



THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

HEMOPHILIA B NEWS

UNA PUBLICACIÓN DE NOTICIAS TRIMESTRAL

PRIMAVERA 2021



FIX



PRODUCTS

CONOCIENDO AL
DOCTOR CLARK

LOGRANDO UNA MEJOR VIDA CON
UNA CUENTA DE ABLE

LA HISTORÍA DE ASHLEY

30 YEAR ANNIVERSARY
THE COALITION FOR
HEMOPHILIA 

CONTENIDO

**ARTÍCULO PRINCIPAL: PRODUCTOS ACTUALES PARA
EL TRATAMIENTO DE LA HEMOFILIA B – PÁGINA 3**

INTERÉS HUMANO

- La oportunidad de mi vida: Conocer al Dr. David Clark – Página 8
- Bienvenido Jibin Johns a CHB – Página 37

ACTIVISMO

- Nuestro héroe del plasma: Nemo Delgado – Página 36
- Washington Days – Página 37
- Alcanzando una calidad de vida mejor con una cuenta ABLE – Página 38

SALUD Y BIENESTAR

- Resurgiendo hacia el bienestar – Página 14
- Noticias de salud sobre la hemofilia – Página 16
- Terapias emergentes – Página 19

RESUMEN DE LOS EVENTOS

- Reuniones en el camino virtualmente con CHB – Página 25
- GEN IX 2021 Reconstruyendo juntos – Página 28
- Eventos del lugar de encuentro de GEN IX – Página 30
- Acercándonos por medio de Zoom – Página 31



EN MEMORIA DE

- Kaylean Marie Gentry
- Tanya Hunnewell
- Jack Thomas Silliman
- Jeremy Sweeney
Página 40

MUJERES CON TRANSTORNOS HEMORRÁGICOS

- Afortunada, no afortunada: La historia de Ashley- Página 33
- Mamografías y vacunas - Página 35

PRÓXIMOS EVENTOS

- Aparta las fechas - Página 41

SECCIÓN PARA JOVENES B INSPIRED

- Esté preparado! La historia de Tristan – Página 42
- Protégeme – No me pongas en una burbuja: La historia de Bryen – Página 44

MISIÓN

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

PRODUCTOS ACTUALES PARA EL TRATAMIENTO DE LA HEMOFILIA B

POR DR. DAVID CLARK

Muchas familias nuevas no son conscientes de la gran cantidad de productos disponibles para el tratamiento de la hemofilia B. Esta es una breve lista de los productos actualmente disponibles en los EE. UU.

Uno de los principios más importantes de la medicina es que cada paciente es diferente. Aunque todos compartimos muchas similitudes, también tenemos características genéticas y antecedentes médicos únicos. Una ventaja de la gran cantidad de productos disponibles es que si a un paciente le va mal con uno de los productos, puede tener mejores resultados con otro.

Actualmente, todos los pacientes con hemofilia B, excepto aquellos con inhibidores, se tratan con productos de reemplazo de factor. Estos productos contienen la proteína de factor IX para reemplazar las moléculas defectuosas del factor IX producidas por sus propios cuerpos. Todos requieren infusiones intravenosas periódicas para mantener la cantidad de factor IX en la sangre del paciente en el nivel requerido para una buena hemostasia (coagulación adecuada).

Hay una serie de productos mejorados de factor IX que actualmente están en desarrollo, muchos se aplican fácilmente con una inyección subcutánea, así como otra serie de productos – consulte la sección Noticias de la industria del boletín. Los productos actuales se dividen en tres categorías generales: productos de vida media estándar (SHL), productos de vida media extendida (EHL) y productos para el tratamiento de inhibidores.

Todos estos productos se componen de factor IX humano normal. Todos provienen de los concentrados de factor derivados del plasma que se desarrollaron en la década de 1960. Los productos originales se llamaron Complejo de Factor IX o Complejo de protrombina. Eran mezclas de varios factores de coagulación, incluidos los factores II, VII, IX y X más los anticoagulantes proteína C y proteína S. Estas proteínas tienen estructuras químicas similares, lo que las hace difícil de distinguirse entre sí.

