordar las necesidades no cubiertas relacionadas con la educación, el empleo y calidad de vida.

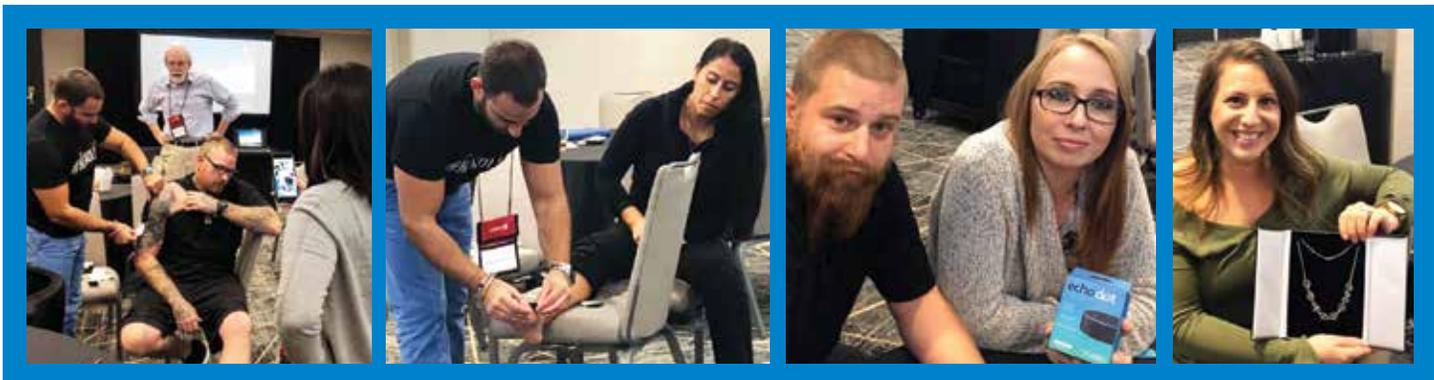
Durante la última parte del programa de la mañana, los participantes practicaron Tai Chi con Blair Sandler, una instructora de la localidad. Este antiguo arte, que no requiere de ninguna habilidad atlética especial, ayuda al participante a desarrollar energía mental y física mientras logra un sentimiento de paz y armonía interior.

Después de disfrutar de un delicioso

almuerzo estilo bufet, los asistentes se reunieron para la sesión de la tarde con el fisioterapeuta, Dr. Michael Zolotnitsky, quien instruyó al grupo sobre cómo utilizar el kinesiotaping o vendaje neuromuscular para reducir el dolor y la inflamación articular. Algunos participantes se ofrecieron de voluntarios para hacer demostraciones en vivo y yo tuve la oportunidad de practicar la aplicación de las cintas en sus articulaciones.

El Dr. Clark concluyó la reunión con una presentación sobre las Novedades en hemofilia B, en donde dio a conocer adelantos en nuevas terapias y mucho más. Seguidamente, se realizó el juego ¿Eres más inteligente que tu hemofilia?

La Coalition for Hemophilia B desea agradecer a Pfizer por patrocinar ¡este fantástico evento familiar!





# Reuniones en el Camino:

## Anaheim, California

Por Christian Villarreal

La Coalición para la Hemofilia B llevo a cabo una reunión el sábado, 17 de noviembre, en las instalaciones del Anaheim Marriott Suites, en el estado de California. Las familias e individuos se convocaron para asistir a motivadoras sesiones de aprendizaje que se iniciaron con El poder de la seguridad en uno mismo presentado por Edgar Vega. Edgar analizó diferentes maneras de cultivar la confianza en uno mismo y lo que se puede hacer para sentir seguridad aun, cuando se experimentan nuevas o desafiantes situaciones. Todos discutimos formas de sentirnos más seguros por medio de reconocer nuestro potencial, celebrar nuestra individualidad, crear ambientes

seguros, y establecer asociaciones que nos brinden su apoyo.

