



THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

HEMOPHILIA B NEWS

INVIERNO 2020



**CONOCE A CHRIS:
ILUMINANDO EL MUNDO**

**B INSPIRED-
ADOLESCENTES**

**TERAPIAS
EMERGENTES**

**APARTA LA
FECHA**

LIDERAZGO

MUJERES CON HEMOFILIA

**ACTUALIZACIONES
SOBRE LA SALUD**

EVENTOS: RETIROS & BEATS

CONTENIDO

ARTÍCULO DE FONDO: CHRIS MADIX – ILUMINANDO EL MUNDO, LA FAMILIA ES LA CLAVE

LIDERAZGO

- Tu historia es tu defensa
- Actualización en activismo

MUJERES CON TRASTORNOS HEMORRAGICOS

- Ya no estoy sola – Emili
- Mujeres con hemofilia

SALUD Y BIENESTAR

- Noticias sobre la hemofilia
- Cinco técnicas de cuidado personal

TERAPIAS EMERGENTES

- Actualizaciones por el Dr. David Clark

PROGRAMAS & EVENTOS

- Retiro de otoño para mujeres Patrocinado por Pfizer
- Retiro de otoño & invierno para hombres Patrocinado por Pfizer
- Programa de música The Beats
- Retiro de invierno para mujeres Patrocinado por Senofi Genzyme
- Cocinando con el chef Mike
- Terminando el año con risas, diversión y casas de galletas de jengibre

PROXIMOS EVENTOS VIRTUALES

- Reuniones en el Camino 2021
- Lugar de encuentro de Gen IX
- ¿Eres más inteligente que Glenn? Trivia para adolescentes
- Gen IX Leadership

Liderazgo de Gen IX para registrarse, visite Hemob.org o contact@hemob.org

¡Y MUCHO MÁS!

- Nuevo grupo de Facebook
- Muchas gracias

SECCIÓN PARA JOVENES B INSPIRED

- Viviendo la vida con “L” mayúscula – La historia de Charlie
- Se buscan: Creadores de contenido para adolescentes
- Aprovechando el poder de las palabras: la visión de un hermano

MISIÓN

HACER LA CALIDAD DE VIDA EL PUNTO FOCAL DEL TRATAMIENTO DE LAS PERSONAS CON HEMOFILIA B Y SUS FAMILIAS, A TRAVÉS DE LA EDUCACIÓN, EL EMPODERAMIENTO, LA DEFENSA Y LA COPERACIÓN.

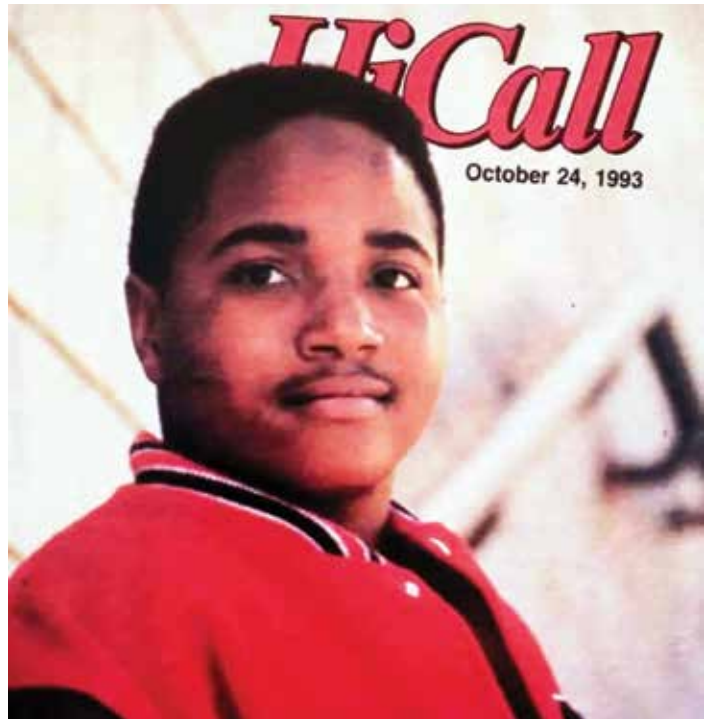
CONOCE A CHRIS: ILUMINANDO EL MUNDO, LA FAMILIA ES CLAVE

POR LA DRA. APRIL WILLIS Y RENAE BAKER

Hablemos de la alegría. Es un tipo de deleite puro, sin filtrar que ilumina la oscuridad que nos rodea y crea una sensación de gozo. Ahora hablemos sobre Chris. Chris es un pilar en la comunidad de la hemofilia B y es un individuo que irradia alegría.

De hecho, Kim Phelan, directora de operaciones de The Coalition, comentó: “Chris es una de las personas más cariñosas y bondadosas que haya conocido. Tiene una sonrisa que derretirá nuestro corazón e irradia amor a todos. Él realmente se preocupa por todos y mientras él pueda, hará todo lo posible para defender a sus hermanos y hermanas en la comunidad”.

Chris tiene la manera de girar las situaciones que no son tan buenas y convertirlas en oportunidades para aprender, crecer y reconocer todo lo que tiene por lo cual estar agradecido. Desde su increíble hermano menor que también tiene hemofilia, a su mayor aliada (su madre), a la capacidad que tiene de poder viajar a pesar de su afección, a las asombrosas conexiones que ha hecho con la comunidad de la hemofilia, Chris persiste en deleitarse en apreciar lo que tiene. Él cree que “tener una perspectiva positiva es lo mejor que puede tener cualquier persona con hemofilia. Siempre mantenerse con una energía positiva pase lo que pase, porque entonces la luz siempre brillará sobre cosas que nunca has visto antes”.



En la década de 1960, su madre, Jacqueline, tenía un hermano con hemofilia B. Ella lo cuidó de cerca en cada hospitalización. Desafortunadamente, murió de un sangramiento severo en la cabeza. Debido a los problemas raciales de ese momento, Jacqueline le dijo a Chris y a su hermano que estuvieran atentos y se defendieran ellos mismos, y ella les enseñó cómo hacerlo. Cuando eran muy jóvenes, ella les dijo lo que necesitaban hacer cuando tuvieran una hemorragia y cómo hablar con los médicos. Hasta el día de hoy, les da los “súper-poderes” de saber qué hacer. Ella también les ha provisto de la esencia espiritual de quién son como familia. ¡De ahí viene su fuerte pasión por defenderse!

Hasta el día de hoy, Chris puede enojarse por la atención que se da en la sala de emergencias, “todavía no nos escuchan; no nos toman en serio. Y no hay ningún sentido de urgencia, no creen que si no te tratan rápidamente, terminarás en una situación peor. Cuando vamos al hospital, sabemos lo que necesitamos y es frustrante no obtener el factor al tiempo oportuno”. Esto es demasiado común en la comunidad de la hemofilia.

Chris también habla sobre algunos de los aspectos especiales de tener un hermano con el mismo trastorno hemorrágico. “Pasamos mucho tiempo conectándonos. Tenemos un vínculo único que es diferente al de la mayoría de las familias. Nos sentimos cómodos y felices de poder conectarnos y entendernos”. Aunque tengan tres años de diferencia, Chris explica que tienen sensibilidades gemelas, como si realmente fueran gemelos. “Cuando algo anda mal con uno de nosotros, el otro lo sabe de inmediato”. Este es un aspecto de la familia con hemofilia de Chris, que él aprecia.

Como persona no solo con hemofilia, sino con un inhibidor que a menudo contrarresta sus tratamientos, Chris puede



estar fuera de comisión por períodos prolongados de tiempo mientras que su cuerpo se recupera. “Era un niño activo, trataba de no ser consciente de mi hemofilia. Quería salir y hacer cosas, pero la hemofilia B con un inhibidor me detenían”.

Chris explicó que sus articulaciones afectadas son las rodillas. “Eventualmente, el hueso estaba contra el hueso. Tuve un remplazo total de rodilla”. El tener un inhibidor hizo el tratamiento mucho más difícil para los médicos. La cirugía, la recuperación y las estancias hospitalarias se alargaron debido a ello. “Me gradué de la escuela secundaria mientras estaba en el hospital. He aprendido que tener un gran equipo médico que conozca la cadencia de mi salud es importante”. Sin embargo, él no es una persona quejumbrosa. De hecho, publica diariamente en un blog su actitud positiva para inspirar a otros! También es uno de los mayores defensores de la comunidad de hemofilia debido a sus experiencias como persona de color que defiende las opciones de tratamiento.

“Tendrás días buenos y malos, pero recuerda usar tus recursos, como llamar a un amigo o tener una sesión de terapia de Telesalud. Tenemos suerte de tener dispositivos que nos mantienen conectados. Se amable contigo mismo en esos días difíciles y tómallo con calma. Ser miembro de la Coalition nos da un beneficio adicional el de ser esa chispa de luz para otras personas y eso en sí mismo nos reconforta. Estamos allí el uno para el otro”.

Chris dice que la hemofilia ha sido buena y mala para él. Disfruta de las oportunidades que se le han brindado a través de The Coalition for Hemophilia B. Chris se involucró en la Coalition hace unos años cuando asistió a un retiro

para hombres. “Ellos han sido una bendición para mí. Nos han enseñado a mi hermano y a mí que todos tenemos historias para compartir y nos han enseñado los diferentes medios para contar nuestras historias. La Coalition es familia. Tenemos un vínculo familiar y lo demuestran de muchas maneras”.

Cuando se trata de sus conexiones con otros en la comunidad de la hemofilia, Chris se ve motivado a establecer relaciones auténticas e impactar las vidas de otras personas. En los eventos de la Coalition, es conocido por ofrecer su tiempo como voluntario para apoyar al equipo y aprender de aquellos cuyas experiencias han sido diferentes a las suyas. “Cuando estoy en un retiro para hombres, el programa Beats o participando en las conferencias, trato de ayudar al personal. Quiero encender una luz para ellos porque han hecho mucho por mí”.

El presidente de la Coalition, Wayne Cook, dijo: “Chris es una persona increíble y un hombre muy agradable. Tenemos suerte de tenerlo en la comunidad. Me quedé impresionado cuando Chris apareció en nuestro primer programa anual de música The Beats para aprender a cantar y a tocar la batería. Para no haber tocado antes, ¡fue simplemente fantástico!”


Chris terminó diciendo: “¡El equipo es como otro par de padres para mí! Wayne, Kim, Chris y Rocky nos enseñan cosas que nos ayudan a crecer y a darnos cuenta de cómo realmente aportamos a la comunidad de tal manera que otros, quienes están creciendo, pueden beneficiarse a sí mismos. De eso se trata The Coalition for Hemophilia B. Te ayudan a comprender el valor que tienes y a ampliar tus horizontes. ¡La unión dentro de la Coalition es maravillosa! yo he aprendido tantas cosas que no sabía. Así es como se

forman los lazos familiares, y la familia es clave”.

¿Cuándo fue la última vez que conociste a alguien que arroja luz al mundo? Si ha pasado un tiempo, te animo a conocer a Chris. Él podría ser la luz que buscas.

Ser miembro de la Coalition nos da un beneficio adicional el de ser esa chispa de luz para otras personas y eso en sí mismo nos reconforta.





Cuéntanos sobre las mujeres especiales en tu vida

Tú sabes quién es ella. Ella es la hematóloga, la trabajadora social o la enfermera que se preocupa por tu bienestar total, no solo por tu tratamiento. Ella es tu compañera de trabajo, vecina, o amiga con hemofilia B que se defiende a sí misma y a otras mujeres como ella. Ella es tu hermana, hija, madre, la mujer que siempre está ahí para ti.

Juntas, son las heroínas de la hemofilia B.

Comparte tus historias en:


HeroinesofHemophiliaB.com


TU HISTORIA ES TU DEFENSA

POR NATALIE SAYER

Cada vez que cuentas tu historia, eres un defensor. Pero, ¿qué es realmente lo que esto significa? Bueno, el diccionario define a un defensor como una “persona que apoya o recomienda públicamente una causa o política en particular”. ¿Quién mejor para ser abogado que alguien con experiencia de primera mano? Los defensores más eficaces mueven nuestros corazones, conectan nuestras mentes y nos estimulan a la acción. Es posible que muchos de ustedes hayan asistido a la sesión del Simposio “*Pen It! ¡Prep It! ¡Perform It!*” en octubre. Este artículo está designado como guía de seguimiento para que puedas escribir y entregar tus propias historias de defensa.



¿Por qué escribes tu historia?

Además de ayudarte a aclarar tus pensamientos; una historia escrita te ayuda a generar impacto cuando la cuentas. Tienes segundos para captar la atención de la gente y minutos para contarle tu historia. ¿No querrías que cada palabra cuente?

¿Te pones nervioso cuando hablas frente a la gente, especialmente ante extraños?

Las palabras escritas nos mantendrán enfocados cuando los nervios o las emociones se apoderen de uno. Decir la misma historia de la misma manera, también ayudará a combatir la energía nerviosa. Practicaremos esto más adelante.

¿Quién es tu audiencia y por qué debería importarles?

Todos tenemos muchas historias diferentes que podríamos contar. Conocer quién es su audiencia es importante para escoger la historia y las palabras correctas que logren crear impacto en ella. Si estás hablando con una clase en la escuela o legisladores en el gobierno, el tema puede ser similar, pero el contenido será muy diferente. Lo que deseas

de cada audiencia también será diferente. El escribir teniendo en cuenta la audiencia nos permite adaptar nuestro mensaje e impacto de una manera específica para ellos.

¿Qué quieres que recuerden?

Contamos nuestras historias porque queremos mover a nuestro público a la acción, a la empatía o al apoyo. Nosotros queremos que recuerden, mucho después de haber hablado, el mensaje clave. Si estuvo en el Simposio, puede que recuerde las sesiones: “*Let Go To Grow*” (*Dejarlo ir para crecer*) o “*Life is Hard. Life’s not Fair. What are you Going to do About it?*” (*La vida es dura. La vida no es justa. ¿Qué vas a hacer al respecto?*).

Cuando construyes tu historia en torno a un mensaje específico y luego repites ese mensaje varias veces; tienes una mejor posibilidad de que recuerden tu punto. Cuando te conectas emocionalmente, refuerzas tu mensaje. Puedes escoger cómo quieres que se sientan a través de las opciones de palabras que has elegido. ¿Quieres que se rían, lloren o animen?



¿Dónde encuentras tu historia?

Cuando conoces a tu audiencia y lo que quieres que recuerden, entonces puedes analizar momentos de tu vida que puedan representar tu mensaje. A menudo, cuando trabajo con personas para escribir e interpretar sus historias, escucho: “No tengo ninguna cosa interesante. No tengo ninguna historia”. Pero con un poco de indagación y algunas preguntas clave, las encontramos. ¿Tienes algún momento o recuerdo de un período de tiempo que demuestre tu mensaje? ¿Quieres compartir “un día en la vida”? ¿Fuiste parte de algún evento más grande que tu misma? Como cuando la canción *Silver Linings* fue escrita e interpretada en el programa *Beats* en el 2019? Confía en que tienes historias.

¿Quiénes son los personajes?

Aunque tu historia es tu historia, cada historia tiene un personaje principal y personajes secundarios. Cada uno de los personajes tiene un propósito. Cuando piensas en historias o películas que se han quedado en tu recuerdo, ¿quiénes eran los personajes? ¿Qué papel jugaban? ¿Quién era el “héroe”? ¿Quién era el villano? ¿Quién era el sabio? ¿Quién proporcionó comedia? ¿Quién fue amable? Tu historia tiene personajes. ¿Cómo puede ayudar cada uno a apoyar el punto que quieres destacar?

¿Cuál es la trama?

Cada historia tiene una trama o un marco narrativo, que transporta a la audiencia en un viaje emocional. Piensa en una película clásica. El héroe tiene un desafío, se enfrenta a adversidades, tiene ayuda para superarlas y aprende de la experiencia. *Star Wars*, *Harry Potter*, *Forest Gump* y muchos más sigue este modelo de “viaje del héroe”. Si bien no es el único modelo, es un buen lugar para comenzar. Recordando la audiencia y el punto que estás tratando de emitir, ¿cuál es la trama de tu historia? ¿Cómo los cautivaras al principio? ¿Cómo puedes crear un llamado fuerte que convoque a la acción?

Escribe, revisa y vuelve a escribir.

Así que has escrito tu primer borrador, ¡enhorabuena! Ahora comienza el verdadero trabajo. Crear una historia poderosa requiere finura. No es raro escribir cuatro o cinco borradores antes de que estés contento con tu trabajo. Mientras lees cada borrador, identifica qué emociones quieres que tu audiencia experimente con cada párrafo. ¿Tus palabras crean esa emoción? ¿Has repetido tu punto clave a lo largo de la historia? ¿Puedes simplificar o borrar palabras?

Una de mis herramientas de edición favoritas en el programa Word es *Spelling & Verificación* (ortografía & verificación) gramatical, especialmente las estadísticas de legibilidad. Si puedes enfatizar el punto y lograr la conexión emocional, y escribes a un nivel de octavo grado, ¡estás listo!

¿Quién está en tu círculo?

La mejor manera de asegurarse de que tu historia le llegue a tu audiencia es probándola con algunas personas en

las cuales tengas confianza en que te puedan proveer sugerencias reales. Puedes dejarle leer tu primer borrador a algunas personas para que te sugieran correcciones. O puedes contarle tu historia a tu audiencia de confianza y hacer preguntas clave como “¿Cuál fue el mensaje?”, “¿Qué sentiste?”, “¿Qué aprendiste?”, “¿Hubo algo confuso?” o cualquier otra pregunta que te asegure que la historia está haciendo la conexión que quieres que haga. Utiliza los comentarios que recibes a medida que refinas cada borrador.

Practica. Practica. Practica.

Cuando un actor recibe un guion, es solo el comienzo. Es a través de los ensayos que se logra dar vida a las palabras para tu audiencia. También la tarea del actor o narrador es crear la experiencia cada vez que realizan el trabajo. Lo llamamos “frescura del primer día”. El ensayo es un proceso. Empiece por aprender las palabras. Si vas a contar tu historia en vivo en un escenario, puedes decidir moderar el ritmo en ciertos puntos, siempre moviéndose con la intención de realzar la historia. En última instancia, debes ensayar exactamente de la manera como vas actuar.

Si estás contando tu historia a una clase, entonces ensaya de pie. Si estás testificando ante un comité en la legislatura, puedes ensayar sentado en una mesa. El ensayo es también donde decides qué hacer con tu voz y presencia física para darle vida a tus palabras.

Si tu historia es muy emotiva para contarla, el ensayo es también donde aprendes a expresar la emoción con control. Quieres que tu audiencia sienta la emoción, pero si te alteras incontrolablemente, puede perderlos. Cuanto más cuentes tu historia, más fácil será controlar tu forma de exponer. La práctica es importante.

Tus historias. Tu defensa.

Independientemente de quién o cuán grande sea tu audiencia, tus historias importan. Cuando cuentas tus historias, tienes la oportunidad de crear conciencia, obtener apoyo o incluso cambiar el mundo de alguien. Tus historias importan. Tus experiencias importan. Tu defensa es importante.