Los complejos supusieron un gran avance en el tratamiento de hemorragias, pero pronto se hizo evidente que no podían ser utilizados en grandes cantidades o durante períodos prolongados de tiempo porque causarían trombosis, coagulación peligrosa no deseada. Esto impidió su uso como profilaxis o en las cirugías. Los productos de complejo de factor IX todavía están en el mercado, pero no debe utilizarse

para el tratamiento de la hemofilia B debido a sus riesgos de seguridad. Actualmente se utilizan principalmente para el tratamiento de enfermedades hepáticas.

AlphaNine fue uno de los primeros productos que incluía un alto contenido de factor IX purificado sin los otros factores. Ha demostrado ser seguro contra las complicaciones trombóticas y todavía lo utilizan varios pacientes. El otro gran cambio en los productos de factor IX fue la introducción de métodos para inactivación y eliminación viral, que ocurrió a mediados de la década de 1980. Antes de la introducción de esos métodos, los productos derivados del plasma a menudo estaban contaminados con agentes infecciosos como la hepatitis B y C y el VIH, el virus del SIDA. Los productos derivados del plasma ahora se consideran completamente seguros. No ha habido incidencias de transmisión viral de productos de factor de coagulación desde finales de la década de 1980, o de cualquier otro producto derivado del plasma desde principios de la década de 1990.

Una de las principales razones para la introducción de productos recombinantes era la seguridad viral - para eliminar la dependencia del plasma humano en estos productos. Otra razón fue la capacidad de poder producir cantidades ilimitadas de un producto sin depender del suministro limitado de plasma. Los productos recombinantes se fabrican en células animales que han sido diseñadas genéticamente para producir la proteína deseada. Los tres productos SHL del factor IX están fabricados en las células de ovario de hámster chino (CHO) que se cultivan en grandes tanques en un proceso denominado cultivo celular.

Un hecho apreciado es que todos los productos recombinantes son también tratados para la inactivación y eliminación viral. Aunque las células utilizadas para el cultivo celular se examinan minuciosamente para asegurarse de que son seguras, se descubrió desde el principio que algunas de estas células pueden contener genes de virus ocultos en su ADN. Estos genes virales podrían activarse al estar bajo condiciones de producción e introducir virus infecciosos en los productos. Ahora, además de tener procesos de fabricación para desactivar y eliminar cualquier virus, cada lote de producto, sea derivados de plasma o recombinantes, también son examinados para asegurarse de que no hayan

PRODUCTOS PARA LA HEMOFÍLIA B (FACTOR 9)

Tabla 1: Productos de vida media estándar (SHL)			
Nombre de marca	Nombre genérico	Fabricante	Tipo
AlphaNine SD	Coagulation Factor IX (Humano)	Grifols Biologicals	derivado de plasma
BeneFix*	Coagulation Factor IX (Recombinante)	Pfizer / Wyeth	recombinante - células CHO
Ixinity	Coagulation Factor IX (Recombinante)	Medexus / Aptevo	recombinante - células CHO
RIXUBIS	Coagulation Factor IX (Recombinante)	Takeda / Baxalta	recombinante - células CHO

* Algunos fabricantes tienen un esquema de dosificación aprobado por la FDA que permite a las personas usar dosis más altas una vez a la semana para la profilaxis adecuada.

Productos de vida media extendida (EHL): la Tabla 2 muestra los productos EHL disponibles actualmente en los EE. UU.

