

THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

HEMOPHILIA B NEWS

ORGANIZACIÓN NACIONAL SIN FINES DE LUCRO

INVIERNO 2022



EL HOMBRE ULTRAMARATÓN -
RICARDO ALCANZA NUEVAS
METAS



SU NOMBRE ES BOND-
DAN BOND



WAYNE - REFLEXIONES DE
VIDA Y RESILIENCIA

TERAPIAS
EMERGENTES

LAS
SOLICITUDES
DE BECAS YA
ESTÁN
ABIERTAS

CONTENIDO

ARTÍCULO PRINCIPAL: WAYNE COOK "BLEEDERSHIP" EN SU MEJOR MOMENTO -
PÁGINA 3

INTERÉS HUMANO

- SU NOMBRE ES BOND, DAN BOND - PÁGINA 8
- EL HOMBRE ULTRAMARATÓN - PÁGINA 11

SALUD Y BIENESTAR

- OBTENER AYUDA PARA VIVIR TU MEJOR VIDA: - PÁGINA 14
- TERAPIAS EMERGENTES - PÁGINA 17
- LA MAYOR PARADOJA PARA EL CRECIMIENTO Y LA REALIZACIÓN - PÁGINA 24
- LA DOSIS DE DANNY - PÁGINA 26

MUJERES CON TRANSTORNOS HEMORRÁGICOS

- LA RISA ES IMPORTA - PÁGINA 28

ABOGACÍA

- NUEVO GRUPO DE PLASMA EN LA CÁMARA DEREPRESENTANTES - PÁGINA 30
- DÍAS DE WASHINGTON - PÁGINA 30

PRÓXIMOS EVENTOS

- LET'S PLAY NINE - PÁGINA 31
- BECA WILLIAM N. DROHAN - PÁGINA 31
- BECA DE MÚSICA NAT LATHROP - PÁGINA 32
- REUNIONES EN EL CAMINO - PÁGINA 32

RESUMEN DE EVENTOS

- HERMANDAD TRANSFORMADORA: REFLEXIONES DEL RETIRO VIRTUAL DE MUJERES 2022 - PÁGINA 33
- ¡DIVERSIÓN CON EL PAN DE JENGIBRE! - PÁGINA 35
- NACCHO - PÁGINA 35
- TERAPIAS EMERGENTES 101: UNA VELADA CON EL DR. DAVID CLARK - PÁGINA 36
- PROGRAMA DE LIDERAZGO DE GEN IX - PÁGINA 37
- Y.E.T.I. 2023: EL JUEGO DE LA VIDA - PÁGINA 39
- AMOR Y MAGDALENAS: UN DULCE EVENTO VIRTUAL DANIELA'S LITTLE WISH - PÁGINA 40
- EN ESTO JUNTOS: RETIRO DE PAREJAS CHB - PÁGINA 42

B INSPIRED SECCIÓN PARA ADOLESCENTES - Voltear...

- FÚTBOL, ESQUÍ, LUCHA LIBRE Y GOLF, ¡OH! PRACTICANDO DEPORTES CON HEMOFILIA - PÁGINA 2
- ADOLESCENTE DE MUCHOS TALENTOS: RYAN - PÁGINA 3
- EN EL JUEGO CON ZAYDEN - PÁGINA 4
- ADOLESCENTES PALOOZA - PÁGINA 5

MISIÓN

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

WAYNE COOK "BLEEDERSHIP" EN SU MEJOR MOMENTO

POR RENAE BAKER

"La gente todavía no puede creer que realmente hice esto, pero llamé a todo mi personal de tratamiento de hemofilia, a mis cirujanos ortopédicos y a mis cardiólogos a una habitación para discutir cómo manejar mis reemplazos de rodilla".

No necesita presentación, pero ese es Wayne Cook, presidente de la Coalition for Hemophilia B. "Siempre he sido un gran defensor cuando se trata de mi salud. y me aseguro de que todos estén en la misma página. Mi defensa se extiende también a los miembros de la comunidad."



Wayne, cuyo diagnóstico de hemofilia B es grave, tiene el hábito de toda la vida de considerar su dolor y sus desafíos como "grano para el molino". Los miembros de la comunidad de la Coalition for Hemophilia B son los afortunados receptores de los "pasteles" resultantes.

Como líder nato que es, su experiencia de vida proyecta largas sombras sobre la programación de la Coalition. Wayne ha sido presidente de la Coalición desde 2006, pero ha estado involucrado desde 1992. "Fui presidente de mi capítulo local de hemofilia en Albany", explica. "La Coalition acababa de comenzar y yo era el único paciente con factor IX en el área de Albany. Mi enfermera de HTC en ese momento me dijo: 'Oye, escuché que hay una nueva organización llamada la Coalition for Hemophilia B se estaba comenzando y todo lo que hacen gira en torno al factor IX". Wayne se conectó con la directora de operaciones Kim Phelan, habló en una reunión de la Coalition en la ciudad de Nueva York y "han estado envueltos desde entonces". Kim Phelan recuerda: "La

organización acababa de ser fundada. Wayne fue la primera persona en ofrecer su ayuda como voluntario y nos dio todo el tiempo que pudo. ¡No podríamos haberlo hecho sin él! Nos hicimos buenos amigos, una amistad que he valorado durante más de 30 años. Es alguien a quien realmente admiro, es una buena persona, una verdadera inspiración. Cada vez que Wayne se enfrentaba a un desafío como la hepatitis C, los reemplazos de rodilla, etc., luchaba con determinación y servía como modelo a seguir para muchos en nuestra comunidad unida".

El impacto de Wayne es evidente. Mirando hacia atrás en sus primeros años con la Coalition, recuerda el trabajo pesado de simplemente poner en marcha la organización. "El desarrollo de nuestro boletín se amplió enormemente. Era pequeña, pero comenzó a llegar a mucha gente. Comenzamos a dar a conocer nuestro nombre en la comunidad al tener un puesto y presentarnos y celebrar pequeñas reuniones en eventos nacionales organizados por NHF y HFA".





Se inclina hacia adelante, su energía aumenta y su enfoque se condensa y dice, "Comenzamos a hacer trabajo legislativo en Washington Days". Wayne señala el trabajo crucial que hizo la Coalition para que la Ley de Fondo de Alivio para la Hemofilia Ricky Ray de 1998 fuera aprobada por la legislatura. La Ley de ayuda proporcionó compensación y pago por compasión a las personas que habían contraído enfermedades mortales a través de productos sanguíneos malos durante la crisis del SIDA. "Fue una gran victoria", dice Wayne con inquietante alivio. "Debería haber sido un acuerdo más grande, pero al menos responsabilizó al gobierno e hizo que nuestro suministro de sangre fuera seguro".

Wayne hace una pausa antes de decir: "Si no fuera por la comunidad de hemofilia, nuestro suministro de sangre nunca habría sido seguro. Se necesitaron las fuerzas de la comunidad de trastornos de la coagulación para ponerse de pie".

Él recomienda ver la película, "Bad Blood", que expone cómo se fabricaban los factores de coagulación y otros productos sanguíneos a principios de la década de 1980. "Los fabricantes farmacéuticos obtenían plasma de los bancos de sangre locales que ofrecían dinero a los usuarios de drogas y a las personas sin hogar para sus donaciones de sangre. Estaban recibiendo plasma de los prisioneros".

Wayne entiende que una de las mayores fuentes de plasma donado fue la prisión de Angola en Luisiana, que tenía una población de VIH del 95% en ese momento. Wayne continúa: "Entonces, estas compañías farmacéuticas estaban haciendo concentrados de factor sabiendo que el plasma estaba contaminado con VIH. Sabían que había algo mal con él y todavía lo estaban vendiendo. Los padres confiaban en las compañías y administraban los productos de factor a sus hijos. Fue como una Ruleta Rusa: desangrarse hasta morir o arriesgarse a contraer el VIH / SIDA".

Una exhalación angustiada se ve en su semblante por un momento, "He visto tantas cosas durante los muchos años que he estado involucrado en la comunidad. He visto que los padres se divorcian debido a los problemas del seguro. He visto a padres perder a sus hijos por el virus. He visto a esposos perder a sus cónyuges después de exponerlos involuntariamente al VIH. Saber que inadvertidamente

causaron su muerte causó un dolor emocional extremo".

Wayne comenzó a darse cuenta a través de la Coalition for Hemophilia B que tenía la oportunidad de hacer una diferencia en las vidas de los miembros de la comunidad. Los primeros años fueron a paso de bebé; Sin embargo, 2006 fue un año crucial. El fundador y presidente de la Coalición, John Taylor, renunciaba para aventurarse en otras áreas de la comunidad de la hemofilia. La Junta Directiva de la Coalición decidió que sería mejor que la cara de la Coalition fuera alguien con hemofilia B. Le preguntaron a Wayne si tomaría las riendas. Él estuvo de acuerdo. El equipo en esos primeros días estaba formado por él mismo, Kim Phelan, el Dr. Dave Clark y voluntarios dedicados que vinieron a ayudar.

"Lo bueno de nuestra organización", lucha por mantener la compostura, "es que muchos de los programas que hemos organizado están arraigados en las luchas que he experimentado en mi vida".

Aunque Wayne tuvo la suerte de no haber sido infectado con el VIH, contrajo hepatitis C. Después de haber sufrido la pérdida de su mejor amigo a causa de la hepatitis C a través del SIDA, Wayne tomó el tratamiento de su propio caso muy en serio. El primer médico que lo trató por su enfermedad hepática parecía ineficaz, así que cuando un amigo elogió a otro médico y se ofreció a conectarlos, Wayne, que se enfermaba gravemente, se puso en contacto de inmediato. El Dr. Keller era un hematólogo e inmunólogo de Florida que tenía la reputación de trabajar fuera de los marcos concebidos.

"Muchos médicos no estaban de acuerdo con la forma de pensar del Dr. Keller; Sin embargo, ¡tenía un buen historial con pacientes que habían sobrevivido!" Era el único paciente del Dr. Keller que tenía Hep-C, pero no VIH. Fue el Dr. Keller quien le indicó que comenzara a tomar factor tres veces a la semana. "Estaba haciendo profilaxis antes de que otros médicos comenzaran a pensar en ello. Wayne relata que la filosofía del Dr. Keller era mejorar tu salud, primero y luego tratar la hepatitis. Para hacer eso, desarrolló una línea de vitaminas y suplementos, y funcionaron. Le tomó un año, pero se encontró a sí mismo saludable y se sentía bien. Fue entonces cuando comenzó el tratamiento dirigido a la cirrosis. Wayne vio al Dr. Keller durante tres años y está agradecido con él por salvarle la vida.

"El tratamiento era como la quimioterapia. Después del tratamiento, me sentía muy enfermo. Justo cuando comenzaba a sentirme mejor, era la hora de otro tratamiento y volvía a estar enfermo. Este tratamiento rompió mi sistema inmunológico. Mis médicos comenzaron a pensar que había contraído el VIH debido a todas las infecciones que estaba contrayendo. Hubo momentos en que, debido a infecciones graves, casi pierdo mi pierna derecha". Logró superar este problema de salud con sus extremidades intactas, pero su arriesgada experiencia lo llevó a trabajar con Kim Phelan en programas para enseñar a la comunidad a cómo estar saludable mientras lidiamos con los tratamientos para la hepatitis C.

Otro programa fue concebido cuando hizo un descubrimiento gigantesco durante sus reemplazos de rodilla. "Me reemplazaron ambas rodillas; la primera en 2006 y la segunda en 2007. Hicimos un análisis de costos del precio de mi rodilla derecha en comparación con la izquierda.

Para la primera rodilla, fuimos con la infusión de bolo tradicional el día de la cirugía, y luego cada 12 horas infundimos al 100% durante aproximadamente 8 semanas. Después de ese tiempo, la dosis se cortó al 50% cada 12 horas, y luego se redujo nuevamente. Después de 4 meses, volví a mi régimen regular de factor". El recuento final llegó a la friolera cifra de 2.5 millones de dólares solo para el reemplazo del factor. Sorprendido por ese número, Wayne investigó un proceso llamado infusión continua antes de reemplazar su rodilla izquierda. Al explicar la diferencia, compartió que, en lugar de grandes dosis intermitentes de factor durante 16 semanas, recibió una dosis continua de factor a través de una bomba durante 22 días. Después de eso, volvió a su dosis normal de profilaxis. El reemplazo del factor para su segunda rodilla fue de solo \$ 750,000. ¡Un enorme ahorro de costos!

¡Wayne quería que todos supieran sobre esta información para ahorrar dinero y mejorar la calidad de vida!

A través de la Coalition, comenzó a contar su historia y a discutir sus resultados con organizaciones de trastornos hemorrágicos, compañías farmacéuticas, médicos e investigadores. Se convirtió en un defensor de la causa que organizaciones que no tenían nada que ver con la hemofilia lo invitaron a hablar en sus grupos sobre la defensa.

Cuando Wayne habló con las compañías farmacéuticas, afectó los cambios sustanciales en la forma en que se estaban haciendo las cosas; estos cambios enriquecieron a la comunidad de hemofilia B de manera mensurable e inmensurable.

Él mira hacia el inicio y la trayectoria de un grupo asesor clave del cual él es parte hasta el día de hoy. Genetics Institute fue la primera compañía en comercializar un producto de factor recombinante y, en 1995, formó un grupo asesor compuesto por 4 miembros de la comunidad. Cuando Wyeth Pharmaceuticals adquirió el Instituto de Genética, el consejo asesor permaneció sin cambiar y se reúne anualmente.

En estas reuniones, según la opinión de Wayne, el progreso fue lento y frustrante: "Les presentábamos algo y parecía que lo aprobaban. Preguntábamos cuál era el estado y ellos respondían: 'No vamos a abordar eso ahora. Queremos hablar de otro tema'".

No contento con quedarse de brazos cruzados por más tiempo, decidió arriesgarse con un gigante farmacéutico. En 2006, justo después de convertirse en presidente, se reunió con ejecutivos de Wyeth y le dijo: "Miren, ustedes son la única compañía que tiene un producto recombinante en el mercado para la hemofilia B. Tienen un consejero asesor que no utilizan. Estoy sugiriendo que, si quieren ser el líder en la comunidad con hemofilia, necesitan una junta asesora activa de pacientes con hemofilia que trabaje como una junta directiva para ustedes".

Wyeth escuchó. Se seleccionaron los miembros de la junta, se redactaron directrices y estatutos, y la junta





Cuando Wayne pasó por períodos de depresión extrema, le dijo a Kim Phelan que quería correr la voz sobre este gran problema que a menudo plaga a sus compañeros sangrantes. El resultado de esas conversaciones fue The Beats, un programa de música, que tuvo su viaje inaugural en 2019, y es un programa anual favorito para los miembros de la Coalition que encuentran que crear música es un gran tónico para su depresión. “Podemos organizar este programa y enseñar a las personas a cómo estar saludables”, afirma Wayne. Consciente del hecho de que la Coalition no estaba satisfaciendo las necesidades de las personas que no encuentran atractivos los deportes, ahora se complace al ver a personas que no participaban en otros eventos de la Coalition, uniéndose para crear música juntos.

El miembro de la coalición y participante de Beats, Zach, acredita la inspiración de Wayne: “El programa Beats es una experiencia fantástica que debería ser un programa clave en los próximos años. Permitir que las personas con trastornos hemorrágicos muestren sus habilidades musicales y su amor en general por la música es beneficioso para la salud y el bienestar de esta comunidad”.

A Wayne, un baterista talentoso por derecho propio, le gustaría ver que el programa de The Beats se amplíe. “Me gustaría ver que esto se expanda para incluir actuación, drama y otras artes. Va a tomar tiempo para eso. Todavía estamos en nuestras etapas iniciales, pero hubo un momento en que estábamos en las etapas iniciales de nuestro Simposio también”. Wayne recuerda que el primer simposio tuvo entre 40 y 50 asistentes. ¡Quince años después, la asistencia es de 700 a 800!

Si el nombre de Wayne se le menciona a cualquier miembro de la Coalición, es probable que escuche los términos: figura paterna, hermano de sangre y amigo. Los miembros lo llaman amable, compasivo, cariñoso y un hermano acogedor. Le dan crédito por ser un gran líder y por su capacidad para hacer que la gente se abra y se conecte. Tal vez una de las formas en que lo hace es siendo tan abierto sobre sus desafíos. No oculta su difícil infancia, que describe como “fea”. La gente lo admira por

su fuerza y perseverancia a través de todo esto y lo ve como una inspiración durante esos tiempos “feos”.

Milinda, miembro de la Coalition, se ha beneficiado y está agradecida de su intercambio honesto. “La vida no fue fácil”, comienza. “Wayne cayó muchas veces. Algunas personas fueron horribles con él, pero salió adelante debido a su fuerza y perseverancia. Este hombre me salvó al darme esta comunidad que ha crecido para todos nosotros en donde podemos aprender, educarnos, abogar, comprender diferentes terapias y, sobre todo, ayudarnos unos a otros. Cambió mi vida”.

Zach relata: “Me siento honrado por conocer a Wayne, por los obstáculos que ha superado en la vida y la cantidad de tiempo y dedicación que ha puesto en toda una vida de trabajo dentro de la comunidad de hemofilia”. Farrah Muratovc, enlace de pacientes de la Coalition, le da crédito a Wayne por hacer que todos los miembros de la Coalition se sientan bienvenidos y cómodos. Ella dice que la gente lo ve como una persona con la que todos pueden hablar cuando lo ven. De hecho, el director de relaciones comunitarias de la Coalition, Rocky Williams, dice: “Para mí, pasar tiempo con Wayne es lo más destacado de cualquier evento”. El miembro de la coalición, Christopher, lo elogia: “Es como un hermano mayor con el que todos quieren conectarse”.

Los ojos de Wayne se hinchan al escuchar estos conmovedores comentarios. Al considerar cómo ha llegado a tener un lugar así en los corazones de la Coalition, dice: “Siempre he sido muy honesto y directo. No golpeo ni ando con rodeos con nadie. Lo digo como es. No tengo miedo de hablar sobre mi vida porque no quiero ver a nadie pasar por lo que yo pasé. Si soy honesto puedo ayudarlos a entender que sí se puede pasar por estas luchas y lidiar con ellas con éxito, así sabrán que ellos también pueden lograrlo”.

Después de soportar una infancia infeliz, Wayne ha logrado una vida en la que la familia lo es todo para él y le brinda la máxima felicidad. Perdió a su primera esposa de 29 años, Maureen, pero Wayne se volvió a casar hace 11 años con Kelly. Prácticamente brilla cuando afirma enfáticamente: “Aprecio cada momento con Kelly, mis hijos y nietos. Kelly y yo tenemos un vínculo especial. No solo nos amamos y respetamos, sino que nos gustamos, ¡y esa es la clave!”

Wayne recientemente compartió la noticia con la comunidad de que enfrenta serios problemas de salud. Cuando él y su esposa se enteraron de que su cirrosis había regresado, lloró. Los pensamientos del final fueron repentinamente muy reales para él. “Pero”, promete Wayne, “aún no estoy listo para irme. Acabo de cumplir 60 años. Tengo demasiadas cosas que quiero hacer”.

En la parte superior de su lista están ver crecer a sus nietos y pasar tantos años de calidad con su esposa como sea posible. Wayne está viendo este desafío actual como otra fase por la que debe pasar. “Siempre he sido fuerte. Siempre he luchado a través de todo con lo que he pasado. Tienes que tomarte el tiempo para sentir el

dolor y la lástima por ello, pero luego tienes que detenerte y decir: ‘OK, esto es lo que tengo que hacer. Levantarme, ponerme los pantalones de niño grande y hacerlo”.

En su carta a la comunidad, los tranquilizó: “No quiero que nadie sienta lástima por mí. Todos los que me conocen saben que nunca me he echado atrás en una pelea cuando se trata de mi salud. Así que voy a ganar esta pelea”.

¿Habrá un programa educativo que surja de su conjunto actual de desafíos? “Creo que necesitamos cubrir más temas para los adultos mayores”, comienza. “Tenemos muchos programas para padres y adultos jóvenes, pero hay problemas con nuestra población que envejece que deben discutirse”. Porque las personas mayores con hemofilia B son pioneros, Wayne ofrece: “Me gustaría ofrecer una presentación para darles un momento ‘A-ha’ en el que se digan a sí mismos: ‘¡Vaya! Nunca pensé que iba a ser capaz de retirarme. Nunca pensé que necesitaría ver a un médico por una enfermedad cardíaca o poder tomar una aspirina todos los días”. Quiere preparar a este contingente de la Coalición para los desafíos que, podría decirse, son bendiciones por lograr. “Me gustaría hacer algo así y luego usar discursantes para dar a la generación anterior un trampolín. Tuvimos algunos oradores que han abordado el tema de la jubilación y demás, pero necesitamos explorar más”.