DEFENSA



ACTUALIZACIÓN DE DEFENSA

POR GLENN MONES

Durante el último trimestre, supimos que las empresas de seguros aún pueden emplear programas de ajuste de acumuladores. Estos programas, diseñados para permitir a las empresas ganar más dinero, pueden evitar que un paciente cuente con la asistencia de copagos de terceros para su gasto máximo de bolsillo. Básicamente, esto significa que las empresas que hacen esto cobran un “doble pago”. Se nos informó durante un tiempo que estos programas no se aplicarían al tratamiento de la hemofilia, pero no resultó ser el caso. Ahora estamos considerando si una solución legislativa podría ser necesaria.

En una victoria de fin de año, el Congreso votó para aprobar el paquete de gastos federales y alivio económico de fin de año, el cual incluye las disposiciones de la Ley de Acceso a SNF en Casos de Hemofilia. Esta legislación exige que los pacientes cubiertos por Medicare tengan acceso al factor de coagulación durante una estadía en un centro de enfermería especializada (SNF). Esto incluye instalaciones de rehabilitación que podrían ser necesarias después una cirugía u otra hospitalización. Este cambio también mejora el acceso general de los pacientes a estas instalaciones, ya que muchos se han negado a aceptar pacientes con hemofilia en el pasado por temor a que el factor de coagulación no sea reembolsado adecuadamente durante la estancia.

El proyecto de ley está a la espera de la firma del presidente, que se espera ocurra la próxima semana. Este problema ha estado en la agenda de defensa de la comunidad de la hemofilia. Avanzó en enero de 2020 con la introducción de la legislación bipartidista y fue priorizada durante el evento de defensa Días de Washington de la Fundación Nacional de Hemofilia (National Hemophilia Foundation) en febrero. The Coalition for Hemophilia B se enorgullece del papel que desempeñaron nuestros miembros para ayudar a traer este tema a primer plano. Aplaudimos a todos en la comunidad de la hemofilia y a los patrocinadores de la legislación por lograr esta importante victoria.

Washington verá cambios sustanciales en 2021 que podrían tener un impacto positivo en nuestra capacidad para promover nuestros objetivos de defensa para la atención médica. Debemos estar listos para aprovechar al máximo estas oportunidades. En 2021, nuestro programa de defensa de B Voice conservará y ampliará los mejores aspectos de lo que hemos desarrollado hasta la fecha, empoderar a nuestra comunidad con más información, educación, conocimiento, proveer “herramientas que pueden usar”, y al mismo tiempo abordarán la falta de igualdad en la salud que enfrentan muchos en nuestra comunidad. Las áreas de enfoque incluirán:

- Eliminación de los programas de ajuste de copagos
- Eliminación de la facturación sorpresa
- Expansión de Medicaid y otras opciones de coberturas asequibles
- Mayor enfoque en la equidad de la salud dentro de la comunidad de la hemofilia y otros
- Asegurar la inclusión de todas las opciones terapéuticas en los formularios de seguros aprobadas según lo prescrito por los médicos en consulta con sus pacientes y cuidadores
- Apoyar los modelos de financiación adecuados para la terapia génica y nuevos tratamientos
- Abordar la falta de equidad en salud para las mujeres y otras poblaciones desatendidas en nuestra comunidad
- ...y muchas cosas más.

Ya hemos comenzado nuestros esfuerzos con la nueva administración por medio de firmar una carta dirigida al presidente Biden sobre la importancia de la igualdad en salud y otras prioridades de los defensores de la salud. Con su ayuda, podemos hacer una diferencia para las personas con hemofilia y todos los estadounidenses que lidian con condiciones crónicas este año. ¡Únete a nuestros esfuerzos!



Ya No Estoy Sola

POR RENAE BAKER

“¿Cómo explicas lo que estás pasando cuando nunca te han dicho qué esperar y ninguna persona sabe lo que te sucede?”

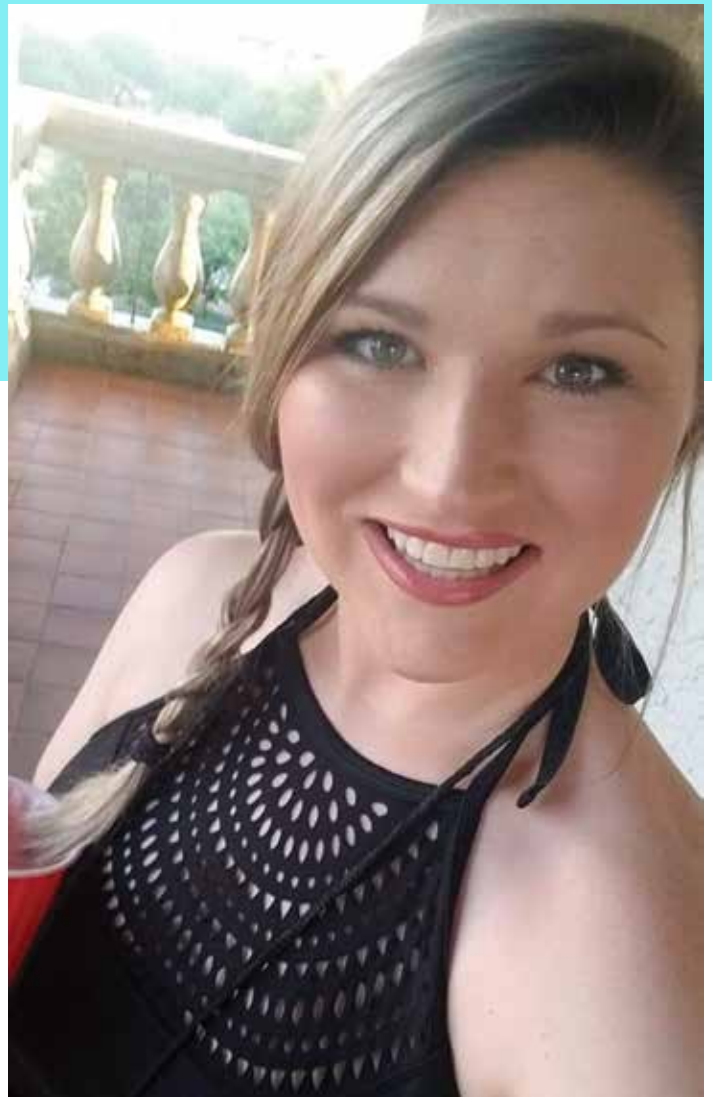
Emili expresa su gratitud por los extraordinarios programas, cuidado, educación y compañerismo que The Coalition for Hemophilia B proporciona. El volumen auténtico de información y recursos que su familia recibe sobre la hemofilia B a través de la Coalition han mejorado inmensamente la salud de Emili y la vida de su familia. Ella colma de alabanzas al equipo por el cuidado y trabajo incansable que hacen por enriquecer las vidas de sus miembros. Aunque ella pasó muchos años, los cuales ella los describe como “aburridos” antes de conocer a The Coalition for Hemophilia B.

Me reuní con Emili, a través de zoom, mientras su hija asistía a su primer día en el jardín infantil, en una escuela donde usar máscara es opcional. Nosotros hubiéramos podido tener una conversación completa en torno a la preocupación de un padre de familia por enviar a su hijo a un edificio cerrado durante una pandemia para comenzar sus años de escuela primaria, pero para Emili, esto era simplemente una preocupación más que agregar a su lista de treinta años de desafíos potencialmente mortales.

Emili recordó su propia experiencia en la escuela primaria. “Yo era muy atlética”. Ella habló de sus días de infancia en una pequeña ciudad de Arkansas. “Jugaba un montón de deportes”.

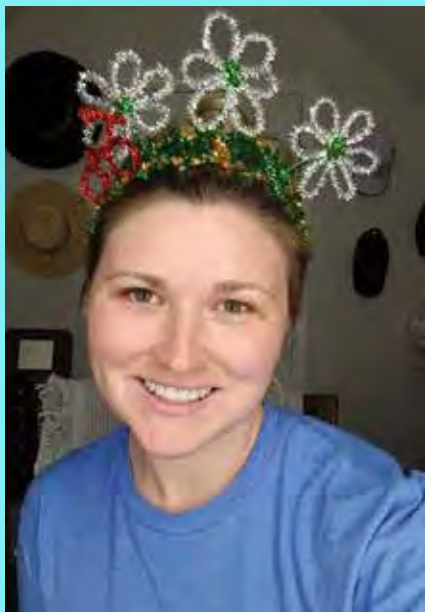
Emili sabía que había hemofilia en su familia. Al menos uno de los hermanos de su abuela lo tenía y ella sabía que su padre también lo tenía. “De hecho, sabía que mi padre tenía hemofilia B”, dijo Emili, pero la familia no había sido educada al respecto, no entendían el nivel de atención que era necesario. “Mi padre solo se aplicaba las infusiones si no soportaba físicamente o estaba muriendo en la sala de emergencias”. El padre de Emili también había sido atlético. Él había sido un lanzador de béisbol. “De niño, padecía hinchazones terribles y hemorragias desconocidas, y el abuelo simplemente le decía que ‘lo superara’”.

La falta de conocimiento tanto de su familia como en su comunidad médica local ha causado daños a largo plazo tanto a su padre como a Emili. Aunque Emili es una mujer joven, ha perdido un poco de rango de movimiento y ha tenido seis cirugías en su rodilla derecha. “La primera



hemorragia articular que recuerdo tener fue en el tobillo izquierdo - probablemente tenía 9 años. Estaba jugando baloncesto, e hice un lanzamiento a la canasta y me lo torcí el tobillo. Tuve una gran hinchazón. Todos pensaron que era una dislocación, pero no fue mejorando, así que fuimos a un doctor ortopédico y me hicieron una resonancia magnética. Solo me dijeron que: “no había fractura, que solo era una torcedura grave”.

Cuando tenía 12 años, los padres de Emili la llevaron a un hospital en Little Rock para ver si era portadora. “Mis padres no conocían a nadie que se especializara únicamente en hematología, así que fuimos al médico de mi papá, un hematólogo-oncólogo, y me enteré de que, de hecho, soy portadora. Pero el doctor nos dijo que no había forma de que las mujeres tuvieran hemofilia, y si la tuviera, por casualidad, solo hay 1 de cada 250.000 hemofílicos y, por supuesto, hay no hay tantos hemofílicos en el mundo”. Esto tranquilizó a Emili y a sus padres y creyeron que no podía tener hemofilia. Sin embargo, ella continuaba teniendo sangrados severos en la nariz y en la boca. Cuando tenía extracciones dentales esto le provocaba un incesante sangrando y le hacía perder un número alarmante de días escolares. “¡La pérdida de sangre era terrible! Pero el dentista le decía a mi mamá: “¡Ponle una bolsita de té!”



“Y luego, querido Señor Jesús, ¡llegó mi menstruación! ¡Y ese fue un juego completamente diferente!” Solo tomó un par de miradas incrédulas de sus amigas de secundaria para que Emili se diera cuenta de que su experiencia como adolescente no era algo con lo que ellas pudieran relacionarse. “Ellas me miraban como si estuviera loca. Me daba miedo, así que siempre me ocupaba de mi misma. Nunca pensé compartir o preguntarle a mi mamá sobre el sangrado abundante. Pensé: ‘Sólo me pasa a mí. Soy rara. Debo enfrentarlo’”.

Debido a que el médico de Emili le dijo que ella no podía tener hemofilia y no pasaba nada con ella, sus profesores y los entrenadores no estaban al tanto de los problemas que estaba teniendo. Como la atleta que era, Emili estaba decidida a no dejar que sus periodos menstruales se interpusieran en sus deportes, a pesar de que tenía cuantioso sangrado de 10-14 días al mes. “Yo usaba tampones tamaño extra grande y dos toallas higiénicas a la vez, y todavía manchaba mi ropa. Siempre tenía que traer ropa extra a la escuela y a eventos deportivos. A menudo sentía como si me fuera a desmayar mientras estaba jugando. Un día mientras practicábamos en la pista me desmayé y caí por cuatro o cinco escalones lo cual me dejó con una cicatriz en mi tobillo izquierdo”.

Mientras me hacía mayor, peor era, “después de tener a mis hijos, se volvió exponencialmente terrible”, dice Emili con el tipo de risa que los autores victorianos representan junto a las tumbas.

Emili está casada con Henry y mientras estaban viviendo en Dawsonville, Georgia, Emili quedó embarazada de su primera hija Gensen. El período de gestación transcurrió relativamente sin incidentes. Los moretones de golpes eran más notables, y sus niveles de factor bajaron. Su hematólogo examinaba sus niveles de factor cada tres meses y para su sorpresa, los niveles siempre regresaban al 13-28%. El sintió que debía, pero no podía diagnosticarla mientras estuviera embarazada, porque los niveles hormonales pueden afectar los niveles de factor.



En sus 26 años de práctica, el doctor nunca había tratado a una mujer con hemofilia. No sabía que hacer más allá que anotar en su historial médico para el día del parto y le aconsejó a Emili que hiciera una consulta especial con el anesthesiólogo encargado del parto, lo cual ella hizo. Emili describe el parto de Gensen como “genial”, experimentó un sangrado posparto normal que duró solo tres o cuatro semanas y luego retornó al sangrado previo al embarazo.

Un par de años después, Emili se embarazó de su hijo, Xander. El nivel de factor IX subió, pero su nivel de von Willebrand bajó de nuevo. Su hematólogo quería que Emili y Henry estuvieran más preparados para este embarazo, porque iban a tener un niño. Este maravilloso hematólogo les dio su número de teléfono de turno y les indicó que se aseguraran de que sus otros doctores lo tuvieran. Emili visitó el doctor en diciembre 7, en esa visita él le dijo: “La voy a diagnosticar oficialmente con von Willebrand de tipo 1 y hemofilia B leve. Emili dejó el consultorio, se fue a casa y su parto comenzó unas horas después, el 8 de diciembre.

A pesar de las precauciones adicionales y las consultas que habían hecho para asegurarse de que el hospital estuviera preparado para tratar los trastornos hemorrágicos de Emili, las siguientes horas fueron, como dice Emili, “extremadamente terribles”. “Nos percatamos de que las cosas iban a ir mal desde el principio, cuando el anesthesiólogo entró y me preguntó qué era la hemofilia. Él dijo: ‘Parece que puedes tener un problema de hemorragias’”.

Emili había planeado tener una inyección epidural para este parto, como lo había hecho para el nacimiento de Gensen. Una inyección epidural proporciona anestesia que entumece el área desde el ombligo hasta la parte superior de las piernas. Le permite a la madre estar despierta y alerta durante todo el parto, puede sentir la presión, lo que ayuda a la madre a empujar cuando llega el momento de dar a luz.

El anesthesiólogo estropeó la primera y la segunda epidural. Entonces decidió recurrir a una epidural intratecal. Este tipo de epidural es más invasiva ya que se inserta más profundamente en la columna vertebral y allí hay una mayor probabilidad de experimentar dolor de cabeza espinal. “Estaba entumecida, pero podía sentir que había comenzado a sangrar en mi espalda. Luego nos dijo que tendríamos que tenerlo en por un mínimo de 12 horas porque podía causar sangrando espinal, así que pensé: ‘¡Esto es fantástico!’” y con alegre sarcasmo dijo: “¡Deberías haberme dicho esto ANTES de que lo hicieras!”

Increíblemente, poco tiempo después de que la epidural intratecal fue insertada y estaba haciendo su trabajo, la bomba que controla el goteo del agente anestésico se rompió. “Así que tuve esta terrible epidural en la espalda por la cual estaba sangrando, y también podía sentirlo todo, ¡porque no estaba funcionando!” “Henry estaba furioso y salió de la habitación para buscar al director de anestesiología. Afortunadamente, era el mismo médico que realizó el procedimiento epidural para el nacimiento de Gensen”.

“Él cambió todo y aplicó un bloqueo nervioso como lo hacen con una cesárea. Estaba entumecida desde el pecho hacia

abajo y Xander nació. Nació con un sangrado de tobillo”.

Después de que revisaron al niño y se determinó que estaba bien, Emili inmediatamente comenzó a perder “montones y montones” de sangre. “Estaba tendida allí, entumecida, indefensa y sangrando. Yo no sabía que estaba pasando. Mi esposo estaba como loco y les decía: “¿Qué está pasando? Alguien necesita atenderla. Dejen de preocuparse por mi hijo; él está bien. Él está llorando. ¡Está respirando!”

La causa del sangrado se produjo porque la placenta de Emili se había desgarrado durante el parto. Su presión arterial había bajado. Estaba perdiendo tanta sangre que inclinaron la cama para que ella tuviera los pies a una altura más elevada que su cabeza.

“Imagina la peor escena de crimen que hayas visto en la televisión” Henry ilustra. “¡El nacimiento de Xander fue peor que eso!” “Si Xander hubiera nacido primero, no habríamos tenido un segundo hijo.” Emili afirma enfáticamente.

Hay mucho más en esta historia que a Emili le gustaría compartir con cualquier persona que quiera contactarse con ella, incluyendo: el cuento de que el hospital no reemplazó su sangre, la mandaron a su casa en el fin de semana, el dolor de cabeza espinal, el parche para el dolor espinal, y el sangrado posparto que continuó durante tanto tiempo que se necesitó un fuerte medicamento.

Emili reemplazó a su obstetra después de este parto. Su nuevo el doctor recomendó un procedimiento que la ayudaría a dejar de tener períodos durante varios años. El procedimiento, una ablación, sonaba bien para Emili y Henry, y ella se lo hizo. Durante el procedimiento, el médico sin saberlo hizo un corte en el cuello del útero, el cual se descubrió cuando Emili se sentó en la sala de recuperación y comenzó a sangrar excesivamente. Luego inmediatamente fue trasladada para una segunda cirugía.

Después de todo eso, (y más) los años de menstruación que iban a cesar, de los cuales el doctor había hablado, se convirtieron en solo seis meses. Para hacer las cosas peor, sus períodos menstruales ahora eran acompañados de un insoportable dolor similar al del parto. Su médico le recomendó una prescripción de progesterona que imitaría estar constantemente embarazada. Emili dijo: “¡Escuche señora, puede ponme un goteo intravenoso mientras no sangre nunca más!”

Eso fue en mayo de 2019. Desde entonces, Emili ha no ha tenido hemorragias vaginales. Entre sus embarazos y prescripción



de progesterona, Emili ha tenido las típicas hemorragias articulares, cirugías de rodilla, hematomas drenados y su vesícula biliar extraída.

Emili no dice todo esto para asustarte, sino para dejarte saber que puedes encontrar mujeres, a través de The Coalition for Hemophilia B, que podrían responder a tus preguntas, compartir experiencias y darte consejos que puedan fortificarte contra experiencias como estas. Emili se enteró de The Coalition for Hemophilia B a través de una enfermera especializada. “Aproximadamente un mes después de que Xander nació, Lindsay me envió un mensaje y me contó sobre la Coalition y que estaban a punto de tener un gran evento a poca distancia de nosotros”. Aparte de su padre, Emili nunca había conocido a otra persona con hemofilia, y mucho menos hemofilia B.