Al grupo se unió Cathy Tiggs, quien presentó los resultados de la encuesta B-HERO-S, en la que participaron 290 personas con hemofilia B y 150 personas que tienen a su cuidado niños con hemofilia B, la encuesta abordaba problemas psicológicos y sociales dentro de la comunidad. Cathy explicó que la encuesta recogió experiencias y respuestas que ayudan a identificar las necesidades en la comunidad con hemofilia B relacionadas con la educación, el empleo y calidad de vida.

Rick Starks condujo al grupo en





una clase de Movimientos y meditación de Tai Chi. Rick ayuda a los participantes a encontrar su energía vital, Chi, a través de un sistema que coordina posturas y movimientos sutiles del cuerpo, respiración y meditación para promover la salud y el bienestar.

Robert Friedman disertó el tema sobre cómo manejar el estrés. En esta presentación interactiva se resaltaron soluciones específicas para controlar el estrés durante situaciones difíciles y únicas a los que viven con trastornos hemorrágicos.

Los niños de nuestra

comunidad también tuvieron un día emocionante y divertido en el centro de recreación interactiva de maquinatas Dave y Buster's. Ellos volvieron a tiempo para unirse a sus padres en una foto de grupo en el lugar de encuentro, donde se llevaron a cabo las rifas de los regalos y usaron sus habilidades para participar en el juego ¿Eres más inteligente que tu hemofilia?

Estamos agradecidos a nuestro patrocinador, CSL Behring, por ayudarnos a organizar este programa.

**CSL Behring**





# 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](http://IDELVION.com).**



Cronograma de dosificación que se ajusta a su estilo de vida



Niveles altos y sostenidos de factor IX en estado estacionario<sup>†</sup>



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.  
<sup>†</sup>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, vahídos, mareos, náuseas o una disminución de la presión arterial.

El cuerpo puede producir anticuerpos, llamados inhibidores, contra el factor IX, que podrían evitar que IDELVION actúe de forma adecuada. Es posible que se le deban realizar análisis de vez en cuando para la detección de inhibidores. IDELVION también podría aumentar el riesgo de coágulos de sangre anormales en su cuerpo, especialmente si tiene factores de riesgo. Llame a su proveedor de atención médica si tiene dolor en el pecho, dificultad para respirar, o sensibilidad o hinchazón en las piernas.

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

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](http://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*



# Reuniones en el Camino:

## Cortland, New York

Por Glenn Mones

El 1.º de diciembre, la Coalition for Hemophilia visitó la ciudad de Cortland, localizada en el centro del estado de Nueva York, para realizar otra excelente reunión familiar. La reunión de este sábado fue la última de las 12 reuniones locales que organizamos en todo el país durante este año para las familias e individuos afectados por la hemofilia B. El evento de Cortland tuvo lugar en el encantador Hope Lake Lodge, dentro de un hermoso entorno natural, rodeado de colinas cubiertas de nieve. La propiedad cuenta con un parque acuático cubierto y otras atracciones.

Después de un cordial saludo e introducciones hechas por el presidente Wayne Cook, el programa educativo dio comienzo con la presentación del hematólogo pediátrico Dr. Claudio Sandoval. Él habló sobre los resultados de la encuesta B-HERO-S y las conclusiones que se obtuvieron en cuanto a los problemas psicológicos y sociales de las personas afectadas por la hemofilia B. Estos hallazgos nos ayudarán a todos a reconocer mejor las necesidades de las personas en nuestra comunidad.

El evento también contó con una sesión de Cassandra Starks, en cuanto a cómo usar el movimiento y otras técnicas para obtener una mente y un cuerpo más sano. A través de movimientos suaves y meditativos podemos equiparnos mejor para tratar con problemas mentales y físicos causados por la hemofilia B.

Los presentadores en sesiones adicionales bien concurridas fueron Gail McCarthy, quien habló sobre la superación física, financiera y otros desafíos que se



presentan al vivir con una enfermedad crónica, y Douglas Stringham, quien demostró la kinesiotaping como método para reducir el dolor e hinchazón de las articulaciones.