TA11:D11tabla 2: Productos de vida media extendida (EHL)			
Nombre de marca	Nombre genérico	Fabricante	Tipo
Alprolix	Coagulation Factor IX (Recombinant), Fc Fusion Protein	Sanofi	recombinante - células HEK
Idelvion	Coagulation Factor IX (Recombinant), Albumin Fusion Protein	SCL Behring	recombinante - células CHO
Rebinyn	Coagulation Factor IX (Recombinant),	Novo Nordisk	recombinante - células CHO

Productos de tratamiento con inhibidores: la Tabla 3 muestra los productos de tratamiento con inhibidores disponibles actualmente en los EE. UU

Tabla 3: Productos de tratamiento con inhibidores			
Nombre de marca	Nombre genérico	Fabricante	Tipo
FEIBA	Anti-inhibitor Coagulant Complex	Takeda / Baxalta	derivado de plasma
NovoSeven RT	Coagulation Factor VIIa (Recombinant)	Novo Nordisk	recombinante - Células BHK
Sevenfact	Coagulation Factor VIIa (Recombinant)-jncw	HEMA Biologics	recombinante - conejos transgénicos

agentes infecciosos presentes en el producto final.

La mayoría de los pacientes con hemofilia B usan productos recombinantes, pero hay algunos pacientes que todavía usan Alphanine porque funciona mejor para ellos. La razón de esto es desconocida, pero hay dos posibilidades importantes. Uno es que los productos recombinantes solo contienen una sola versión de factor IX, la variante más común, que se considera factor IX "normal". Sin embargo, el plasma, que se recolecta de miles de donantes, contiene una amplia gama de variantes de factor IX. Muchas personas tienen pequeñas mutaciones en sus genes y producen un factor IX que no se ha modificado lo suficiente para causar la hemofilia, pero tiene algunos cambios que pueden hacer que funcione mejor o peor en algunos pacientes.

Otra posibilidad es que las células animales utilizadas en el cultivo de células pueden glucosilar el producto de factor IX de manera diferente al que las células humanas lo hacen. Muchos de los factores de coagulación, incluido el factor IX, se glucosilan después de que se produce la proteína. Lo que significa que tienen cadenas de carbohidratos unidas a varias partes de la molécula. Las cadenas de carbohidratos son cadenas de moléculas de azúcar unidas entre sí (gluco- de la palabra griega para dulce o azúcar). Hay diferentes tipos de azúcares más allá de lo que pensamos como "el azúcar de mesa". No entendemos completamente las razones de estas cadenas de azúcar, pero sabemos que las células humanas agregan diferentes combinaciones de azúcares que las que agregan las células CHO. Estas diferencias pueden causar variaciones en lo bien que pueden funcionar los productos en algunos pacientes.

El cuerpo constantemente elimina copias antiguas de proteínas del torrente sanguíneo y las reemplaza con nuevas copias. Esto es parte del proceso para mantener el cuerpo en buen estado de funcionamiento. La vida media es la cantidad de tiempo que lleva para que se elimine la mitad de la proteína. La vida media típica de el factor IX normal es de 23 a 25 horas, aunque eso puede variar significativamente de persona a persona.

Todos los productos SHL tienen una vida media similar a la del factor IX normal derivado del plasma. Eso significa que un paciente que usa un producto SHL tiene que aplicarse un nuevo tratamiento de factor IX cada tres días

aproximadamente. (Tenga en cuenta que algunos de los SHL productos, como BeneFix han desarrollado esquemas de dosificación alternativa que utilizan dosis más altas para mantener los niveles de factor IX en el rango necesario durante una semana o más). Los productos EHL utilizar varios métodos para mantener su factor IX en circulación durante períodos de tiempo más largos. Estos productos se pueden dosificar a intervalos de una a dos semanas dependiendo de la respuesta individual del paciente.

Alprolix contiene moléculas de factor IX unidas a la región Fc de una molécula de anticuerpo. Ya que son más difíciles de producir, el cuerpo tiene un mecanismo especial para mantener los anticuerpos en circulación más tiempo que la mayoría de las demás proteínas. Las moléculas de anticuerpos tienen la forma de Y. Los dos brazos de la Y son las regiones Fab de la molécula que se unen a virus, bacterias y proteínas extrañas para eliminarlos de la circulación. La base de la Y es la región Fc que atrae células inmunitarias para destruir cualquier cosa a la que los brazos se adhieren. La región Fc también es parte de la molécula que interactúa con el sistema que mantiene los anticuerpos en circulación por más tiempo. Resulta que al ligar el factor IX a una molécula Fc también se mantiene el factor IX en circulación por más tiempo.