En su camino hacia el simposio, Henry se preguntó cuántas personas podrían estar allí. Emili esperaba que fueran por lo menos 50. Emili, una persona que usualmente no llora, ¡se pone muy emocional cuando recuerda que había más de 300 personas allí! Después de 30 años de “aislarse”, pensando que era “rara” y navegando su camino a través de un horror personal tras otro, sin nadie con quien pudiera relacionarse con su propia experiencia, se encontró entrando en una habitación llena de nuevos hermanos y hermanas que acogieron a su familia y proveyeron respuestas a todas las preguntas que ella tenía y ¡más! Aquí encontré un hermoso caudal de conocimiento sin explorar al cual podía acceder para educarme más, ser más saludable, más feliz, ser proactiva y mejorar mi propia defensa. “Le dije a Henry: “¡Papá nunca va a creer esto!”, así que tomé 82 fotos y se las envié todas a él!”

“Aprendimos que no estábamos solos. Aprendimos que nosotros no somos los únicos que luchan con enormes facturas médicas. Aprendimos que las mujeres pueden, de hecho, sangrar. ¡Había otras mujeres! ¡Algunas incluso tuvieron partos horribles! Ya no estaba sola en esto. Conocí mujeres que sabían de su trastorno hemorrágico desde los tres años. (¡Quería saber dónde vivían y aprendí todo eso!) Aprendimos sobre seguros médicos y profilaxis y los diferentes tipos de hemorragias”.

Emili le envió toda esta información a su padre, incluyendo el hecho de que las personas con hemofilia B leve pueden estar en profilaxis. “¡Eso fue grandioso para él! Ahora se aplica las infusiones una vez a la semana y me envía una foto para rendir cuentas”. Emili y su familia están muy agradecidos con The Coalition for Hemophilia B y la enseñanza y la capacitación que brindan. “Traen a hematólogos reales, no solo a hematólogos-oncólogos. Me ayudaron a defenderme a mí misma, a mi hijo, a mi papá y a mi abuela”.

Ella explica que su abuela tiene fibrilación auricular y tiene casi 80 años. “Su médico quería hacer todo tipo de cosas para explorar, y le pudo decir: “¡NO! No le darás un tratamiento a mi abuela hasta que compruebes sus niveles de factor”. Si la Coalition no me hubiera enseñando a hacer esto, ¿quién sabe qué habría podido ocurrir?”

“Desde que Xander tenía 3 meses, hemos estado en todos los simposios y hemos asistido a todos los eventos que



podemos. Crece más todos los años. ¡Es tan maravilloso! Tengo una familia de hemofilia B con madres y hermanas. Puedo enviarles un mensaje y decirles: ‘Esto me está pasando’ y responderán: ‘No te preocupes. Esto es lo que debes hacer’” Emili dice esto con una inhalación de gratitud y alivio.

Las palabras de consejo que Emili tiene para los nuevos miembros de The Coalition for Hemophilia B son: “No crea que usted o su hijo tienen que vivir en una burbuja - si tiene preguntas, pregunte a cualquier persona dentro de esta comunidad y tendrá la respuesta”

Mujeres con Hemofilia

POR EL DR. DAVID CLARK

19/11/20 La Federación Mundial de Hemofilia (FMH) ha empezado una nueva iniciativa sobre mujeres con trastornos hemorrágicos. La FMH celebró la Cumbre Mundial virtual sobre mujeres y niñas con trastornos hemorrágicos hereditarios del 19 al 20 de noviembre de 2020. También han agregado información adicional a la sección *eLearning de su sitio web sobre portadoras y mujeres con hemofilia*.

Durante demasiado tiempo, las necesidades de las mujeres con trastornos hemorrágicos han sido ignoradas, principalmente por ignorancia sobre la genética de la hemofilia. Finalmente estamos empezando a comprender que muchas mujeres se ven afectadas por la hemofilia y necesitan tratamiento. Tanto la NHF como HFA, así como The Coalition for Hemophilia B, se han centrado cada vez más en las necesidades de las mujeres a lo largo de los años, y esta atención mundial por parte de la FMH (wfh.org) es muy bienvenida. Hay que reconocer también a la Fundación para Mujeres y Niñas con Trastornos Hemorrágicos (fwgbd.org) que hace un trabajo maravilloso ayudando a las mujeres a encontrar tratamiento.

24/11/20 A menudo hemos recomendado los artículos de Shelley Horowitz sobre los problemas que tienen las mujeres al tratar con la hemofilia. Ella escribe con frecuencia sobre la hemofilia en *News Today*, un correo electrónico gratuito sobre hemofilia y servicio de noticias en línea. Ella es una mujer con hemofilia A leve que ha podido rastrear el trastorno sanguíneo de su familia a través de al menos seis generaciones.

Su columna del 24 de noviembre describió su viaje a través de seis diferentes Centros de Tratamiento para la Hemofilia (HTC, por sus siglas en inglés) mientras recorría por el país. Los seis centros la diagnosticaron y trataron de manera diferente. Algunos solo la etiquetaron como “portadora” o “portadora sintomática” lo cual resultó ser una barrera para recibir un tratamiento adecuado.

Ella fue amonestada a “no desperdiciar factor caro” con la implicación de que los hombres que tenían hemofilia “real” lo necesitaba más. Incluso después de que finalmente obtuvo un diagnóstico y tratamiento de uno de los centros, el siguiente generalmente ignoraba la información y comenzaba de nuevo, a menudo retrocediendo el proceso. Como ella escribió: “Fue confuso, frustrante y mostró una falla en el sistema actual para el tratamiento de la hemofilia”.

Debido a su propia experiencia, junto con las experiencias

de muchas otras mujeres, Shelley aboga por un *Estándar de atención* constante para las mujeres con hemofilia. ¿Hay algún otro campo en donde a alguien con un grave problema médico no se le toma en serio, se ignora y se le niega el tratamiento necesario? (En realidad, probablemente haya algunos otros campos de la medicina que no toman a las mujeres en serio, ¡Pero eso tampoco está bien!) Aplaudimos a Shelley y a sus esfuerzos y deseamos a todas las mujeres con trastornos hemorrágicos mejores resultados en el futuro.



NOTICIAS DE SALUD SOBRE LA HEMOFÍLIA

POR EL DR. DAVID CLARK

Algunos de los siguientes informes provienen de estudios presentados en la 62ª Reunión de la Sociedad Americana de Hematología (ASH, por sus siglas en inglés), celebrada del 5 al 8 de diciembre de 2020. Copias de los resúmenes están disponibles en el sitio web de ASH en hematology.org.

NO TODOS LOS PACIENTES SE BENEFICIAN DE PRODUCTOS DE MEDIA VIDA EXTENDIDA

5/12/20 No todos los pacientes se benefician del cambio a productos de factor de vida media (EHL) de acuerdo con un estudio canadiense/holandés presentado en ASH. Pequeños estudios han demostrado que los productos EHL son beneficiosos para aumentar los niveles mínimos y disminuir la frecuencia de infusiones para grupos de pacientes, pero este es el primer estudio que analiza los productos de vida media en pacientes individuales dentro de un grupo grande. El servicio de farmacocinética poblacional disponible a través de una aplicación basada en la web (Web Accessible Population Pharmacokinetics Program, WAPPS) es utilizado por muchos médicos para analizar los datos farmacocinéticos (PK) de sus pacientes. WAPPS mantiene una base de datos PK para pacientes con hemofilia, y los investigadores pudieron recopilar los resultados de 649 pacientes que habían utilizado ambos estándares, productos de vida media estándar (SHL) y productos de vida media extendida (EHL).

Aproximadamente el 11% de los sujetos tenían hemofilia B. Como grupo, mostraron un aumento promedio de 3,1 veces (310%) en vida media con productos EHL en comparación con productos SHL. Sin embargo, individualmente algunos pacientes solo mostraron un aumento en vida media de un 25%. Los incrementos relativos fueron similares tanto para niños como para adultos. Esto sugiere que algunos de los pacientes no pueden beneficiarse significativamente del cambio. Los autores recomiendan estudios farmacocinéticos individualizados para pacientes que están considerando hacer un cambio. [Resumen de ASH 234]

LA TERAPIA MANUAL AYUDA A LAS ARTICULACIONES HEMOFÍLICAS

23/10/20 La fisioterapia es un aspecto importante del tratamiento de la hemofilia para personas con problemas en las articulaciones. Un grupo en España se preguntó si el agregar la terapia manual de estiramiento pasivo sería beneficioso para la salud de las articulaciones. La terapia manual implica que un terapeuta use sus manos para manipular partes del cuerpo, mientras que el estiramiento pasivo es estirarse manteniendo una posición durante un período de tiempo. Los investigadores observaron a 28 pacientes con hemofilia (24 A; 4 B) con articulaciones de rodilla afectadas. La mitad recibió terapia manual con estiramiento pasivo en sesiones de dos horas por semana por 12 semanas. La otra mitad siguió su rutina normal como grupo de control. Los grupos fueron evaluados antes y

después del período del tratamiento de 12 semanas y luego se les hizo un seguimiento 12 semanas después.

Los resultados fueron sorprendentes. En el grupo de control, el promedio en la frecuencia de hemorragias de rodilla fue de 0,71 después de las primeras 12 semanas y 2,29 en el seguimiento. En el grupo tratado con terapia manual y estiramiento pasivo la frecuencia de sangrado de rodilla fue cero después de las primeras 12 semanas y 0,43 en el seguimiento. El dolor en el grupo tratado disminuyó de un promedio de 5.21 (en una escala de 10 puntos) antes del tratamiento, a 2,0 después de las primeras 12 semanas y 1,71 en el seguimiento. Las puntuaciones para el grupo de control se mantuvieron esencialmente sin cambios. El grupo tratado también mostró mejoras en la salud de las articulaciones y el rango de movimiento, mientras que el grupo de control no vio beneficio.

Siempre ha existido la preocupación de que la fisioterapia podría aumentar el sangrado en pacientes con hemofilia, sin embargo, este estudio sugiere todo lo contrario. Los autores recomiendan hacer estudios en el futuro con grupos más grandes y mediciones adicionales de salud articular para confirmar sus recomendaciones. [Cuesta-Barruso R et al., Haemophilia, en línea antes de imprimir 23/10/20]

CUMPLIMIENTO/ADHERENCIA AL TRATAMIENTO

20/11/20 Cumplir con el régimen de tratamiento para la hemofilia es una parte importante para mantener su salud. El cumplimiento incluye cosas como mantener sus citas con el médico y mantenerse al día con sus infusiones. Un nuevo estudio de Brasil analizó a 138 pacientes adultos con hemofilia (104 A; 34 B) durante un período de un año, con un seguimiento a largo plazo de tres años después del tratamiento para evaluar la mortalidad.

Descubrieron que la falta de cumplimiento era alto; solo el 25,4% de los pacientes cumplieron plenamente con todos los



aspectos de su tratamiento. Al examinar solo el cumplimiento del régimen para el factor de coagulación, la tasa fue mejor, pero aún baja, 65,9%. El único criterio de valoración que midieron fue la mortalidad (muerte), y las diez muertes durante el estudio de cuatro años fueron del grupo que cumplía menos con su régimen. [Soares BMD et al., Patient Preference and Adherence, 14 2279-2285, 2020]

6/12/20 Un artículo en ASH también analizó el cumplimiento de los pacientes con su tratamiento. Un grupo del Reino Unido analizó datos del “La encuesta del costo de la hemofilia severa en los Estados Unidos: Un factor socioeconómico” (CHESS US +, por sus siglas en inglés) que se basó en un cuestionario completado por pacientes. Los 356 sujetos con hemofilia severa (260 A; 96 B) se dividieron en tres grupos (adherencia baja, moderada y total) basado en un auto informe de cumplimiento. Descubrieron que el dolor informado por los pacientes aumentaba a medida que el cumplimiento con el tratamiento disminuía - el grupo de baja adherencia al tratamiento tuvo el dolor más severo, en el grupo moderado el dolor fue intermedio, y el grupo de cumplimiento total tuvo menos dolor.

Sin embargo, cuando analizaron la situación laboral, los resultados se invirtieron. El grupo de baja adherencia al tratamiento tenía el porcentaje más alto de trabajo a tiempo completo o parcial, y el grupo de cumplimiento pleno tuvo el más bajo. Los desempleados y los jubilados también eran del grupo que cumplían totalmente con su tratamiento. Estos resultados son consistentes con los resultados del Estudio B-HERO-S realizado hace unos años. Parece que puede haber una relación entre un buen resultado clínico (medido por menor dolor) y el empleo. Los autores afirman: “Los pacientes que logran una adherencia óptima tenían menos probabilidades de tener un empleo de tiempo completo, y es más probable que trabajen a tiempo parcial o estén desempleados”. Las razones no se entienden. [Resumen 2541 de ASH]

Comentario editorial: Con respecto a este punto, recientemente se ha planteado una pregunta en una reunión sobre terapia génica. En el estudio de uniQure, se observó que antes de recibir la terapia genética el 70% de los 54 participantes del estudio habían tenido un total de 123 hemorragias en los últimos seis meses mientras estaban en profilaxis. La pregunta es: “¿Por qué sangraban estas personas?” La idea de la profilaxis era minimizar el sangrado para proteger las articulaciones. ¿Era una cuestión de incumplimiento de su régimen profiláctico, o era que el régimen en sí no era suficiente, o era algo más? Las personas no deberían sangrar. Si se encuentra en esta situación, hable con su médico o HTC.

ENVEJECIENDO CON HEMOFILIA

Debido al impacto de la crisis del SIDA en la comunidad de la hemofilia, sabemos muy poco sobre la salud y el estatus socioeconómico de los pacientes mayores, ¡no tenemos muchos para estudiar! Varios estudios recientes están cubriendo parte de ese vacío.

6/12/20 Un grupo internacional de investigadores analizaron los resultados del estudio Resultados, Cargas y Experiencias Notificados por los Pacientes (PROBE, por sus siglas en



inglés) para determinar el efecto del envejecimiento sobre el estado de salud de los pacientes con hemofilia. El estudio PROBE recopiló resultados de 1157 personas con hemofilia (PWH, por sus siglas en inglés) en comparación con un grupo de control de 690 personas sin trastornos hemorrágicos (PWoBD, por sus siglas en inglés). De ellos, el 8% de los PWH tenían 65 años o más, en comparación con 12% de PWoBD. En cuestionarios que califican el estado de salud y la calidad de vida relacionada con la salud, encontraron que las puntuaciones para los PWoBD no cambiaron con la edad, mientras que las puntuaciones para los PWH empeoró. [Resumen de ASH 2529]

6/12/20 El estudio HUGS VII examinó el costo y el peso de la hemofilia, incluyendo la calidad de vida relacionada con la salud, la artropatía (daño articular) y los impactos económicos, en pacientes con hemofilia A y B de 40 años o más que reciben atención en un HTC. Dividieron los participantes en un grupo de 40 a 49 años (25 sujetos) y uno de 50 años y mayores (45 sujetos) y se buscaron las diferencias en una serie de atributos. Entre los grupos, encontraron que menos personas del grupo de mayor edad estaban empleados (33,3% vs. 72,0%); el grupo mayor tenía más probabilidades de estar casados o tener pareja (71,1% vs 56%); y el grupo de mayor edad tenía una mayor probabilidad de que fuera leve o moderado en lugar de grave (68,9% vs 40%). El grupo de mayor edad tenía menos probabilidades de estar en profilaxis (38,6% vs 62,5%), pero la tasa de profilaxis para aquellos con enfermedad grave fue la misma (85,7% vs. 86,7%). El dolor articular y las limitaciones en el rango de movimiento fueron más o menos lo mismo para ambos grupos. El grupo más joven tenía más probabilidades de estar en fisioterapia (41,7% frente a 15,9%). [Resumen de ASH 2490]

7/12/20 Otro grupo de Estados Unidos examinó los resultados de las enfermedades cardiovasculares (ECV) en pacientes con hemofilia. Utilizando una base de datos a nivel nacional de altas hospitalarias, los investigadores analizaron los resultados de 2007 en comparación con el 2017. Uno de los hallazgos interesantes es que en el 2017, la edad promedio de los pacientes con hemofilia admitidos en el hospital fue de 44,3 años, mientras que en 2007, el promedio de edad era de 30,9 años. ¿Esto refleja mejoras en la terapia de hemofilia durante un período de diez años? Para comparar, las edades medias de los pacientes sin la hemofilia se mantuvo relativamente sin cambios desde los 47,2 años en el 2007 a 49,6 años en el 2017.

Otro hallazgo interesante es que en ambos años, los pacientes con hemofilia calificaron mejor en casi todos los factores de riesgos y resultados de las enfermedades cardiovasculares (ECV) que la población en general. Sugiere esto que los pacientes con hemofilia tienen mejor salud cardiovascular, o que los pacientes con hemofilia obtienen una mejor atención médica gracias a la red de HTC? No lo sabemos. A veces, los estudios plantean nuevas preguntas a medida que responden a las antiguas.

Sin embargo, no deje que estos resultados se le suban a la cabeza. Los autores también señalan que de 2007 a 2017 las tasas de todos los factores de riesgo de ECV y los resultados generalmente aumentaron para pacientes con hemofilia. La ECV sigue siendo un riesgo significativo para la población con hemofilia y necesita más estudio. [Resumen de ASH 2686]

RIESGO DE ALTA PRESIÓN ARTERIAL EN PACIENTES CON INHIBIDORES Y PACIENTES CON HEMOFILIA B

5/12/20 Los pacientes con hemofilia parecen tener un mayor riesgo de hipertensión (presión arterial alta: HTA) que la población general. La HTA también se desarrolla en pacientes más jóvenes con hemofilia, por lo que es importante realizar un seguimiento de su presión arterial. Un estudio de 2018 sugirió que los pacientes con inhibidores pueden tener un mayor riesgo de ECV que los pacientes sin inhibidores, pero el estudio incluyó muy pocos pacientes con inhibidores para estar seguro. Un nuevo estudio analizó a 691 pacientes con hemofilia incluyendo 44 con inhibidores en cuatro HTC de Estados Unidos y Canadá. Esto incluyó a 533 sujetos con hemofilia A y 157 con hemofilia B. 419 pacientes A y B fueron positivos para la hepatitis C (VHC) y 128 positivos para el VIH.

Descubrieron que los sujetos con inhibidores o con antecedentes de inhibidores, no tenían mayor riesgo de HTA. Sin embargo, después de observar subconjuntos de datos, encontraron que los pacientes con hemofilia B tenían un riesgo mucho mayor de HTA en comparación con pacientes con hemofilia A. Los B en realidad tenía un riesgo menor hasta los 30 años, pero luego el riesgo comenzó a aumentar notablemente, alcanzando su punto máximo a finales de los 40/principios de los 50 años de edad y disminuyendo ligeramente después de eso. A los 50 años, los B tenían un probabilidad de tener HTA de aproximadamente el 90% en comparación con aproximadamente 40% en los A. A los 70 años, ambos estaban alrededor del 80%. Ellos también encontraron que los sujetos que tenían VHC o eran VIH positivos, o que tenía antecedentes de esas infecciones, tenía un mayor riesgo de HBP.