El programa educativo concluyó con un análisis profundo presentado por el Dr. Shelby Smoak sobre temas actuales en Hemofilia B, el cual incluyó tratamientos nuevos y en desarrollo y complicaciones con los reembolsos. Uno de los puntos destacados de esta exposición fue que el mundo de la hemofilia está cambiando rápidamente y que debemos estar informados para mantenernos al día con todos estos cambios.

Quizás la parte más importante de nuestras reuniones locales es la oportunidad que estas ofrecen para que los miembros de la comunidad se reúnan y compartan sus aptitudes y experiencias. Al crear estas oportunidades y hacerlas disponibles a familias que no siempre pueden llegar a la eventos nacionales, nos aseguramos de que todos tengan acceso al apoyo, información y educación que se requiere para alcanzar los mejores resultados posibles.

Queremos agradecer a Pfizer por patrocinar la reunión en Cortland, y esperamos presentar una nueva serie de reuniones en el camino en 2019. ¡Estén atentos!







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](mailto:bconnected@hemob.org)

HAY UNA NUEVA MANERA

DE ESTAR CONECTADO A

LOS AMIGOS-FAMILIARES-EXPERTOS

**PROGRAMAS ANTERIORES DESTACADOS:**

- » Kim Mauer, MD: *Manejo del dolor*
- » Donnie Akers, ESQ: *Herramientas legales en el camino de la vida, mientras se mantienen los beneficios públicos*
- » Dr. David Clark: *Productos en desarrollo y terapia genética*



## ¿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](mailto: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

La siguiente información fue presentada en la Reunión Anual de la Sociedad Americana de Hematología, efectuada del 1 – 4 de diciembre del 2018, en San Diego, CA.

Por Dr. David Clark

## Bioverativ anuncia resultados finales del estudio a largo plazo de Alprolix



Bioverativ, una empresa de Sanofi, ha anunciado los resultados finales del estudio B-YOND de su producto de vida media prolongada del factor IX Alprolix. En 93 pacientes adultos y adolescentes, el índice mediano anual de sangramiento (ABR) en articulaciones y hemorragias espontáneas de las articulaciones fueron menores a 1.58 y 0.38, respectivamente. En los 27 niños de 12 años y menores en el estudio Kids B-YOND, los ABR respectivos fueron menores de 0,85 y cero. Ninguno de los pacientes del estudio desarrolló inhibidores, aunque los inhibidores se han visto en otros pacientes fuera de los estudios. El estudio representa una dosificación flexible, ya que los participantes del estudio tenían una frecuencia variable de infusiones.

## Catalyst Announces New Results for Inhibitor Treatment Under Development



Catalyst Biosciences ha anunciado resultados actualizados de su producto de variante activado de factor VII, MarzAA, el cual se encuentra en desarrollo para el tratamiento de la hemofilia A y B en pacientes con inhibidores. MarzAA es una preparación subcutánea de uso profiláctico. Los cinco pacientes que han completado el tratamiento del estudio en las fases II / III tenían un ABR previo de 15.2–26.7. Tres de ellos obtuvieron un ABR de cero después del tratamiento, y los otros dos presentaron reducciones significativas. No hubieron reacciones adversas graves ni se desarrollaron inhibidores a MarzAA.

## Freeline presenta altos niveles de actividad FIX en estudios de terapia génica



Freeline Therapeutics presentó los resultados de su estudio de terapia génica Fase I / II. La compañía continúa el trabajo realizado por la Colegio Universitario de Londres (UCL), como se describe a continuación. El tratamiento con FLT180a utiliza una cápside vírica mejorada para el AAV (virus adeno-asociado) la cual tiene una tasa más alta de incorporación de genes en células hepáticas. Freeline también utiliza el gen Padua de alta actividad de factor IX. Los dos pacientes tratados hasta la fecha han alcanzado un nivel promedio de factor IX de 45% en el estudio de Fase I / II, sostenido por seis y nueve meses, respectivamente. El tratamiento fue bien tolerado sin signos de inflamación hepática o desarrollo de inhibidores. desarrollo.