Idelvion utiliza un método similar. Su factor IX está vinculado a una molécula de albúmina. La albúmina es la proteína más prevalente en plasma. Espesa el plasma y también transporta muchas otras moléculas alrededor en la circulación. También hay un mecanismo especial en el cuerpo para mantener la albúmina en circulación por más tiempo. La vinculación del factor IX con la albúmina también mejora su vida media.

Rebinyn usa un método diferente para mantener su factor IX en circulación durante más tiempo. El polietilenglicol (PEG) es un polímero soluble en agua que ha encontrado muchos usos en la medicina, incluyendo una mejora a la vida media de muchos medicamentos. Rebinyn usa factor IX con cadenas de PEG unidas a los extremos de las cadenas de carbohidratos descritas anteriormente en la sección de SHL. Estas largas cadenas de PEG se agitan y se enrollan aleatoriamente alrededor de la molécula de factor IX. Ellas forman una envoltura suelta que tiende a ocultar las moléculas del factor IX de las células del hígado, que normalmente eliminan el factor IX de la circulación.

AlphaNine® SD
Coagulation Factor IX (Human)
Solvent Detergent Treated/Virus Filtered

BeneFix®
nonacog alfa (rch)
Recombinant Coagulation
Factor IX

IXINITY®
coagulation factor IX
(recombinant)

RIXUBIS
[COAGULATION FACTOR IX
(RECOMBINANT)]

ALPROLIX™
[Coagulation Factor IX
(Recombinant), Fc Fusion Protein]

IDELVION®
Coagulation Factor IX (Recombinant), Albumin Fusion Protein

rebinyn®
Coagulation Factor IX
(Recombinant), PEGylated

FEIBA
[anti-inhibitor
coagulant complex]

NovoSeven® RT
Coagulation Factor VIIa
(Recombinant)

SevenFACT®
Coagulation Factor VIIa
(Recombinant)-jncw

Otro aspecto de Alprolix es que se produce en cultivo celular en células embrionarias del riñón humano (HEK). Al utilizar células humanas para fabricar el producto se produce potencialmente un factor IX que es glucosilado (tiene cadenas de carbohidratos unidas), muy similar a las moléculas de factor IX hechas naturalmente por el cuerpo humano. No se sabe si esto realmente mejora el rendimiento de Alprolix.

Aunque los productos SHL son muy similares a entre sí, los productos EHL son muy diferentes y pueden funcionar de manera diferente de persona a persona. Esto se ha visto en un número de estudios clínicos de pacientes que cambian de SHL a EHL productos. Por lo tanto, si un producto no funciona, no asuma que los demás tampoco funcionarán bien.

Los inhibidores son anticuerpos que produce el sistema inmunológico porque piensa que una infusión de factor IX es un proteína extraña que puede ser peligrosa. Algunos de estos, conocidos como anticuerpos no neutralizantes, se unen al factor IX pero no interfieren con su función. Los inhibidores son anticuerpos neutralizantes que se adhieren al factor IX en ubicaciones dentro de la molécula los cuales les impiden funcionar. Los inhibidores también actúan contra el factor VIII en la hemofilia A donde presentan un problema mayor. Los inhibidores ocurren con mucha menos frecuencia en hemofilia B. Solo alrededor del 3 al 5% (las cifras son difíciles de precisar) de los pacientes con hemofilia B desarrollan inhibidores, pero cuando lo hacen, puede ser un problema muy serio.