De la misma manera que reunió a su equipo médico en una sala para discutir sus reemplazos de rodilla, Wayne ya ha puesto a sus médicos en la misma página para su tratamiento hepático. Él explica: “Tuve un médico que nunca antes había trabajado con un paciente con hemofilia, un cardiólogo que necesitaba cuidar mi corazón durante una cirugía y mi hematólogo. Ellos y el personal de enfermería van a trabajar juntos para cuidarme. Vamos a trabajar en equipo porque así es como tiene que ser. Quiero que todos se comuniquen”.

Mirando hacia atrás a través de los años, Wayne dice con un aire de serenidad sobre él: “No veo mi hemofilia como una discapacidad. A medida que he ido creciendo, la he visto más como una oportunidad. ¡Si no hubiera tenido hemofilia, no habría podido viajar y no habría hecho amigos tan fabulosos!” Mientras Wayne comparte sus intenciones de pasar más tiempo consigo mismo y con su familia durante este tiempo, continúa su misión de ayudar a la comunidad de hemofilia B al ser abierto y honesto al compartir sus propias experiencias.

La Coalition extiende sus mejores deseos y una inmensa gratitud por las muchas formas en que Wayne Cook ha enriquecido nuestras vidas a través de su vida de servicio a esta comunidad. Gracias, Wayne, por tu persistente “defensa” para la Coalition for Hemophilia B. Tus tremendas contribuciones seguramente han alargado y mejorado la calidad de las vidas de innumerables personas, muchas más de las que podríamos contar.

directiva de trabajo se hizo oficial. Wayne ha servido en la junta desde 1996 y ha sido presidente desde 2006. Está orgulloso de la Junta y la considera una gran organización. No solo ayudó a crearla, sino que aprovechó una oportunidad crítica para salvarla cuando estaba en riesgo de ser eliminada.

“Cuando Pfizer adquirió Wyeth”, comenzó Wayne, “se habló de eliminar la Junta. Estábamos en un evento en la ciudad de Nueva York, y me presentaron al vicepresidente de marketing global de Pfizer. Le dije directamente: si te deshaces de este consejo asesor, no vas a estar en contacto con las necesidades del paciente. Estuvieron de acuerdo y es por eso que la Junta todavía está presente. Hay algunas personas nuevas, pero algunas han servido en la Junta desde 2006”.



EL NOMBRE ES BOND DAN BOND.

POR RENAE BAKER

¿Qué hay en un nombre? Uno podría aventurarse a adivinar que la vida intrigante y emocionante que Dan Bond ha estado viviendo fue convocada psicológicamente por la potencia léxica concentrada en el apellido que tiene en común con el agente 007. Pero la determinación de Dan para superar los desafíos de su infancia merece más crédito.

Dan aprecia las palabras bien usadas. Las citas que usa para firmar su correo electrónico nunca dejan de provocar pensamientos, tales como: "A menos que la vida también te dé agua y azúcar, esa limonada va a apestar" - R. K. Lilley. Podría escribir fácilmente un artículo sobre sí mismo, pero su humildad podría interponerse en el camino de algunos detalles. Reconoce que ha estado viviendo una vida emocionante. Entre otras euforias, ha ido a cenar con los Thunderbirds de la Fuerza Aérea de los Estados Unidos, almorzó con el jefe de tripulación del piloto de carreras Al Under Jr. y voló boca abajo sobre una cresta montañosa a 1,000 pies de altura.

"No se trata de que yo sea inteligente o excepcional. Se trata más de que tenga suerte y persista", dice. "La verdad es que he pasado mucho tiempo tratando de entender mi enfermedad y sus complicaciones. Tengo buenas relaciones con todos mis médicos y entiendo la importancia de estar al tanto de mis medicamentos. Puede haber límites a lo que podemos hacer, pero no a lo que podemos lograr".

Qué fácil sería para Dan ocultar a los lectores las asombrosas aventuras de su vida. La abuela materna de Dan perdió a cinco hijos pequeños por sangrados. Esto les dio a sus padres la previsión de tener un pariente en la sala de partos, listo para darle a Dan una transfusión directa el día en que nació, en 1953. No se necesitó transfusión ese día. Cuando Ted Bond, un trabajador de campo petrolero de "cuello áspero", se enteró de que su hijo pequeño tenía hemofilia B severa, trasladó a su

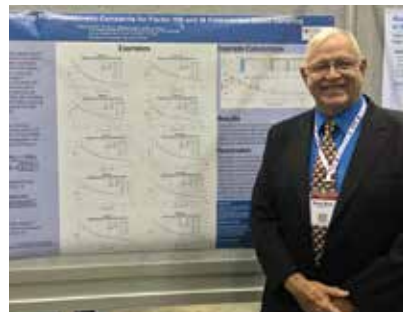


familia 1,500 millas, de La Mesa a Galveston, para estar cerca de un centro médico importante. Luego fue a la escuela de medicina y se convirtió en fisiólogo-hematólogo investigador. Este fue un momento emocionante, en el mundo de la hematología. "Los investigadores descubrieron que el plasma podría detener, o al menos controlar el sangrado". Dan relata: "Estaba en aguas desconocidas. Nadie sabía mi expectativa de vida, pero todos dudaban de que fuera larga, porque las hemorragias importantes seguían siendo potencialmente mortales".

Cuando apareció el plasma fresco y congelado (PFC) en la década de 1970, se descubrió que era aún más efectivo para controlar las hemorragias. "El uso de PFC para la profilaxis me dio una aproximación decente de una vida normal y otro paso más en la escala de expectativa de vida". Pero, justo cuando sus esperanzas de una vida más larga se estaban estableciendo, los mismos concentrados de FFP que trajeron tales esperanzas y libertades expandidas, se convirtieron en una némesis para Dan y miles de otros dependientes de los productos sanguíneos en los años 1970 y 80. A través de FFP contaminado, Dan contraía VIH y hepatitis.

El "escándalo de la sangre" es una de las razones por las que Dan es uno de los pocos cientos de hombres mayores de 60 años que viven con hemofilia B. También ha tenido que pasar por hemorragias, artritis y varios reemplazos de articulaciones. Una de las citas favoritas de Dan para firmar el correo electrónico es: "Nuestras cicatrices son recordatorios permanentes de nuestras victorias sobre cosas que intentaron matar". Si alguna vez hubo un ejemplo de victoria sobre la dificultad, es Dan. ¡Pasó de estar enraizado en camas de hospital a, literalmente, volar!

Cuando tenía 12 años, Dan había pasado 1/3 de su vida en el hospital. "Calculé que había pasado más tiempo en el hospital que cualquiera de los médicos que me trataban", compartió. Pasar tanto tiempo lejos de su casa, dentro de las paredes institucionales, sin el beneficio del personal del hospital que tomó más que un interés clínico en él, tuvo



un impacto penetrante en Dan. "Crecer en el hospital me hizo inusual; 'criado por lobos', supongo. Tuvo un gran efecto en mi personalidad y habilidades sociales". A Dan le resultaba difícil hacer amigos. Mirando hacia atrás, Dan recuerda: "Mi sangrado infantil más grave fue cuando un compañero de clase arrojó un ladrillo y me golpeó en la espalda. Pasé dos meses en el hospital. El primer día de regreso a la escuela, tuve otra hemorragia cuando mis nudillos golpearon su nariz. Mis nudillos están bien. Su nariz todavía está doblada".

En el lado positivo, la falta de control que sentía sobre su trastorno hemorrágico, y la necesidad de seguir la corriente, ha creado un lado flexible y fácil de llevar a su personalidad. "Las personas que insisten en planificar me desconciertan", reflexiona. Otro lado de su personalidad es una naturaleza competitiva. "Realmente disfruto eso", dice con una sonrisa engañosamente tranquila.

Tal vez esa racha competitiva nació de su determinación de superar sus limitaciones físicas. en este aspecto, parece que el padre de Dan ha tenido una profunda influencia en su vida. Una ventaja paterna de estar a la vanguardia de la investigación de coagulación y coagulación de la sangre fue que Ted pudo involucrar a Dan en ensayos clínicos previos, incluido uno que estudió el efecto del veneno de serpiente de cascabel en la sangre. Fuera del laboratorio, Ted ayudó a Dan a poner metas altas. Literalmente.

Cuando Dan tenía 14 años, Ted compró un avión. Convencer al médico forense de la FAA que una persona con hemofilia pudiera volar tomó más de un año, pero Dan perseveró e hizo un vuelo en solitario (pilotó un avión solo) a los 15 años, incluso antes de tener una licencia para conducir un automóvil. Dan reflexiona: "Como la mayoría de los adolescentes obsesionados con algo, coleccioné todas las revistas sobre vuelo que pude encontrar.



Alrededor de ese tiempo, Daryl Greenmyer modificó un avión de la época de la Segunda Guerra Mundial y lo llamó Conquest I. El titular de la revista decía: "EL RÉCORD MUNDIAL DE

VELOCIDAD REGRESÓ A LOS ESTADOS UNIDOS". Supe en ese momento que eso era lo que quería hacer. Coleccioné fotos de revistas, recorté citas e hice un collage de las hazañas del avión que todavía está en mi oficina hoy".

Dan tomó su fascinación y la declaró su enfoque en la universidad, graduándose con un título en ingeniería aerodinámica de la Universidad de Texas en Austin. Su especialización fue enfriamiento del motor y reducción de la resistencia.

Después de la universidad, incursionó en el mundo de los autos de carreras y buscó trabajo en aviones. "Casualmente, los tres mejores corredores de aviones estaban en Texas, todos a unas tres horas de donde yo vivía. Entonces, llamé al mejor chico y le ofrecí mis servicios. Él se negó. El segundo chico nunca me devolvió la llamada, pero el tercero dijo: '¡Claro! ¡Ven!' Así que fui a trabajar para él".

Su nombre era Jon Sharp. Sharp estaba tratando de construir un avión de carreras que utilizaría la ingeniería aeroespacial de vanguardia para (en palabras de Sharp) "patear el trasero de todos" en el campo de las carreras aéreas. Sharp reconoce que un equipo sólido trabajó con él en la creación del Sharp DR 90 Nemesis. El Nemesis todavía se considera el avión de carreras aéreas más exitoso de la historia. Ganó 47 de las 50 carreras inscritas, 9 Campeonatos Nacionales de Oro de Reno consecutivos, más de 16 récords mundiales de velocidad, fue el campeón de 6 puntos IF1 de 1994-1999, y se retiró al Smithsonian Air & Space Museum en 2000.

A Dan se le atribuye ser el miembro del equipo para convencer a Sharp de usar un perfil aerodinámico con un extenso flujo laminar, que fue clave para el éxito del avión. Dan no pudo volar el Némesis, señala con un toque de pesar, pero ha volado muchos otros. Si te estás preguntando cómo les fue a los dos corredores aéreos que no aceptaron la oferta de Dan, Dan me dice, con ese brillo competitivo en sus ojos: "Nunca ganaron otra carrera".

Cuando se le pregunta sobre sus experiencias más memorables, menciona acrobacias aéreas. Sí, eso es exactamente lo que parece: "hazañas de vuelo espectacular realizadas en aviones para entretener a una audiencia en la superficie".

"Es estimulante; sacar suficientes agallas para desmayarte

es una experiencia que todos deberían tener al menos una vez en la vida", dice. "Cuando tiras del palo con mucha fuerza, la fuerza centrífuga te empuja hacia abajo en el asiento, y esencialmente pesas seis veces más de lo que realmente pesas. Entonces toda la sangre sale de tu cabeza y te desmayas".

Dan cuenta una de sus historias de "experiencia cercana a la muerte". "Estaba en la tripulación de un avión de carreras a campo traviesa. Pude volar como copiloto en el avión de apoyo, un Riley Rocket; una versión del hot rod del Cessna 310 hecho famoso por Sky King de mi infancia. En algún lugar del camino Kitty Hawk, el corredor comunicó por radio que tenía una fuga de combustible y que teníamos que aterrizar de inmediato. Desafortunadamente, estábamos en la cima de 20,000 pies de cobertura de nubes sólidas".

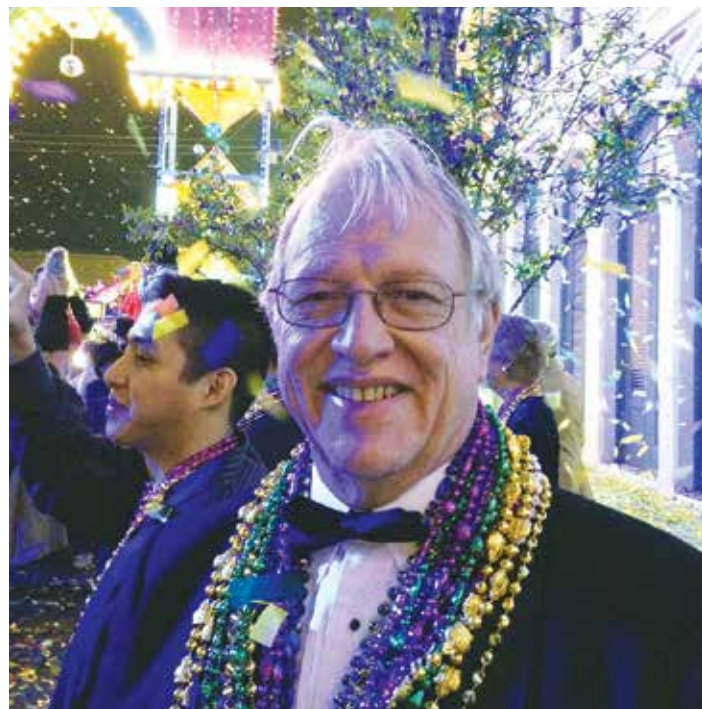
Después de la llamada de auxilio, mientras trataban de determinar en qué aeropuerto serían autorizados a aterrizar, lucharon contra una severa turbulencia. "El medidor G más tarde mostró +6 y -3 Gs. Cada G negativo envió los gráficos por las nubes, junto con galletas, refrescos abiertos y herramientas. Las G positivas convirtieron estas cosas en misiles. Mientras todo esto estaba sucediendo, el corredor estaba sosteniendo la formación de nuestra punta izquierda. Como dependía de nosotros para la navegación, no tuvo más remedio que seguirnos. La turbulencia haría rebotar al corredor tan severamente que rodaría casi 90 grados en cada dirección. Cuando finalmente bajamos, encontramos un sensor defectuoso. Les dije que podían dejar de intentar asustarme. ¡Misión cumplida!" La próxima vez que veas a Dan en un evento de la Coalición, ¡asegúrate de preguntarle sobre las otras tres experiencias cercanas a la muerte!

Han pasado muchos años desde que Dan ha volado aviones. En estos días, obtiene sus emociones viajando,

haciendo buceo y de superficie y viendo espectáculos de Broadway con su amor de la infancia. Durante los últimos 15 años más o menos, también ha disfrutado asistiendo a los eventos de la Coalition for Hemophilia B. En poco tiempo, se dio cuenta de que la comunidad lo acoge y lo valora. Aprecia el aspecto divertido y familiar de la Coalition y ha sido un miembro activo desde su primera reunión.

Mirando hacia atrás a sus muchas aventuras, Dan dice: "Si bien seré el primero en admitir que la hemofilia ayudó a formar lo que soy hoy, ninguna de estas cosas sucedió debido a eso. La hemofilia da forma a nuestras vidas, pero no debe dominarlas ni definir las". El mayor obstáculo al que se ha enfrentado este aventurero podría sorprenderte. Por otra parte, puede que no: "Seguro. He tenido que cambiar de compañía de seguros tres veces, porque llegué al límite de por vida". Reflexiona sobre la comunidad de personas con trastornos sanguíneos. "Estamos aquí hoy debido a una vasta red de personas que han hecho cosas que no tenían que hacer: extraños que donan sangre han mantenido viva a nuestra comunidad durante generaciones, médicos que se levantan en medio de la noche para tratarnos nos han ahorrado innumerables horas de dolor, investigadores que desarrollan cosas que hace solo unos años eran materia de ciencia ficción, Abuelas que se duermen frotando nuestras rodillas doloridas, la sociedad se une para pagar nuestro tratamiento: ninguna de estas personas tuvo que hacer estas cosas. Hacen estas cosas, porque necesitamos que se hagan, y nos deja con una deuda duradera que debe pagarse".

Dan continúa con un llamado a la acción: "¿Qué puedes hacer? Involúcrate. Sé un consejero de campamento. Ofrécete como voluntario con tu organización o capítulo. Participa en un ensayo clínico. Habla con tus legisladores. Deja que tu historia beneficie a la próxima generación".



EL HOMBRE ULTRAMARATÓN

UNA ENTREVISTA DE RICARDO Y ANNETTE RAMÍREZ POR RENAE BAKER CON JANINE ACHURY

"Quiero mostrarle a la comunidad de la hemofilia que, con el tratamiento adecuado, puedes hacer lo que quieras. Puedes correr 100 millas, andar en bicicleta o lo que sea. Es por eso que quiero hacer esto".

Si alguien hiciera un largometraje sobre Ricardo Ramírez, (y deberían!) abarcaría los géneros de acción, aventura, drama y romance. Sabiendo que estaría entrevistando a Ricardo, cuyo primer idioma es el español, acordamos tener a Annette y Janine Achury con nosotros en el Zoom para ayudar a traducir. Me impresionó ver que Ricardo no necesitaba mucha ayuda para expresarse en inglés, pero fue interesante conocer el punto de vista de Annette sobre su experiencia amando a una persona que está viviendo una vida "extrema" mientras maneja la hemofilia B.

Ricardo es un defensor de su causa de 50 años, fuerte, decidido y modesto; animando a otros con sangre, sudor y una sonrisa pícaro. Es una versión de un Harrison Ford mexicanoamericano.

Nos reunimos con Ricardo y Annette un domingo. El domingo es el día de "larga duración" de Ricardo. "Corrí 24 millas esta mañana", nos dice Ricardo. "Sí, el domingo de la semana pasada, corrí 20 millas y al día siguiente, 17".

Ricardo trabaja reparando autos en un taller de carrocería, y Annette trabaja para el Departamento de Servicios para Animales de la Ciudad de Los Ángeles. Ambos tienen hijos adultos. Ambos son corredores. Así es como se conocieron. Nos dicen que han estado juntos durante dos años. Cuando les pregunto cuánto tiempo han estado casados, comienzan a reírse y revelan que han estado casados durante la mayor parte del tiempo que se conocen.

"Nos casamos muy rápido", admite Annette. "Tenemos mucho en común", comienza Ricardo. "¡Tenemos el mismo cumpleaños e incluso ya teníamos el mismo apellido!" Annette retoma la historia:

"Fue extraño conocerse. Nos atraíamos el uno hacia el otro y en muy poco tiempo, nos convertimos en mejores amigos. Corríamos juntos cinco días a la semana y pasábamos todo nuestro tiempo libre juntos. ¡Quedó claro que simplemente funcionaba!" "Simplemente no queríamos pasar tiempo separados el uno del otro", explica Annette. "Nuestras vidas simplemente se fusionaron totalmente".

"Y luego sucedió el COVID-19", dice Ricardo.

"Sí, es totalmente un matrimonio COVID", recoge Annette. "El mundo se cerró el mes después de que nos mudamos juntos".

Como muchos lo hicieron durante este tiempo, Ricardo fue despedido de su trabajo y Annette trabajó desde casa. ¡De repente estaban juntos las 24 horas del día! La boda se hizo más fácil por el hecho de que la hija de Annette se había convertido en una ministra ordenada y estaba lista

para oficiar la pequeña ceremonia en el Valle Olímpico en Lake Tahoe.

El grupo de liderazgo de la Coalition for Hemophilia B se enteró de Ricardo, quien es un embajador de Ixinity con Medexus. El verano pasado habló sobre su experiencia sobre cómo completó el Ultra-maratón Río Del Lago, que se anuncia como un "maratón de resistencia de 100 millas".

¿Qué es un ultramaratón? La definición estándar de un ultramaratón es cualquier cosa más allá del maratón, o 26.2 millas. Sin embargo, la distancia estándar más corta considerada un ultra es de 31.07 millas. Según un estudio realizado por el director de Run Repeat, Paul Ronto, y la analista matemática, Vania Nikolova, la participación en eventos de ultra running está en marcha y en aumento. Hay un aumento del 1676% en participación desde 1996. Pero, ¿cuántos tienen hemofilia B? El único que conocemos: Ricardo Ramírez es campeón de ultramaratón.

Evitando que toque su propio cuerno, Annette promociona algunos de sus logros. "Debido a que es un corredor de ultramaratón, sus millas comienzan en carreras de 32 millas y suben desde allí. De hecho, ha corrido una carrera de 200 millas y ganó. La gran carrera para la que está entrenando ahora es una carrera de 135 millas a través de la Cuenca del Valle de la Muerte".