Todavía hay muchas preguntas sin respuesta sobre esto, pero señala que los pacientes con hemofilia B deben mantenerse al tanto de su presión arterial. [Resumen de ASH 1633]

INTELIGENCIA ARTIFICIAL SE ENCARGA DEL PLEGAMIENTO DE PROTEÍNA

30/11/20 Este no es un artículo sobre el tratamiento de la hemofilia de por sí, pero sí se trata de un gran avance en

la ciencia de las proteínas en general, que puede tener un gran impacto en gran parte de las ciencias médicas. Durante décadas, los investigadores han intentado predecir las estructuras de las proteínas. Las proteínas constan de largas cadenas de moléculas llamadas aminoácidos, son como las cuentas en una cuerda, cada cuenta representa un aminoácido.

El factor IX, por ejemplo, tiene 461 aminoácidos (cuentas) cuando se produce por primera vez en una célula del hígado. Cuarenta y seis de ellos se pierden cuando se secreta en el torrente sanguíneo, pero todavía deja 415 aminoácidos en la proteína final. El factor IX es en realidad, una proteína de tamaño mediano; el factor VIII, la proteína que falta en la hemofilia A, tiene 2332 aminoácidos (cuentas). Cada aminoácido está formado por una serie de átomos.

Lo singular de las proteínas es que la cadena de cuentas se enrolla en una forma 3D específica, y esa forma da a la proteína muchas de sus propiedades. Predecir esa forma 3D, denominada configuración de la proteína, y por lo tanto las propiedades de las proteínas, siempre ha sido un enigma. Ahora, una rama de la inteligencia artificial (IA) de Google ha desarrollado un método. La especialidad se llama DeepMind, y el programa IA se llama AlphaFold.

La secuencia de aminoácidos, que son la secuencia de las cuentas en la cuerda, se ha postulado para determinar la configuración completa tridimensional de las proteínas. Con base en esa suposición, los investigadores han estado utilizando supercomputadoras para calcular configuraciones de proteínas a partir de los primeros principios, es decir, de la distribución de la energía alrededor de cada átomo en la proteína. Eso se puede hacer, pero los cálculos son extremadamente complejos y requieren una enorme potencia de la computadora. Uno de los problemas es que siempre que se agrega otro átomo, esto cambia ligeramente la distribución de energía, así que se tiene que regresar y volver a calcular todos los demás átomos. Es un proceso iterativo que puede llevar meses incluso para una pequeña proteína. Es básicamente una hazaña imposible para las proteínas actuales y las computadoras de hoy.

Ahora, DeepMind tiene otro enfoque que utiliza IA. Al AI no le preocupa por qué la secuencia de cierto aminoácido tiene forma de bucle, espiral u hoja plana. Solo mira ejemplos de proteínas e inventa sus propias reglas las cuales predicen las formas que tienen. AlphaFold aún no es perfecto, pero ha tenido mucho éxito en hacer coincidir configuraciones que han sido determinadas experimentalmente por métodos como Cristalografía de rayos X y microscopía electrónica. Estos métodos experimentales son buenos, pero también son laboriosos y caros. AlphaFold puede brindar a los científicos una ventaja al utilizar estos métodos. De acuerdo con los científicos de DeepMind, "La IA permitirá estudiar seres vivos de formas nuevas".

Esto es nuevo y solo se está comenzando a usar, pero su influencia en la ciencia médica puede ser profunda. [Artículo de Nature News 30/11/20]

CINCO PRÁCTICAS DE CUIDADO PERSONAL: SU EQUIPO DE EMERGENCIA PARA EL COVID-19

POR MATTHEW BARKDULL, PROFESIONAL DE SALUD MENTAL

No es difícil reconocer cómo la pandemia de COVID-19 ha golpeado a la comunidad global. No solo ha amenazado e impactado nuestra salud, sino que sus tentáculos también han perturbado nuestro bienestar social, nuestra resistencia mental y emocional, nuestra seguridad financiera, y la lista continúa.

Como medida de seguridad razonable pero inconveniente estamos obligados a mantener la seguridad, no podemos prosperar manteniendo una estrategia defensiva. Como todo aficionado al deporte puedo decirle que la mejor defensa es una buena ofensiva. Antes de que George Washington muriera en 1799, fue citado por decir "... las operaciones ofensivas... son lo más seguro, o los únicos medios de defensa". ¿Cómo podemos empezar a retomar nuestras vidas a través de una estrategia ofensiva? La respuesta es más simple de lo que uno podría pensar: ¡mediante el cuidado personal!

El cuidado personal es la puerta de entrada a la recuperación. Es parecido a preparar la bomba de impulso. Como licenciado en salud mental profesional, deseo recomendar encarecidamente las siguientes estrategias de cuidado personal que han demostrado llenar nuestro tanque de gas individual a pesar de las incertidumbres que nos rodean.

Estrategia de cuidado personal #1

Encuentre tiempo para reír: un proverbio judío dice "como el jabón es para el cuerpo, así es la risa para el alma". La risa aumenta la tolerancia al dolor, cambia nuestra perspectiva, aumenta nuestro ritmo cardíaco produciendo más flujo de oxígeno a través de nuestros cuerpos, ayuda a combatir

la enfermedad de la vía respiratoria superior y disminuye las hormonas del estrés. Increíble, ¿eh? Mire un programa divertido, o un video en YouTube, disfrute de su telecomedia favorita o busque a alguien (en persona o virtualmente) para pasar tiempo en el cual pueda relajarse y reír un poco.

Estrategia de cuidado personal #2

Muévase: observe que no dije ejercicio (aunque sería excelente si fuera posible). El movimiento crea motivación. Tómese un momento para estirarse (lo más pueda tolerar basado en sus propias circunstancias individuales). El movimiento también puede implicar la respiración profunda. Sigue este tren de pensamiento: (1) el movimiento aumenta el oxígeno en nuestras células; (2) las células usan oxígeno para descomponer el azúcar; (3) al descomponerse el azúcar esto produce la energía que nuestro cuerpo necesita. Encuentre un movimiento o una estrategia de ejercicio que funcione para usted y consulte con un fisioterapeuta recomendado. ¡Estará contento de haberlo hecho!

Estrategia de cuidado personal #3

Cree rituales: todos necesitamos algo que esperar cada día, no tiene por qué ser gigantesco o caro. Un ritual es simplemente una acción positiva que se realiza en momentos predecibles. Aquí hay algunos ejemplos de rituales comunes: leer un libro mientras toma un baño, jugar juegos, salir a caminar, ir al gimnasio, llamar a un amigo, ir a dar una vuelta, reunirse con amigos antes o después del trabajo (en persona o virtualmente), etc. Los rituales no solo están destinados a realizarse durante las vacaciones. Se pueden hacer diariamente. ¡Deles una oportunidad!

Estrategia de autocuidado #4

Socialice: entre las muchas consecuencias de la pandemia, nuestra capacidad para socializar ha sido bruscamente



comprometida. Los estudios lo han hecho abundantemente claro que la falta de conexión social y apoyo conduce al aumento del estrés y al aumento de los problemas de salud mental. Aunque estemos algo comprometidos, aquí hay algunas ideas: crear o participar en un entorno virtual donde la gente pueda simplemente abrirse y socializar; jugar juegos virtuales; según las restricciones locales, reúnanse utilizando una máscara y practicando el distanciamiento social con un amigo o dos; ayúdele a alguien quien usted sabe que está en apuros.

Estrategia de autocuidado #5

Participa en la atención plena: esto es simplemente estar consciente de tu entorno de manera intencional y terapéutica. Por ejemplo, ser conscientes de nuestros pensamientos puede ayudarnos a desafiar los pensamientos erróneos como el etiquetar, culpar y ver las cosas de manera catastrófica. Puede practicar yoga, taichí u otras actividades de movimientos que promuevan la conexión con el cuerpo,

el alma y la mente. Otras actividades incluyen llevar un Diario de Gratitud, respiración profunda, relajación muscular progresiva, quitarse los zapatos y sentir el suelo bajo los pies, un baño de naturaleza (a veces llamado baño de bosque), y otras técnicas.

Siguiendo estas estrategias ofensivas, probablemente llenará su cuerpo, mente y tanque espiritual para poder atravesar por las circunstancias mundiales actuales. Pronto llegará el momento en que esta pandemia será historia y podremos juntarnos una vez más, con más gratitud por los demás y nuestras asociaciones.

Matthew Barkdull, como paciente con hemofilia B grave, se complace en ofrecer sus servicios de entrenamiento y o asesoramiento a cualquier miembro de la comunidad de la Coalition. Siéntase libre de comunicarse con él al número de teléfono: 385-434-8136 o al correo electrónico: barkdullmd@paramountcounselingsolutions.com.



¿ESTÁS LISTO PARA CONTAR TU HISTORIA?

Ya sea que tenga una carrera increíble, una familia extraordinaria o una historia de triunfo, ¡queremos saber de TI! Te colaboraremos con un escritor interno para ayudarte a comunicar tu historia de una manera convincente y significativa. La mejor parte es que no necesitas tener experiencia en escritura. Entonces, ¿qué te detiene? Para más información sobre cómo aparecer en el boletín de CHB, por favor contáctenos en contact@hemob.org. contact@hemob.org. ¡Estamos ansiosos por leer todo sobre ti!



TERAPIAS EMERGENTES

POR EL DR. DAVID CLARK

Muchos de los siguientes informes provienen de estudios que fueron presentados en el 62º Reunión Anual de la Sociedad Americana de Hematología (American Society of Hematology, ASH), llevada a cabo del 5 al 8 de diciembre de 2020. Las copias de los resúmenes (abstracts) están disponibles en el sitio web de ASH en hematology.org.

Catalyst recibe la designación de vía rápida para MarzAA



2/12/20 Catalyst Biosciences recibió la designación de vía rápida para marzeptacog alfa (activado) (MarzAA) de la FDA. Esto les da un mayor acceso a la FDA durante el desarrollo del producto y una revisión acelerada para obtener la licencia. MarzAA es una variante del factor VIIa para el tratamiento de pacientes con hemofilia A y B con inhibidores. Tiene una mayor actividad, vida media más larga y dosificación subcutánea para el tratamiento de hemorragias a demanda. [Comunicado de prensa de Catalyst 12/2/20]

12/6/20 En ASH, Catalyst presentó el diseño de su estudio de fase III de MarzAA, que está programado para comenzar en diciembre. La prueba incluirá aproximadamente 60 A o B pacientes con inhibidores inscritos en 54 sitios en 19 países. Va a ser un estudio cruzado en el que 30 pacientes reciben MarzAA y 30 pacientes reciben un producto de factor VIIa durante la primera mitad del estudio. Luego, a la mitad del estudio, van a cambiarse y el grupo MarzAA recibirá factor VIIa y vice versa. Para obtener más información, consulte en el sitio web clinicaltrials.gov estudio NCT04489537. [Comunicado de prensa de Catalyst 7/12/20 y Resumen de ASH 1795]

Informes de HEMA Biologics sobre estudio clínico para Sevenfact



6/12 y 7/12/20 En ASH, HEMA Biologics informó sobre los estudios clínicos para su producto Sevenfact, una variante de factor VIIa que recientemente recibió licencia de la FDA. Sevenfact es un agente de derivación para el tratamiento de pacientes con hemofilia A o B con inhibidores.

Un estudio analizó 396 hemorragias articulares en 50 pacientes con inhibidores del estudio autorizado de fase III. Ellos observaron una dosis de 75 µg/kg cada tres horas en comparación con una dosis inicial de 225 µg/kg seguida de una dosis de 75 µg/kg cada tres horas la cual se inició nueve horas después de la primera dosis. A las 3 horas después de la infusión, encontraron que el 26,2% de las hemorragias se habían resuelto (detenido) en los sujetos de la dosis inicial de 75 µg/kg y el 63,3% se resolvió con la dosis inicial de 225 µg/kg. Esto sugiere el beneficio de una recuperación más rápida con una dosis inicial más alta. A las 24 horas, los resultados fueron similares el 94,4% y el 94,5% de las hemorragias se resolvieron, respectivamente.

También realizaron un estudio de fase III de doce hombres con hemofilia A severa con inhibidores que han tenido varios procedimientos quirúrgicos electivos mayores o menores. Incluyendo varios procedimientos ortopédicos que generalmente implican mucho sangrado. Observaron dos regímenes de dosis diferentes y evaluaron el sangrado en varias etapas durante y después de la cirugía. Los resultados para el control del sangrado fueron excelentes durante los procedimientos y buenas o excelentes 24 horas después de la cirugía. La pérdida de sangre durante la cirugía fue menos que la observada en pacientes sin trastornos hemorrágicos sometidos a los mismos procedimientos. En dos pacientes ortopédicos fue considerado como un fracaso. Un paciente de reemplazo de cadera requirió una transfusión de sangre debido a la anemia después de la cirugía. Un paciente de artroplastia de rodilla se retiró debido a un hematoma posoperatorio. No hubo eventos trombóticos y no hubo evidencia de formación de inhibidores. [Resúmenes de ASH 1790 y 2699]

Tremeau recibe financiación para el desarrollo de rofecoxib



9/12/20 Tremeau Pharmaceuticals anunció que han recibido financiación para el desarrollo de TRM-201, rofecoxib, para el tratamiento de dolor de la artropatía hemofílica (daño articular). Rofecoxib es un inhibidor de la COX-2 que se comercializaba previamente como VIOXX. Además de proveer excelente alivio para el dolor, también tiene la ventaja sobre otros inhibidores porque COX-2 tiene un riesgo reducido de hemorragia gastrointestinal.

VIOXX se suspendió en 2004 debido a preocupaciones sobre seguridad cardiovascular. La investigación desde entonces ha demostrado que todos los AINE tienen problemas de seguridad cardiovascular que dependen de la dosis y la duración del tratamiento. Posiblemente, algunas personas en VIOXX usaban grandes cantidades de la entonces aparentemente inofensiva droga, que provocaron los problemas cardiovasculares. Tremeau cree que ellos pueden reintroducir rofecoxib de forma segura como TRM-201 para uso en dosis moderadas.

Tremeau tuvo recientemente una reunión de "Fin de la fase II" con la FDA, que aprobó sus resultados y dio permiso para iniciar un estudio de fase III destinado a obtener la licencia. Ellos planean comenzará el estudio de fase III a principios de 2021.

El dolor de las articulaciones dañadas puede tener un gran impacto negativo en la calidad de vida de los pacientes con hemofilia. Muchos habían encontrado un gran alivio con VIOXX y quedaron tristemente decepcionados cuando fue retirado del mercado. Supuestamente era más eficaz que los opioides, que tienen sus propios problemas. Su potencial

retorno al mercado será bienvenido. [Comunicado de prensa de Tremeau 9/12/20]

Terapias con inhibidores anticoagulantes

Varias empresas están desarrollando productos que inhiben un anticoagulante en el sistema de coagulación normal. El sistema de coagulación contiene ambos factores de coagulación, que promueven la coagulación y los anticoagulantes, que retrasan la coagulación y ayudan a controlar el sistema. Estos están en equilibrio, para que la sangre coagule cuando sea necesario, o no cause trombosis, que es una coagulación excesiva o no deseada. La trombosis puede causar complicaciones graves e incluso la muerte.

En la hemofilia, el sistema está desequilibrado debido a los factores de coagulación que faltan. Esto inclina el punto de equilibrio neutral del sistema de coagulación hacia una absoluta dificultad para desarrollar coágulos. Al inhibir los anticoagulantes (inhibiendo los inhibidores), se espera que estos nuevos productos reequilibren el sistema para permitir la formación de coágulos cuando sea necesario. Un número de diferentes anticoagulantes se están investigando, incluyendo la antitrombina, un inhibidor de la vía del factor tisular (TFPI), la proteína C y la proteína S.

(Tenga en cuenta que estos inhibidores no son las mismas sustancias que los inhibidores de los que normalmente hablamos en la hemofilia, los cuales bloquean la acción del factor VIII o IX. Hay muchos tipos de inhibidores en biología, y ahora que la investigación de la hemofilia se ha vuelto más común, podríamos necesitar adoptar un nombre más específico para los inhibidores del factor de coagulación. Aquí, simplemente los llamaremos inhibidores del factor).

La inhibición de los anticoagulantes ha funcionado bastante bien hasta ahora en los estudios clínicos de los productos que se están desarrollando. Una gran ventaja es que estos métodos funcionan para todos los tipos de hemofilia, A o B, con o sin inhibidores de factor. Sin embargo, parece que los sistemas de coagulación reequilibrados no son muy sólidos. Al inhibir los anticoagulantes que controlan el sistema, se crea un delicado equilibrio que puede ser fácilmente interrumpido. Ha habido problemas de trombosis en varios de los estudios, algunos de los cuales se describen abajo.

El mayor problema parece estar en el tratamiento de hemorragias intercurrentes, estas son hemorragias que ocurren a pesar del tratamiento. La tendencia ha sido de tratar las hemorragias de la misma manera que se trataría una hemorragia en un paciente que no está en terapia de inhibidores de anticoagulantes, con productos de factor o agentes de derivación. Parece ser un método muy agresivo en algunos pacientes. Impulsa el equilibrio demasiado lejos hacia una coagulación fácil, que puede provocar trombosis. Es posible que necesitemos usar una dosis más ligera.

Los informes a continuación dan una actualización de los estudios para varios de los productos inhibidores de anticoagulantes bajo desarrollo. Sin embargo, los más importantes son los estudios sobre la generación de trombina. Normalmente usamos ensayos de coagulación de factor en el tratamiento de la hemofilia que miden el nivel de factor VIII o factor IX. Estos estaban bien cuando todo lo que

estábamos haciendo era dar a los pacientes productos de factor para elevar sus niveles. Ahora que estamos intentando modificar todo sistema de coagulación, es posible que esos ensayos no sean lo suficientemente buenos. Necesitamos un ensayo que analice todo el sistema.

Varios investigadores a lo largo de los años han sugerido que los ensayos de generación de trombina (TGA) serían mejores para examinar todo el sistema. Los TGA miden la producción de trombina, que es la enzima activa final en la cascada de la coagulación. La trombina convierte el fibrinógeno en fibrina, que es una proteína que se adhiere a sí misma para formar un coágulo, a veces llamado coágulo de fibrina. La cantidad de trombina producida, así como el curso temporal de la producción, da una visión general de todo el proceso de coagulación, no solo la fase del factor VIII/IX. Desafortunadamente, los TGA no están todavía listos para uso público, están en el laboratorio de investigación, pero aún necesitan trabajo antes de que se puedan utilizar en pruebas de rutina en un laboratorio clínico comercial.

Un TGA tiene en cuenta las acciones de todos los procesos de los factores de coagulación y anticoagulantes en el sistema. Podría ser una mejor prueba para utilizar cuando se trata una hemorragia intercurrente con estos nuevos productos. Podría mostrar, por ejemplo, que el paciente con sangrado solo necesita un poco más factor de coagulación en lugar de una dosis completa que podría producirle una trombosis. Por ejemplo, un estudio de TGA de Novo para su producto concizumab muestra que solo se necesita alrededor de la mitad de la cantidad habitual de factor IX para tratar una hemorragia en un paciente en concizumab.

Tenga en cuenta que el uso más amplio de TGA también podría resolver uno de los misterios de la hemofilia, que los pacientes no siempre coagulan como lo sugieren sus niveles de factor. Por ejemplo, nosotros sabemos que alrededor del 15% de los pacientes con hemofilia B grave (<1% de la actividad normal del factor IX) en realidad coagula más como pacientes leves o moderados. Hemos estado aprendiendo que esto es en parte porque pueden tener cantidades anormales de otros factores de coagulación y/o anticoagulantes. Con demasiada frecuencia se asume que mientras un paciente con hemofilia B tiene un bajo nivel de factor IX, todos sus otros factores de coagulación y los niveles de anticoagulante son normales o medios. Esto es una enorme suposición que no siempre es cierta.