Los inhibidores del factor VIII pueden ser eliminados por un proceso llamado inducción de tolerancia inmunológica (ITI). Sin embargo, ITI no funciona bien en muchos pacientes de hemofilia B con inhibidores. Además, muchos pacientes con inhibidores de la hemofilia B también desarrollan reacciones alérgicas al factor IX incluyendo anafilaxia, una reacción grave que puede poner en peligro la vida. Los pacientes con inhibidores de la hemofilia B también son propensos a padecer un trastorno de riñón llamado síndrome nefrótico. Por todo esto, muchos pacientes con inhibidores de la hemofilia B acaban viviendo con su inhibidor y el uso de agentes de derivación.

Los productos de tratamiento con inhibidores se denominan agentes de derivación porque activan otras partes del sistema de coagulación, omitiendo el paso de factor VIII / IX. Funcionan para ambos pacientes con inhibidores de la hemofilia A y B, pero no funciona tan bien como un producto de factor regular funcionaría en un paciente con hemofilia sin inhibidores. Tienen media vida muy corta, lo cual requiere infusiones frecuentes para tratar hemorragias, y son costosos. Se pueden utilizar de forma profiláctica, pero la mayoría de los pacientes simplemente los utilizan como tratamiento a demanda de hemorragias. Son todo lo que tenemos en la actualidad, pero afortunadamente, hay una serie de nuevos tratamientos con inhibidores bajo desarrollo.

FEIBA es una versión derivada de plasma del complejo



de factor IX en el que los factores de coagulación se han activado utilizando un método patentado. Es utilizado por algunos pacientes de hemofilia B con inhibidores, pero debido a que contiene factor IX, conlleva un riesgo de reacciones alérgicas/anafilácticas. La forma en que funciona FEIBA no se comprende completamente, pero contiene factor VII activado como los otros dos agentes de derivación. Los otros factores activados en FEIBA probablemente también desencadenan otras partes del sistema de coagulación.

NovoSeven es un producto de factor VII activo recombinante. El sistema de coagulación general consta de dos vías, una que depende de los factores VIII y IX, y el otro depende del factor VII. Agregar factor VII activado mejora la vía alternativa para eventualmente formar un coágulo. Tenga en cuenta que NovoSeven se produce en cultivo celular utilizando un organismo, células de riñón de bebé hámster (BHK). La elección del tipo de célula generalmente se determina por qué tipo funciona mejor para producir un producto en particular.

Sevenfact es un nuevo producto de factor VII activo recombinante. Es similar a NovoSeven pero fabricado por un proceso completamente diferente. Para Sevenfact, los conejos ha sido diseñados genéticamente para producir factor VII en su leche. Los conejos se ordeñan y la leche se purifica para coleccionar el factor VII, que luego se activa para producir el producto final. A esto se le llama producción transgénica, y se ha utilizado para otros productos farmacéuticos previamente aprobados por la FDA. Su ventaja es que se pueden producir grandes cantidades de proteína a un costo relativamente bajo. Originalmente fue visto como una forma de producir productos de alta calidad a bajo costo para los países en desarrollo, pero esa aspiración aún no se ha realizado.

La gran cantidad de productos disponibles para el tratamiento de la hemofilia B aumenta las posibilidades de que todos los pacientes puedan encontrar un producto que funcione bien para ellos. Seleccionar el mejor producto puede ser un proceso de prueba y error, pero se puede buscar la ayuda de un profesional de hemofilia experimentado y acortar el proceso. Si cree que debería obtener mejores resultados, no dude en preguntarle a su médico.



Cuéntanos sobre las mujeres especiales en tu vida

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

Juntas, son las heroínas de la hemofilia B.

Comparte tus historias en:

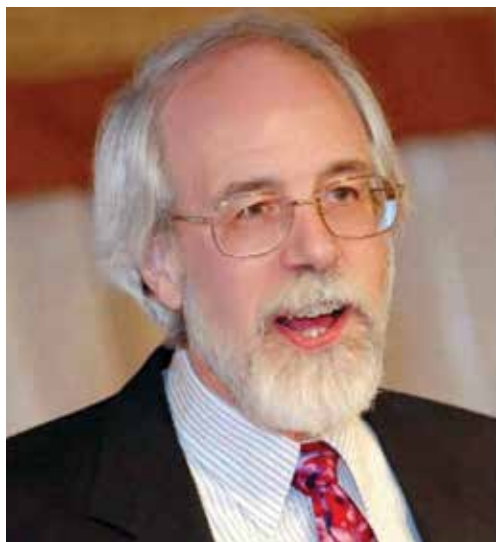


[HeroinesofHemophiliaB.com](https://www.HeroinesofHemophiliaB.com)