Ricardo creció en Fresno, Zacatecas en México. Su familia no sabía que él y su hermano menor tienen hemofilia B. Como colegial, jugó fútbol, baloncesto, voleibol y béisbol. Tenía hemorragias nasales, pero las tomó con calma. El primer incidente digno de mención que recuerda fue



lastimarse el brazo e hincharse tan notablemente que lo llevaron a un médico. El médico decidió que los músculos de Ricardo se habían desgarrado y se dispuso a realizar una cirugía. Cuando hizo la incisión, descubrió que los músculos estaban bien, pero había mucha hemorragia interna. Asegurando a Ricardo y a sus padres que no pasaba nada, el médico suturó el brazo, dejando una cicatriz impresionante que sirve como recordatorio de que todavía hay médicos en el mundo que no saben cómo diagnosticar o tratar a los pacientes con hemofilia B.

“En mi lugar de nacimiento”, recuerda, “no teníamos un hematólogo. Fue desafortunado porque iba al hospital casi todos los meses porque tenía una úlcera estomacal. El médico presumió que tenía hemofilia A, pero no tenía idea de cómo tratarla con plasma, por lo que nada detenía el sangrado”. Alrededor de los veinte años, Ricardo dice: “Tiene que ser demasiado para mi cuerpo”. Fue hospitalizado y perdió tanta sangre que cayó en coma. No recuerda cuánto tiempo estuvo fuera, pero cuando despertó, estaba ciego del ojo izquierdo. “Poco a poco, la vista volvió”, dice con alivio.

Ricardo ahora vive en Los Ángeles, donde ha sido diagnosticado correctamente con hemofilia B grave y está en un régimen de tratamiento profiláctico. Su hermano menor todavía está en México y continúa luchando para obtener un tratamiento adecuado y suficiente factor de coagulación. Ricardo está conectado a las comunidades de hemofilia de habla hispana y hace lo que puede para ayudar a su hermano, pero está claro para él que hay mucho trabajo por hacer para educar a los médicos sobre la hemofilia B.

Ricardo tiene cuatro hijos y cinco nietos. Su nieto de un año ha sido diagnosticado con hemofilia severa. La hija de Ricardo está muy preocupada de que su hijo no pueda vivir una vida normal. Ricardo trata de tranquilizarla señalando que él es un ejemplo vivo de cuán plena y activa puede ser la vida con el trastorno hemorrágico.

Ricardo pone su dinero, tiempo, esfuerzo y sudor a correr carreras de ultramaratón. ¿Cómo lo hace? No inició directamente. No comenzó a correr hasta la edad de 36 años. “Tenía sobrepeso”, recuerda. “Comencé a caminar en el parque y me encontré con un amigo que me invitó a un grupo de corredores, así que comencé a correr”.

Corrió y ganó tantos maratones que ni siquiera puede decirnos el número. Hace unos diez años, después de cinco años de correr maratones, un amigo invitó a Ricardo a unirse a él para correr un ultramaratón. “Entonces, fui por mis primeros 50k, que son alrededor de 31 millas. Terminé en primer lugar”.

El ultramaratón al que ha aspirado durante años es la carrera Badwater a través del Valle de la Muerte. Badwater es considerada la carrera a pie más dura del mundo. Solamente 100 participantes son seleccionados para competir, y la gente viene de todo el mundo para poner a prueba su capacidad de resistencia física y mental en la carrera de 135 millas. Ricardo fue aceptado para esta carrera. Pregunto qué está detrás de su aspiración

de hacer frente a Badwater.

Necesito algo para completar mi carrera como corredor, así que elijo Badwater. Después de eso, quiero volver a los maratones”.

“Este es tu Monte Everest”, comprendo.

“Esta es mi Monte Everest. Mi objetivo es completar el ultramaratón en 35 horas”.

Con respecto al tratamiento, Ricardo explica que infundirá 1-3 horas antes de la carrera y nuevamente 20-24 horas en la carrera.

“¿Tienes que tomar descansos?” Janine pregunta.

“En realidad no”, explica. “Solo para comer y tal, pero no más de 20 minutos. No hay siestas”, afirma Ricardo definitivamente. “Si me quedo dormido, no me levantaré”.

Cuando se le preguntó a ella si esto le preocupaba, soltó una carcajada y luego, casi cómicamente, Annette respondió en voz baja y firme: “Sí. Sí, lo hace. Nos conocimos por correr. Ricardo me ayudó a alcanzar algunas de mis metas”. Ella explica que es nueva en el ultramaratón.

“Después de la primera carrera de 50 millas que corrí, llevamos a Ricardo a la sala de emergencias. Tenía una afección llamada rhabdomiólisis, donde los músculos comienzan a descomponerse, debido al esfuerzo excesivo y el hígado trata de filtrar el tejido muscular, causando daño hepático. Ese fue un incidente realmente aterrador. Lo habíamos llevado a urgencias porque pensaba que estaba orinando sangre. Los médicos de urgencias dijeron que no sabían cómo tratar a alguien con hemofilia. Le aconsejaron que fuera directamente a la sala de emergencias. Annette lo llevó rápidamente al hospital donde, nuevamente, les dijeron: “Nunca lo hemos tratado a personas con hemofilia, así que no sabemos qué pasos tomar”.

“Afortunadamente”, continúa, “el hematólogo de Ricardo era muy accesible, y pudimos contactarlo de inmediato. Les dijo a los médicos tratantes qué pruebas realizar y cómo tratarlo, se mantuvo en constante comunicación



con ellos mientras Ricardo estaba hospitalizado. Después de muchos líquidos intravenosos y determinar que no había hemorragias internas, Ricardo fue dado de alta. Le tomó dos o tres días recuperarse”.

“¡Y luego volví a correr!” Ricardo se ríe.

“No completó la siguiente carrera de cincuenta millas en la que competió”, compartió Annette. Desde entonces, dice Annette, recuperando el aliento de reírse de la locura de todo, “Lo he visto terminar una carrera de 100 millas, pero todavía me preocupa verlo correr 135 millas a través del Valle de la Muerte en medio del verano, donde la temperatura está entre 110 y 130 grados”. La risa se detiene. “Sí, es un pensamiento aterrador. Voy a estar allí todo el tiempo. Voy a ser su jefe de equipo. Estaré allí para cuidarlo, pero él tiene que hacer el trabajo”.

Eso significa que mientras Ricardo está corriendo, Annette viajará en un vehículo y estará en los puntos de control donde pueden darle combustible y agua y verificar cómo está y enviarlo en su camino.

Le pregunto a Ricardo si puede entrar al vehículo para refrescarse. Me dice que puede, pero debe volver a correr en el mismo lugar donde se detuvo.

Le pregunté a Ricardo si el diagnóstico de su nieto ha intensificado su pasión por llegar a la comunidad de hemofilia B a través de sus ultramaratones.

“¡Sí!”, dice enfáticamente. “Especialmente con este maratón. Quiero mostrarle a la comunidad de hemofilia que, con el tratamiento adecuado, puede hacer lo que quiera. Puedes correr 100 millas, andar en bicicleta o lo que sea. ¡Por eso quiero hacer esto!

Muchos de sus familiares y amigos no entienden la pasión de Ricardo por correr. Incluso su médico, que es atleta, no entiende cómo o por qué Ricardo está corriendo estos ultramaratones, pero lo autoriza y le da su visto bueno para cada carrera.

“¿Alguna vez te has desanimado y has pensado que podrías dejar de correr?”, le pregunto.

“Sí”, ofrece, sin dudar. “A menudo, he dicho: ‘No quiero correr más’, y al día siguiente, ¡me inscribo en otra carrera!”

“Ha habido carreras que no ha podido comenzar y carreras que no ha podido terminar”, ilustra Annette. Ella explica que a veces ha tenido lesiones en su trabajo, lo que ha resultado en grandes hematomas. “He visto fotos de él donde toda su pierna está hinchada y de color púrpura, y

todavía fue a la carrera, pensando que iba a terminar. ¡No lo hizo, por supuesto!”

“Hago mi mejor esfuerzo”, dice Ricardo encogiéndose de hombros. “Si termino, está bien. Si no lo hago, no lo hago”.

La carrera de Río del Lago que completó el verano pasado fue su tercer intento.

“Pensando en esos momentos en los que casi tirabas la toalla y renunciabas, lo que te hizo cambiar de opinión y apuntarte a la próxima carrera”, le pregunto.

“Cada vez que corro una carrera, me esfuerzo. Puse mucho esfuerzo en mis carreras. Estoy cansado cuando termino las carreras”.

Cuando sientes esa fatiga y tal vez incluso enfermedad al final de una carrera, ¿dónde está la euforia?” Sondeo. “¿Lo sientes al día siguiente?”

“A veces, al día siguiente, me inscribo en otro”, se burla de sí mismo, “y a veces digo: “¡Soy demasiado viejo para esto!”

Pero realmente quiero saber, porque nunca he entendido la alegría de empujar el cuerpo tan fuerte.

Annette ofrece su visión: “Sí, al día siguiente tienes esa sensación de logro extremo. No he hecho una carrera de esa duración, pero en las que he hecho, tienes tantos altibajos, emocional, física y mentalmente, y luego cuando te empujas a terminarla, esto te brinda una sensación de logro.

No es solo lo que tu cuerpo puede lograr, porque entrenaste para eso, sino que estás empujando tu mente a superar el dolor, más allá de tus niveles de comodidad para hacer algo que la mayoría de la gente no intentaría o ni siquiera pensaría hacer, ¡y estás ahí afuera haciéndolo!

Esto es lo que está compartiendo apasionadamente con la comunidad de hemofilia B. “Si recibes el tratamiento adecuado, puedes hacer cualquier cosa. Puedes vivir una vida normal”.

“¿Una vida normal?” Annette grita: “¡Pero no vives una vida normal! ¡Vives una vida extrema!”

“¡Una vida extrema, entonces”, se ríe triunfalmente!

Y al cerrar nuestra conversación, vemos a Ricardo con sus brillantes ojos marrones, brillando ante el propósito satisfactorio que su misión de ultramaratón está logrando.

Artículo patrocinado por Medexus



Life expectancy for those with bleeding disorders has increased with the development of new and improved treatments. The impact of living longer with a bleeding disorder may mean modifications and adjustments to lifestyle. This can impact people at any age. Humans are social creatures—we get support from family and friends, community, work colleagues, and spiritual and social groups. The ultimate goal is maintaining your best quality of life which requires recognizing barriers to being able to do what you want to do.

OBTENER AYUDA PARA VIVIR TU MEJOR VIDA: LLAMA A UN AMIGO, PREGUNTA A LA AUDIENCIA O PONTE EN CONTACTO CON TU HTC

POR SHERRY HERMAN-HILKER, PT, Y ELLEN KACHALSKY, LMSW, ACSW, CCM

Resolver cualquier problema comienza con averiguar cuál es el problema. Una vez que sepa lo que necesita, es mucho más fácil encontrar recursos para ayudarlo.

- Tal vez está luchando con estar socialmente aislado de los demás.
- Tal vez tiene limitaciones físicas
- Tal vez necesite planificar un procedimiento quirúrgico
- Tal vez no tiene conocimiento o acceso a la computadora / dispositivo y siente que está “desconectado”
- Tal vez usted está confundido por el lenguaje médico que se utiliza acerca de su salud
- Todos enfrentamos muchos desafíos a lo largo de nuestras vidas, y no siempre podemos manejarlos solos.

Necesitamos aprender a identificar nuestros límites y luego desafiarnos a nosotros mismos para obtener ayuda para superarlos. Esto puede ser incómodo, pero si eres resistente, puedes adaptarte y nunca es demasiado tarde para aprender algo nuevo. Podría ser algo pequeño, por ejemplo:

- Pedirle a su nieto que lo ayude a conectarse a una cita por video
- Comunicarse con su centro de tratamiento y pedirles que le expliquen su seguro
- Preguntarle a su fisioterapeuta qué hacer si no puede ponerse sus propios calcetines
- Podría ser algo más grande: necesita ayuda porque:
- Ya no se siente seguro en tu propia casa
- No tiene amigos o familiares que puedan ayudarlo después de una cirugía
- No se siente cómodo diciéndole a sus proveedores cuál es su lucha “real”
- No se siente cómodo pidiendo adaptaciones a su empleador
- Es posible que no se sienta cómodo compartiendo lo que está sucediendo en su hogar o en su vida.

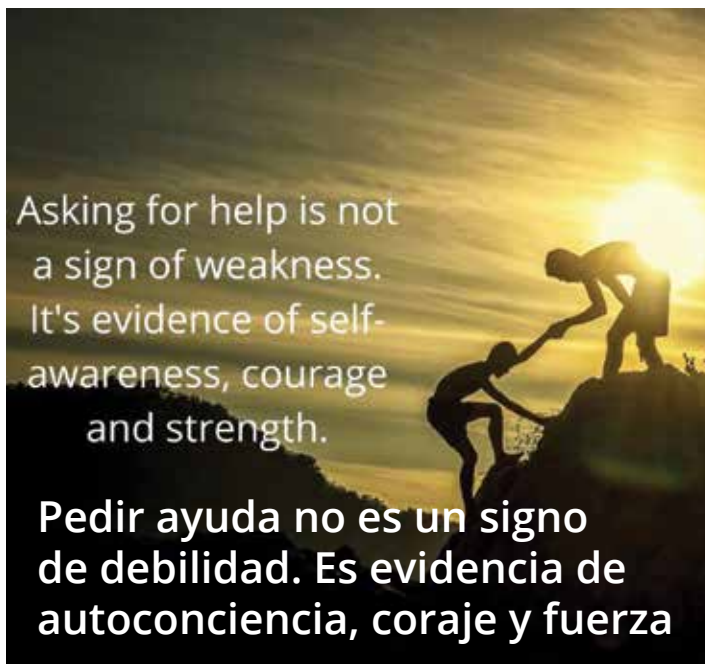
- Es posible que le preocupe el estigma o ser juzgado.

¿Tienes demasiado miedo o vergüenza para pedir ayuda con cualquiera de estas cosas? Vivir tu mejor vida puede requerir que salgas de tu zona de confort y le pidas a alguien que te ayude o abogue por ti si sientes que no puedes hacerlo tú mismo.

Pregúntese: “¿Cuáles son mis barreras para pedir ayuda?” ¿Sabes a quién preguntar? ¿Te sientes cómodo preguntando? Este es el segundo paso más importante para resolver realmente el problema.

Si te sientes incómodo pidiendo ayuda, ¿puedes averiguar por qué? Pregúntate:

- ¿Me siento ansioso?
- ¿Se me ha negado ayuda en el pasado?
- ¿Me siento menos independiente?
- ¿No tengo dinero para pagar la ayuda?



El equipo de su centro de tratamiento tiene experiencia y está feliz de ayudarlo, pero aquellos que han vivido con hemofilia y los desafíos asociados también son excelentes recursos. Si aprovecha la oportunidad para beneficiarse de la experiencia, es probable que pueda hacer algunos cambios positivos.

¿A quién más puedes pedir ayuda? Dependiendo del problema, puede encontrar ayuda en un grupo comunitario como:

- Una iglesia o sinagoga o templo o mezquita
- Organizaciones locales sin fines de lucro
- Su médico de atención primaria
- El equipo de su centro de tratamiento
- Su biblioteca local
- Servicios locales de la ciudad
- La Agencia del Área sobre el Envejecimiento
- Clubes locales u organizaciones sociales (grupos de tejido, clubes sociales, clubes rotarios & de leones, etc.)
- Capítulos locales y fundaciones de organizaciones de trastornos de la coagulación
- Organizaciones nacionales como HFA, NHF, Coalition for Hemophilia B, etc.

Esta no es una lista completa de ninguna manera, pero puede darle una idea de por dónde empezar. Si necesita ayuda para identificar recursos, es posible que su trabajador social de HTC y otros miembros del equipo puedan ayudarlo. ¡No dude en preguntar!

En la siguiente sección, encontrará algunas preguntas que se han hecho sobre los desafíos relacionados con el envejecimiento con un trastorno hemorrágico. La respuesta a cada pregunta está en un formato de resolución de problemas. Estas preguntas son sólo ejemplos con estrategias para trabajar a través del proceso de encontrar soluciones.

CUERPO FÍSICO Y PROBLEMAS DE SALUD

Estoy teniendo dificultades para moverme en el trabajo.

¿Cómo es tu entorno de trabajo? Considera específicamente lo que es difícil para ti. Haz una lista de los problemas que estás teniendo. ¿Se deben al medio ambiente? ¿Se deben a las demandas del trabajo o a su salud / cuerpo físico? Piensa en todos los detalles de lo que estás experimentando. Esto hará que sea más fácil centrarse en posibles soluciones.

Con la lista hecha, pregúntate quién puede ser útil en este caso. ¿Su jefe, supervisor o compañeros de trabajo? ¿Su personal de HTC, trabajador social, enfermera, fisioterapeuta, médico? A quién preguntar puede depender de cuáles sean sus barreras.

Necesito que me saquen un diente. Estoy en constante dolor. Mi dentista dice que no lo hará. ¿Cómo obtengo ayuda?

Llame a su centro de tratamiento. Ellos pueden guiarte a través de este proceso, pero es importante que les des suficiente tiempo antes de cualquier procedimiento. Ofrecerán puntos a considerar. Sus hematólogos, su higienista de HTC, sus enfermeras y su trabajador social tienen una parte en esto.

- ¿Qué recomienda su dentista? ¿cuándo y por qué?
- ¿Por qué su dentista no lo hace? ¿El dentista lo remite a un cirujano oral u otro especialista?
- ¿Necesitará infusiones de factor u otros medicamentos antes y después de un procedimiento?
- ¿Tiene seguro dental? Si es así, ¿qué parte cubre?
- ¿Tiene fondos para cubrir el saldo? ¿Necesita ayuda financiera?
- ¿Cómo está manejando su dolor?

Tengo problemas para concentrarme en el trabajo y es difícil para mí completar mi trabajo. ¿Y ahora qué?

Considera más específicamente lo que quieres decir. ¿Tiene algún otro síntoma? Esto puede o no estar relacionado con su trastorno hemorrágico. Este puede ser un buen momento para comunicarse con su médico de atención primaria para hacer preguntas sobre su situación particular. Un examen médico puede ser necesario para entender lo que está sucediendo. Su hematólogo y HTC también pueden tener un papel en esto. Siempre es bueno comunicarse con el HTC, ya que generalmente te conocen bien.

Piense en las cosas que están sucediendo en su vida y trate de hacer una lista de lo que podría estar afectando su concentración. Considere su entorno de trabajo. ¿Sería útil hablar con su supervisor? Muchas cosas pueden afectar la concentración: física, emocional o situacional. De quién necesita ayuda depende de la razón de su dificultad.

Me siento emocionalmente agotado, enojado y triste. ¿Dónde puedo obtener ayuda?

Puede beneficiarse de ver a un terapeuta conductual, como un trabajador social, psicólogo o psiquiatra que pueda evaluarlo y recomendarle medicamentos u otras técnicas no médicas para ayudar a mejorar su estado de ánimo, sueño y apetito. Este también es un buen momento para alertar a su proveedor de atención primaria que puede echar un vistazo a su salud general y a su personal de HTC que puede ayudarlo a considerar sus emociones en el contexto de su trastorno hemorrágico.

¡NO se sienta cohibido al buscar ayuda para problemas cognitivos y emocionales, al igual que NO debería avergonzarse de buscar ayuda médica! Su salud física puede afectar su salud mental, y su salud mental puede afectar su salud física. Recuerde, su cuerpo y mente están conectados, y estamos aprendiendo más sobre estas conexiones todos los días.

Medexus recibe indicación profiláctica para Ixinity



17/11/22 Ixinity de Medexus Pharma

había perdido su indicación de profilaxis de rutina en niños (\geq de 12 años) después de que la FDA se diera cuenta en 2021 de que la había concedido por error. Se suponía que Rixubis (ahora de Takeda) tenía exclusividad de medicamentos huérfanos para la indicación de profilaxis para niños. Ahora que el período de exclusividad de Rixubis ha expirado, la FDA ha vuelto a aprobar la indicación de profilaxis para Ixinity. [Carta de la FDA a Medexus 17/11/22]

AGENTES REEQUILIBRANTES

Los agentes reequilibrantes modifican el sistema de coagulación para restablecer el equilibrio para que una persona coagule cuando debe y no coagule cuando no debe. El sistema de coagulación es un sistema complejo de factores de coagulación que promueven la coagulación y anticoagulantes que inhiben la coagulación. En una persona sin un trastorno hemorrágico, el sistema está en equilibrio, por lo que produce coágulos según sea necesario. En la hemofilia, con la pérdida de alguna actividad del factor de coagulación, el sistema está desequilibrado; Hay demasiada actividad anticoagulante que impide que la sangre se coagule. Los agentes reequilibrantes reducen o inhiben principalmente la actividad de los anticoagulantes en el sistema. La mayoría de estos agentes trabajan para ayudar a restaurar la coagulación en personas con hemofilia A o B, con o sin inhibidores.