Estos tratamientos con inhibidores de anticoagulantes bajo desarrollo podrían resultar ser excelentes productos y una buena alternativa para los pacientes que no pueden o no quieren terapia genética. La mayoría de los productos se dosifican por simple inyecciones subcutáneas, a veces semanales o incluso mensualmente. Sin embargo, tenemos que aprender a controlarlos mejor. No podemos simplemente suponer que al eliminar parte del sistema de control de la cascada de coagulación todo saldrá bien. La naturaleza diseñó el sistema para que sea resistente y sin embargo flexible, pero no podemos simplemente arrojarle algo y esperar a que trabaje. Tenemos que pensar detenidamente sobre lo que estamos haciendo. Los estudios muestran que las empresas están haciendo precisamente eso.

Informes de Novo sobre eventos trombóticos en estudio de concizumab

6/12/20 Novo Nordisk está desarrollando concizumab, un anticuerpo monoclonal subcutáneo que inhibe el inhibidor de la vía del factor tisular (TFPI), un anticoagulante que ayuda a controlar las reacciones de la coagulación. Al inhibir el TFPI, se espera restaurar el equilibrio en el sistema de coagulación para permitir una coagulación normal. Después los resultados de los estudios de fase II mostraron que concizumab es bien tolerado y tiene un perfil de seguridad favorable, Novo ha llevado el producto a estudios de fase III con el objetivo de recibir la licencia. Sin embargo, en marzo de 2020, tres sujetos desarrollaron eventos trombóticos no fatales. Los tres sujetos tenían hemofilia A o B con inhibidores de factor. Los tres habían utilizado agentes de derivación durante el mismo día o en días inmediatamente anteriores a sus inyecciones de concizumab. El estudio se detuvo temporalmente y luego se reinició después de que Novo y la FDA acordaran hacer modificaciones al protocolo del estudio, especialmente en lo que respecta al uso de agentes de derivación.

Aunque los agentes bypass son el pilar del tratamiento de inhibidores, todavía no se conocen bien. Utilizarlos en una mezcla con inhibidores de anticoagulantes puede tener consecuencias inesperadas, como hemos visto. [Resumen de ASH 1796]

Novo informa sobre estudios adicionales en apoyo de Concizumab

7/12/20 Novo Nordisk también informó los resultados de otros tres estudios de concizumab en ASH. En un seguimiento continuo de los pacientes que habían recibido concizumab en su estudio de fase II de hasta 76 semanas, informaron sobre la seguridad y la eficacia en 15 pacientes con hemofilia A y diez pacientes con hemofilia B, todos con inhibidores de factor. Esto incluyó a ocho pacientes en un grupo de control que habían recibido factor VIIa durante el estudio inicial, pero luego cambiaron a concizumab. No hubo eventos adversos para retirar el estudio y tampoco eventos trombóticos. Seis pacientes desarrollaron anticuerpos contra concizumab, pero aparentemente no crearon inhibidores. [Resumen de ASH 2696]

Novo también informó sobre el modelo farmacocinético (PK) que desarrollaron para la dosificación de pacientes con concizumab. El modelo se utilizó para seleccionar las dosis para el estudio de fase III. [Resumen de ASH 2701]

También informaron sobre un estudio de laboratorio de coagulación en plasma de donantes de hemofilia A y B utilizando un ensayo de generación de trombina. Encontraron un efecto aditivo de concizumab que sugirió, que sólo se necesita la mitad de la dosis normal de factor IX para tratar una hemorragia intercurrente en un paciente que tomaba concizumab. [Resumen de ASH 1777]

Actualizaciones de Pfizer en el desarrollo de Marstacimab

23/11/20 Pfizer está desarrollando



marstacimab, que también es un inhibidor de TFPI. Ellos han completado su estudio de fase II y ahora han tratado al primer paciente en un estudio de fase III destinado a obtener la licencia. El estudio de fase II mostró una reducción superior al 75% en la tasa de hemorragia anualizada (ABR) sin eventos adversos graves relacionados al tratamiento y ningún evento trombótico en ninguno de los 20 pacientes durante 12 meses. Marstacimab es un producto semanal subcutáneo. [Comunicado de prensa de Pfizer 23/11/20]

6/12/20 En ASH, Pfizer también presentó un estudio de generación de trombina y niveles de dímero D en pacientes con marstacimab de sus estudios de fase I y II. Los niveles de dímero D a menudo son utilizados en los pacientes como indicadores de trombosis (coagulación no deseada). El dímero D es un fragmento de proteína que se forma cuando se rompe un coágulo. Aunque pueda parecer contrario a la intuición, el cuerpo comienza a descomponer los coágulos tan pronto como se forman. Un alto nivel de dímero D indica que ha habido una gran cantidad de actividad de coagulación.

Pfizer demostró que los pacientes con marstacimab que desarrollaron hemorragias intercurrentes y fueron tratados con factor VIIa, VIII o IX no desarrollaron niveles más altos de trombina o de dímero D que los pacientes que no desarrollaron hemorragias. Tenga en cuenta que el factor VIIa, no el FEIBA, se utilizó para los pacientes con inhibidores de factor que desarrollaron hemorragias intercurrentes. Hasta ahora, marstacimab no parece causar trombosis en los estudios. Ya sea por las características de marstacimab en sí, el diseño del estudio, las cantidades de factor en las infusiones, las características de los pacientes individuales o algo más que se desconoce. [Resumen de ASH 1789]

Estudio Fitusiran de Sanofi se pone en espera y luego se reanuda



11/12/20 Sanofi Genzyme está desarrollando fitusiran, un fármaco que reduce la producción de antitrombina del cuerpo. La antitrombina es un anticoagulante que inhibe la coagulación y es parte del sistema de control de la cascada de coagulación. Reducir la cantidad de la actividad anticoagulante de la antitrombina ayuda a restaurar la coagulación normal en pacientes con hemofilia. Fitusiran, un fármaco ARN de interferencia, fue desarrollado originalmente por Alnylam antes de ser comprado por Sanofi hace unos tres años.

El estudio de fase III de Fitusiran fue detenido voluntariamente por Sanofi después de que algunos pacientes desarrollaran eventos trombóticos no mortales. Estos eran pacientes con inhibidores de factor a quienes se les había administrado agentes de derivación para tratar hemorragias intercurrentes. Después de investigar los incidentes y revisar sus datos con la FDA, Sanofi ahora está reiniciando los estudios con nuevas dosis y nuevas pautas de dosificación. Se darán a conocer más detalles dentro de poco.

Esto le sigue a una suspensión previa de los estudios en fase II y III del 2017 después de que una paciente con inhibidores que no eran del factor murió de un coágulo de sangre en el cerebro. Debido a que se le había diagnosticado originalmente con una hemorragia cerebral, se le administraron grandes dosis del factor VIII, lo que podría haber llevado a la formación del coágulo. [Conversaciones

Otros informes de Fitusiran de ASH

5/12 y 7/12/20 Sanofi también presentó cinco estudios sobre fitusiran en ASH. Dos eran sumarios de los estudios de la fase I y fase II de fitusiran. Un tercer estudio mostró que los pacientes en fitusiran tenían una mejor Calidad de vida relacionada con la salud. En otros dos estudios se observó el comportamiento de la sangre de las personas tratadas con fitusiran en ensayos de coagulación.

Un estudio mostró que los niveles bajos de antitrombina en las muestras de sangre de pacientes en fitusiran, no interfieren con pruebas para determinar sus niveles de factor VIII o IX. El otro es más interesante y podría tener alguna relación con los problemas de trombosis descritos anteriormente.

Los investigadores utilizaron ensayos de generación de trombina (TGA) para imitar lo que sucede con las hemorragias progresivas en pacientes en fitusiran. Primero, encontraron que el potencial de la generación de trombina de los sujetos tratados con fitusiran se aproxima a la de los sujetos sin hemofilia que no han sido tratados. Sus resultados también sugirieron que la TGA podría ser una valiosa herramienta para el seguimiento de pacientes en fitusiran. [Resúmenes de ASH 511, 857, 862, 877 y 2693]

Silence Therapeutics informa sobre la proteína S inhibidora



7/12/20 En ASH, Silence Therapeutics, una empresa alemana que desarrolla fármacos de interferencia de ARN (ARNi), presentó los resultados de un estudio que analizó la inhibición de la producción de la proteína anticoagulante S para tratar la hemofilia. RNAi es un método para reducir o eliminar la producción de proteínas en el cuerpo. Fitusiran, arriba, también es un fármaco ARNi. Silence mostró que el uso de GalNAc-PS siRNA en un ratón con hemofilia A reduce los niveles de proteína S y mejora los tiempos de coagulación. También demostraron que redujo significativamente el sangrado e hinchazón en las articulaciones de la rodilla de los ratones. Tienen un proyecto en curso para examinar más a fondo el uso de reducción de la proteína S en el tratamiento de la artropatía hemofílica (daño articular). [Resumen de ASH 627]

TERAPIA DE GENES

GeneVentiv, empresa de terapia génica para la hemofilia derivada de UNC-Chapel Hill



2/11/20 GeneVentiv Therapeutics, es una nueva empresa de terapia génica, que proviene de la Universidad de Carolina del Norte en Chapel Hill (UNC). Han licenciado una tecnología pendiente de una patente de UNC desarrollada por Chengwen Li, cofundador de la empresa y asesor científico. Su GENV HEM es una terapia génica de factor Va para todos los tipos de hemofilia, A o B con o sin inhibidores de factor. El factor Va es un cofactor que aumenta la actividad del factor X activado. Creen que el tener un mayor nivel de factor Va circulando mejorará la coagulación, mientras que el sistema de proteína C activado evitará la trombosis. Pocos detalles están disponibles. [Comunicado de prensa de

UniQure/CSL anuncian datos de terapia génica de fase III



19/11/20 uniQure presentó datos provisionales para su terapia génica con etranacogene dezaparvovec (también conocido como AMT-061) para la hemofilia B. Estos son los primeros datos que se informan de un estudio de terapia génica de fase III para la hemofilia B. El tratamiento consiste en un gen del factor IX de Padua de alta actividad transmitido con un vector AAV5. El producto ha sido comprado por CSL Behring en un acuerdo por un valor de aproximadamente 2 mil millones de dólares. UniQure continuará los estudios clínicos hasta obtener la licencia.

Después de 26 semanas de seguimiento, los 54 sujetos con hemofilia B grave o moderadamente grave logró un nivel de promedio del factor IX del 37,2% (rango 1,0 - 97,1%). Treinta y ocho de los pacientes (42,6%) tenían anticuerpos anti-AAV5 antes del tratamiento. UniQure había demostrado previamente que los anti-AAV5 anticuerpos en la mayoría de los casos no evitaban que los tratamientos trabajaran, por lo que no excluyó del estudio a sujetos con anticuerpos. Solo un paciente con mayor cantidad en el nivel de anticuerpos no respondió al tratamiento - ese es el paciente con solo el 1% en el nivel de factor pos-tratamiento en el rango mencionado anteriormente. Todos menos dos de los pacientes pudieron descontinuar la profilaxis de rutina. En 39 pacientes (72,2%), hubo cero hemorragias en las primeras 26 semanas después del tratamiento. En 15 pacientes, hubo 21 hemorragias después del tratamiento.

Hubo algunos eventos adversos leves, pero nada grave. Siete sujetos experimentaron reacciones relacionadas con la perfusión, y un solo sujeto recibió un tratamiento parcial debido a una reacción significativa. Se observó inflamación del hígado en nueve de los sujetos y fueron tratados con esteroides según el protocolo del estudio. Los eventos adversos más frecuentes fueron dolor de cabeza y síntomas similares a los de la gripe, cada uno de estos en siete pacientes. No se observó desarrollo de inhibidores.

Todos los pacientes habrán concluido un seguimiento por un año en el primer trimestre del 2021. [Comunicado de prensa de uniQure 19/11/20 y resumen de ASH 672]

uniQure presenta cinco años datos de AMT-060



7/12/20 uniQure también presentó datos de seguimiento de cinco años para su tratamiento de terapia génica AMT-060. AMT-060 era su candidato de terapia génica original, que utilizó un gen del factor IX (de tipo salvaje). Más tarde fue reemplazado por AMT-061, que tiene un gen del factor IX de Padua de mayor actividad. uniQure ha continuado un seguimiento a los sujetos tratados con AMT-060, se les ha dado un seguimiento de hasta cinco años después del tratamiento en un estudio de fase I/II. Estos estudios incluyen a cinco sujetos que recibieron una dosis de 5x10¹² gc/kg y otros cinco que recibieron una dosis mayor de 2x10¹³ gc/kg. ("gc" se refiere a "copias de genes" y es esencialmente equivalente al número de partículas activas del vector AAV5 recibidas). El grupo de dosis baja tenía un nivel promedio de factor IX pos-tratamiento de 4.4%, 6.8%, 7.3% y 5.1% del

primer año al cuarto. El grupo de dosis alta tuvo niveles de 7,1%, 8,4%, 7,9%, 7,4% y 7,5% del primer año al quinto. Los niveles para el grupo de dosis baja parecen haber aumentado con el tiempo y ahora son más bajos. En contraste, los niveles para el grupo de dosis alta parecen haberse mantenido más estables. No hubo problemas de seguridad importantes y no se manifestaron signos de desarrollo de inhibidores. [Resumen de ASH 3373]

uniQure informa sobre durabilidad de terapia genética en ratones recién nacidos

6/12/20 Los vectores AAV que se utilizan en todos los estudios clínicos de terapia genética hasta ahora insertan su nuevo gen de factor IX en el núcleo de las células del hígado donde los genes permanecen como pequeñas entidades separadas llamadas exosomas. Los nuevos genes no se integran en la célula de otros genes en los cromosomas, es decir, no "se integran en el genoma". El genoma es la colección de todos los genes de un organismo. Casi todas las células del organismo contienen una copia completa de todo el genoma en su núcleo. Los genes están ensamblados en los cromosomas, que son las estructuras que sostienen y organizan los genes en el núcleo de la célula.

Se ha pensado que el uso de genes que no se integran es el enfoque más seguro porque cuando un gen se inserta al azar en los cromosomas, puede alterar otros genes. La desventaja es que los científicos creen que los pequeños genes se pierden cuando la célula se divide. Las personas jóvenes tienen hígados, que crecen rápidamente, que crecen por división celular - una célula se convierte en dos células y así sucesivamente. Por lo tanto, se ha asumido que la terapia genética AAV no funcionará en los pacientes jóvenes.

El nuevo estudio de uniQure muestra que esto podría ser una suposición invalida, al menos en ratones. Dosificaron ratones normales en varias etapas de sus vidas que iban desde los dos días hasta los seis meses de edad (ratones adultos) con una terapia genética de factor IX humano. Descubrieron que todos los ratones, incluso los que recibieron la dosis a los dos días de edad, retuvieron toda su expresión de factor IX hasta 18 meses después de la dosificación. uniQure está llevando a cabo estudios para explorar esto más a fondo. [Resumen de ASH 2452]

¿Son los genes suministrados por AAV realmente no integrados?

16/11/20 Otra pregunta que va junto a la anterior con respecto al estudio de uniQure es si los nuevos genes transmitidos por terapia genética que utilizan vectores AAV realmente no se insertan en los otros genes de los cromosomas. En el informe de un estudio de diez años de perros con hemofilia A tratados con terapia genética de factor VIII, un grupo de investigadores de los Estados Unidos encontró evidencia de que los genes pueden, de hecho, integrarse en el genoma. En dos de los nueve perros tratados con la terapia genética, los investigadores observaron un aumento en los niveles de factor VIII que comenzó unos cuatro años después del tratamiento. El análisis de las biopsias de las células del hígado de seis de los perros mostró un número pequeño de casos en los que el nuevo gen se había integrado en el genoma de la célula. También

encontraron células que aparentemente se habían dividido después de recibir los nuevos genes, y que tanto las células nuevas y como las originales produjeron factor VIII. Esto está de acuerdo con lo que uniQure informó anteriormente: que las células del hígado se pueden dividir y no perder el nuevo gen.

La preocupación es que los genes transmitidos por AAV se integraron en el genoma en lugares aleatorios, y el 44% de los genes integrados se insertaron cerca de los genes de crecimiento celular. El problema es que la alteración de los genes de crecimiento celular podría conducir al cáncer; el cáncer es el crecimiento celular descontrolado. Ninguno de los perros mostraban signos de cáncer o función hepática alterada, pero los resultados del estudio sugieren que tal desarrollo podría ser posible. Los autores enfatizan la importancia de seguimiento a largo plazo de pacientes con terapia genética para problemas genéticos como estos.

Ambos estudios muestran que aún queda mucho por aprender sobre los efectos reales de la terapia genética en el cuerpo. [Nguyen GN et al., Nature Biotechnology, en línea antes de imprimir, 16/11/20]

La FDA pone pausa clínica a estudio de terapia genética de uniQure



21/12/20 uniQure anunció que la FDA ha puesto una suspensión clínica en su estudio de terapia genética de fase III de AMT-061 después de que un paciente en el estudio recibió un diagnóstico preliminar de carcinoma hepatocelular, una forma de cáncer de hígado. Los investigadores encontraron una masa hepática durante un examen de ultrasonido de rutina y realizaron una biopsia para determinar si en realidad era cáncer. El paciente tenía múltiples factores de riesgo, incluidos un historial de hepatitis B y C por 25 años, evidencia de enfermedad de hígado graso no alcohólico y edad avanzada, todo lo cual lo predispone al cáncer de hígado. El paciente fue tratado con AMT-061 en octubre de 2019. uniQure está realizando actualmente las investigaciones necesarias. [Comunicado de prensa de uniQure 21/12/20]

Perspectivas de los pacientes sobre terapia genética

7/11/20 Un grupo de 20 pacientes belgas con hemofilia (17 A; 3 B) fueron entrevistados sobre sus perspectivas en terapia genética. La mayoría (80%) tenía hemofilia grave y el 90% tenía daño articular moderado o severo. 75% estaban en profilaxis y el 65% ya había discutido la posibilidad de la terapia genética con su médico. La mayoría de los participantes tenían una actitud positiva de un con un 40% muy dispuestos y un 35% dispuestos a recibir el tratamiento.

Cinco aspectos resultaron ser los más importantes para el grupo: 1) el efecto sobre la tasa de hemorragia anual, 2) el nivel de factor después del tratamiento, 3) la incertidumbre de los riesgos a largo plazo, 4) el impacto sobre la vida diaria y 5) la probabilidad de que la profilaxis pueda ser suspendida. El grupo estaba más preocupado por la seguridad a largo plazo que sobre los niveles de factor a largo plazo. [van Overbeeke E et al., Haemophilia, en línea antes de imprimir 7/11/20]



RETIRO DE OTOÑO 2020 PARA MUJERES

Patrocinado por



POR CHRIS VILLARREAL Y LA DRA. APRIL WILLIS

Nuestra comunidad entró en un período de ansiedad por la separación cuando la pandemia del coronavirus cambió el mundo de muchas maneras. Cuando entendimos que no podríamos vernos en persona, nuestra Coalition se adaptó y aprendió a recrear ese sentido de conexión y pertenencia que toda nuestra comunidad anhelaba durante estos tiempos y lo hizo por medio de la plataforma de Zoom!