“LA OPORTUNIDAD DE MI VIDA” CONOCIENDO AL DR. DAVID CLARK

POR RENAE BAKER



Los lectores de *Hemophilia B Newsletter*, publicación trimestral, (anteriormente Factor IX Newsletter) han visto muchas veces la línea de autor “Por el Dr. David Clark” en los artículos: Noticias de tratamiento, Actualizaciones de tratamientos, Mujeres con hemofilia, Noticias de salud sobre la hemofilia, Terapias emergentes, y otros temas. Como miembro activo de la junta directiva de la Coalition, el Dr. Clark participa regularmente como educador en eventos con sede en EE. UU. y asiste a reuniones internacionales para mantenerse al día sobre el tema de la hemofilia.

Los artículos del Dr. Clark ofrecen lo último en información sobre la hemofilia B y ayudan a los lectores a convertirse en mejores defensores de ellos mismos y sus familias. El Dr. Clark es un veterano y experto en la investigación de la hemofilia, desarrollo de productos e informes. Su riqueza de conocimientos puede parecer imponente, pero aquellos que conocen al “Dr. Dave” lo describen como una persona humilde. De hecho, esa fue la impresión que me dio durante nuestra entrevista. “Tiendo a ser muy tímido”, nos dijo, “pero disfruto asistir a los eventos de la Coalition e interactuar con todos. El compartir con la comunidad tiende a sacarme un poco de mí mismo”.

Ha sido una fortuna para la Coalición tener al Dr. Clark a bordo desde sus inicios. Mientras marcamos el trigésimo aniversario de la Coalición, queríamos enfocar nuestra luz sobre la persona que nos ha ayudado a convertirnos en personas más informadas. Nos reunimos para una entrevista en Zoom con el fin de hablar de sus interesantes antecedentes, su inmensa y variada trayectoria profesional, sus inquietudes y todas esas perlas de sabiduría extraídas de sus experiencias personales y de su interacción con los padres y sus hijos.

“Crecí bastante pobre en Ohio. Fue la educación la que me sacó de la pobreza y ¡me trajo donde estoy ahora!” Recibí una buena educación a través del sistema de escuelas públicas de Akron. Recuerda haber disfrutado mucho de su clase de química en la escuela secundaria. “Estaba metido en el campo de la ciencia. Todo el país estaba interesado en la ciencia en esos días. El interés de nuestro país por la ciencia se incrementó con el lanzamiento del Sputnik, el primer satélite ruso. El competitivo, EE. UU. estaba muy motivado ante la idea de dejar de ser la superpotencia número uno. Rusia estaba en el espacio, y nosotros no, ¡nosotros íbamos



El Dr. Dave y Linda están casados hace 27 años y ¡siguen muy fuertes! A ellos les encanta viajar, hacer senderismo y pasar tiempo en la naturaleza.

a la luna!”

Aunque Sputnik fue un gran motivador, el Dr. Dave cree que el envolver a los niños en la ciencia a una edad temprana es importante y fácil de hacer, “Los niños se interesan mucho en la ciencia, especialmente las ciencias naturales: caminar en el bosque, mirando todo, aprendiendo sobre plantas ... y luego están los dinosaurios y el espacio exterior ...” Clark cambia su foco a los padres, “Hay muchas formas en que los padres pueden hacer que sus hijos se interesen por la ciencia y eso puede ser una gran ayuda para su éxito a largo plazo”.