## UCL / St. Jude anuncian un seguimiento a largo plazo para estudios de terapia génica



Investigadores del Colegio Universitario de Londres y el Hospital de Investigación Infantil St. Jude anunciaron un seguimiento de ocho años para los pacientes de terapia génica reportados en el New England Journal of Medicine del año 2014. En los 10 pacientes que han sido tratados hasta ocho años, los niveles de factor IX se han mantenido estables en un 1.9%, 2.3% y 5.1% para la dosis baja, media y alta. Las ABRs disminuyeron en un 82%.

Los investigadores también investigaron si los grandes números de cápsides vacías (vectores virales que no contienen genes) en muchas preparaciones de terapia génica fueron la causa de las reacciones inmunes observadas en algunos pacientes. En un nuevo estudio con una dosis ligeramente mayor y con una preparación disminuida de cápsides vacías, los pacientes todavía desarrollaron reacciones inmunes, lo cual demostró que no era la respuesta a la causa de las reacciones. Sin embargo, el nuevo grupo de pacientes alcanzó un nivel medio de factor IX del 17%.

## uniQure anuncia resultados de pruebas de terapia génica en progreso

Los resultados son del estudio clínico de UniQure de fase I / II de AMT-060, su terapia génica original para la hemofilia B, más un estudio actual de AMT-061, el cual es idéntico a AMT-060 pero contiene una variante más activa de factor IX. Para AMT-060, que contiene el gen de tipo raro (normal) del factor IX, 10 pacientes han sido seguidos hasta dos años y medio. El tratamiento ha sido seguro y bien tolerado. Todos los pacientes han podido discontinuar la profilaxis y han reducido significativamente el uso del factor IX. La actividad promedia del factor IX de los pacientes ha aumentado durante el período de estudio del 7,1% en el primer año hasta el 8,9% en la actualidad.

En la terapia mejorada AMT-061, de uniQure que contiene la variante del factor IX de Padua de mayor actividad, el nivel de promedio del factor IX para los tres pacientes en estudio de fase II, de verificación de dosis, fue del 31% después de seis semanas y parece estar aumentando. Ninguno de los pacientes ha requerido infusiones de factor, no han tenido hemorragias ni han requerido inmunosupresión. UniQure comienza su estudio de Fase III de AMT-061 a principios de 2019. Basándose en los buenos resultados a largo plazo de AMT-060 y los altos niveles de factor del mejorado AMT-06, uniQure cree que AMT-061 tendrá éxito en los estudios.



# Reuniones en el Camino: San Antonio, Texas

Por Christian Villarreal



Justo en el corazón de San Antonio y su famoso distrito de River Walk, La Coalition for Hemophilia B organizó una reunión el día Sábado, 1.º de diciembre, en el San Antonio Marriott Rivercenter. Nuestros asistentes comenzaron el día con un apetitoso y saludable desayuno mientras visitaban los puestos de exhibición de los representantes de la industria. El Dr. David Clark les dio la bienvenida a todos y pidió un momento de silencio para mostrar respeto por el Día Mundial del SIDA.

El programa educativo comenzó con la sesión Superación de retos. Rachel Cooper-Leal presentó un sumario de cómo lidiar con las enfermedades crónicas, enseñó cómo comunicarse efectivamente con los representantes

de la salud y otras personas acerca de la hemofilia, discutió las consideraciones financieras que se deben tener en cuenta a través de las diferentes etapas de la vida, y la importancia de mantenerse físicamente activo con actividades apropiadas.

La siguiente sesión resaltó los resultados de la encuesta B-HERO-S. Patricia Amerson y Emili Lee, una madre de la comunidad de la hemofilia B, dirigieron la presentación respecto a la encuesta, que fue tomada por 290 pacientes con hemofilia B y 150 personas a cargo de niños con hemofilia B, y la cual se enfocaba en temas psicológicos y sociales. Emili Lee habló sobre su propia experiencia con la hemofilia

en calidad de paciente y madre, y también expresó el gran impacto que causó en su vida el asistir por primera vez al Simposio Anual de la Coalición.