Centessa presenta los resultados de la extensión de la Fase IIa para SerpinPC



10/12/22 Centessa Pharmaceuticals está desarrollando SerpinPC, un inhibidor de la proteína C activada por anticoagulante (APC) para controlar el sangrado en pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. SerpinPC es una inyección subcutánea, una vez cada dos semanas. En ASH, informaron sobre un estudio de extensión en el que los participantes en sus estudios de Fase IIa continuaron con SerpinPC durante 18 meses adicionales. Vieron una reducción en el promedio de la tasa anual de sangrado (ABR) de una línea de base previa al tratamiento de 35,5 a 2,2 después del tratamiento. (El alto ABR previo al tratamiento de 35.5 se debió a que los sujetos fueron tratados a demanda en lugar de profilácticamente antes de ser tratados con SerpinPC). El producto fue bien tolerado sin eventos adversos relacionados con el producto y sin evidencia de problemas trombóticos. Centessa está planeando estudios adicionales de Fase II y un ensayo pivotante de Fase III. [ASH resumen 188]

CHOP informa sobre anticuerpos de antifactor V

12/11/22 Researchers at Children's Hospital of Philadelphia (CHOP) han desarrollado GB5, un anticuerpo monoclonal que reacciona con el factor V, aumentando la producción del factor V activado, que a su vez, trabaja con el factor X activado para promover la coagulación. Creen que activar más factor V, en lugar de inhibir los anticoagulantes, puede ser un método más seguro para restaurar la coagulación con menos riesgo de trombosis. [ASH resumen 397]

Coagulant Therapeutics informa sobre nanocuerpos de anti-APC



11/12/22 Coagulant Therapeutics fue fundada en 2019 por investigadores de Bayer. Están desarrollando un producto recombinante del factor VIIa para la hemorragia aguda. Ese producto no será útil para el tratamiento con inhibidores porque tiene una vida media muy corta, que se considera una característica de seguridad en el tratamiento de hemorragias agudas. Sin embargo, también han comenzado a considerar la inhibición de la proteína C activada (APC) como un posible tratamiento para la hemofilia y otros trastornos.

En ASH, informaron sobre una biblioteca (una colección) de nanocuerpos que se unen a APC. Los nanocuerpos son anticuerpos en miniatura modelados a partir de los pequeños anticuerpos que se encuentran en las llamas y otras especies de camélidos. Los nanocuerpos son básicamente solo la sección de una molécula de anticuerpo que realmente se une a otra proteína. Una de sus ventajas es que pueden unirse a una sección más pequeña de una proteína que no es accesible a una molécula de anticuerpo más grande.

APC tiene tres funciones conocidas. Es un anticoagulante (controla el sangrado), un antiinflamatorio (controla la inflamación) y un citoprotector (protege las células). Resulta que han desarrollado nanocuerpos que pueden inhibir una, dos o las tres de estas funciones. Por lo tanto, podrían inhibir potencialmente el efecto anticoagulante de APC sin interferir con sus otras funciones. No se sabe si la compañía seguirá adelante con esto. [ASH resumen 402]

Novo informa sobre el progreso de Concizumab



10/12/22 Novo Nordisk está desarrollando concizumab, un inhibidor del inhibidor de la vía del factor tisular anticoagulante (TFPI) para controlar el sangrado en pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. Concizumab es una inyección subcutánea que se administra una vez al día. Presentaron cuatro artículos en ASH:

1. En pacientes inhibidores (76 A y 51 B), concizumab fue eficaz para reducir la mediana del ABR a cero, sin eventos tromboembólicos reportados. No se observaron diferencias entre los pacientes con hemofilia A o B. [ASH resumen 191]
2. Analizaron la calidad de vida relacionada con la salud de 133 pacientes varones con inhibidores de concizumab utilizando tanto un cuestionario general como un cuestionario específico para la hemofilia. En el cuestionario general, encontraron mejoras significativas tanto en la salud general como en la salud mental. En el cuestionario de la hemofilia, encontraron mejoras en la mayoría de las categorías, así como una mejora significativa en general. [ASH resumen 1157]
3. Al observar la carga de tratamiento en 133 pacientes con inhibidores, encontraron una mejora altamente significativa para concizumab. [ASH resumen 2466]
4. En 52 pacientes varones con inhibidores, encontraron un aumento significativo en la actividad física de los pacientes tratados con concizumab. [ASH resumen 2486]

9/2/23 En EAHAD, Novo presentó seis artículos sobre concizumab:

1. Informaron datos adicionales de su estudio de fase III, mostrando nuevamente una mediana de ABR de cero para los pacientes con hemofilia A y B con inhibidores. [EAHAD resumen OR06]
2. Analizaron el efecto del concizumab en los resultados de una serie de ensayos utilizados en el tratamiento de la hemofilia. Los ensayos incluyeron el tiempo de protrombina (TP) y el tiempo de tromboplastina parcial activada (TTPa), que se utilizan para observar la coagulación general. También analizaron los ensayos específicos para los factores VIII y IX tanto por tiempo de coagulación como por subestado cromogénico. Encontraron que "Concizumab no tuvo, o solo tuvo un efecto menor en los ensayos estándar de PT y aPTT, y los ensayos de actividad FVIII op FIX". [Resumen PO010 de la EAHAD]
3. Analizaron la carga de tratamiento y la preferencia del paciente en pacientes A y B con inhibidores del estudio de fase III utilizando cuestionarios. Los resultados muestran que el 93% de los pacientes prefirieron la profilaxis con concizumab por tres razones principales: "menos hemorragias" (75% de los pacientes), "requiere menos tiempo" (43%) y "menos doloroso para inyectarse" (33%). [Resumen PO104 de la EAHAD]
4. Otro estudio mostró una mejor calidad de vida relacionada con la salud informada por los pacientes en profilaxis con concizumab en comparación con los tratados a demanda con factor de coagulación. [Resumen PO133 de la EAHAD]
5. El siguiente estudio analizó los resultados a más largo plazo en pacientes con profilaxis con concizumab (profilaxis con concizumab). En 104 pacientes con

inhibidores que habían completado al menos 56 semanas de tratamiento, todavía encontraron una mediana de ABR de cero y ningún nuevo problema de seguridad. [Resumen PO140 de la EAHAD]

6. El artículo final de concizumab en EAHAD fue sobre estilos de vida activos de pacientes con inhibidores en profilaxis. Encontraron que los pacientes pasaban una mayor cantidad de tiempo participando en actividad física moderada o moderada a vigorosa. [Resumen de la EAHAD PO204]

Pfizer inicia un nuevo estudio pediátrico de fase III de marstacimab



Enero de 2023 - Pfizer está desarrollando marstacimab, un inhibidor del inhibidor de la vía del factor tisular anticoagulante (TFPI) para controlar el sangrado en pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. Marstacimab es una inyección subcutánea una vez a la semana. Anunciaron que están comenzando un nuevo estudio de fase III de marstacimab en pacientes pediátricos. [Comunicado de prensa de Pfizer, enero de 2023]

6/1/23 Pfizer anunció que se está retirando de la investigación y desarrollo en etapa temprana para enfermedades raras. Lo que esto significa para la hemofilia aún no está claro, sin embargo, continuarán todos los proyectos que ya están en estudios clínicos, incluyendo marstacimab y la terapia génica para la hemofilia. [Artículo de Barron 6/1/23]

Silence Therapeutics informa sobre el producto antiproteico S



12/12/22 Silence Therapeutics está desarrollando SLN140, un inhibidor de la proteína anticoagulante S, para controlar el sangrado en pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. SLN140 es un ARN interferente silencioso (siRNA) que inhibe el ARN mensajero (ARNm) que las células hepáticas utilizan para producir proteína S, reduciendo así la cantidad de proteína S que se produce. En ASH informaron sobre el efecto del tratamiento en ratones y primates no humanos (NHP).

En NHP, encontraron que una dosis única de SLN140 redujo significativamente la cantidad de proteína S que se produce durante un período de tres semanas. La trombina es la enzima final en la cascada de coagulación, por lo que la cantidad de trombina producida se puede utilizar como un marcador de la cantidad de coagulación que se observaría. En los NHP normales, SLN140 pareció aumentar la cantidad de trombina tres veces. Cuando los NHP recibieron anticuerpos antifactor VIII para reducir sus niveles de factor VIII y darles hemofilia A adquirida, aquellos tratados con SLN140 aún generaban niveles normales de trombina y, por lo tanto, coagulación normal. Este estudio fue en apoyo de futuros estudios clínicos con SLN140. [ASH resumen 693]

Sanofi completa los estudios clínicos de Fitusiran logrando criterios de valoración primarios y secundarios

sanofi

4/4/23 Sanofi está desarrollando fitusiran, un inhibidor del anticoagulante antitrombina, para controlar el sangrado en pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. Fitusiran es una inyección subcutánea una vez al mes. Es un ARN interferente silencioso (siRNA) que inhibe la producción de antitrombina, un anticoagulante.

Sanofi ha publicado dos artículos en las revistas The Lancet y The Lancet Hematology que informan sobre los resultados de sus estudios clínicos de fase III completados con éxito, que cumplieron con sus criterios de valoración primarios y secundarios. Un estudio se realizó en pacientes con hemofilia A o B sin inhibidores y el otro en pacientes A y B con inhibidores. Los criterios de valoración primarios fueron una reducción significativa de la tasa anual de sangrado (ABR). Los criterios de valoración secundarios fueron la seguridad del producto.

En el grupo de inhibidores, el ABR se redujo a un promedio de 1,7 hemorragias por año en comparación con 18,1 hemorragias por año para los sujetos que recibieron agentes de derivación a demanda. Dos tercios de los sujetos tratados con fitusiran tenían ABR de cero. En el grupo sin inhibidores, el ABR promedio fue de 3,1 en comparación con un ABR de 31,0 para el tratamiento a demanda con factor de coagulación. Alrededor de la mitad de los sujetos en fitusiran tenían ABR de cero. Tenga en cuenta que no informaron un ABR para los sujetos en profilaxis con factor de coagulación, que debería ser mucho más bajo que para el tratamiento a demanda, como se ve en otros estudios informados aquí.

El evento adverso más frecuente fue un aumento en los niveles de alanina aminotransferasa (ALT) en el 32% del grupo inhibidor y el 23% del grupo no inhibidor. Los aumentos en ALT indican inflamación del hígado. Dos sujetos tempranos con inhibidores tuvieron complicaciones tromboembólicas (demasiada coagulación) después de lo cual Sanofi redujo la dosis para aumentar ligeramente los niveles de antitrombina del sujeto. No se observaron complicaciones tromboembólicas en el grupo sin inhibidor, y no hubo muertes en ninguno de los grupos.

Los estudios después de que los dos pacientes desarrollaron trombosis han sugerido que un nivel de antitrombina objetivo de 15 a 35% de lo normal debería dar los mejores resultados para mejorar la coagulación y minimizar el riesgo de trombosis. En ese sentido, Sanofi también está estudiando la seguridad y eficacia de la dosificación cada dos meses y dosis más bajas.

Con los estudios completados, Sanofi ahora tiene los datos necesarios para presentar una solicitud de licencia a la FDA para la aprobación del producto, pero no se ha anunciado un cronograma. [Comunicado de prensa de Sanofi 4/4/23; Srivastava A et al., Lancet Hematol, en línea antes de la impresión 29/3/23; Young G et al., Lancet, en

línea antes de la impresión 29/3/23]

11/12/22 Sanofi presentó tres artículos en ASH:

1. En entrevistas semiestructuradas de 24 pacientes de sus estudios de fase III, encontraron una mejora de la salud articular, la disminución de hemorragias, una mejora de la movilidad articular y una reducción general del tratamiento y la carga de la enfermedad. [ASH resumen 3565]
2. En 65 pacientes (50 A, 15 B, 19 inhibidor, 46 no inhibidores) de los estudios de fase III, encontraron mejoras consistentes en la calidad de vida relacionada con la salud en todas las categorías. [ASH resumen 3559]
3. En el mundo actual, generalmente clasificamos las tendencias de sangrado en relación con los niveles de factor VIII o factor IX. Eso no es posible con los agentes de reequilibrio porque no cambian esos niveles. Por lo tanto, es necesario poder correlacionar los niveles de disminución de los anticoagulantes con el riesgo de sangrado. Utilizando tanto la literatura como los datos clínicos, Sanofi pudo demostrar que la reducción de los niveles de antitrombina al 15 - 35% de lo normal es aproximadamente igual al efecto sobre el sangrado del aumento de los niveles de factor VIII al 10 - 20% de lo normal. No observaron los niveles de factor IX, pero sabemos que las tasas de sangrado a niveles similares de factor VIII o factor IX son aproximadamente comparables. [ASH resumen 2472]

9/2/23 En EAHAD, Sanofi informó sobre un análisis de la eficacia y seguridad de fitusiran en adolescentes con hemofilia A o B, con o sin inhibidores de sus tres estudios de fase III. Los estudios incluyeron a 43 adolescentes (de 12 a 17 años) y mostraron disminuciones significativas en ABR sin problemas de seguridad que difirieran de los de los adultos en los estudios. También encontraron mejoras significativas en la calidad de vida relacionada con la salud. [Resumen PO119 de la EAHAD]

La nueva empresa Vega Therapeutics desarrolla un tratamiento antiproteico S



12/12/23 Vega Therapeutics, una reciente ramificación de Star Therapeutics, está desarrollando VGO039, un inhibidor de la proteína anticoagulante S para controlar el sangrado en pacientes con enfermedad de von Willebrand (vWD). Aunque se están enfocando en vWD, VGO039 también puede funcionar para controlar el sangrado en la hemofilia y otros trastornos hemorrágicos, y Vega parece estar dejando esa opción abierta. La proteína S es un cofactor para los anticoagulantes TFPI y la proteína C activada (APC). Un cofactor es una proteína que se une y aumenta la actividad de otra proteína. Por ejemplo, el factor VIII es un cofactor para el factor IX. Sin factor VIII, el factor IX tiene una actividad de coagulación muy baja. Del mismo modo, la inhibición de la proteína S también reduce la actividad anticoagulante de TFPI y APC.

En ASH, Vega presentó datos de laboratorio y en animales

para VGO039, mostrando que tiene el potencial de ser un nuevo agente hemostático (promotor de la coagulación) tanto para vWD como para otros trastornos hemorrágicos. [ASH resumen 691]

TERAPIA GÉNICA

La terapia génica es el proceso de insertar nuevos genes funcionales del factor IX en el cuerpo para permitirle producir su propio factor IX.

El nuevo registro de terapia génica de la FMH tiene como objetivo



llenar el vacío de conocimientos sobre el tratamiento de la hemofilia

La Federación Mundial de Hemofilia (FMH) ha lanzado un registro de terapia génica para monitorear la seguridad y eficacia de las terapias génicas para la hemofilia. El registro se denomina Registro de Terapia Génica de la FMH y tiene como objetivo recopilar datos de personas con hemofilia que se han sometido o planean someterse a terapia génica. Se espera que el registro proporcione información valiosa a los investigadores, médicos y pacientes sobre la seguridad y eficacia a largo plazo de la terapia génica para la hemofilia. Glenn Pierce, vicepresidente médico de la FMH, comenta: "La seguridad del paciente es nuestra responsabilidad. La recopilación de datos en un registro mundial, el GTR de la FMH, es esencial para garantizar que se detecten eventos adversos poco frecuentes en una población pequeña de pacientes en una gran área geográfica". La participación del paciente es voluntaria.

La hemofilia es un trastorno genético poco frecuente que afecta la capacidad de coagulación de la sangre, lo que lleva a sangrado prolongado y otras complicaciones. La terapia génica es un nuevo tratamiento prometedor para la hemofilia que consiste en reemplazar o corregir los genes defectuosos que causan el trastorno. Sin embargo, la terapia génica es todavía relativamente nueva, y su seguridad y eficacia a largo plazo aún no se comprenden completamente.

El Registro de Terapia Génica de la FMH ayudará a abordar esta brecha de conocimiento mediante la recopilación de datos de personas con hemofilia que han recibido terapia génica. El registro rastreará información como el tipo de terapia génica utilizada, los episodios de sangrado del paciente y cualquier evento adverso que ocurra. Esta información se utilizará para monitorear la seguridad y efectividad de la terapia génica y para informar futuras investigaciones y prácticas clínicas. Los HTC, donde se administrarán la mayoría de los tratamientos de terapia génica, invitarán a los pacientes a participar, una vez que hayan tomado la decisión de recibir terapia génica. Los datos del paciente serán ocultos por motivos de privacidad. El registro cuenta con el apoyo de varias organizaciones de hemofilia y fabricantes de productos en todo el mundo.

El registro es un importante paso adelante para la

comunidad de hemofilia y para la investigación de la terapia génica. Proporcionará información valiosa sobre la seguridad y eficacia a largo plazo de la terapia génica para la hemofilia y ayudará a garantizar que los pacientes reciban la mejor atención posible.

Para más información: <https://wfh.org/research-and-data-collection/gene-therapy-registry/>

CSL presenta los resultados del estudio sobre Hemgenix

CSL Behring

9/12/22 Hemgenix de CSL Behring, una terapia génica para el factor IX, fue aprobada por la FDA el 22/11/22. Presentaron los resultados de los estudios clínicos en tres artículos en ASH:

1. En los 54 pacientes tratados en el estudio clínico de fase III, 33 no tenían anticuerpos preexistentes contra el vector AAV5 y 21 tenían anticuerpos preexistentes. CSL analizó si los niveles de anticuerpos preexistentes hicieron una diferencia en el resultado del tratamiento. No encontraron diferencias significativas en los niveles de factor IX, ABR o seguridad para los niveles anti-AAV hasta un título de 1:700. Sólo un sujeto, que tenía un nivel alto de 1:3212, no pudo expresar el factor IX. (Estos niveles de anticuerpos, 1:700 y 1:3212 se denominan títulos. Los ensayos funcionan diluyendo la muestra hasta que no vean más anticuerpos. Por lo tanto, cuanto mayor sea el número después del colon (:), mayor será la cantidad de anticuerpos en la muestra). [ASH resumen 2139]
2. El segundo artículo analizó la durabilidad (capacidad de seguir produciendo FIX) de la expresión del factor IX. No encontraron una disminución significativa en los niveles de factor IX durante 24 meses y todos los pacientes que habían interrumpido la profilaxis pudieron permanecer fuera de la profilaxis. [ASH resumen 2141]
3. El tercer artículo analizó la durabilidad durante tres y cinco años para los pacientes en el estudio de fase IIb de Hemgenix (anteriormente AMT-061) y en el estudio de fase I / II de AMT-060 (un precursor similar de Hemgenix), respectivamente. No encontraron pérdida significativa de actividad del factor IX y un ABR consistentemente bajo. No hubo nuevas preocupaciones de seguridad. [ASH resumen 2142]

CSL presentó seis artículos sobre Hemgenix en EAHAD:

1. El primer artículo analizó los niveles elevados de alanina transaminasa (ALT) en 11 de los 54 sujetos de fase III. La ALT elevada es el resultado de la inflamación del hígado. No pareció haber una diferencia en los datos médicos previos al tratamiento entre los pacientes con ALT elevadas y los que no la presentaban elevada. El tiempo promedio a la primera lectura elevada de ALT fue de 46,5 días, rango de 22 a 120. Nueve sujetos recibieron corticosteroides para controlar la inflamación del hígado. La duración promedio del tratamiento con corticosteroides fue de 79,8 días, rango 51 a 130. El nivel promedio de factor IX para los nueve sujetos fue de 22,2% como máximo, 17,1% inmediatamente antes del inicio del

uso de corticosteroides y 17,9 dos semanas después de suspender los esteroides. Por lo tanto, parece que los tratamientos con esteroides “rescataron” los niveles de factor de los sujetos y evitaron que disminuyeran aún más. [Resumen de la EAHAD PO040]

2. El segundo estudio analizó la durabilidad, una actualización del documento ASH. No encontraron problemas con la durabilidad y ninguna correlación entre la durabilidad y los niveles anti-AAV preexistentes (para niveles inferiores a 1:700). [Resumen de la EAHAD PO155]
3. El tercer artículo fue similar mostrando niveles estables de factor IX durante 24 meses y redujo significativamente los ABR en comparación con la profilaxis. [Resumen PO156 de la EAHAD]
4. El cuarto estudio fue nuevamente una versión actualizada de un documento ASH, que muestra durabilidad a largo plazo en los estudios previos a la fase III después de hasta cinco años. [Resumen PO157 de la EAHAD]
5. El tercer artículo analizó la calidad de vida relacionada con la salud después del tratamiento con Hemgenix en el estudio de fase III. En el primer año, no encontraron cambios, pero en el segundo año comenzaron a ver mejoras pequeñas pero significativas en varias categorías, incluido un mayor optimismo para el futuro. [Resumen de la EAHAD PO165]
6. El último estudio analizó el tratamiento con Hemgenix en comparación con la profilaxis con concentrados de factor IX de vida media prolongada. Este fue un estudio en papel que comparó los resultados del estudio Hemgenix Fase III con los de Alprolix, Idelvion y Rebinyn. Como era de esperar, Hemgenix mostró un ABR significativamente más bajo, así como un menor uso general del factor. [Resumen PO206 de la EAHAD]

21/2/23 Hemgenix recibió una autorización condicional de comercialización por parte de la Comisión Europea. Ahora es la primera terapia génica para la hemofilia B aprobada en Europa. La terapia génica Roctavian de BioMarin para la hemofilia A fue aprobada anteriormente, pero aún no ha sido aprobada en los Estados Unidos. [Medscape, 21/2/23]

23/02/23 Los datos del estudio de fase III se publicaron en el New England Journal of Medicine (DOI:10.1056/NEJMoa2211644). Desafortunadamente, hay un cargo por descargar el artículo.