Con el generoso apoyo de nuestro patrocinador Pfizer, celebramos nuestro Retiro Virtual de Otoño para Mujeres. El primer día del retiro comenzó con una sesión llamada Chit, Chat, y Chocolate, moderada por la Dra. Mina Nguyen-Driver, una experta en salud mental capacitada en la hemofilia. Esta ha sido siempre una de nuestras sesiones con más poder donde las voces de las mujeres de la comunidad que abienten de diferentes ámbitos y situaciones, comparten abiertamente sus historias de lucha, pasión y triunfos. A través de la risa, las lágrimas, y chocolate, las damas se conectaron y se unieron durante esta poderosa experiencia emocional. Después se reunieron con unos artistas profesionales que las guiaron en una sesión de pintura llamada Paint and Sip donde pintaron hermosos árboles con flores y hojas de diferentes tonos. Cada una de las piezas era tan única como lo es cada hermosa mujer.

El sábado comenzó con meditación a través de la danza, presentada por Claire Louise Knifton de Irlanda (mira... ¡Zoom nos une por todo el mundo!). Los comentarios sobre esta práctica de danza y meditación expresan que fueron muy bien recibidos y acogidos por las mujeres porque les ayudó a aliviar el estrés. Posteriormente, Catherine Canadeo, nutricionista, habló sobre ceder a la intención de sanar desde adentro. No siempre se trata de lo que usted está

comiendo, ¡sino de lo que podría estar comiéndosela a usted! La presentación de Catherine se enfocó en una discusión profunda y compartió una multitud de herramientas que van desde opciones de alimentos y equilibrio a establecer límites saludables para el bienestar. Incorporar un buen régimen de hábitos diarios es una de las mejores formas de crear un estilo de vida feliz y saludable para uno mismo y nuestras familias.

“Realmente disfruté de conectarme con otras madres y aprender de las experiencias de otros. En general, el tema del cuidado personal me ayudó a darme cuenta de que solo puedo ser una verdadera defensora de mi familia si yo también me tomo un poco de tiempo para restablecerme. ¡Gracias a la Coalition por un gran fin de semana!” - S.S. de Wisconsin.





En la sesión de Adversidad, resiliencia, y fuerza, parte de la serie de los programas de Pfizer fue presentada por Patty Eastin y Rachel Cooper-Leal. Las participantes aprendieron de herramientas para ayudarlas a sobrellevar la enfermedad crónica en su familia. Se incluyeron herramientas para empoderarlas en varias áreas que incluyeron: cómo comunicarse con su equipo de atención médica, consideraciones financieras a través

de las diferentes etapas de la vida, y la importancia de mantenerse físicamente activas, por nombrar algunas. Más tarde ese día, les presentaron una cinta de un documental maravilloso con Lee Kim que trataba de la importancia de las conexiones. Después, entraron en salas para grupos donde compartieron su historia individual sobre algo que amaban. Cada persona tuvo la oportunidad de contar su historia mientras otra persona la creaba utilizando limpiapiipas, y más tarde lo compartieron con todo el grupo.

Jillian Richardson, una entrenadora certificada que trabaja uno a uno con personas y en grupos para ayudarlos a establecer conexiones y relaciones más profundas en sus vidas, se unió al grupo. A través de su taller Mejores límites, ella las llevó en un viaje para aprender a decir “no” a lo que ya no quieren hacer y a cómo establecer esos límites saludables. Ella les suministró a todas las herramientas y técnicas de respuesta adecuadas para evitar que siempre digan “sí”, lo que a menudo conduce a sentimientos agobiadores y de resentimiento. ¡El sábado concluyó con una emocionante fiesta de pijamas! Esta noche llena de

diversión estuvo repleta de juegos que incluían trabalenguas como MadGabs, un revoltoso juego de Pocketbook Bingo, y a nuestros gurús de Trivia les encantó el juego de trivia en línea de Kahoots! ¡Con risas las mujeres recordaron que es importante divertirse un poco de vez en cuando porque una sonrisa es una curva que a veces puede colocar las cosas en orden!

El domingo, el abogado Donnie Akers presentó importantes herramientas legales para la transición de los jóvenes a la edad adulta, los diferentes tipos de autorizaciones médicas y consentimientos al tratamiento, poderes notariales y planificación para evitar la pérdida del seguro de Medicaid. Para finalizar, Catherine lideró una sesión de sanación estremecedora y compartió la importancia de contar sus historias para despertar sus sentidos y sentir buenas emociones, esto creó una sensación de realización para todas las asistentes del retiro.

Durante la charla de cierre final, las mujeres se tomaron el tiempo para reflexionar sobre el retiro de fin de semana y todo lo que aprendieron. “El retiro de mujeres con hemofilia B de 2020 fue un éxito a pesar de ser un evento virtual”.

El fin de semana estuvo repleto de excepcionales programas, oradores, entrenadores y motivadores. Esto proveyó un momento único para reconectarse, refrescarse e iluminarse. Nos encantó pasar tiempo con cada una de ellas y escuchar a todas las hermosas damas que se conectaron, compartieron y se apoyaron mutuamente de muchas maneras. Los lazos fuertes de este fin de semana lo llevarán por el resto de sus vidas.

¡El mundo puede estar en un caos pero nada debería detenernos para conectarnos! ¡Las conexiones son vitales! Estamos muy agradecidos a nuestro patrocinador Pfizer por hacer este evento posible y por su continuo apoyo.

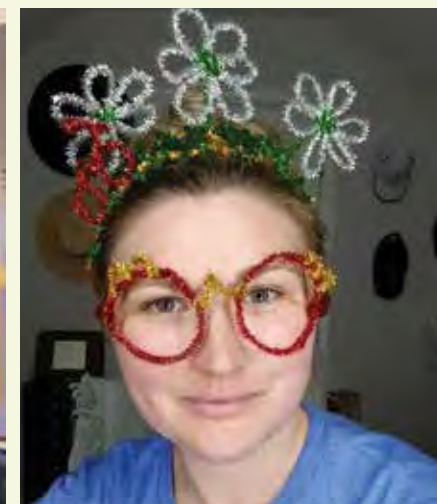
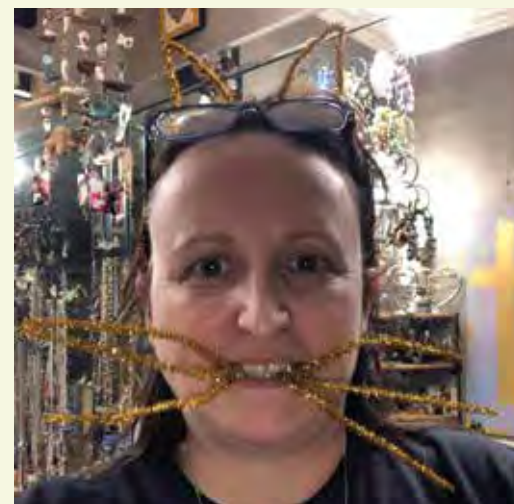
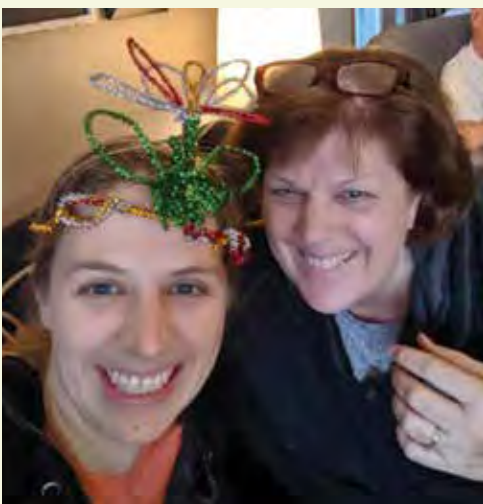
“No importa por lo que pasemos, somos hermanas de sangre. Nuestras conexiones son fuertes y estoy muy agradecida por este programa, ¡no tiene precio!” - E.D. de Illinois.





Para ver más fotografías, ¡por favor visítenos en Facebook! Presione en *Photos* donde encontrará los álbumes de los eventos.

www.facebook.com/HemophiliaB/



Canoe Key Pit Who Years Elf

MAD GAB

Chit Chat & Chocolate



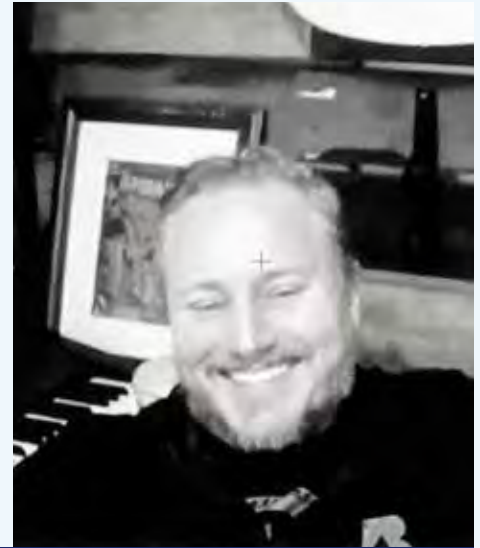
WHO OWNS THE RECORDS?

State Laws Vary: Florida, Louisiana and Iowa give ownership to the Healthcare Practitioner

Patients have a right to copies within a reasonable time and at a limited cost

- AGENT is given legally binding authority to make decisions for the PRINCIPAL
 - HIPAA privacy rules require specific authority to receive medical records
 - Durable Power of Attorney remains valid if the Principal becomes incapacitated
 - Revocation / Time Limits / Conditions can be set forth in any Power of Attorney
- Acceptance is not mandatory, up to provider

Adversity, Strength, and Resilience



RETIRO DE OTOÑO E INVIERNO 2020 PARA HOMBRES

Patrocinado por



POR GLENN MONES

Durante los fines de semana del 20 al 22 de noviembre y 11-13 de diciembre de 2020, dos grupos de hombres de todo el país se reunieron virtualmente para el Retiro de Otoño e Invierno 2020 de la Coalition for Hemophilia B. Los participantes incluyeron hombres con hemofilia B, padres de niños con hemofilia B, y cónyuges de personas con hemofilia B.

Al igual que con muchos eventos de la Coalition durante este año, el programa se realizó virtualmente debido a las restricciones de viaje y otros requisitos de seguridad a causa de la pandemia. A pesar de estas circunstancias, los hombres que participaron encontraron un ambiente cálido y acogedor, un lugar para compartir sentimientos, para hacer nuevos amigos, adquirir conocimiento y empoderamiento y compartir los desafíos de la vida.

Uno de los componentes importantes de los retiros fue las sesiones educativas, algunas de las cuales fueron las mismas en los dos retiros y otras fueron diferentes. Los retiros de este año presentaron un nuevo énfasis en la salud mental y los problemas psicosociales relacionados. La sesión de noviembre presentó una sesión llamada Salud mental y Covid, la dirigió el miembro de la comunidad Matt Barkdull. La sesión ofreció herramientas para hacer frente a los desafíos únicos del tiempo presente. Otra sesión, llamada Meditación y depresión, fue presentada por el orador y autor Robert Friedman. El programa de diciembre también presentó otra sesión con Robert Friedman denominada Conocimiento amplio sobre cuidado personal durante el Covid-19. La sesión habló de cómo mejorar el bienestar emocional, mental y físico durante tiempos difíciles y convertir esos tiempos en

oportunidades de crecimiento.

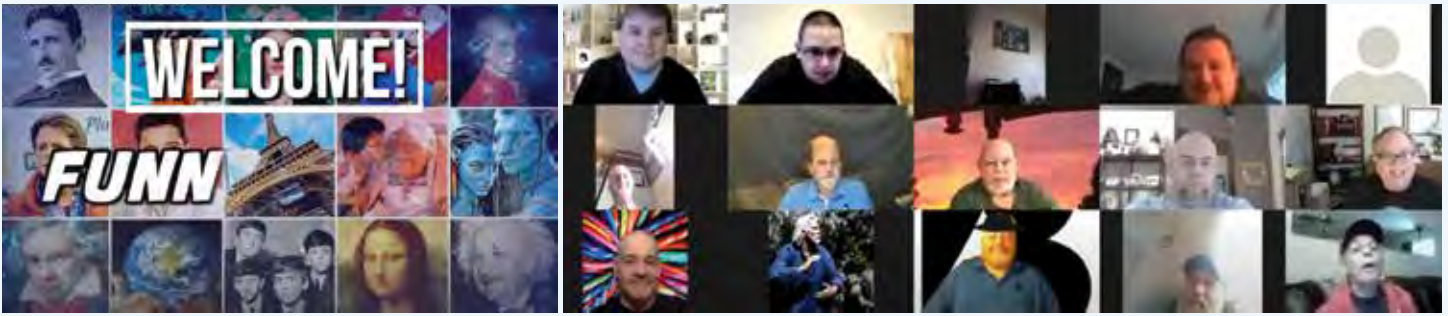
Los participantes asistieron a una variedad de sesiones con temas que incluían el uso del cannabis medicinal para el dolor, envejecer con hemofilia, conseguir y mantener un trabajo bajo la Ley para Estadounidenses con Discapacidades (ADA, por sus siglas en inglés) con Donnie Akers, Jr. Esq., y muchos otros. En otra sesión igualmente importante, los asistentes tuvieron la oportunidad de compartir sus sentimientos y apoyarse mutuamente. Muchos de los participantes nos han dicho que esas son las partes favoritas del programa.

Ambos programas también incluyeron algunas sesiones divertidas diseñadas para que los participantes se relajaran y fueran ellos mismos. Una de las que más se destacó fue el Asesinato misterioso presentado el sábado por la noche durante el evento del mes de diciembre. Un grupo de voluntarios participantes, ayudados por un facilitador externo, representaron un drama criminal desconcertante que los demás debían resolver. Los participantes se metieron en los personajes con disfraces y maquillaje, y ¡muchos eran buenos aceptando roles de ambos sexos!

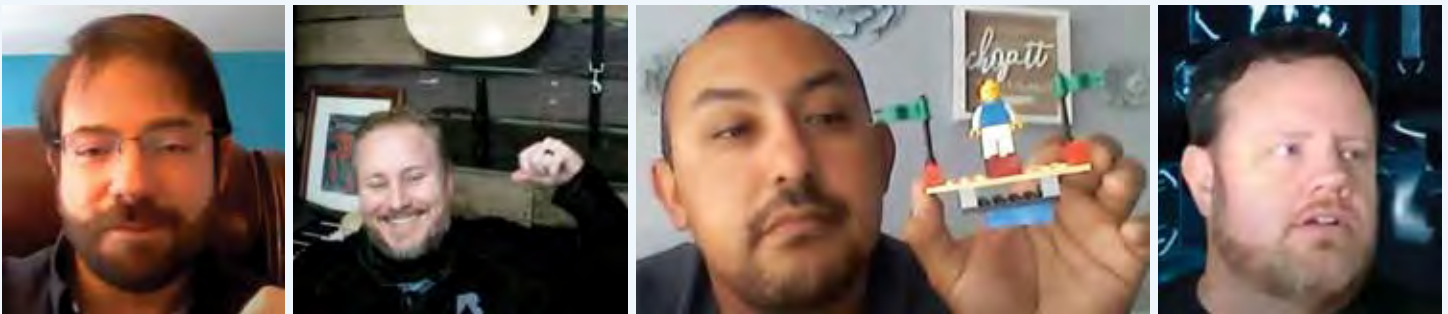
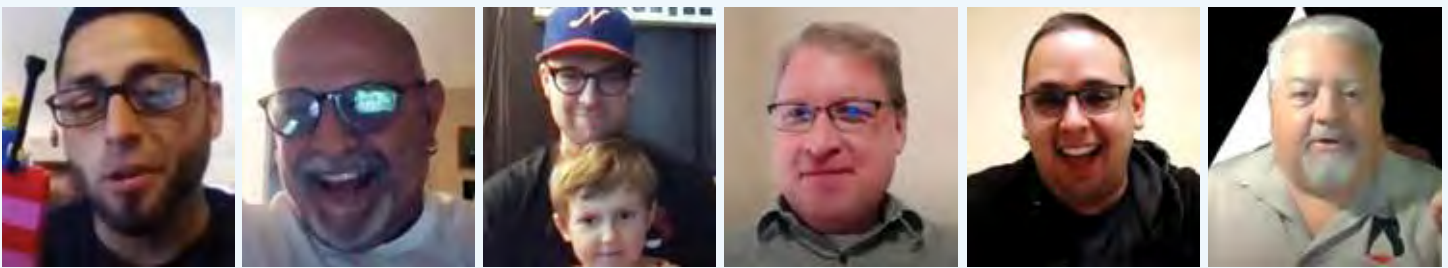
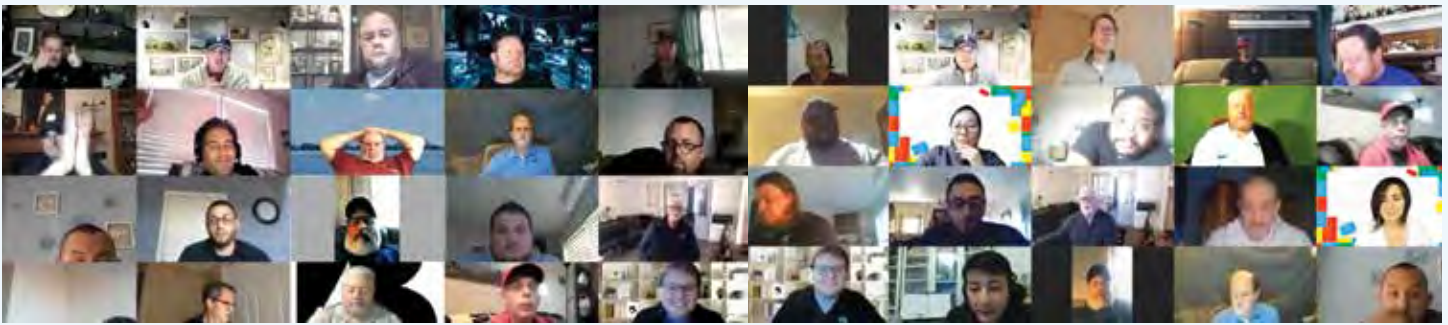
The Coalition for Hemophilia B agradece a Pfizer por el patrocinio exclusivo de ambos retiros para hombres. Esperamos volver a celebrar estos eventos en persona en 2021. ¡Estén atentos para más detalles!