Después de un breve descanso, Rick Starks condujo una sesión de Tai Chi con todos los presentes. Con movimientos lentos y constantes, los asistentes aprendieron a centrarse en la zona central de su cuerpo y fortalecer músculos que ya habían olvidado.

Después de la hora del almuerzo, Robert Friedman fue el siguiente en la agenda con su sesión Manejando el estrés. Durante esta presentación interactiva, los participantes recibieron la última información sobre





cómo controlar el estrés y aprendieron soluciones específicas para sus retos individuales al tratar con la hemofilia B y otras causas de estrés.

El último presentador del día, el Dr. Michael Zolotnitsky, demostró la técnica del kinesiotaping y cómo aplicar correctamente las cintas o vendajes neuromusculares para reducir la hinchazón y proporcionar apoyo para mejorar la capacidad al caminar. Él explicó los efectos positivos del kinesiotaping en comparación con el uso de otro tipo de soportes, y cómo el kinesiotaping ha demostrado ser un método

seguro para las personas que padecen trastornos hemorrágicos. Se repartieron muestras de las cintas a los asistentes para que pudieran continuar aprendiendo de la metodología del kinesiotaping.

Mientras los adultos estaban absortos en el programa educativo, nuestros expertos voluntarios llevaron los niños a una entretenida excursión para ver la nueva película Wreck-It Ralph y para dar un interesante paseo en bote por el histórico River Walk de San Antonio.

Cuando los niños regresaron de su

divertido día de esparcimiento, se reunieron con sus padres para una foto con todo el grupo. A continuación participaron en nuestro juego de preguntas y respuestas ¿Eres más inteligente que tu hemofilia? y se dieron a conocer los ganadores del sorteo de regalos.

Nos gustaría agradecer a Pfizer por haber patrocinado este maravilloso evento.





Kendall Fitzpatrick con (de izquierda a derecha) hijos Gabriel (10 años) y Elijah (8 años), Jared (18) quien tiene autismo, y su esposo Brad

## KENDALL FITZPATRICK: LA MADRE DETRÁS DEL “HELPFUL HEMO RNs”

Por Michael Perlman

“Ayudar a los demás es lo que me ha ayudado a mí” estas son las sencillas, pero significativas palabras de Kendall Fitzpatrick, una humanitaria de 46 años y enfermera de infusiones, quien exhibe un afectuoso corazón y una gran motivación por su familia, amigos, y su comunidad. Ella es una luchadora quien tiene hemofilia B y la enfermedad de von Willebrand, una combinación muy rara de dos diferentes trastornos hemorrágicos.

Fitzpatrick creció cerca Richmond, Virginia, y ahora reside a las afueras de Williamsburg, donde vive felizmente casada y agradecida por su unida familia: su amoroso esposo Brad, un hijo de 24 años de edad, Trey, quien tiene hemofilia, Jared, quien tiene 18 años y tiene autismo, y dos nuevos miembros, sus hijos Gabriel quien tiene 10 años y Elijah, 8.

### Encontrando propósito en la enfermería.

Ella inició sus estudios de enfermería en la universidad, como madre soltera, en 2006, y se graduó como una de las mejores en su clase, tres años después. Ella explica: “Me siento muy orgullosa, ya que aunque tenía muchos problemas, logré sacar calificaciones sobresalientes las cuales me parecían inalcanzables. Descubrí que la enfermería era mi pasión, fue un programa difícil, comparable a un entrenamiento militar, pero es uno de los logros más gratificantes que he experimentado. A raíz de los problemas de salud de mis dos niños con hemofilia y autismo, le encontré dirección a mi vida”.