Pfizer anuncia los resultados de la fase III para la terapia génica para la hemofilia



29/12/22 Pfizer está desarrollando fidanacogene elaparovec, una terapia génica para la hemofilia B que es administrada por un vector del virus adenoasociado (AAV) y utiliza el gen del factor IX de alta actividad de Padua. Los resultados de su estudio de fase III en 45 pacientes se publicaron en un comunicado de prensa. El estudio

alcanzó su objetivo de mostrar superioridad en la tasa anual de sangrado (ABR) en comparación con la profilaxis con concentrado de factor IX. El promedio de ABR previo al tratamiento para todos los tipos de hemorragia fue de 4,43, en comparación con un ABR promedio de 1,3 después de 15 meses de tratamiento. El nivel promedio de factor IX después de 24 meses fue del 25%.

El producto fue generalmente bien tolerado. Se informaron dos eventos adversos graves relacionados con el producto. Uno fue una elevación en las enzimas hepáticas, un marcador de inflamación hepática. La otra fue la hemorragia de una úlcera duodenal que se asoció con el tratamiento con corticosteroides de la inflamación hepática. No hubo muertes, ni desarrollo de inhibidores ni evidencia de trombosis. Las asignaturas continuarán siendo evaluadas a lo largo de 15 años. Pfizer planea discutir los resultados con la FDA y la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) a principios de 2023. Pfizer licenció el producto (entonces conocido como SPK-9001) de Spark Therapeutics en 2014. [Comunicado de prensa de Pfizer, 12/29/22]

6/2/23 La variante de Padua del factor IX es una forma mutada que tiene una actividad aproximadamente 8 – 9 veces mayor que la del factor IX normal. Fue una mutación natural descubierta en una familia en Padua, Italia. Por su mayor actividad, la familia tenía problemas con la trombosis, demasiada coagulación. Sin embargo, la variante Padua, también llamada FIX R338L, está siendo utilizada por todas las terapias génicas actuales del factor IX. uniQure, el desarrollador original de Hemgenix de CSL, logró patentar la variante Padua. Ahora Pfizer está demandando a uniQure para rechazar esa patente. [Artículo de Law360, 6/2/23]

9/2/23 Pfizer presentó tres artículos sobre terapia génica en EAHAD:

1. El primero fue un estudio de las preferencias de tratamiento de terapia génica para personas con hemofilia en el Reino Unido. El estudio correlacionó las respuestas a los cuestionarios de 125 personas con hemofilia (122 hombres, 3 mujeres, 81% A, 19% B). La preocupación más importante fue la seguridad seguida de la carga del tratamiento. Curiosamente, la efectividad del tratamiento fue una de las preocupaciones menos importantes. [Resumen de la EAHAD PO338]
2. Otro estudio analizó la prevalencia de anticuerpos contra vectores AAV en Europa. El producto de Pfizer no se puede usar en pacientes con anticuerpos anti-AAV. Encontraron que hay variación en el número de pacientes con anticuerpos en los cinco países estudiados. También encontraron que los tipos de AAV contra los cuales los sujetos tenían anticuerpos variaban según el país. Por lo tanto, no había un resultado coherente que se aplicara a toda Europa. [Resumen de la EAHAD PO164]
3. También observaron los patrones de hemorragias articulares en pacientes que habían sido tratados con fidanacogen elaparovec. La mayoría de los pacientes

ya tenían articulaciones diana o artropatía antes del estudio. Todas las hemorragias nuevas, excepto una, fueron en las articulaciones diana o aquellas con artropatía preexistente. [Resumen PO163 de la EAHAD]

Takeda informa sobre la seguridad y eficacia a largo plazo de la terapia génica BAX 335



12/12/22 Cuando Shire adquirió Baxter/Baxalta, Shire decidió interrumpir el trabajo en la terapia génica original de Baxter para la hemofilia B, BAX 335. Sin embargo, Shire, ahora parte de Takeda, continuó monitoreando la seguridad y eficacia a largo plazo de BAX 335 en los ocho pacientes que habían sido tratados en los estudios clínicos entre 2013 y 2015. BAX 335 utilizó la versión Padua (también llamada FIX R338L) del gen del factor IX, al igual que Hemgenix de CSL y varias otras terapias génicas en desarrollo. Por lo tanto, ahora tenemos los resultados del estudio de terapia génica más largo en curso utilizando la variante Padua.

En ASH, Takeda presentó los resultados del seguimiento a largo plazo. Aunque tres de los ocho pacientes han abandonado el estudio a largo plazo, uno de los sujetos restantes es el único que mostró producción real de factor IX. Sus niveles de factor IX han oscilado entre el 10% y el 40% de lo normal. Ahora ha vuelto a bajar a alrededor del 10% después de 7.2 años. No ha necesitado infusiones de factor IX desde la tercera semana de tratamiento. Aunque este tratamiento no tuvo éxito, el método fue similar a los de las otras terapias génicas con factor IX, por lo que puede darnos alguna evidencia de seguridad a largo plazo. No se han informado eventos adversos adicionales y no se han observado casos de neoplasia maligna (cáncer) o trombosis (demasiada coagulación). Tampoco hubo evidencia del desarrollo de inhibidores. Sin embargo, los anticuerpos anti-AAV han persistido en niveles que impedirían la redosificación con cualquiera de los otros tratamientos actuales. [ASH resumen 4780]



EL PROGRAMA DE ASISTENCIA AL PACIENTE DE LA COALITION FOR HEMOPHILIA B

El Programa de Asistencia al Paciente de BCares proporciona ayuda financiera limitada a corto plazo a los miembros de nuestra comunidad de hemofilia B que se encuentran con emergencias imprevistas, incluidas las dificultades relacionadas con COVID-19. La caridad y la compasión de nuestros socios de BCares hacen posible este programa de financiamiento crítico. Gracias por su apoyo.

La Coalición para la Hemofilia B es una organización nacional sin fines de lucro que ha servido a la comunidad de la hemofilia B durante 30 años.

APRENDE MÁS hemob.org/bcares
POR FAVOR DONA hemob.org/donate



“UNA DE LAS COSAS MÁS IMPORTANTES QUE PUEDES HACER EN LA TIERRA ES DEJAR QUE LA GENTE SEPA QUE NO ESTÁN SOLOS”.

SHANNON L. ALDER



THE COALITION FOR HEMOPHILIA

Email: contact@hemob.org
llame al: 212-520-8272

LA MAYOR PARADOJA PARA EL CRECIMIENTO Y LA REALIZACIÓN

POR MATTHEW D. BARKDULL, MS, MBA, LMFT, MEDFT

Los años entre 2006 y 2009 pasarán a mi historia como la temporada más intensa y volátil de mi vida. No puedo imaginar nada, ni atreverme a comprender una prueba más ardiente que esos años pesados e intensos.

En 2006, justo un año después de la mayor promoción comercial de mi vida hasta ese momento, mi mundo se puso patas arriba. Si bien los signos de algo malo fueron algo evidentes durante aproximadamente un año, la primera carga nuclear se dejó caer cuando mi hematólogo me contactó. Todavía recuerdo su voz grave en el teléfono. Como resultado directo de mi diagnóstico grave de hemofilia B al nacer, contraí hepatitis C debido a inyecciones de factor contaminado durante mediados y finales de la década de 1980. El médico me informó que la hepatitis ahora había causado cirrosis y cicatrices en mi hígado y se requería un tratamiento invasivo para salvar el órgano. Sin embargo, había un problema. El tratamiento sería potente en el cuerpo y probablemente destruiría el riñón trasplantado que mi padre donó 16 años antes. Luché con el médico, indicando que tenía que haber una alternativa diferente. "Lo siento, Matt. Me temo que no tenemos otras opciones". Su respuesta fue empática, pero esas palabras me picaron como un avispon. Yo era el único proveedor y mi esposa y yo estábamos criando a tres hijas pequeñas, de seis, tres y un año. ¿Cómo lo íbamos a lograr?

Esto resultó ser solo el comienzo de muchas vicisitudes que aún no habían pasado. Podría llenar volúmenes de todo lo que ocurrió, pero para ser breve, no solo mi riñón falló como se predijo, sino que ese riñón resultó estar lleno de cáncer: carcinoma de células renales. El riñón fue extirpado quirúrgicamente y dependía completamente de los tratamientos de diálisis cada dos días en una clínica en el condado vecino. Peor aún, los médicos no estaban seguros de si podían contraer todo el cáncer, por lo que no pude buscar un trasplante de riñón durante tres años. Uno por uno, otros sistemas comenzaron a apagarse. Desarrollé un caso grave de neumonía y experimenté insuficiencia respiratoria en dos ocasiones diferentes, lo que requirió que los médicos indujeran un coma cada vez para poder ventilar y dar tiempo a mis pulmones para sanar. Además de todo lo demás, si puede creerlo, surgieron nuevos síntomas que preocuparon a mi equipo de tratamiento, incluidas convulsiones de gran mal, parálisis, presión arterial peligrosamente alta, anemia y fatiga aplastante. ¿El diagnóstico? Virus del Nilo Occidental, una de las formas más graves que fue directamente a mi cerebro. ¡Algún mosquito infectado y callejero decidió

deleitarse con mi deliciosa sangre! Llegó al punto de que nadie sabía qué síntoma provenía de qué enfermedad.

No comparto estos detalles íntimos para que sientan lástima. Los comparto para resaltar un punto, uno de los mayores principios que creo que existe. Un principio al que he dedicado toda mi vida a investigar y aplicar a cada persona que trato en la práctica clínica. De hecho, este es un principio tan fascinante que lo he llamado la mayor de todas las paradojas. Para explicar adecuadamente este principio, tengo que terminar mi historia.

He tenido la suerte de haber nacido en una familia numerosa con padres que tienen un profundo conocimiento y sabiduría que me asombra incluso ahora. Siempre he esperado poder algún día ser al menos un igual. Al verme luchar tan duro durante la cumbre de mis adversidades, sin mencionar las pruebas correspondientes que mi esposa y mi familia estaban experimentando, papá y mamá vinieron a visitarme. Después de una pequeña charla, papá dio un paso adelante y compartió un pensamiento que nunca me ha abandonado. "Matt, me parece que estás avanzando más rápido en tu carrera profesional en este momento de lo que estarías si pudieras trabajar". Recuerdo haberlo mirado fijamente, considerando lo absurdo de la idea. "¿Cómo podría estar avanzando más rápido en mi carrera? ¡Tengo una discapacidad a largo plazo!" Pensé. "¡Vivo en un cuerpo roto que apenas puede sostener la vida!" Admitió su incertidumbre sobre cómo se uniría todo, pero insistió en que podía esperar este resultado en un futuro próximo. "Es una ley", dijo. "Cuanto mayor sea la presión, la resistencia y las fuerzas opuestas, mayor será la fuerza. Si se aprovecha correctamente, el resultado es más pulido y refinado. ¿Cómo podrías no estar avanzando más rápido en tu carrera?"

Años más tarde, mientras investigaba sobre este tema, me encontré con un poema titulado "Good Timber" de Douglas Malloch que enseñaba este mismo principio.

El árbol que nunca tuvo que luchar por el sol y el cielo y el aire y la luz, Pero se destacó en la llanura abierta Y siempre tuvo su parte de lluvia, Nunca se convirtió en un rey del bosque Pero vivió y murió una cosa de matorrales.

El hombre que nunca tuvo que trabajar duro Para ganar y cultivar su pedazo de tierra,



Que nunca tuvo que ganar su parte De sol y cielo y luz y aire, Nunca se convirtió en un hombre poderoso, Sino que vivió y murió como comenzó.

La buena madera no crece con facilidad: Cuanto más fuerte es el viento, más fuertes son los árboles; Cuanto más lejos está el cielo, mayor es la longitud; Cuanta más tormenta, más fuerza. Por el sol y el frío, por la lluvia y la nieve, En los árboles y los hombres crecen buenas maderas.

Donde más grueso se encuentra el crecimiento del bosque, Encontramos a los patriarcas de ambos. Y tienen consejo con las estrellas Cuyas ramas rotas muestran las cicatrices De muchos vientos y mucha lucha. Esta es la ley común de la vida.

La mayor de todas las paradojas, el más grandioso de todos los principios se encuentra en una idea que muchos filósofos, textos religiosos, científicos e incluso ingenieros han acuñado de manera diferente. Para el propósito de este artículo, simplemente lo llamaré la ley de oposición. Cuanto mayor es la oposición, mayor es el poder sobre el agente sobre el que está actuando. Como una prueba, con el caos, la quema y la intensidad que inflige, el resultado final es un agente que es poderosamente duro e irrompible. La prueba refina y retuerce violentamente la escoria, perfeccionando el agente para su propósito previsto. ¿Cuál es la paradoja? Es simplemente esto: ¡No podemos avanzar sin retroceder! Otra forma en que se puede afirmar este principio es que no podemos esperar progresar (el resultado deseado) sin pagar primero el precio (la oposición). Este principio, tan poderoso como es, siempre permanecerá latente en un estado de inercia a menos que algo o alguien lo aproveche, actúe y lo canalice presentando leyes que lo impulsen a la acción correcta. Permítanme compartir con ustedes cómo mi esposa me sacó de mi propia inercia.

Poco después de que mi padre me enseñara el principio de oposición y predecir un avance en mi carrera, las cosas empeoraron y prácticamente estaba postrado en cama. Mi esposa se convirtió en una especie de enfermera y siempre me traía mi desayuno en la cama. Apenas tomé un bocado debido a sentirme tan mal. También me resultaba difícil bañarme y, a menudo, me relajaba en pijama, levantándome de la cama más tarde en la tarde a menos que necesitara estar en diálisis.

Un día, mi esposa preocupada se sentó en el borde de mi cama y tuvo una conversación directa conmigo que cambió el curso de mi pronóstico. "Matt, no le estás dando una oportunidad a tu cuerpo. No lo estás intentando. Entiendo tu condición, pero no puede esperar sanar si no

pone una onza de músculo en su recuperación. Esto es lo que te voy a pedir que hagas por mí. Te traeré el desayuno todas las mañanas. Quiero que comas cada bocado. Espero que te levantes de la cama al mediodía, te bañes y te pongas ropa limpia todos los días. Finalmente, quiero que bajes las escaleras y te unas al resto de la familia en el sofá. No tienes que hacer nada, pero quiero que estés con nosotros".

Hasta el día de hoy, no estoy seguro de por qué esas palabras severas pero amorosas de mi esposa tuvieron tanto impacto en mí. Mientras hablaba, supe que no podía estar a la defensiva o exponer las razones por las que no podía cumplir con sus peticiones. Al igual que girar una llave y encender un vehículo, me comprometí a darle una oportunidad a mi cuerpo. La tarea era a menudo extraordinariamente difícil. Mientras me acostumbraba a comer, entrar y salir de la ducha era agotador y mucho más vestirme y bajar las escaleras. A menudo cerraba los ojos después, pero seguí haciéndolo y cada vez se ponía un poco más fácil. Lo que mi esposa me había enseñado era cómo aprovechar la oposición que estaba experimentando y, utilizando leyes y principios correctos, canalizarla hacia mi resultado deseado: mejorar mis



circunstancias de salud actuales. Todo esto no podría haber sido posible sin la guía paciente pero persistente de un cónyuge amoroso y por ella se introdujo otro principio que está más allá del alcance de este artículo: el principio de trascendencia, complementario a todo lo que se ha discutido.

Como final de esta historia, tres años después de que comenzara mi adversidad, finalmente recibí

otro trasplante de riñón de una hermana amorosa. Mi hígado se curó, el virus del Nilo Occidental desapareció y el cáncer ya no se detectaba en mi cuerpo. Ocho meses después de comenzar a trabajar nuevamente, me ofrecieron otro puesto en la misma compañía que me promovió a un puesto gerencial con un buen aumento para arrancar.

No es mi intención pintar una imagen simplista con un final de cuento de hadas, aunque fui notablemente bendecido con los resultados que acabo de ilustrar. Nada fue fácil y fue una lucha hasta el final. No digo necesariamente que espere resultados asombrosos. Sin embargo, la evidencia y las leyes que apoyan la ley de oposición con sus agentes activadores no deben tratarse a la ligera. La evidencia de las leyes se encuentra en todas partes, incluso en la naturaleza, la ciencia del ejercicio, la psicología, la biología, la filosofía, la física y una serie de otros campos de la ciencia e incluso la religión. Invito a los lectores a reflexionar sobre la oposición que se está desarrollando en sus vidas, reformulando la lucha como una oportunidad y descubriendo las leyes activadoras que aprovecharán y canalizarán la oposición hacia los resultados deseados. Verdaderamente, uno no puede avanzar sin retroceder, ¡la mayor de todas las paradojas!



LA DOSIS DE DANNY

QUÍTESE LAS GAFAS DE COLOR ROSA Y CREE SU PLAN DE TRATAMIENTO

ENTREVISTA CON DARLENE SHELTON POR RENAE BAKER

“¿Sabes que es aterrador para una familia pensar que un paramédico no podría administrar el medicamento que necesita en una emergencia?” Eso es lo que Darlene Shelton le preguntó a su EMS local después de una llamada reveladora al 911 para su nieto, Danny, que tiene hemofilia B grave.

El EMS no tenía el factor necesario y no se le habría permitido administrar el producto que la familia podría haber tenido a mano. Lo dijo tan suavemente como pudo: “Es aterrador que ustedes no tengan más de la educación que necesitan para ayudarnos”. Darlene y su familia querían ser parte de la solución, por lo que preguntaron: “¿Cómo podemos ayudarte a hacer tu trabajo para que nosotros, como familias de pacientes, y ustedes como paramédicos, estemos protegidos y tengamos tranquilidad?”

Poco sabía Darlene, en la década de 1990, cuando se certificó como contadora, que algún día se convertiría en la fundadora de Danny's Dose, una organización sin fines de lucro 501 (c) (3), que representa a más de 28 millones de personas, que educan tanto al personal médico como a las familias con enfermedades raras. Sin embargo, ¡esa se convirtió en la respuesta a la pregunta que hizo de ese día uno aterrador! “Dios puso en mi corazón que había vidas que salvar”, dice Darlene mientras reflexiona sobre cómo esto se ha convertido en su trabajo misionero.

“Cuando comenzamos Danny's Dose, teníamos tres objetivos principales:

1. Crear conciencia
2. Abordar la falta de atención adecuada debido a protocolos obsoletos, que prohíben a los paramédicos administrar medicamentos transportados por el paciente y / o desviarse de los protocolos permanentes cuando se trata de atención especializada. Esto potencialmente pone a los pacientes con afecciones raras y crónicas en peligro de dolor y sufrimiento extensos, mayor tiempo de recuperación, daño a los órganos, daño cerebral e incluso la muerte.
3. Reducir el miedo a lo desconocido tanto para los pacientes como para el personal médico

Ese fatídico día, cuando Danny tenía solo cuatro años, Darlene se dio cuenta de que ella, su familia y muchas otras personas con enfermedades raras y crónicas habían estado “dando vueltas con gafas de color rosa” creyendo que podían llamar al 911 en caso de emergencia

y administrar el medicamento adecuado. Eso fue inaceptable para ella, y estaba decidida a hacer algo al respecto.

“Al principio”, comienza, “sabía que había una multitud de información que no conocía, porque no somos médicos. Por lo tanto, hice un plan para hacerme amigo de tantos especialistas en emergencias médicas y emergencias como fuera posible”.

“Les dije: ‘Díganme todo lo que necesito enseñar a las familias desde su perspectiva’”. Tres horas más tarde, Darlene tenía un cuaderno legal lleno de notas que convirtió en un recurso en constante expansión para ayudar a las familias con enfermedades raras a proteger a sus seres queridos. Ahora, Darlene no solo tiene muchos amigos en el mundo de EMS, sino que también forma parte de la junta directiva de Missouri EMS for Children, es una voz de enlace nacional para los pacientes con enfermedades raras y crónicas para EMS for Children y se le ha pedido que sirva en el comité de la Red Pediátrica de Preparación para Pandemias y Desastres. Shelton se enorgullece de haber construido una relación muy sólida con HRSA en todo el país y ha estado exhibiendo en conferencias estatales y nacionales de EMS, incluida la conferencia mundial de EMS. El trabajo que Darlene ha hecho a través de Danny's Dose, ha impulsado una legislación que está haciendo posible educar al personal médico y equipar a los EMS para poder salvar las vidas de personas con enfermedades raras en varios estados. Sin embargo, el trabajo está lejos de haber terminado.