Para ver más fotografías, ¡por favor visítenos en Facebook! Presione en *Photos* donde encontrará los álbumes de los eventos.

www.facebook.com/HemophiliaB/



RETIRO DE OTOÑO 20-22 DE NOVIEMBRE DE 2020

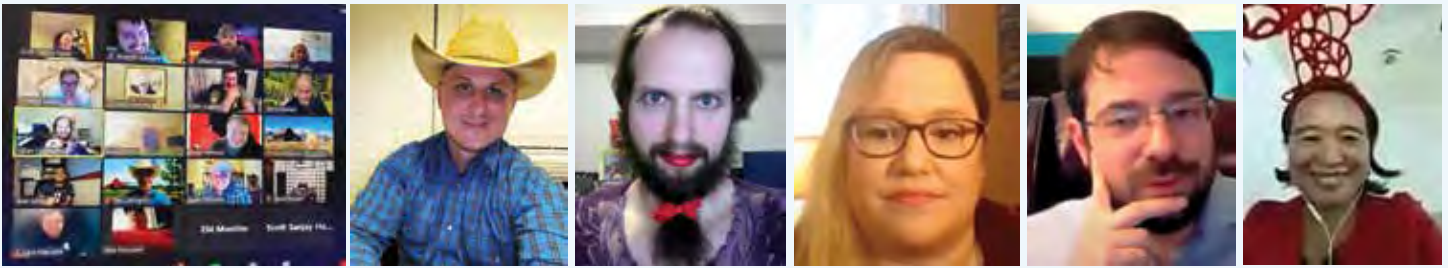


THE ROAD TO INDEPENDENCE
Being a Teen or Young Adult With Hemophilia

COVID-19 and Mental Health
Seven Principles to Thrive Amidst Uncertainty
Matthew Barkdull

The B Voice
Advocacy Quiz

LEGAL TOOLS FOR TRANSITION TO ADULTHOOD AND BEYOND
COALITION FOR HEMOPHILIA B- Men's Retreat
November 22, 2020
David Allen, Jr., JD
Patient & Elder Advocacy
New York, Louisiana



RETIRO DE INVIERNO 11-13 DE DICIEMBRE DE 2020

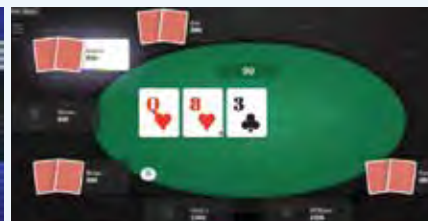
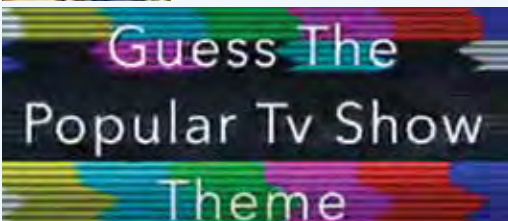
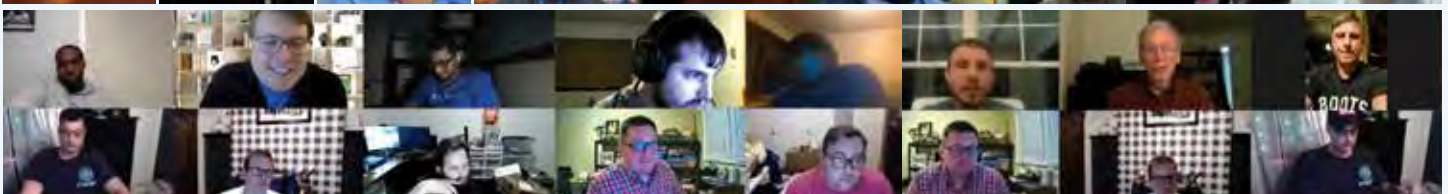
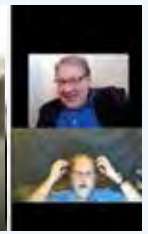


**The Americans with Disabilities Act
The "ADA"**

- Federal law prohibits discriminating against a **QUALIFIED** person regardless of disability
- purpose is to hire the **MOST QUALIFIED PERSON**, regardless of disability
- Limits medical questions or examinations in employment before and after hiring

**A Few Questions to Start
What do you think?**

- What do you think about your (or a loved-ones) bleeding disorder?
- Does your (or a loved-ones) bleeding disorder get in the way of dating, marriage, getting along, etc.?



HELLO

Mark Zatyryka
mark@mylyfe.health
413-204-2493

- Severe Hemophilia A
- Owner of MyLyfe Specialty Pharmacy
- A founder of CT Hemophilia Society
- Past CEO and member of variously integrated multi-state cannabis coalition
- Patient advocate in CT and New England
- Today lives as a community member



¡“THE BEATS” CONTINÚA!



POR GLENN MONES

Del 23 al 24 de octubre del 2020, con una canción en nuestros corazones, 25 personas de todo el país con un interés compartido en la música y en la hemofilia B se reunieron en Zoom para celebrar nuestro segundo programa anual de música “The Beats”. Este innovador programa comenzó en el 2019 con la inauguración del evento en persona en Nashville, Tennessee, una de las verdaderas capitales de la música del mundo.



Este programa fue creado cuando algunos miembros de la comunidad quienes estaban profundamente envueltos en la música, notaron que algunos de los programas no les llegaba a to-dos. Ellos sabían que había otras personas que buscaban formas de explorar su lado creativo como comunidad y que la música era una excelente manera de hacer que esto sucediera.

También entendieron el poder de la música para curar y nutrir tanto el cuerpo como la mente; esto está bien documentado por la ciencia y la medicina. Los líderes de The Coalition for Hemophilia B tuvieron la visión de crear un programa que hizo este sueño una realidad y ¡nació The Beats! Nuestro primer evento fue un gran éxito y los participantes y otros miembros de la comunidad estaban ansiosos por la próxima presentación.

Aunque no pudimos reunirnos en persona este año, nuestro programa de 2020 se convirtió en el evento "Mini Beats" virtual de 2 días. El programa presentó una variedad de oportunidades para que los participantes aprendieran en grupo y se incluyeron lecciones individuales con profesores de renombre especializados en un instrumento, incluyendo guitarra, batería, trombón y voces.

Los temas incluyeron técnicas de grabación de música, el poder de curación de la música centrán-dose en los beneficios de los ejercicios de ritmo para ayudar a lograr el bienestar fisiológico, y es-cribir música desde el corazón.

Lo más importante es que los asistentes tuvieron la oportunidad de conectarse musicalmente con otros para intercambiar ideas sobre conceptos, compartir nuevas ideas, perfeccionar habilidades, aumentar la confianza en sí mismos y construir nuevas amistades. Se animó a los participantes a seguir construyendo sobre lo que ya habían aprendido y nutrir las relaciones que habían creado.

"Poder expresarte a través de la música tiene infinitos beneficios para todos y cada uno de los seres humanos", dijo el participante de Beats, Briana. Kathy, otra participante, dijo: "Me encanta el ánimo y el apoyo como mujer con hemofilia B". Brian dijo: "Muchas gracias por hacer este programa in-teressante para todos, a pesar de los desafíos que enfrentamos". Un agradecimiento especial a nues-tros patrocinadores, Novo Nordisk y Medexus Pharma (nivel de director) y CVS Specialty (Nivel de ejecutante). Esperamos

darles la bienvenida a todos al tercer programa Beats en Nashville duran-te el verano del 2021.

Esta fue realmente una experiencia poderosa y atractiva para todos los participantes. Te animamos a que veas la última noche del evento que pronto estará en Facebook y esté atento a las solicitudes para nuestro tercer evento que tendrá lugar en Nashville en Julio del 2021.

OUR SPONSORS

¡Gracias especiales a nuestros patrocinadores!

NIVEL DE CONDUCTOR

NOVO NORDISK

MEDEXUS PHARMA

EJECUTANTE NIVEL

CVS specialty

"The positive effect music has in our lives is understated. It can influence mind-state and motivate us to reach for the stars."
 Coalition for Hemophilia B — Independent Zen

Para ver más fotografías, ¡por favor visítenos en Facebook! Presione en *Photos* donde encontrará los álbumes de los eventos.
www.facebook.com/HemophiliaB/



RETIRO DE INVIERNO 2020 PARA MUJERES

Patrocinado por **SANOFI GENZYME**

Si bien el 2020 estuvo lleno de desafíos, ¡nada se interpuso en el camino de nuestra capacidad para tener increíbles retiros para mujeres! Nuestro evento empezó con la sesión terapéutica de arte llamada “Paint and Sip”. Las participantes se reunieron en dos grupos separados y artistas profesionales las dirigieron a través de un proceso para pintar la silueta de una niña vagando por el mundo con su paraguas rojo. Equipadas con lienzos en blanco, pinturas y pinceles, se animó a las damas a soltarse el pelo y dejar que su creatividad fluyera, mientras que cada una, con trazos tranquilos y sencillos, dejaban que los colores tomaran control para crear un reflejo único de sí mismas. Para concluir el primer día del retiro, las participantes participaron en una sesión de rap denominada Chit, Chat y Chocolate, moderada por la Dra. Mina Nguyen. Esta fue una sesión candente donde tres mujeres compartieron historias poderosas, lo cual abrió la plataforma para que todas pudieran compartir. Esta reunión siempre ha sido uno de nuestros programas más intensos y poderosos.

El sábado comenzó con una suave meditación guiada a través del movimiento con Claire Louise Clifton, una calificada entrenadora holística. Las damas aprendieron a sintonizarse con ellas mismas a través de movimientos lentos meditativos que les permitieron sentir una sensación de calma y concentración que les ayudó durante el transcurso del día. Posteriormente, tuvimos una sesión

llamada Conversaciones cognitivas, parte del programa de conferenciantes de Sanofi Genzyme “que explicaba cómo funcionan las diferentes partes de nuestro cerebro y la razón por la que tomamos algunas de las decisiones que hacemos”. Exploró conocimientos del campo de las Ciencias del Comportamiento Humano y cómo se puede aplicar a conversaciones relacionadas con el manejo de la hemofilia.

Después de un breve descanso, las mujeres se reunieron ante la cámara y vieron un documental corto e inspirador llamado: Wearable Tracy, con la actuación de Lee Kim, ella explora y descubre una forma especial de conectarse con extraños a través de sus sombreros hechos de limpiapiipas. Usando los dibujos de su pequeña hija artística, Lee crea tocados para la cabeza usando simplemente limpiapiipas y los usa diariamente para conectarse con extraños donde quiera que va. Lee compartió lo poderoso que es esta simple acción y como se hace fruncir el ceño, incita a conversaciones con otras personas que probablemente nunca hubieran sucedido y trae alegría a la gente. Lee trabajó directamente con las participantes, las puso en pareja e hizo que crearan sus propios sombreros inspirados en la historia de su compañera. Lee encontró una manera asombrosa de recordarnos a nosotras mismas de que las conexiones interpersonales son muy importantes, especialmente ahora.

Una de nuestras asistentes que por primera vez nos visitaba





de Illinois dijo esto sobre su experiencia: “No recuerdo cuándo tuve tanta diversión. Debo admitir que siempre he querido asistir un retiro de mujeres, pero debido a la familia y el trabajo, nunca tuve la oportunidad. Gracias a los eventos recientes y a los generosos patrocinadores por organizar una reunión virtual que hizo posible para mí el poderme unir y conectarme con mi comunidad”.

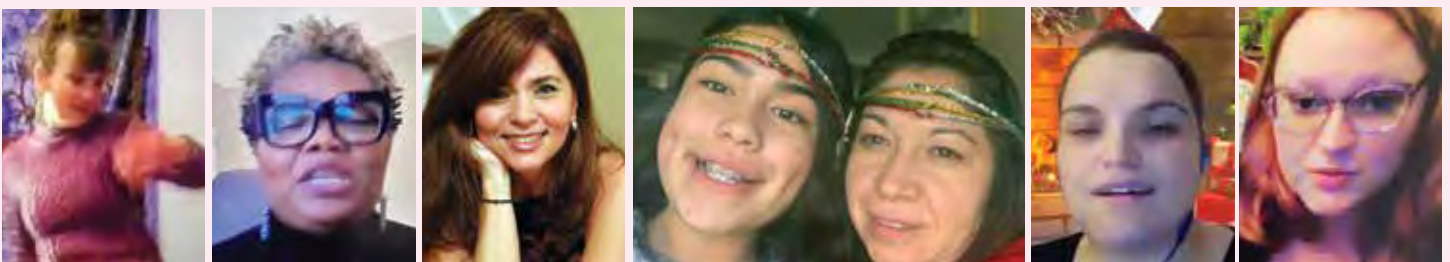
Posteriormente, las damas fueron a un descanso para cenar y al regreso, la Dra. Amber Federizo condujo una empoderadora presentación sobre salud sexual donde las damas rápidamente aprendieron que no estaban solas. Para ayudarnos a abrir esta “conversación tabú” la Dra. Amber inició la conversación hablando sobre los niveles de sangrado y las diferentes herramientas que las mujeres pueden usar para hacerle frente a esas hemorragias. “la Dra. Amber Federizo realmente me abrió los ojos a cosas con las que pensé que solo yo estaba lidiando. Su conocimiento y candor al discutir estos temas delicados facilitaron que habláramos abiertamente y pudiéramos compartir nuestras experiencias similares”. - H.L. Memphis, TN.

A continuación, la nutricionista Catherine Canadeo dirigió una charla sobre ceder a la intención de sanar desde adentro. Proporcionó consejos y trucos modernos y tradicionales para agregar a la rutina diaria, Catherine compartió abundante conocimiento con las damas. ¡El sábado concluyó con una divertida fiesta de pijamas! Las damas se pusieron sus pijamas favoritos, coronas y calcetines cómodos y a través de las risas, las mujeres recordaron que el cuidado personal es

más que trabajo interno. Realmente consiste en fomentar las relaciones y conexiones.

El domingo por la tarde, Catherine Canadeo se unió con las damas para un domingo de cuidado personal, sanación vibracional y el poder de la narración. Posteriormente se nos unió Jillian Richardson, una entrenadora certificada que trabaja individualmente y en grupos para ayudarlas a establecer conexiones y relaciones más profundas en sus vidas. A través de su taller Mejores límites, compartió habilidades para establecer límites saludables y comprender la importancia del cuidado personal. Proporcionó cuadernos y un espacio cómodo para que las damas escribieran un diario sobre las diferentes formas en que pueden aplicar en sus vidas las herramientas de cuidado personal de Jillian. El aprender la importancia de establecer límites ayudó a empoderar a las participantes a que sacaran tiempo para sus necesidades personales para que pudieran ser la mejor versión de ellas mismas y pudieran ayudar mejor a su familia. Igualmente Donnie Akers condujo una gran presentación sobre instrumentos legales para ayudarles a navegar por los seguros de salud. Las participantes cerraron el fin de semana con una última mirada a todo lo que habían aprendido.

Aunque nuestros retiros parecían diferentes en 2020, las reuniones estuvieron llenas de las mismas conexiones, ¡educación y apoyo! Un agradecimiento muy especial para nuestro patrocinador, Sanofi Genzyme, por hacer esto posible.



Para ver más fotografías, ¡por favor visítenos en Facebook! Presione en *Photos* donde encontrará los álbumes de los eventos. www.facebook.com/HemophiliaB/

¡THE COALITION SE PONE A COCINAR!



El jueves 17 de diciembre, miembros de The Coalition for Hemophilia B disfrutaron de una noche de cocina, humor e inspiración con el chef Mike Hargett, entrenado en Cordon Bleu.

El evento fue presentado por BIOMATRIX y patrocinado por Medexus Pharma. Además de sus logros en la cocina, Mike es conocido como el único receptor de doble trasplante que tiene hemofilia. Ha realizado cambios significativos en su estilo de vida para maximizar la salud personal y la calidad de vida. También comparte los detalles de su viaje por la vida y todo lo que ha aprendido para que sirva de inspiración a otros.

El chef Mike dio demostraciones en vivo de cómo preparar tres deliciosos platos que cualquier persona puede hacer. Elaboró muslos de pollo braseados en la sartén con salsa de manzana y cebolla caramelizada, puré de papas con ajo y hierbas aromáticas acompañado con crema agria y salsa de cebolla y limonada espumosa de arándano. Mike explicó cuidadosamente cómo preparar cada ingrediente en las recetas y usó mucho humor para mantener a los participantes entretenidos y ocupados. Algunos asistentes cocinaron y otros tomaron notas y planean probar los platos en el futuro. Las recetas están disponibles en la Coalition.

Los participantes también escucharon una presentación titulada “Pongase la máscara primero” ofrecida por Terry Rice, director de Defensa y Educación en BIOMATRIX. La charla se centró en las necesidades de los cuidadores de personas con una enfermedad crónica. Estos programas virtuales proveyeron un buen cambio de ritmo durante esta pandemia y mantuvieron fuertes las conexiones. Manténganse al tanto para más eventos en el futuro cercano.

MEDEXUS
PHARMA

BIOMATRIX



TERMINANDO EL AÑO CON RISAS, DIVERSIÓN Y...!CASITAS DE JENGIBRE!



PRIMER LUGAR : AAMINA

El 19 de diciembre de 2020, The Coalition for Hemophilia B ofreció una tradición navideña muy apreciada por todos y se realizó en la plataforma de Zoom por medio de nuestro ¡primer concurso de casitas de jengibre!

Los participantes recibieron kits por adelantado con todos los ingredientes de ensamble necesarios. Todos tuvieron dos horas para dejar que su imaginación volara mientras creaban sus obras maestras comestibles. Más de un jovencito constructor comió de las decoraciones a lo largo de la actividad. El proceso de construcción tomó lugar en vivo para que todos pudieran estar alerta durante la competencia y disfrutar de la creatividad y ¡animarse mutuamente! Cuando las hermosas creaciones fueron terminadas, ¡tuvimos que decidir si comerlas o mudarnos a ellas!

Felicitaciones a todos los ganadores incluyendo a Aamina, quien ganó el primer lugar con su casita de jengibre. La casa de jengibre de Lori recibió el honor del segundo lugar, mientras que Jordan y Melissa empataron en el tercer lugar.

¡La velada terminó con unos divertidos juegos de preguntas y respuestas en Kahoots! que tenían como tema las tradiciones navideñas de todo el mundo y preguntas de desafío para poner a prueba sus conocimientos sobre la hemofilia. ¡Felicitaciones también a nuestros ganadores de Trivia!

Un agradecimiento especial a los patrocinadores del programa, Medexus Pharma y Paragon Hemofilia. Gracias a todos los que se unieron a nosotros para esta divertida reunión de fin de año. ¡Nos vemos en 2021!