En 2015, Fitzpatrick creó un grupo en Facebook llamado “Helpful Hemo RNs” junto a otra madre de hemofilia, Jane Cotter Forbes, quien colabora con su carrera como enfermera registrada. Su visión complementaria y dedicación como enfermeras, ha resultado muy exitosa, a pesar de vivir en lados opuestos de la país. Fitzpatrick explica: “Yo espero que mis acciones describan claramente los motivos de mi corazón, pero si eso no es suficiente, quiero llegar a una audiencia más grande para compartir recursos con personas que no pueden asistir a las reuniones que yo tengo el privilegio de visitar. Han pasado tres años y nuestro grupo ha aumentado [el grupo de Facebook] hoy somos más de 1.000 miembros”. Su misión es “proporcionar educación e información de salud que beneficie a la comunidad con trastornos hemorrágicos”. Los administradores de los grupos se esfuerzan por educar y promover “prácticas óptimas y [el] más alto nivel de cuidado en el hogar al administrar terapias de infusión”. El grupo también es “una fuente de información de salud original y



El hijo de Kendall Fitzpatrick, Trey, de 24 años, vive en Stafford, VA, tiene hemofilia

actualizada, y además proporciona materiales singulares que benefician a la comunidad”.

#### “Nadie debería luchar solo con la hemofilia”

Fitzpatrick se inspira particularmente en su padre, sus hijos, otras madres que ha conocido y enfermeras que dedican sus vidas a la comunidad. “Siento como si mi vida ha dado una vuelta completa”, dice ella, ya que su padre se quitó la vida cuando ella tenía 13 años. Recordando, ella dice: “Yo sabía él estaba deprimido y estaba empeorando con los años. Lo visité en una casa de recuperación, y el último día no le di un beso porque me sentía disgustada. Esa fue la noche que se quitó su vida”.

El hijo de Fitzpatrick, Trey, fue diagnosticado con hemofilia B a la edad de 2 años. Ella recuerda, “Mientras visitaba a mi madre durante la Pascua, mi hijo sangró por un rasguño en su nariz a través de seis Band-Aids, y mi madre me dijo que debía llevarlo para que lo chequeara un hematólogo. Ella recordó que a mi padre se le hinchaban rodillas, pero pensaba que tenía artritis reumatoide. Al día siguiente, se realizaron los análisis de sangre y los resultados fueron positivos. Pensé en cuánto mi padre había tenido que experimentar solo”, dice ella, “sentí

la convicción de que nadie debería luchar solo con la hemofilia. También me sentí traumatizada al ver a mi hijo limitado e impedido [después de] una caída, mientras se le administraban las infusiones”.

Ella comenzó a trabajar en una farmacia especializada para adquirir una mejor comprensión de lo que era la hemofilia, imaginaba convertirse en una enfermera de infusión, y regresó a la universidad a los 36 años. “Ahora, trabajo tiempo completo supervisando a familias con hemofilia, y como he obtenido una licencia de enfermería, puedo enseñarles a utilizar las terapias de infusión y proporcionar educación”, dice ella. “Cada año doy discursos a mi clase de enfermería sobre la hemofilia, y muy pronto presentaré el tema en mi departamento local de emergencias. Hago todo por el gran amor que siento por mi hijo, pero más aun por mi padre, porque a causa de mi corta edad, no lo valoré como merecía, antes de que muriera”.

Fitzpatrick siempre recuerda su primer encuentro con la vicepresidenta de la Coalition for Hemophilia B, Kim Phelan, y cuán generosa fue la coalición con ella y sus hijos en tiempos de escases. “No teníamos dinero extra mientras estaba en la universidad”, dice ella,

vi el formulario de Navidad para ayudar a las familias necesitadas. Ya había pasado la fecha límite, pero la coalición me envió muchos regalos. Mis hijos se sorprendieron al ver que recibíamos regalos de Navidad en un momento en que teníamos muy poco”.

#### Desafíos, fuerza y crecimiento

Aunque la vida me ha presentado muchos retos, estos se han convertido en un vehículo de fuerza y crecimiento. Ella explica: “Me sentí perdida en muchas ocasiones al ser madre soltera de un niño con hemofilia y otro hijo con autismo. El autismo presentó un mayor desafío en comparación con la hemofilia. Existen medicinas disponibles para la hemofilia, y uno sabe que en algún momento, su hijo cuidará de sí mismo, si se les ha enseñado las habilidades necesarias. Por otro lado, con el autismo el futuro es incierto en días buenos y desalentadores cuando uno piensa detenidamente cuán impredecible es. Mis hijos son los dueños de mi corazón, así que paseé tiempos de angustia por muchos años”.