Darlene también quiere destacar EMS For Children. “Su función es asegurar que el cuidado de los niños se evalúe regularmente y ayudar con cualquier cambio necesario en la educación y el alcance comunitario. Estado a estado, la calidad de estos tableros varía”, dice Darlene, diplomáticamente. “Pero unas pocas llamadas telefónicas de las familias pueden ayudar a cambiar eso”.

La queja número uno que escucha de EMS es que no conocen a las familias locales y, por lo tanto, no pueden estar preparados para ellas, Darlene siente que

la información más importante que puede dar a las familias afectadas con enfermedades raras es: “Es su responsabilidad reunirse con su EMS y ER local para crear un plan de tratamiento”. Debido a las leyes de HIPAA, ellos no pueden comunicarse con usted.

Un plan de tratamiento es un plan de acción para el tratamiento el día en que ocurre un evento. Sin embargo, la ejecución de los detalles es clave. Cuando la familia va a su EMS o sala de emergencias local con el propósito de establecer un plan de tratamiento, pueden esperar sentarse con sus profesionales de la salud y cubrir tantos escenarios como se les ocurra y cómo los manejarán antes de que haya un gran accidente o lesión.

“Tienes que asegurarte de que se cuide con anticipación y de que tengas un buen plan”. Darlene sabe que muchas familias no son conscientes de que necesitan hacer esto o están demasiado intimidadas para iniciar el proceso, por lo que les enseña qué hacer y decir. Ella ha creado un esquema fácil de usar que incluye qué esperar, qué información debe llevar a la reunión y qué constituye un buen plan de tratamiento. Una versión temprana de esto está en el sitio web, www.dannysdose.com, bajo “Consejos y productos para proteger a su ser querido”. Proporciona estos cinco consejos con viñetas detalladas:

1. Obtenga ÓRDENES MÉDICAS DE EMERGENCIA de su especialista.
2. Para medicamentos: Cree un KIT DE MEDICINA DE EMERGENCIA.
3. Póngase en contacto con su servicio de ambulancia local.
4. Comuníquese con su hospital local si no vive cerca de su centro de tratamiento.
5. Siempre tenga alertas médicas personales y automáticas.

En esta página, también puede encontrar los productos de seguridad de dosis de Danny: cubiertas de reposacabezas de emergencia (que incluyen un bolsillo para los artículos enumerados en el esquema, así como “una tarjeta de información médica y de emergencia”) y calcomanías de alerta para los automóviles.

Darlene explica cómo iniciar el proceso. “Les digo a las familias que busquen en Google ‘EMS / ER cerca de mí’. Llama y di: ‘Somos la familia (nombre). Queríamos hacerle saber que vivimos en su área de servicio, y nos gustaría hacer una cita para ir y trabajar en un plan de tratamiento’. Es literalmente así de simple”.

Cuando se le preguntó si el plan de tratamiento podría crearse por teléfono o en línea, Darlene dice: “Les digo a las familias que deben ir. Va a necesitar toda la información de su médico y tanta información de diagnóstico como tenga”. No te preocupes porque no estás educado en medicina. ¡Las familias saben mucho sobre estas condiciones!” Ella nos recuerda. “Y tienen experiencia práctica en la vida real”.

Como ejemplo, “A veces los médicos dicen: ‘Tal vez sea una hemorragia ... tal vez no lo sea’, pero a las familias se les ha enseñado que, para un golpe en la cabeza, el estómago o el área del riñón, usted administra el tratamiento. Punto. Eso es lo que necesita decirle al EMS. Cuando el miembro de la familia dice: ‘Esto es lo que nos han enseñado que son los protocolos de tratamiento estándar’, hace que el personal de EMS / ER se sienta mejor.

“Conocer al personal en persona”, continúa Darlene, “también les da la oportunidad de tener una idea de ‘quién es el tranquilo’. Ya sabes: ‘¿Tenemos una familia que es realmente tímida?’” Desafortunadamente, a veces, la forma en que una persona es diagnosticada con un trastorno hemorrágico se debe a una hemorragia cerebral que causó daño cerebral. Permitir que los equipos médicos se reúnan con su familia en un entorno controlado les permitirá saber si hay algún problema cognitivo antes de una emergencia.

“Necesitan saber si hay problemas cognitivos preexistentes que acompañan al trastorno”, enfatiza Darlene. “Un plan de tratamiento realmente bueno incluirá un viaje a su casa para que puedan ver, cuando traigan la camilla, la mejor puerta para entrar. ¿Dónde se guarda el factor? ¿Qué pasa si tienes una niñera ese día y no pensaste en decírselo? Si el EMS ya tiene eso en sus notas, sabrán a dónde ir”.

También estarán interesados en saber cuál es su horario de cuidado de niños. ¿Quién es el nivel secundario de contacto? “¿Qué pasa si fue un accidente automovilístico importante y mamá o papá no pueden dar ninguna autoridad? Pueden tener el número de teléfono de la abuela o el abuelo en el plan de tratamiento, y pueden hacer esa llamada.

“Cuando leas el esquema, verás”, bromea Darlene, “que un plan de tratamiento realmente bueno incluye todo el camino hasta el punto en que un helicóptero aterrizaría en casa, en la escuela o incluso en el campo de fútbol.

Usted puede aprender, como aprendió Darlene, que su hospital local le pueden decir que no saben cómo tratar la hemofilia y que prefieren que no vaya donde ellos. “No estoy enojada. Me alegro de que me lo dijeran”. Darlene dice. No quieres estar en medio de una emergencia importante y perder tiempo aprendiendo eso y tener que ser trasladado por aire a un hospital diferente”.

Hay tanta información que salva vidas que Darlene tiene para ti, que no hay espacio en este artículo para incluirla. Ella lo invita no solo a ir al sitio web, sino también a llamar a su número personal si tiene alguna pregunta.

¿Qué puedes hacer para ayudar a Darlene a seguir ayudándote? Comuníquese con ella y dígame en qué estado vive y si ha tenido buenas y / o malas experiencias de emergencia con su EMS y sala de emergencias locales.

¡Gracias, Darlene, por ayudarnos a quitarnos nuestras gafas de color rosa y tomar nuestra salud en nuestras manos!

La risa es importante

UNA ENTREVISTA CON KATHY PERKINS POR RENAE BAKER



Kathy y su familia son parte de una larga sucesión de personas con trastornos hemorrágicos. ¡El "humor de supervivencia" parece haberse convertido en parte de su ADN!

Su bisabuela tuvo seis hijos con hemofilia. Ella recuerda a un tío abuelo que vivió hasta los 60 años cuando eso era muy raro para alguien con hemofilia. "Mi tía abuela tenía 13 hijos, incluidos gemelos; uno que la tenía y uno que no". La abuela de Kathy era portadora, y tenía dos hijas que eran portadoras, incluida la madre de Kathy. "Mi madre solo me tenía, así que no tenía idea, aunque tenía sangrado severo cada período menstrual".

Sabiendo que la hemofilia corría en su familia, era importante para ella decirle a Dennis antes de casarse. "Él respondió: '¡Los genes Perkins son tan fuertes que dominarán cualquier cosa!'". Ella se ríe, por supuesto. Kathy, Dennis y sus hijos, Matt y Joe, hicieron un hogar en Michigan donde Kathy y Dennis todavía pasan la mitad del año. La otra mitad de su año la pasan en Florida.

Mis hijos, Matt y Joe son gemelos irlandeses. Ambos tienen hemofilia B grave. Cuando se enteraron de que Matt tenía el diagnóstico, Kathy ya estaba embarazada de Joe. Al llegar a casa del hospital con un recién nacido y un niño de un año, no dejó a Kathy en ningún momento para pensar si su hemorragia significaba que era más que una portadora. "Nunca se me pasó por la cabeza", admite Kathy. "Cuando los niños tenían nueve y diez años y estábamos haciendo atención domiciliaria, me hice la prueba. Estaba en el 30-40%, y los médicos dijeron que no debería tener ningún problema de sangrado".

Kathy quería ser enfermera, pero tomó la decisión de quedarse en casa con los niños, mientras tomaba trabajos de

limpieza y dirigía su propia tienda de reventa, llamada Patina.

"Infundir en casa fue algo difícil de hacer para mí", admite Kathy, "Pero, fuimos entrenados en un brazo ficticio, ¡y luego practicamos el uno con el otro!"

Durante este tiempo, Dennis fue mecánico y representante de servicio internacional para Getlin Mining Equipment. "Cuando no podía iniciar las vías intravenosas de los niños", recuerda Kathy, "los niños decían: 'Mamá, llévame con papá. ¡Él lo comenzará!'". Dennis continúa: "Yo era el ingeniero del sistema de calderas en la planta. No podía salir de la propiedad, y ellos no podían entrar a la fábrica, así que", dice Kathy, "tenían que hacerlo en el muelle de carga. Él siempre lo empezaba, y luego yo lo terminaba". Kathy finalmente aprendió a cómo iniciar una vía intravenosa, lo que le permitió convertirse en asistente de enfermería y flebotomista.

Durante esos años, los niños tuvieron que lidiar con maestros que no creían que realmente tenían hemofilia y los obligaban a hacer cosas en clase que eran peligrosas para ellos. Hubo una violación de la confidencialidad cuando una trabajadora del hospital, la esposa del profesor de gimnasia, examinó uno de los registros de los niños para "asegurarse de que no estaban mintiendo" sobre tener hemofilia. Una vez que se confirmó, la escuela no los dejó ir a excursiones, y tuvieron que tomar un autobús especial a la escuela. Uno de los muchachos había pasado tres semanas hospitalizado, y la administración de la escuela les dijo a Kathy y Dennis que no podría graduarse. Dennis recuerda: "¡Les dije que, para alguien con hemofilia, faltar tres semanas no es nada!" Debido a la defensa de Dennis, su hijo se graduó. Uno de los niños contrajo hepatitis B y tuvo que ser educado en casa durante tres meses.

"Los niños siempre estaban acostados en el sofá con el brazo o la pierna sobre la espalda, envueltos y elevados", recuerda Dennis, "En aquel entonces, cada día era una situación de vida o muerte". Kathy continúa: "De unos tres a diez años, estaban en el hospital todas las semanas".

Pero también hubo momentos muy buenos. Compraron un velero e hicieron aventuras navegando por los Grandes Lagos. Tenían un presupuesto reducido, pero encontraron muchas maneras de divertirse. Cuando los niños crecieron, entraron en negocios con Dennis reparando



vehículos mineros.

Toda la familia está muy involucrada en la Coalition for Hemophilia B, incluida su nieta, Emily. "¡La Coalition ha sido maravillosa!" Kathy y Dennis dicen. Están impresionados con la información que publica la Coalition y las formas en que están trabajando con las mujeres. "¡Han sido increíbles! ¡Están haciendo tanto! ¡Parecen saber lo que se necesita, y lo hacen!"

A pesar de que ella y Dennis tienen más de 70 años y se encuentran en una etapa diferente de la vida, están muy impresionados con los retiros de la Coalition para parejas. "Esto es especialmente bueno para las familias jóvenes, porque [la hemofilia] es difícil para el matrimonio. Tu matrimonio queda en un segundo plano". Kathy señala: "Estás tan involucrada con tus hijos, que ni siquiera piensas en ello. Por lo tanto, es bueno que la Coalition se esté enfocando en el esposo y la esposa porque realmente lo necesitan".

Otra cosa que no es un asunto de risa para Kathy es lo que ella ve como actitudes despectivas de los médicos hacia las mujeres. Cuando tenía más de 50 años, andaba en bicicleta cuando sintió un "estallido" en la ingle. "No sabía que era una hemorragia", recuerda Kathy de su lesión muscular iliopsoas. "Realmente dolió. Lo dejé pasar durante aproximadamente una semana, pensando que mejoraría. Cuando fui al hospital, estaba muy mal, y el médico me preguntó: '¿Cómo sabes que es una hemorragia? ¡No veo sangre!' ¡Esto fue en el HTC!"

"Hicieron todo lo posible para demostrar que no era una hemorragia", recuerda Dennis, protectoramente. Afortunadamente, había un buen hematólogo disponible que afirmó: "Deje de hacer pruebas y solo trate". "En ese momento, los médicos dijeron: 'Sí, creemos que necesitas



tener factor a mano", se ríe Kathy.

"Pero el médico todavía quería esperar hasta que tuviera una hemorragia severa para tratar, y le dije: 'Ahora espera un minuto. Si sé que un sangrado está comenzando, entonces quiero tratarlo antes de que empeore. Como cualquier hombre". Ella pudo lograr que el médico finalmente estuviera de acuerdo con ella. Kathy cree que, si ella no hubiera tenido un buen hematólogo, desde el principio, que reconociera las hemorragias y le diera su factor, su médico actual no se lo habría dado. Descubrió que necesitaba tomar fotografías de sus hemorragias y dárselas al médico. Con estos, incluyó artículos, folletos e información para ayudar a educar al médico y abogar por sí misma.

A los 75 años, Kathy solo infunde cuando es necesario: "Pero estoy pensando que voy a preguntar sobre la profilaxis, porque incluso mis amigos dicen que si me tratara, entonces podría caminar con ellos". Kathy explica que le gustaría ser más activa, pero si camina una milla más o menos, experimenta hemorragias en las rodillas. También le gustaría volver al golf, que le causa hemorragias en los pulgares.

Un mensaje que Kathy quiere dar a los demás: "Conozca su nivel de factor e incluso si se muestra alto, pero tiene moretones severos, un ciclo menstrual abundante o siente que ocurre una hemorragia, ¡actúe! ¡Prevenga el daño articular!"

Me siento tan frustrada con las mujeres que tienen hijos con hemofilia que claramente sangran y todavía se llaman a sí mismas "solo portadoras" o "portadoras sintomáticas". Es importante saberlo, incluso si crees que estás "a salvo". ¿Qué pasa si tiene una lesión grave o requiere cirugía? Podrías sangrar, y los médicos no te van a dar lo que necesitas para detenerlo". Kathy odia pensar que sus amigos no viven sus mejores vidas debido al dolor innecesario.

Kathy está orgullosa de sus dos hijos (ahora hombres adultos) que han crecido para ser hombres realmente buenos. Aprendieron a tolerar el dolor, lo que les ayuda a tolerar muchas otras cosas. ¡Son pacientes, amables y positivos! El vaso siempre está medio lleno. Siempre serán "mis muchachos".





NOTICIAS DE ASISTENCIA LEGAL

POR GLENN MONES

NUEVO GRUPO DE PLASMA EN LA CÁMARA DE REPRESENTANTES



En el 118º Congreso se ha establecido un nuevo grupo de usuarios de plasma. Está compuesto por legisladores que han identificado el suministro de plasma estadounidense como un tema importante para los estadounidenses.

Aunque el número de estadounidenses con hemofilia B que usan terapias derivadas del plasma es muy pequeño, todavía hay algunos pacientes que las usan. Además, hay muchos estadounidenses con una variedad de otras

afecciones que necesitan estos tratamientos. Esto representa un reconocimiento significativo de la importancia del plasma para el pueblo estadounidense. Actualmente, el caucus está compuesto por un pequeño número de legisladores, pero se espera que otros sean reclutados con el tiempo. La Coalition for Hemophilia B trabaja en estrecha colaboración con una variedad de otras organizaciones de pacientes para garantizar que el plasma reciba la atención adecuada.

DÍAS DE WASHINGTON

Bill Patsakos, Bradley Schoenfeld y otros miembros de la comunidad visitaron a los líderes electos y al personal durante los Días de Washington de la NHF. El evento tuvo lugar en persona del 8 al 10 de marzo. Un enfoque central de la agenda fue pedir el apoyo del Congreso para la Ley de Copagos HELP (H.R. 5801).

La legislación está diseñada para evitar que las compañías de seguros utilicen ajustadores de copagos que evitan que los pacientes cuenten la asistencia externa contra sus pagos de seguro. El esfuerzo se está llevando a cabo a través de un grupo diverso de organizaciones reunidos en All Copays Count Coalition.

Puede obtener más información sobre esta campaña aquí: allcopayscount.org/take-action/ y sobre una variedad de esfuerzos de defensa en el sitio web de CHB en hemob.org.



LET'S PLAY IX: BECA DE GOLF

EDADES 7-19

FECHA LÍMITE: 15 DE OCTUBRE DE 2023

¡SOLICITE USAR FONDOS PARA CLASES DE GOLF EN SU CIUDAD NATAL Y EQUIPO DE GOLF!

[HEMOB.ORG/SCHOLARSHIPS](https://hemob.org/scholarships)



APPLICATION AVAILABLE ON HEMOB.ORG

Applicants must be a student with Hemophilia B or a sibling going to college, vocational school, or grad school. Additionally, they must have a need for funds and have applied to or been accepted to an accredited college, university, or vocational school.



**DEADLINE TO APPLY
WILLIAM N. DROHAN SCHOLARSHIP
JUNE 30, 2023**

THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

BECA DE MÚSICA
NAT LATHROP

HEMOB.ORG/SCHOLARSHIPS
6 DE MAYO - 6 DE JULIO



Proporciona instrumentos
musicales y lecciones a niños y
adolescentes

Asociación con propósito

FINANCIADO POR DONANTES COMUNITARIOS Y FAMILIARES

EL DINERO RECAUDADO ES IGUALADO POR LA COALICIÓN
PARA LA HEMOFILIA
B

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA 

¡2023 REUNIONES EN EL CAMINO!
DIVERSIÓN - ATRACTIVAS - INTERACTIVAS - NUEVOS ORADORES



FECHAS Y LUGARES

- JUNIO 24: SALT LAKE CITY, UT
- SEPT 16: AUSTIN, TX
- SEPT 23: CLEVELAND, OH & CONCORD, CA
- SEPT 30: INDIANAPOLIS, IN
- OCT 7: PHILADELPHIA, PA & ALBUQUERQUE, NM
- OCT 14: NEW ORLEANS, LA
- OCT 21: BOSTON, MA
- NOV 4: PHOENIX, AZ; MIAMI, FL; & MILWAUKEE, WI

¿Preguntas? Envíe un correo electrónico a Erica
a contact@hemob.org O llame al
212-520-8272



LAS REUNIONES SON GRATUITAS, ¡PERO DEBES REGISTRARTE AHORA!
HEMOB.ORG/UPCOMING-EVENTS/

GAS Y PEAJES REEMBOLSADOS | CUIDADO DE NIÑOS | VIAJE PARA
NIÑOS/ADOLESCENTES | SOLICITE UNA NOCHE DE HOTEL SI TIENE MÁS DE 3 HORAS EN COCHE

HERMANDAD TRANSFORMADORA: REFLEXIONES DEL RETIRO VIRTUAL PARA MUJERES 2022

POR ERICA GARBER

El Retiro Virtual de Mujeres 2022 fue un fin de semana conmovedor e inolvidable lleno de alegría, hermandad y crecimiento personal. Celebrado completamente en línea del 2 al 4 de diciembre de 2022, este retiro fue una reunión inspiradora de mujeres que se reunieron para aprender, compartir y conectarse. Al igual que muchos de nuestros retiros, este no fue solo un evento, sino una experiencia transformadora para todas las que participaron. Fue una oportunidad para que las mujeres se conectaran, fueran vistas y escuchadas, y se sintieran apoyadas por una comunidad que entiende sus luchas.

Desde las poderosas e inspiradoras sesiones dirigidas por reconocidos oradores y expertos hasta las conversaciones íntimas compartidas con chocolate y pijamas, el retiro fue un refugio seguro donde las mujeres podían bajar la guardia y ser verdaderamente ellas mismas. Para muchos, fue una oportunidad para sanar, encontrar esperanza y renovar sus espíritus.

El retiro comenzó el viernes 2 de diciembre, con la cálida bienvenida de nuestra querida, Kim Phelan. Celebramos algunos cumpleaños, nuestros miembros más nuevos se pusieron sus tiaras, y todos volamos globos en el aire al unísono, estableciendo el tono para las actividades divertidas y creativas que nos esperaban. También fuimos recibidos por nuestro patrocinador Sanofi, y tuvimos la oportunidad de agradecerles a todos por acompañarnos y hacer posible estos eventos.

Cazandra Campos-MacDonald inició el retiro con su conmovedora sesión sobre "La trampa de la comparación:

libérese de las mentiras que nos decimos a nosotros mismos". Campos-MacDonald compartió herramientas y estrategias para liberarse del ciclo de comparaciones y encontrar una verdadera autoaceptación. Su mensaje fue poderoso y edificante, preparando el escenario para un fin de semana de

empoderamiento y transformación. Más tarde esa noche, Renk Kocturk dirigió una sesión de establecimiento de intenciones que alentó a los participantes a establecer intenciones claras para su crecimiento personal y autocuidado. Los participantes estiraron sus cuerpos y mentes, preparándose para un fin de semana de profunda exploración y crecimiento. La noche continuó con una inspiradora sesión de rap dirigida por Jacquie "Lady J" Maddix, una cuidadora y miembro querido de la comunidad. Lady J compartió su sabiduría y amor, creando un espacio seguro para que las participantes se abrieran y se conecten entre sí.