SEGUNDO LUGAR: LORI



TERCER LUGAR: JORDAN AND MELISSA



REUNIONES VIRTUALES “EN EL CAMINO”

TODAS LAS REUNIONES SON DE 2:00 - 6:00 PM LOS SÁBADOS

30 DE ENERO

ILLINOIS,
MISSOURI,
MINNESOTA, IOWA,
& NEBRASKA

6 DE FEBRERO

ARIZONA, UTAH,
NEVADA, COLORADO,
IDAHO, MONTANA,
SOUTH DAKOTA, NORTH
DAKOTA, WYOMING, &
NEW MEXICO

20 DE FEBRERO

MICHIGAN,
WISCONSIN, AND
KENTUCKY

27 DE FEBRERO

MARYLAND, DELAWARE,
DISTRICT OF COLUMBIA,
NORTH CAROLINA,
VIRGINIA, TENNESSEE, &
SOUTH CAROLINA

13 DE MARZO

CALIFORNIA, OREGON,
WASHINGTON, HAWAII,
& ALASKA

20 DE MARZO

OHIO, INDIANA,
OKLAHOMA, ARKANSAS,
& KANSAS

* Todos son bienvenidos a participar en varias reuniones, pero sólo recibirá una caja familiar y una cena



REGISTRESE AHORA EN:

hemob.org/new-events/2020/10/24/virtual-meetings-on-the-road



EXPERIENCIA DE LIDERAZGO VIRTUAL

Adultos jóvenes se reunirán virtualmente para el entrenamiento de liderazgo diseñado específicamente para la comunidad de la hemofilia B. Descubre y desarrolla nuevas áreas de ti mismo como líder comunitario las cuales puedes utilizar en tu vida personal y profesional, en tu educación y en oportunidades de voluntariado. Aprende la teoría del liderazgo por medio del aprendizaje experiencial con un equipo motivador de colaboradores. Haz parte de los componentes del entrenamiento virtual práctico que hacen que el aprendizaje se adhiera. Inscríbete temprano y recibe una caja con materiales para el programa que aumentarán tu experiencia. ¡Este no es el típico seminario web!

Edades: 18 a 35 años

Fechas del programa: todos los martes y los jueves, del 1 – 18 de marzo de 2021

**REGISTRATE PARA LA CAJA, FECHA DE ENTREGA
5 DE FEBRERO 2021 REGISTRATE EN HEMOB.COM**



EDADES 18-35

GENERATION IX PROJECT

VIRTUAL LEADERSHIP EXPERIENCE

gutmonkey.com/2021-gen-ix-leadership-sign-up

Brought to you by



Designed and delivered by



Generously sponsored by



¡NUEVO GRUPO DE FACEBOOK!

COMUNIDAD HEMO B

CONECTAR, COMPROMETER & APOYAR



Grupo oficial de The Coalition for Hemophilia B

¡Únase a nuestro NUEVO grupo de Facebook! Es posible que ya conozca la PÁGINA de Facebook de The Coalition for Hemophilia B, pero ahora hemos creado el GRUPO Hemo B privado para brindar a las familias la oportunidad de conectarse, participar y apoyarse mutuamente. Lo animamos a compartir fotos de eventos especiales, celebrar fechas importantes y, lo que es más importante, construir relaciones genuinas. Por favor únase a nuestro GRUPO hoy mismo buscando “Hemo B Community” en Facebook.



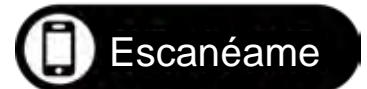
¡Estamos muy agradecidos por nuestra comunidad! Su sentido de dar es impresionante y su impacto es significativo. Desde el Fondo Anual de Festividades, con el cual pudimos apoyar a 82 familias con canastas de alimentos, abrigos de invierno, botas y regalos navideños hasta el Giving Tuesday, que colectó \$4500 para el programa de asistencia de BCares que ayudó a muchos durante todo el año, nuestra familia Hemo B está haciendo la diferencia. Apreciamos su generosidad y esperamos que tenga un nuevo año más alegre y saludable. Estamos deseosos de verlos de nuevo en persona y poder darles un abrazo doble.

¡Por un 2021 increíble!



The Coalition for Hemophilia B

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



VISITE NUESTROS SITIOS DE INTERNET:

Sitio oficial: www.hemob.org

Facebook: www.facebook.com/HemophiliaB/

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

Instagram: www.instagram.com/coalitionforhemophiliab

Linkedin: <https://www.linkedin.com/company/coalition-for-hemophilia-b/>

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

VIVIENDO LA VIDA CON UNA “V” MAYUSCULA

POR RENAE BAKER

Charlie es un adolescente muy seguro de sí mismo y tranquilo que ha puesto la hemofilia en 2da posición en su vida. En la 1ra posición está la Vida con una V mayúscula, llena de aspiración por conseguir sus deseos y divertirse.

La lista de deseos de Charlie se completa con los deportes acuáticos. Charlie es un participante muy activo en el socorrismo para surfistas. Charlie explica, “los socorristas compiten unos contra otros, nadando, corriendo y remando”. La California Surf Lifesaving Association declara que su misión es crear conciencia de la seguridad en la playa y los estándares profesionales de los socorristas a través de educación pública, capacitación, programas de intercambio, programas de socorristas juveniles, competencia y otros medios. El objetivo final es prevenir y reducir las lesiones, accidentes y muerte en playas de aguas abiertas en los Estados Unidos y alrededor del mundo.

“Si eres como yo, probablemente nunca hayas oído hablar de esto antes. No mucha gente lo sabe. Casi nadie está en las competiciones”, dice Charlie. A los 15, Charlie es muy joven para ser socorrista, pero su cumpleaños número 16 se aproxima. Hasta entonces, puede competir y continuar desarrollando habilidades de salvavidas. Él comenzó su

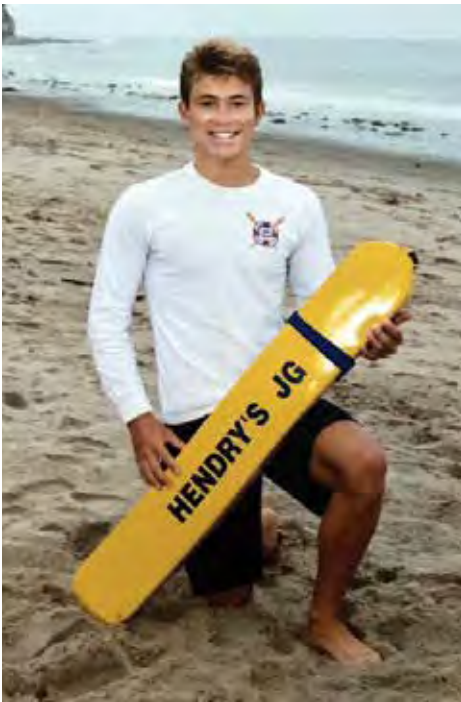


formación cuando tenía 10 años. Cuando se le preguntó si se siente listo para ser contratado como salvavidas profesional, contesta tranquilamente: “Sí” con una sonrisa que es a la vez confiada y tímida.

Charlie fue diagnosticado con hemofilia B grave a los 10 meses de edad. Le pregunté qué tal era la escuela secundaria a distancia durante la pandemia “Hemos tenido escuela en línea desde el marzo pasado. Deseo regresar pronto”. Él echa de menos a sus amigos. Encuentra que interactuar con los profesores en línea es mucho más difícil que en persona. El reconoce que no son “los mejores en cosas tecnológicas”. Le pregunté que le gusta del aprendizaje remoto, y dijo: “Tengo más tiempo para salir y hacer cosas; de ahí que me rompí el dedo meñique”.

El verano pasado, Charlie sacó su bicicleta y estuvo haciendo algunos saltos. En una ocasión no cayó al suelo bien y se hirió el dedo pequeño de su mano derecha. Él se aplicó su infusión, pero rápidamente se dio cuenta de que era más que una hemorragia. Después de meses de llevar un aparato ortopédico para la fractura, se dio cuenta de que no había sanando cuando tuvo otra hemorragia, por lo que tuvo que someterse a una cirugía para reparar la lesión y prevenir más hemorragias. La cirugía, que fue una semana antes de nuestra entrevista, salió bien, y estaba deseando que le quitaran el vendaje en un par de semanas más. “No puedo esperar a quitarme esto”, dice, levantando su brazo y el voluminoso vendaje que cubre desde sus dedos hasta cerca de su codo, “Es molesto”. Charlie siente que maneja bien su hemofilia. “Cada vez que tiene alguna lesión, la controlo





rápidamente. Para el segundo día, suele volver a la normalidad otra vez". Le pregunté cuál era su receta para el éxito, él le dio el crédito a aplicarse la infusión inmediatamente que tiene una lesión, y luego examinarse el siguiente día para ver si es una buena idea hacerse otra infusión.

Cuando se le preguntó sobre su vida con

un trastorno hemorrágico, Charlie dijo: "Para ser honesto contigo, todos los días, cuando estoy haciendo algo, no pienso en que tengo hemofilia. Cuando estoy haciendo algo la hemofilia es lo último en mi mente. La única vez que lo pienso es cuando me lesiono y cuando tengo que hacer mis infusiones", se ríe, con un atisbo de comprensión de que su actitud despreocupada no es probable la más prudente. "En mi vida normal, no me afecta mucho, y eso me gusta".

Charlie ha tomado la decisión consciente de no dejar que su hemofilia lo limite. "Si dejas que te limite, no es un estado mental en el que quieras estar". Charlie aprovecha el control que tiene sobre sus hemorragias. Es disciplinado al aplicar su profilaxis semanal. "No quiero tener ningún problema, así que en mi vida diaria, no hago nada loco, como saltar de acantilados y esas cosas. Pero no dejo que la hemofilia dicte mis decisiones sobre si voy a dar un paseo en bicicleta o ir a nadar con mis amigos".

Charlie y su familia han asistido a los eventos de The Coalition for Hemophilia B y le gusta especialmente escuchar a los presentadores. Además de la escuela y su pasión por el surf Charlie es un consumado jugador de waterpolo el

cual juega en el club de la escuela secundaria y en equipos nacionales. Él se toma el waterpolo seriamente como para saber que quiere jugar en un equipo universitario. Para Charlie, eso significa mirar hacia las universidades de California, ya que no hay muchos otros estados que tienen equipos de waterpolo.

La vida de Charlie no es solo los deportes acuáticos todo el tiempo. "Estoy en la Academia de Empresariado en mi escuela". Charlie está entusiasmado con este programa. "Es un tipo de clase diferente. Es más interactiva que las matemáticas y ciencias habituales. Veo cómo puedo aplicar lo que aprendo al mundo real".

Charlie saca mucho provecho de los oradores invitados que la clase presenta, le gusta aprender sobre mercadeo y se imagina cómo pudiera ser su propia empresa algún día. Él cree que tendrá que ver con algo de deportes acuáticos, pero Charlie se inspira en alguien que habla de su amor por el waterpolo, el espíritu empresarial y su hemofilia. Esta persona es Miles Cole quien tiene hemofilia, quien juega waterpolo en la 1ra División de la Universidad de Princeton y acaba de recibir el Premio Tiger Entrepreneur 2020 por iniciar una empresa de tecnología, ganar los fondos, y desarrollar un prototipo para automatizar el proceso de las inyecciones intravenosas. ¡Miles Cole parece ser un gran modelo a seguir!

Altamente motivado para ganar un premio de campamento, Charlie se ha estado aplicando sus propias infusiones desde la edad de 10 años. Él ganó el premio y todavía atesora el trofeo. Charlie anima a los adolescentes que aún no se administran su tratamiento a que comiencen este proceso. "Vale la pena tomar lecciones y aprender cómo hacerlo porque sientes más libertad en lo





que puedes hacer. Te puedes aplicar la infusión en tu propio horario. No tendrás que esperar a que alguien lo haga por ti. Especialmente si tienes eventos en tu programa, es mucho más fácil hacerlo tú mismo". Charlie admite que a él le tomó un tiempo acostumbrarse, y le dolía, "Pero luego", dice, "yo estaba bien. Tenía que hacerlo", después de un par de meses

me acostumbré y pensé, '¡Oh, no es tan malo!'"

El mejor consejo que recibió Charlie fue: "No dejes que lo que otras personas piensan te afecte. Haz lo tuyo". El consejo que le gustaría dar a otros adolescentes con hemofilia es: "No permitas que la hemofilia limite lo que estás haciendo".

SE BUSCAN: ¡CREADORES DE CONTENIDO PARA ADOLESCENTES!

¡Llamando a todos los creadores de contenido! Si te fascinan los preadolescentes/adolescentes y tienes un impulso para la creación de contenido, entonces nos encantaría que ofrecieras tu tiempo y talentos como voluntario para nosotros. The Coalition for Hemophilia B actualmente está aceptando voluntarios para que colaboren en una nueva sección del boletín que es solo para aquellas personas especiales de 11-18 años de edad en nuestra comunidad.

No se requiere experiencia ya que tenemos un equipo listo para pulir tus brillantes ideas para la publicación. Si tienes ideas para temas, eventos y nuevas secciones, ¡trabajemos juntos en esto, comunícate con RockyW@hemob.org para los pasos a seguir!



¡Creatividad!

APROVECHANDO EL PODER DE LAS PALABRAS: LA VISION DE UN HERMANO

POR RENAE BAKER

Nacido en Lahore, Pakistán, la familia de Muhammad se mudó a Illinois cuando él tenía un año. Cuando su hermano menor nació con hemofilia B, su madre, Aamina, regresó a la universidad, recibió su maestría y ha estado trabajando en el campo de la salud desde entonces. Muhammad, tiene dos hermanos menores, Ismael y Ahmad. Cuando el hermano menor de Muhammad, dio positivo a la hemofilia B leve, Muhammad e Ismael también se hicieron el examen, pero no ha habido ninguna indicación que tienen el trastorno hemorrágico.



Muhammad recuerda que su hermanito llevaba un casco, y tenía que tener que tener mucho cuidado con él. Esto tocaba las fibras del corazón de su hermano mayor al ver que Muhammad e Ismael no podían incluir a Ahmad en sus juegos de lucha y fútbol. Sin embargo, demostraron ser buenos hermanos mayores, ya que Ahmed ha tenido muy pocos accidentes. Muhammad recuerda que cuando era pequeño, Ahmad tropezó y se raspó su mano en la pared de ladrillo y tuvo que ser trasladado de urgencia al hospital. Muhammad nos cuenta que, aunque Ahmad se da cuenta de que hay algunas cosas que su hemofilia le impide hacer, también disfruta de algunos amigos especiales que ha podido conocer, especialmente a través de The Coalition for Hemophilia B. En el Simposio, Ahmad conoció a un gran modelo a seguir, Chris Bombardier, y ahora con frecuencia dice “¡CB es mi amigo!” Ahmad está encantado de que “CB” lo llame su “hermano de sangre”. Muhammad está feliz de que toda la familia tenga a The Coalition for Hemophilia B en sus vidas. “En el simposio” él dice, “había muchas personas que tenían hemofilia B. Hubieron secciones para grupos pequeños con otros niños. En primer lugar,” confiesa: “Me sentí tímido y confundido, pero luego hicimos el rompehielos y ¡me divertí!” Muhammad se siente conectado a través de la Coalition y está feliz de que él y sus hermanos tengan amigos a través de la Coalition. “Estos amigos son cercanos, porque me entienden y son más amables”.

Cuando se le preguntó cómo está lidiando con las restricciones del COVID-19, Muhammad dijo: “Debido al COVID, he tenido mucho tiempo libre lo que normalmente no tendría, así que leo muchos libros. Acabo de terminar The Hunger Games”. Él también ha estado escribiendo mucho.

Como dice Aamina, a Muhammad no le gustaba mucho escribir hasta que tuvo lugar un evento dramático cuando estaba en el tercer grado. Su maestra, a quien Muhammad llama “la mejor maestra”, la señorita LeRoy, ella es judía. Hubo un ataque a la sinagoga local. Esto le tocó a Muhammad el corazón, así que él le escribió una nota de apoyo. Él es tímido, así que le tomó cinco días para dársela. En el momento en que se la dio, ella lloró y lo abrazó y luego llevó la carta a su sinagoga e invitaron a Muhammad y su familia a la celebración de Hanukkah en la sinagoga. Esa carta está ahora enmarcada en la casa de la Sra. LeRoy. Tuvo una experiencia similar cuando le escribió una carta a un veterano. A través de estas experiencias, Muhammad aprendió del poder que tienen las palabras.

En quinto grado, se dio cuenta de que quería dar una buena impresión, así que se aplicó, y descubrió que tenía talento. “¡Entonces me gustó escribir!” él admite, sonriendo.

Muhammad explica su estilo de escritura así: "Intento hacer cosas desde diferentes perspectivas y puntos de vista. Hago investigación en el Internet. Para la historia que escribí (que tiene lugar en Venecia), al papá del héroe le gustan las plantas y la biología, así que investigué plantas italianas".

El talento de escritura de Muhammad fue traído a la atención de la Coalition cuando ganó el concurso de talentos del reciente simposio en donde leyó una historia original, que él había escrito. Muhammad no solo se sintió motivado por The Coalition for Hemophilia B por este reconocimiento, sino que también "mágicamente" lo ayudaron a facilitar un emocionante proyecto al que está actualmente dedicando mucho tiempo y atención. Cuando las restricciones del COVID tuvieron lugar por primera vez durante la primavera pasada, la Coalition organizó el juego Kahoots los viernes por la noche. Muhammad se enfocó en ellos, y se ganó una tarjeta de regalo de Amazon, la cual utilizó para comprar equipo técnico de audio, incluyendo un micrófono y una suscripción a un programa para la edición de podcasts, el cual está utilizando ahora para producir su propio podcast llamado "Politics Schmolitics".

"Siempre me gustó la política y hablarles a mis profesores al respecto, así que este es un podcast sobre política para niños. En el momento de nuestra entrevista, Muhammad estaba trabajando en su quinto episodio. Recientemente los temas cubiertos han sido sus pensamientos sobre la última elección. "La política ha sido más

entretenida de lo habitual", dice.

"Se tardaron tanto en contar las papeletas que la espera fue estresante". Muhammad recibe sus noticias de muchas fuentes e intenta no ser parcial. "Escucho mucha radio. Mis estaciones favoritas son NPR, con el programa Considerando todas las cosas, diferentes estaciones locales de música y Spotify, según en mi estado de ánimo". Otras fuentes de noticias son, The New York Times, CNN, Político, CBSN y FOX. Muhammad ha recibido comentarios positivos de sus cuatro primeros episodios. Un beneficio adicional de crear y presentar este podcast es que está dejando de ser tan tímido y es más "abierto" cuando habla.

"La mejor parte es que aprendió a editar él mismo", Aamina replica con orgullo. Cuando se le preguntó sobre el mejor consejo que ha recibido, Muhammad cita de Jay Shetty, un ex monje que se convirtió en orador motivacional: "No tengas miedo de nuevos comienzos, nueva gente, nueva energía, nuevos entornos o nuevos desafíos. Aprovecha nuevas oportunidades para encontrar la felicidad".

Su consejo para otros niños: "Intenta siempre descubrir algo especial dentro de ti y no lo pierdas, porque eso es lo que te diferenciará de los demás a lo largo de tu vida". Muhammad es feliz de ser parte de la familia de The Coalition for Hemophilia B, ya que el trastorno hemorrágico afecta a toda la familia y dijo "Es bueno que mis hermanos y toda mi familia puedan ser parte de ella!"



Para ver el podcast de Muhammad visite:
<https://politicsschmolitics.buzzsprout.com/>



B *inspired!*

Historias y obras de arte de los adolescentes de la comunidad de la hemofilia B

Invierno 2020

EN ESTE NÚMERO:

- Aprovechando el poder de las palabras: la visión de un hermano
- ¡Se buscan: Creadores de contenido para adolescentes!
- Viviendo la vida con “V” mayúscula: La historia de Charlie
- ¿Eres más inteligente que Glenn?



APROVECHANDO
EL PODER DE LAS
PALABRAS: LA
VISIÓN DE UN
HERMANO



VIVIENDO LA
VIDA CON “V”
MAYÚSCULA: LA
HISTORIA DE
CHARLIE