Al reflexionar sobre su pasado y teniendo muchas esperanzas para el futuro, ella dice: “Estoy agradecida de que los años inciertos criando a los niños, sin saber si todos estaríamos ‘bien’, se han acabado. Hoy día todos estamos bien, me volví a casar con un marido maravilloso y tengo dos nuevos hijos”.

Los intereses personales de Fitzpatrick incluyen viajar y ayudar a su hijo con autismo a encontrar un camino en la vida. Cuando ella conoce a otras madres, que a veces se sienten abrumadas por la ansiedad, comparte su historia para brindar esperanza y orientación. “Sé lo difícil que parecen los retos cuando se presentan”, dice ella, “pero esos desafíos nos hacen apreciar las pequeñas alegrías de la vida, y eso es vivir de la mejor manera. Nunca debes olvidar el valor que tienen esos días, y que siempre hay alguien que puede usar tu ayuda o amistad”.



Se llevara a cabo en  
el verano del 2019



**PROGRAMA DE MÚSICA BEATS DE  
LA COALITION FOR HEMOPHILIA B**

**Complete su aplicación  
en la pagina**

[www.hemob.org/thebeatsmusic2019](http://www.hemob.org/thebeatsmusic2019)

**fecha limite: 30 de enero del 2019**

**31 DE JULIO – 4 DE AGOSTO  
Gaylord Opryland Hotel  
Nashville, Tennessee**

# THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

## ¡FUTUROS EVENTOS DEL 2019!



### ETERNAL SPIRIT AWARD GALA

**Jueves, 28 de febrero del 2019**

Terrace on the Park  
52-11 111th Street  
Flushing Meadows Park, NY 11368  
Homenajeados: Glenn Pierce, MD, PhD and  
Hope Woodcock-Ross, RN

Para comprar entradas al evento de gala, por favor  
contáctese con: Kim Phelan al correo electrónico:  
[kimp@hemob.org](mailto:kimp@hemob.org) o llame al 212-520-8272



### SIMPOSIO ANUAL

**Jueves, 14 de marzo a  
domingo, 17 de marzo del 2019**

Renaissance Orlando at SeaWorld  
6677 Sea Harbor Drive  
Orlando, FL 32821  
Tel: 407-351-5555

¡La reunión del año 2019 se extenderá por un día completo!  
La registración es gratis e incluye acceso a todas las  
sesiones, comidas y entrada a nuestro evento final, el día  
sábado en la noche. Regístrese en la siguiente dirección  
electrónica: [www.hemob.org/symposium2019](http://www.hemob.org/symposium2019)



### PROGRAMA DE MÚSICA BEATS DE LA COALITION FOR HEMOPHILIA B

**Miércoles, 31 de Julio a  
domingo, 4 de agosto del 2019**

Gaylord Opryland Hotel  
Nashville, TN 37214

Puede aplicar en el sitio de Internet:  
[www.hemob.org/thebeatsmusic2019](http://www.hemob.org/thebeatsmusic2019)  
fecha limite: 30 de enero del 2019



## The Coalition for Hemophilia B

757 Third Avenue, 20<sup>th</sup> Floor; New York, New York 10017  
teléfono: 212-520-8272 fax: 212-520-8501 [contact@hemob.org](mailto:contact@hemob.org)

Visite nuestros sitios de Internet:

Sitio oficial: [www.hemob.org](http://www.hemob.org)

Facebook: [www.facebook.com/HemophiliaB/](http://www.facebook.com/HemophiliaB/)

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

Instagram: [www.instagram.com/coalitionforhemophiliab](http://www.instagram.com/coalitionforhemophiliab)



Para más información, contacte Kim Phelan  
[kimp@hemob.org](mailto:kimp@hemob.org) o llame al 917-582-9077