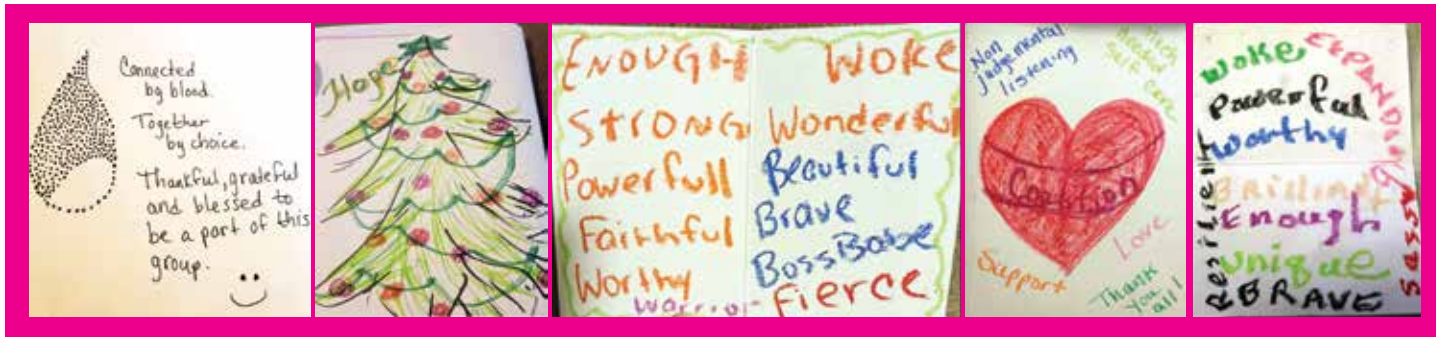
El sábado por la mañana comenzó con una práctica rejuvenecedora dirigida por Renk Kocturk, seguida de una sesión sobre como "Equilibrar el agobio e implementar el autocuidado" dirigida por Tracye Hamler, una líder prometedora en el mundo de los retiros para mujeres. Su sesión proporcionó a las participantes herramientas y estrategias para organizar sus vidas y tomar el control de su salud y bienestar.

Después de una deliciosa fiesta de té con Erica Garber, las participantes se dividieron en dos sesiones que exploraron los aspectos médicos y educativos de los trastornos hemorrágicos. Dirigidas por Rachel Kroouze y Ashley Smith, estas sesiones fueron informativas e interactivas, proporcionando a las participantes información detallada y estrategias prácticas.

El día continuó con una sesión de terapia de artes creativas dirigida por Shanay Johnson, quien mostró a los participantes cómo usar el arte y la música como una herramienta poderosa para hacer frente a las enfermedades crónicas. Donnie Akers luego dirigió una sesión informativa sobre finanzas y gestión de deudas, ayudando a las participantes a navegar por dificultades financieras comunes y planificar un futuro más seguro. La noche terminó con una sesión de empoderamiento dirigida por el poeta nominado al Grammy y artista de la palabra hablada Gha'il Rhodes Benjamin, seguido de una fiesta de pijamas llena de diversión y bingo de carteras. El ambiente fue eléctrico, con los participantes riendo y conectándose hasta altas horas de la noche.

En general, el Retiro Virtual de Mujeres 2022 fue una experiencia inolvidable que reunió a una comunidad de mujeres que compartieron su amor, fortaleza y resiliencia. Fue un fin de semana de alegría, vinculación y aprendizaje, y una oportunidad para que cada participante estableciera sus intenciones para una vida más satisfactoria y





significativa.

El impacto del retiro va más allá del fin de semana en sí. Las conexiones hechas y las lecciones aprendidas continúan extendiéndose a las vidas de los participantes y a la comunidad en general. Las mujeres que asistieron al retiro han informado sentirse más empoderadas, más informadas y más resistentes en su vida diaria. Han formado nuevas amistades y redes de apoyo y han adquirido las herramientas y estrategias para manejar mejor sus trastornos de la coagulación y su salud y bienestar general.

¡El Retiro Virtual de Mujeres 2022 fue un brillante ejemplo del poder de la comunidad y la resistencia del espíritu humano! Como familia de la hemofilia B, todos extendemos nuestro profundo agradecimiento y gratitud infinita a nuestro patrocinador Sanofi por continuar apoyando a las mujeres, priorizando las relaciones, el empoderamiento y la comunidad.

COMENTARIOS:

“El retiro de las mujeres fue poderoso y conector. ¡Conocí a mujeres increíbles y obtuve información muy útil y valiosa!”

“El retiro fue maravilloso. Bien planificado y ejecutado. ¡¡Realmente disfruté!!”

“Este retiro de mujeres fue increíble. Las sesiones fueron increíbles, y los oradores fueron increíbles. Todos. Soy un nuevo miembro de la Coalición para la Hemofilia B. Poder relacionarme con este grupo de mujeres hermosas es realmente una experiencia increíble para mí. Podía sentir el amor y la compasión que todas sentíamos la una por la otra. Aprendí mucho sobre mí misma y que no estoy sola en este viaje. Estoy muy agradecida por esta oportunidad y por muchas más por venir”.

“Fue uno de los mejores retiros virtuales para mujeres. No puedo esperar a ver más sesiones de este tipo en el futuro”.

“El Retiro Virtual para Mujeres 2022 fue una manera fantástica de relajarse, aprender cosas nuevas, reír y llorar, y conectarse con otras mujeres que experimentan o apoyan a un familiar con hemofilia B. Las historias y experiencias compartidas por las mujeres fueron crudas, tiernas y me hicieron llorar. Fue genial aprender técnicas



de relajación, ha pasado mucho tiempo desde que disfruté actividades únicas para niños que trajeron alegría y risas a mi vida. ¡Gracias por la experiencia y espero con ansias el próximo retiro virtual para mujeres!”

“El retiro de las mujeres fue muy agradable. Es refrescante y alentador estar con otros que están pasando por las mismas cosas que yo. El retiro también fue un momento íntimo para conocer a los recién diagnosticados, para estar allí para apoyar y responder preguntas de manera informal. Gracias CHB por reunirnos”.

“Fue un fin de semana maravilloso. Estoy convencida de que la comunidad de la Coalition for Hemophilia B es el lugar adecuado para mi hijo y nuestra familia. Me hace entender que no estoy sola y que tenemos un equipo de apoyo maravilloso”.

“Estoy muy agradecida con la Coalition por tener este evento para las mujeres de nuestra comunidad. Es increíble sentir el apoyo de otras mujeres que están pasando por algunas de las mismas situaciones por las que uno está pasando. Poder relajarte y cuidar de TI primero es un cambio bienvenido. ¡Gracias!”

“El retiro para mujeres me ayudó a sentirme mucho menos sola en el mundo de la hemofilia. Veo a tanta gente luchando. ¡No estoy sola y eso me da energía para ser mi mejor yo!”

“Es una gran experiencia para la hermandad de sangre y la educación. Es buena para expresar preocupaciones y confianza y saber que todos estamos en el mismo barco”.



¡DIVERSIÓN CON EL PAN DE JENGIBRE!

POR ROCKY WILLIAMS

¡Cubre los pasillos! El sábado 17 de diciembre, la comunidad de hemofilia B se reunió alrededor de sus computadoras para un regalo festivo. Lo celebramos organizando nuestro concurso anual de decoración de pan de jengibre, y los participantes mostraron una creatividad extraordinaria. Había casas de pan de jengibre con techos nevados, ventanas de pretzel, coronas de caramelos, cercas de goma y adornos de caramelos de orozuz. Incluso había muñecos de nieve, fogatas y elfos en miniatura que se abrieron paso en estas escenas festivas.

Bailamos con música navideña y nos deleitamos con juegos temáticos navideños. Hubo premios para las casas mejor decoradas, así como premios para nuestros ganadores de trivia Kahoot de vacaciones. Pero lo más importante, las familias compartieron una noche divertida juntos con mucha alegría y risas.

Nuestro agradecimiento a nuestros patrocinadores del evento, Medexus Pharma y Paragon Hemophilia. Estén atentos para más eventos familiares divertidos en el futuro cercano.



NACCHO

POR ROCKY WILLIAMS

¡El NACCHO de este año fue un éxito estelar y un fue un privilegio asistir! Celebrado en Phoenix del 5 al 8 de enero, el AZBD (Arizona Bleeding Disorders) celebró la conferencia de este año diseñada y creada por miembros de la comunidad para mejorar los programas juveniles y de campamento para la comunidad de trastornos hemorrágicos. NACCHO significa North American Camping Conference for Hemophilia Organizations, y reúne una gran cantidad de conocimientos de todo el mundo.

Fue un honor aprender de tantos programas de campamento aquí en los Estados Unidos y de nuestros amigos en el extranjero. Aprendimos las mejores prácticas que fomentan las conexiones comunitarias, la pertenencia inclusiva y las formas de enseñar la independencia. NACCHO es verdaderamente un evento que te deja motivado, preparado y emocionado para servir a la comunidad. ¡Un gran agradecimiento al AZBD, a sus

patrocinadores Pfizer y Sanofi, y a todos los que ayudaron a crear un programa tan empoderador!



TERAPIAS EMERGENTES 101: UNA VELADA CON EL DR. DAVID CLARK

POR GLENN MONES

Hace apenas unos años, el número de terapias disponibles para la hemofilia B era muy limitado. Esa situación ha cambiado dramáticamente con la aparición de muchas terapias nuevas y más que vienen cada día. Para ayudar a nuestros miembros a darle sentido a todo esto, la Coalition for Hemophilia B ha creado una variedad de programas para explicar no solo los tratamientos existentes y recientes, sino también los que están en desarrollo y se prevén en el futuro.

Entre los más populares se encuentran nuestras noches virtuales "Terapias emergentes 101" con el miembro de la junta directiva de la Coalition, el Dr. David Clark. El Dr. Clark tiene un doctorado en ingeniería química de la Universidad de Cornell y más de 35 años de experiencia en el desarrollo y fabricación de productos de plasma y

tejidos, que incluyen concentrados de factor IX.

Gran parte de esa experiencia proviene del tiempo que pasó trabajando con la Cruz Roja Americana. El Dr. Clark ha utilizado repetidamente su experiencia y habilidades verbales para ayudar a los miembros de la comunidad a obtener la comprensión que necesitan para navegar por la hemofilia B y su tratamiento.

En su última presentación, el Dr. Clark dirigió una sesión atractiva el 12 de enero de 2023, de 7:30 a 9:00 PM ET. El programa fue posible gracias al generoso apoyo de CSL Behring.

Acompañado de una presentación de diapositivas muy completa, el Dr. Clark dividió las terapias en una variedad de categorías que incluyen vida media estándar extendida, vida media extendida, tratamientos con inhibidores, terapia génica y otros. Lo que muchos miembros encontraron particularmente emocionante es el hecho de que esta fue la primera vez que una de las presentaciones del Dr. Clark incluyó el primer producto de terapia génica que ha recibido la aprobación del gobierno y pronto estará ampliamente disponible. También destacó varios productos que probablemente recibirán aprobación pronto, así como algunos que pueden no llegar a buen término.

El evento continuó con mucho tiempo para las preguntas y respuestas de los miembros. Finalmente, tuvimos un cuestionario divertido e interactivo que permitió a los miembros ver cuánto habían aprendido durante la sesión.

Muchas gracias a nuestro patrocinador CSL Behring, a nuestros miembros, personal y a todos los que hacen posible nuestros programas. Manténgase atento para más oportunidades virtuales y en persona para aprender sobre estos temas vitales.



EMERGING THERAPIES 101



SEAMOS CASUALES Y TENGAMOS UNA DISCUSIÓN SOBRE TERAPIAS EMERGENTES CON EL DR. DAVE. ¡ESTÁN SUCEDIENDO MUCHAS COSAS EN NUESTRO MUNDO DE LA HEMOFILIA B Y HAY UN VOCABULARIO COMPLETAMENTE NUEVO!

PROGRAMA DE LIDERAZGO DE GEN IX

POR JACOB POPE

La Coalition for Hemophilia B y Medexus organizó recientemente el Programa de Liderazgo de Generación IX en YMCA Camp Surf en Imperial Beach del 26 al 29 de enero de 2023, a la que asistió un grupo diverso de personas comprometidas con la defensa de los afectados por la hemofilia B. El retiro brindó una oportunidad para que los defensores de todos los orígenes, edades y experiencias personales se reunieran, aprendieran unos de otros y desarrollaran habilidades para crear un cambio positivo en nuestra comunidad.

Uno de los temas clave que surgieron del retiro fue la importancia de construir relaciones sólidas con otras personas que comparten valores y objetivos similares. Los participantes exploraron el tema de la defensa comunitaria a través de varios lentes: personal, interpersonal, social y de defensa de políticas. Se hizo hincapié en la necesidad de colaboración y asociación para lograr un impacto significativo en cada uno de esos ámbitos. A través de una serie de talleres atractivos y actividades grupales creativas, pudimos conectarnos entre nosotros y forjar relaciones duraderas que apoyarán nuestro trabajo en el futuro.

Otro tema importante que surgió del retiro fue la necesidad de ser estratégicos e intencionales en los esfuerzos de defensa. Los participantes discutieron la importancia de comprender los paisajes políticos y sociales en los que estamos trabajando y desarrollar estrategias que se adapten a los contextos específicos en los que operamos. También enfatizamos la necesidad de ser flexibles y adaptables frente a las circunstancias cambiantes, y estar dispuestos a ajustar nuestros enfoques, pero no nuestros valores, para lograr nuestros objetivos.

A lo largo del retiro, tuvimos la oportunidad de aprender unos de otros y compartir las mejores prácticas para una defensa efectiva. Discutimos una variedad de enfoques,

incluida la organización de base, los Días de Washington y la participación con los HTC y la Coalition for Hemophilia B. También exploramos el papel de los cuidadores, amigos y familiares en los esfuerzos de defensa, y discutimos estrategias para involucrarse con los que formulan políticas y otros que toman decisiones.

Uno de los aspectos más destacados del retiro fue una excursión de un día al Museum of Us en Balboa Park, cerca del zoológico de San Diego. Las exhibiciones enfatizaron la importancia de la persistencia y la resiliencia frente a los contratiempos y desafíos, y qué acciones y comportamientos son dañinos o beneficiosos para las comunidades. Después de sumergirnos en estas exhibiciones, las reflexiones grupales destacaron la necesidad de construir coaliciones amplias e involucrar a una amplia gama de partes interesadas en los esfuerzos de defensa.

En general, el Programa de Defensa de Gen IX 2023 en YMCA Camp Surf fue una valiosa oportunidad para que los defensores se reunieran, aprendieran unos de otros y desarrollaran estrategias para crear un cambio positivo en nuestra comunidad. Salimos del retiro sintiéndonos energizados e inspirados, con un renovado sentido de propósito y compromiso con nuestro trabajo. Un participante, Jeron, describió la experiencia como "una de amor" y "empoderamiento, porque todos nos estamos mejorando a nosotros mismos ... y para la comunidad de trastornos de la coagulación en su conjunto".

Erica Garber, miembro del personal de CHB, se unió al grupo por primera vez en uno de nuestros eventos de la Generación IX. Estaba claro desde el primer día que esta experiencia iba a ser fundamental para establecer una conexión aún más profunda con nuestra comunidad en torno a una pasión compartida por la defensa y el aprendizaje experiencial. "Aprendí mucho sobre lo que más le importa a la comunidad de hemofilia B y las formas





de defender esos valores a través de la acción. Inspirados por las formas, una vez más, nos unimos como grupo y somos más fuertes por ello. ¡Me fui sintiéndome lista para dar un paso adelante y usar mi voz en apoyo de todo lo que se compartió y más!", compartieron en reflexión. El último día, el equipo de GutMonkey invitó a todos los asistentes a hacerse una promesa sobre tomar medidas de defensa, ponerla por escrito y entregársela a Erica en solidaridad. El siguiente paso, que pronto llegará, es que Erica se comunique con todos los asistentes dentro de tres meses para alentar y apoyar sus objetivos de defensa.



Mirando hacia el futuro, está claro que los esfuerzos de defensa continuarán siendo esenciales para abordar los muchos desafíos sociales y políticos que enfrenta nuestra comunidad. Al construir relaciones sólidas entre nosotros, ser estratégicos e intencionales en nuestros esfuerzos, y al persistir frente a los obstáculos, podemos hacer una diferencia real en el mundo que nos rodea, ya sea que la diferencia que hagamos sea para el corazón de una persona en dolor, para las mentes de los que toman decisiones y aquellos en el poder o en las sonrisas de 30 personas que se reúnen de todo el país unidas por experiencias compartidas, es una decisión que cada uno de nosotros debe tomar. El Programa de Defensa de la Generación IX en el YMCA Camp Surf fue un paso importante en esa dirección, y agradecemos a la Coalition for Hemophilia B y Medexus por permitir esta poderosa experiencia y esperamos ver el impacto positivo en los meses y años venideros.



Y.E.T.I. 2023: EL JUEGO DE LA VIDA

POR ROCKY WILLIAMS

¿Cuál es tu próximo paso en el juego de la vida? Para los adolescentes, la transición a la edad adulta temprana es el momento perfecto para conocer gente nueva y aprender de expertos en educación juvenil de toda la comunidad de trastornos de la coagulación. Es por eso que Pacific Northwest Bleeding Disorders (PNWBD) organizó la edición de este año de Y.E.T.I. del 9 al 12 de febrero de 2023 en Camp Collins en Oregon.

Y.E.T.I significa Youth Effective Transitioning to Independence, y reúne a jóvenes de 14 a 20 años para un fin de semana inmersivo de aprendizaje experiencial, creación de redes y DIVERSIÓN. El tema de este año fue el Juego de la vida, y GutMonkey guió a los participantes a través de un juego de equipo donde los grupos tuvieron la oportunidad de participar en una serie de desafíos repartidos por todo el campamento. PNWBD y GutMonkey se asociaron para organizar un increíble fin de semana de sesiones sobre salud mental, estrés, movimiento, seguro y mantenerse a buena temperatura.

Fue un honor asistir a Y.E.T.I. este año. La oportunidad de ver a GutMonkey y PNWBD trabajar con estos impresionantes adolescentes y adultos jóvenes me hizo sentir orgulloso y emocionado de ser parte del programa. También fue genial aprender de otros asistentes. Compartir ideas y aprender de mis compañeros en la comunidad de trastornos de la coagulación es siempre una experiencia muy poderosa. Fue un privilegio discutir cómo dar forma a los eventos e interacciones para una experiencia de la más alta calidad para nuestros asistentes y celebrar todo tipo de éxito. Muchas gracias a su patrocinador inaugural Pfizer, así como a los patrocinadores Bayer, Genentech, Sanofi y Takeda por apoyar un evento totalmente centrado en proporcionar formas nuevas y creativas de enseñar a nuestros jóvenes.



AMOR Y MAGDALENAS: UN DULCE EVENTO VIRTUAL DANIELA'S LITTLE WISH

POR ERICA GARBER

El amor ciertamente estaba en el aire en nuestro taller anual virtual de magdalenas de San Valentín el 11 de febrero. Fue un placer tener a Daniela's Little Wish, una organización sin fines de lucro que ha estado horneando sonrisas para niños durante más de 10 años, como nuestro socio en este dulce evento patrocinado por Medexus Pharma. Los miembros de nuestra comunidad se reunieron virtualmente con sus familias para disfrutar creando magdalenas deliciosas y hermosas. Con Daniela como nuestra instructora, todos estaban emocionados de aprender nuevas técnicas de horneado.

Antes de que comenzara la decoración de magdalenas, Grant Belsham de Medexus Pharma organizó una trivía con temas de amor, donde aprendimos todo tipo de datos divertidos sobre el amor, las cartas de amor y la historia de las celebraciones del Día de San Valentín. Entonces, ¡finalmente llegó el momento de ensuciarnos las manos y comenzar a decorar magdalenas con Daniela!

Todos hicimos todo lo posible para seguir las instrucciones expertas de Daniela, midiendo cuidadosamente los ingredientes y colocando hábilmente el glaseado en nuestras magdalenas de ositos de peluche. Era difícil resistir la tentación de lamernos los dedos o comer un bocado de caramelo, pero nos recordamos a nosotros mismos que debíamos guardar espacio para nuestras



creaciones terminadas. Las instrucciones claras y concisas de Daniela facilitaron el proceso a seguir, incluso para los panaderos y decoradores novatos entre nosotros.

Bromeamos sobre nuestras cocinas desordenadas y nuestros intentos de mantener los suministros alejados de nuestras mascotas y niños, pero con la guía paciente de Daniela, ¡logramos crear algunas magdalenas realmente impresionantes que parecían casi demasiado buenos para comer (casi)!

Después de que se hizo la decoración, terminamos el evento con algunos juegos graciosos de Kahoot y rifas. Fue maravilloso ver tantas sonrisas en la pantalla de



la computadora, mientras las familias se reunían para disfrutar de la diversión virtual del Día de San Valentín. Pero pronto nos dimos cuenta de que los niños grandes (también conocidos como los adultos) se estaban divirtiendo demasiado, así que decidimos darles una oportunidad. Tuvimos un lugar de reunión adicional solo para nuestros decoradores de magdalenas para niños, donde aprendimos datos divertidos sobre los animales, probamos nuestro conocimiento de los superhéroes y luchamos por trivialidades de dibujos animados.

¡Gracias a Medexus Pharma por patrocinar este taller cada vez más popular, y gracias a Daniela por compartir su experiencia y su contagioso amor por la repostería con nosotros! No podemos esperar a nuestro próximo evento de repostería con ella, y mientras tanto, disfrutaremos de nuestras deliciosas (y hermosas) magdalenas.

COMENTARIOS:

"Realmente disfruto los eventos de decoración de alimentos".

"Esta es la tercera que hicimos, y mi hija y yo lo disfrutamos cada vez. Y es divertido que fuera un poco diferente de la última vez".

"¡Fue genial tomar un descanso de nuestras apretadas agendas y decorar las magdalenas en familia!"

"Los osos eran adorables".

"No soy panadera, pero disfruté haciendo las magdalenas

y el tiempo con mis hijos".

"Disfrutamos mucho el evento. Éramos solo nosotros dos, así que fue un momento perfecto solo para nosotros. Estoy mejorando en ZOOM, pero todavía no es genial, y probablemente no mejoraré mucho hasta que los nietos crezcan un poco y puedan enseñarle a MiMi. Muchas gracias."



"¡Realmente extrañaba a mis amigos y estoy muy contento de poder verlos de nuevo!"

"Nos encantó decorar las magdalenas. Mis hijos hicieron algunas de sus propias creaciones únicas con los suministros proporcionados y eso también fue divertido. ¡Nos divertimos mucho con la trivía de Kahoot! Gracias por tener eventos virtuales como este".

"Mi hijo realmente disfruta esta oportunidad de ser creativo y pasar algún tiempo con la comunidad de trastornos hemorrágicos".

"¡Fue increíble y muy divertido! ¡Estamos deseando que llegue la próxima vez!"

**MEDEXUS
PHARMA**

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA

**LO QUE
HUBIERA
DESEADO
SABER...**

*Sin censura y sin
cortes*

**LECCIONES
DE LA VIDA
REAL DE TI,
EL EXPERTO**

Comparte tu historia para ayudar a empoderar a tus hermanos de sangre, hermanas y familia

ENVÍANOS TU HISTORIA POR CORREO ELECTRÓNICO:
MYSTORY@HEMOB.ORG

EN ESTO JUNTOS: RETIRO DE PAREJAS CHB

POR ROCKY WILLIAMS

En 2022, celebramos nuestro primer retiro de parejas, llamado "En esto juntos", en persona, en Atlanta, Georgia. Fue una experiencia increíble donde 14 parejas pasaron un fin de semana compartiendo sus historias, vinculándose, encontrando una comunidad más profunda entre sí y aprendiendo sobre sí mismos y sus parejas.

Para reavivar la conexión, organizamos una reunión virtual el 13 de febrero de 2023, ¡el día antes del Día de San Valentín! ¡El momento perfecto para una sesión sobre relaciones! Patrocinado por CSL Behring, el evento reunió a las parejas y las parejas estaban encantadas. La mejor parte del retiro de las parejas virtuales fue "¡vive a nuestros amigos de nuevo!", dijo Sandy. Otros estuvieron de acuerdo y agregaron que también disfrutaron del juego que jugamos llamado El juego dinámico para dos, que quizás recuerdes que se hizo famoso por el programa de televisión El juego de los recién casados.

Para jugar, dividimos a los hombres y mujeres y les hicimos una serie de preguntas. Les pregunté a los hombres, por ejemplo: "¿Quién diría su esposa que dio el primer paso? ¿Qué palabra diría su esposa que describe mejor la manera como conduces el auto: seguro, rápido, enojado o ¡ups!?" Luego, les pedimos a las mujeres que respondieran las preguntas: "¿Quién dio el primer paso? ¿Qué palabra describe mejor su manera de conducir?" También intercambiamos roles y les pedimos a las mujeres que respondieran sobre lo que dirían sus esposos, como: "¿Qué diría tu esposo que es un talento oculto que tienes ... que debería permanecer oculto para siempre?" Los resultados fueron bastante cómicos.

Los trabajadores sociales, Dave y Karen, quienes dirigieron las sesiones en el retiro en persona de 2022 en Atlanta, también se inscribieron para la reunión. Se unieron a las reuniones de hombres y mujeres, y el grupo se relacionó rápidamente a la vulnerabilidad y apertura que habían compartido en Atlanta.

"¡Me impresionó tanto la resistencia de estas mujeres!" Dijo Karen. "Pudieron ver su propia fortaleza, así como



lo que querían que sucediera en su relación. Creo que haber estado con las parejas en persona y pasar tiempo con ellos después de nuestra sesión contribuyó a esta relación. En otras palabras, David y yo simplemente no vinimos al retiro, facilitamos un taller y nos fuimos. [Fue genial] quedarse e interactuar con las parejas... Nos conocieron y nos aceptaron".

David estuvo de acuerdo en que la noche fue significativa. "Tuve muchas charlas poderosas con los hombres, la mayoría de los cuales parecían ansiosos por hablar", dijo. "Podría haber hablado con algunos de ellos durante una hora o más. Era muy evidente que el dividirlos en grupos con Karen y conmigo era necesario y me alegro de que les hayan dado la oportunidad de conectarse con nosotros. Muchos de ellos se acordaban de mí y sentí que se sentían cómodos siendo honestos y abiertos".

"Gracias de nuevo por el honor de caminar con su comunidad", agregó Karen. "Ser invitado a su viaje es una confianza que David y yo tomamos muy en serio".

CSL Behring

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA

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 a Kim Phelan, kimp@hemob.org o llame al 917-582-9077



Compartió que esta fue una gran experiencia para crear un evento con CHB y fue divertido ser coanfitrión de uno. Dice que aprendió que "se puede hacer cualquier cosa si lo intentas".

Cuando se le preguntó si había algo que a Alex le gustaría compartir, comentó: "¡Si puedes soñarlo, puedes hacerlo!"

Después de una bienvenida de los anfitriones y Sanofi, Alex lideró el grupo a través de un rompecabezas sobre los tipos de coches favoritos. Una sesión de rap con Matt Barkdull y Alex fue seguida por Hyper Car Dealership Tycoon, tocada en Roblox, en la que cada jugador posee su propio concesionario de automóviles y debe construir su colección de autos únicos y de aspecto exitoso.



19 DE ENERO CON ALEX: ¿ERES UN MAGNATE DE LOS CONCESSIONARIOS DE AUTOMÓVILES?



15 DE DICIEMBRE CON JC: ¿CUAL ES LA GALLETA FAVORITA DE UN PIRATA? ¡CHIPS AHOY!

Nuestro último evento adolescente de 2022 estuvo plagado de mis INCREÍBLES chistes piratas, que incluyen: "¿Por qué el pirata se negó a decir: 'Ay, ay, capitán?' Porque solo tiene un ojo!" Después de que todos terminaron de reírse, todos los adolescentes tuvieron la oportunidad de compartir de dónde son y su posesión más preciada. Una sesión de rap con JC y Robert Friedman incluyó una discusión sobre en qué gastaríamos dinero si tuviéramos todas las riquezas del mundo, a lo que un adolescente respondió: "Etiqueta láser en la luna". Estoy listo para ser el jugador 2 para ese también. Como evento principal, jugamos Poll Mine de Jackbox: un juego de encuesta de supervivencia! Los jugadores se dividen en dos equipos, y tratan de adivinar los resultados. "Me divertí mucho pasando el rato con los otros adolescentes", comentó un participante. "Mi parte favorita fue hacer el evento con Rocky", dijo JC.

SANOFI

También nos gustaría dar un gran agradecimiento a Sanofi. Estos increíbles eventos para adolescentes fueron posibles gracias a su generoso patrocinio.

¿Está interesado en planificar un evento que SORPRENDA a sus amigos adolescentes en la comunidad CHB? Ven y únete a la diversión! Ven y crea la próxima experiencia virtual para adolescentes que nos hará decir que aprendimos mucho, participamos en algunas trivias emocionantes, conocimos nuevos amigos y nos lo pasamos de maravilla! Envíame un correo electrónico a Rocky@hemob.org.

¡ESTO ES SOLO EL COMIENZO!

EN EL JUEGO CON ZAYDEN

POR ROCKY WILLIAMS

Más de 50 niños y sus cuidadores se reunieron en Phoenix, Arizona, en octubre de 2022 para participar en el programa Junior National Championship (JNC) de CSL Behring. Los asistentes aprendieron los fundamentos del béisbol, golf, o natación, compitieron en partidos amistosos con otros niños con trastornos hemorrágicos (de 7 a 18 años) y asistieron a seminarios educativos que reiteraban la importancia de la aptitud física.

!En representación de la Coalition for Hemophilia B estaba Zayden, de 9 años! Zayden se ganó su lugar a los 8 años después de presentar una solicitud destacando su amor por el béisbol, que ha estado jugando durante más de dos tercios de su vida, desde los 3 años. Ganó su primer anillo de béisbol a los 5 años, cuando golpeó la pelota contra la cerca y consiguió un jonrón en el cuadro para ganar el juego! El equipo corrió al campo. "Fue un sueño hecho realidad", dijo Zayden. Le dijo a CHB que le encantaría jugar en el JNC, y CHB estuvo de acuerdo en que sería una excelente idea.

Zayden se sorprendió al ganar e ir a JNC por primera vez. Tan pronto como llegó allí, quiso entrar al campo y comenzar a jugar. Un ávido primera base, amaba a los entrenadores y conocer a todos los nuevos amigos del equipo. "Los entrenadores me animaron y me empujaron... como mi mamá". Mamá siempre está ahí para animarlo, tanto en Phoenix como en casa, donde juega dos partidos a la semana durante todo el verano.

?Uno de los momentos más geniales, según Zayden? "Cuando uno de los entrenadores me lanzó la pelota y casi lo golpeo con la pelota".! Buen swing!" "Otra vez fue cuando uno de los chicos mayores me lanzó la pelota tan fuerte como pudo. La atrapé y saqué al corredor. Fue emocionante".! Guan, que experiencial?

?Uno de los momentos más geniales, según una mamá? Conocer al jugador de béisbol profesional Cameron Loeb, quien les lanzó a los niños durante el día de la competición. Según la madre de Zayden, "¡Habí con los niños antes de jugar y todos parecían realmente cautivados de que un jugador profesional actual estuviera con ellos durante el día!"

"Lo que más me gusta del béisbol es ser un modelo a seguir para los niños más pequeños", dice Zayden, específicamente sus primos, a quienes ayuda con la práctica de bateo. Aprendió a jugar béisbol de su padre y su hermano, y dijo que definitivamente recomendaría el programa JNC de CSL Behring a otros niños de la comunidad de hemofilia. "Es genial conocer a nuevas personas que tienen hemofilia como yo. Le ayuda a aprender cómo manejar su trastorno hemorrágico y cómo jugar con su trastorno hemorrágico", dijo. "Estar en el juego es lo mejor".

?Qué sigue para Zayden? "¡Hazte profesional!"! No podemos esperar para verte y animarte, Zayden!



ADOLESCENTES PALOZA

POR ROCKY WILLIAMS

CHB está agradecido de haber organizado un increíble conjunto de eventos virtuales para adolescentes de noviembre a enero, con la ayuda de Sanofi y nuestros líderes adolescentes: Nick, Gabriella, JC y Alex. Cada evento fue defendido en excepcionales juegos de trivia sobre la hemofilia y la defensa, un juego cautivador, una sesión de rap comovedora y tiempo para conectarse y estar juntos. Nos gustaría dar un gran agradecimiento a los adolescentes que ayudaron a promover, crear y facilitar estos eventos. También estamos muy agradecidos con los terapeutas que ayudaron a facilitar nuestras sesiones de rap adolescente, que aportaron tanto valor y estructura a esas conversaciones.

17 DE NOVIEMBRE CON NICK: AHORA ESO ES SIMPLEMENTE DRAWFUL!

La tontería estuvo en plena exhibición en noviembre con el evento de Nick, que comenzó en serio con una bienvenida de la representante de Sanofi, Ashley, y una conversación sobre un evento anterior sobre el mejor tipo de ingredientes para pizza. ¿Los pimientos o las anchoas? Era un debate muy disputado, ¡y te animamos a que intervengas la próxima vez! El terapeuta Matt Barkdull y Nick dirigieron la discusión, que también incluyó una discusión sobre helados y camiones monstruo. Las conversaciones definitivamente dejaron a los adolescentes riendo y conociéndose mucho mejor.

El evento principal fue un juego de Drawful Animate, que hace que los jugadores dibujen animaciones de dos cuadros basadas en indicaciones positivamente absurdas. Estos incluían "partes de Linda se han convertido en pulpo" y "abrir la carpeta de acordeón de todos mis problemas".! Fue muy graciosísimo! Ver los dibujos cobrar vida fue absolutamente ridículo y muy divertido!

Después del evento, un padre compartió más tarde: "Los eventos para adolescentes han sido muy beneficiosos y ayudan a los adolescentes que participan a establecer contactos y conocer a otros en la comunidad. Ha sido una experiencia positiva para mis dos hijos que han participado. ¡Gracias por incluir hermanos también! Esperan con ansias cada evento".



DIC 8 CON GABRIELLA: EN QUÉ CAMPAMENTO ESTÁS? ERES UNA PERSONA DE GATOS O UNA PERSONA DE PERROS?

Gabriella dio una entusiasta bienvenida a los adolescentes reunidos el 8 de diciembre antes de lanzarse a una discusión sobre colecciones para romper el hielo. Nuestro juego de esa noche era sobre ordenar cosas, así que queríamos saber: "¿Qué colecciones?" "Si fuiste uno de los participantes esa noche, podrías haber dicho cartas Pokémon, conchas marinas, botellas de agua o cubiertos. Yo, por mi parte, colecciono juegos de mesa. ¡Qué divertido! comparo colecciones! ¿Qué colecciones?"

La sesión de rap dirigida por Robert Friedman fue bastante animada. Luchamos con las viejas preguntas de perro vs gato. Después de delinear claramente a la gente del gato y el perro, los adolescentes jugaron Quixort: un juego de trivia en el que los equipos clasifican las respuestas que caen en su orden correcto antes de que golpeen el suelo. "¡Fue muy divertido!", dijo un adolescente.



FÚTBOL, ESQUÍ, LUCHA LIBRE Y GOLF, ¡OH! PRACTICAR DEPORTES CON HEMOFILIA

POR MONTANA

Hola, soy Montana. Vivo en la zona rural de Montana y estoy en el último año de la escuela secundaria. Mis dos hermanos y yo tenemos hemofilia B grave y mi madre tiene hemofilia leve/moderada.

Fui muy afortunado de que mi madre y mis dos hermanos mayores me allanaran el camino en los deportes y la defensa. Mi mamá siempre decía "la hemofilia no puede definirte. Usted define su hemofilia". Me apasionan tres deportes que me han ayudado a definirme: el fútbol, el esquí y la lucha libre. Aprendí a jugar al fútbol y al esquí alpino a los 5 años, y he esquiado recreativamente toda mi vida. Participé a nivel nacional durante mi segundo año de escuela secundaria. Tengo varias victorias nacionales importantes.

Mi verdadera pasión siempre fue el fútbol. Puede participar en todos los programas de fútbol locales y aprendí a jugar de manera segura e inteligente. Soy muy consciente del hecho de que la mayoría de los padres y hematólogos no están de acuerdo con el impacto de los tres deportes en los que compito. La verdad es que he tenido menos lesiones en estos "deportes controlados" que en cualquier otra parte física de mi vida. Especialmente en el fútbol, tengo almohadillas de última generación y equipos de seguridad para la protección.

Como atleta con hemofilia, los deportes me han dado camaradería y un sólido conocimiento de estar en forma física para la salud de las venas y vivir una vida saludable. Manejo un horario profético y lo tomo en serio. No me infundo para practicar deportes. Me infundo estar saludable. Practicar deporte es una ventaja añadida porque estoy sano.

Como estudiante de último año en la escuela secundaria y jugador de fútbol universitario, fui seleccionado como "líbero defensivo de All State" y

elegido para jugar en el *All-American Game* del estado en el mes de junio. Fui seleccionado entre todos los jugadores de todo el estado según mis estadísticas. Jugué en el equipo universitario los cuatro años de la escuela secundaria y fui líbero defensivo y ofensivo. Tuve la suerte de jugar básicamente todo el juego. Para lograr esto, trabajé duro durante meses antes de la temporada para estar en buena forma física caminando, corriendo y levantando pesas.



Después de completar el atletismo de la escuela secundaria, mi nueva pasión es seguir jugando al golf y superar a mi ícono del golf, Wayne Cook. ¡El año pasado, participé en el torneo de golf de la Coalition for Hemophilia B y estoy enganchado al golf!

Tiendo a estar muy orientado a los objetivos y también me he concentrado en mis estudios. Sé que necesito tener un buen seguro como adulto. Voy a ir a la universidad en el otoño y me estoy especializando en pre-medicina. Me apasiona la hematología y seguir una carrera en el campo de la pediatría.

Cuando tenía 6 años, pude asistir a mi primer simposio de la Coalition for Hemophilia B en la ciudad de Nueva York. Aparte de mis hermanos y mi madre, esta fue la primera vez que conocí a



ADOLESCENTE DE MUCHOS TALENTOS: RYAN

BY ROCKY WILLIAMS

Cuidado con el mundo: Ryan, de 16 años, de Michigan, viene en tu camino! Este adolescente con hemofilia B no deja que la hemofilia lo aleje de las cosas que ama, desde la música y el ajedrez hasta la carpintería y motor y dos o cuatro ruedas".

Ryan se metió en bicicletas y motocicletas hace unos cinco años, cuando su padre comenzó a andar con él. ¿El mayor desafío? Y aprender qué recursos están disponibles para él. Dice que el viaje "me mostró que hay más cosas de las que parece", lo que ha trabajado duro para desarrollar sus habilidades y confianza en las motocicletas. "Me emociona montar". Pero lo más importante, "Esto me ha ayudado a crear un sistema de manejo del estrés".

El viaje no solo amplió su conocimiento y comprensión de la hemofilia, sino que también ganó amistades y conexiones con otros adolescentes con hemofilia B. Ryan cree que "estos eventos son una buena manera de conectarse con personas con lo mismo que yo". Desde su primer simposio, Ryan ha seguido asumiendo un papel de liderazgo. Participa en nuestros eventos virtuales para adolescentes durante todo el año. Él comenta: "Me gustan, y son una buena manera de reunir a la comunidad de hemofilia B". Entonces, ¡nótese a Ryan en el próximo evento para adolescentes. ¡Son muy divertidos y un gran lugar para conocer a otros como a este adolescente de muchos talentos!

Cuando no está montando, Ryan disfruta de la carpintería, incluida la creación de estantes, cajas de recuerdos y otros productos de carpintería. También le gusta jugar ajedrez, y recientemente comenzó a aprender a tocar la guitarra. Sus canciones favoritas para tocar son "Smoke on the Water" y "Astronaut in the Ocean". Reconoce que la música "es una forma de descompresión y una forma de comunicarse".

Su amor por la música lo ha llevado a nuestro Programa de Música Beats donde dice que "El





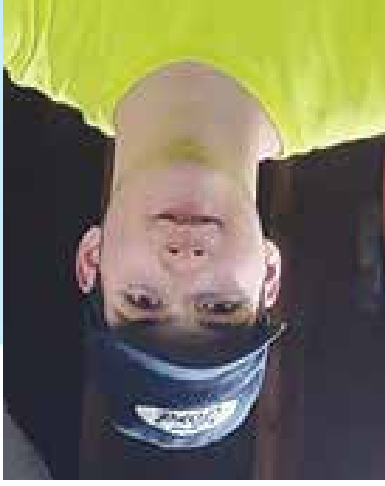
¡inspired!

Historias y obras de arte de adolescentes en la Comunidad de Hemofilia B

Invierno 2022

EN ESTE NÚMERO:

- FÚTBOL, ESQUÍ, LUCHA LIBRE Y GOLF, OHÍ PRACTICAR DEPORTES CON HEMOFILIA
- ADOLESCENTE DE MUCHOS TALENTOS: RYAN
- ADOLESCENTES PALOOZA
- EN EL JUEGO CON ZAYDEN



ADOLESCENTE DE MUCHOS TALENTOS: RYAN



FÚTBOL, ESQUÍ, LUCHA LIBRE Y GOLF, OHÍ PRACTICAR DEPORTES CON HEMOFILIA MONTANA

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!