El Dr. Clark señala a un momento singular en su juventud que dirigió su vida hacia un camino significativo en el futuro, “Mi escuela secundaria realizó un evento donde representantes de las grandes universidades vinieron a reclutar estudiantes. Una mujer habló sobre la Universidad de Cornell ... No esperaba entrar, pero apliqué por capricho. No solo entré,

sino que ¡me dieron una beca completa! ¡Fue la oportunidad de mi vida! Yo nunca hubiera podido pagar una universidad como Cornell por mi mismo. Esta oportunidad me permitió salir de una vida de niño pobre y me brindó un futuro lleno de todo tipo de cosas asombrosas.

“¿Mi consejo?” él pregunta, “Encuentra lo que te interesa y aprende más al respecto”. El Dr. Clark se da cuenta que ciertos temas pueden ser más desafiantes para algunos, pero él dice: “No le tengan miedo a la educación. No digas ‘No entiendo matemáticas’. El propósito de la educación es ayudarte a comprender”. Él recomienda empezar en un nivel bajo para ver si tienes interés e inclinación por esas materias.

Disfrutó plenamente de su experiencia universitaria en Cornell, el Dr. Clark también obtuvo una maestría y un doctorado allí mismo. “Después de obtener mi doctorado, busqué trabajo”. Fue un momento difícil. Envió más de cien cartas a posibles empresas, pero solo pudo obtener 10 entrevistas. De estos, le ofrecieron un trabajo. Fue una práctica postdoctoral en el Instituto de Investigación Textil en Princeton, Nueva Jersey. Allí, trabajó en la humectación y absorbencia de tejidos, “Hicimos algunas cosas interesantes. Trabajamos en pañales para bebés, bolsitas de té y todo tipo de tejidos y fibras que absorben líquidos”.

El Dr. Clark evoca los pasos de su singular camino. “Después conseguí un trabajo en la oficina del Instituto Nacional de Estándares, a las afueras de Washington D.C. Esto fue durante la crisis energética en el 1970 y el Congreso había otorgado fondos para trabajar en aceite refinado de motor, básicamente para limpiarlo y reutilizarlo. Dado que teníamos fondos considerables, teníamos el equipo más moderno y ¡podíamos hacer cosas asombrosas! ¡Fue algo muy bueno! Aunque no había hecho nada en química analítica anteriormente, la gente con la que trabajé eran químicos analíticos y aprendí muchísimo de ellos”.

“Después de eso, trabajé para el decano de investigación de la Universidad George Washington (GWU). Además tenía un pequeño grupo de investigación donde trabajábamos en articulaciones de cadera artificiales”. Esta experiencia llevó al Dr. Clark a otro empleo donde trabajó en riñones artificiales. “Seguí ingresando en estos nuevos campos y eso realmente me ayudó a tener más experiencia... Realmente esto ayuda al investigador porque con cada experiencia uno aprende mucho y esa experiencia puede llevarlo a resolver los problemas en los que está trabajando actualmente”.

La cumbre de la carrera del Dr. Clark comenzó a principios de



El Dr. Dave con las hijas de Bill Drohan, Kathleen, Colleen y Maureen, entregando las becas William N. Drohan en la Gala Anual de Premios: Eternal Spirit.

la década de 1980 con un periodo de veinte años trabajando para la Cruz Roja, donde su trabajo con la hemofilia se centró en el desarrollo de nuevos productos. Él recuerda ese momento con cariño. “Mi jefa en la Cruz Roja era la Dra. Doris Menache. Como joven médico en París, Francia, había formado parte de un grupo que desarrolló el primer concentrado de factor IX, Factor IX de Coagulación. Esto era un gran logro en ese momento, pero el problema era que no se podía utilizar en cantidades muy grandes. Por ejemplo, la profilaxis no era una opción. También se comprobó que era muy peligroso en cirugías porque podía causar complicaciones tromboembólicas”, un coágulo dentro de un vaso sanguíneo podría soltarse y detener el flujo de sangre.

La Dra. Menache y el grupo de investigación vieron mucho éxito en el tratamiento de hemorragias con este producto. Desafortunadamente, el primer paciente de la Dra. Menache que se sometió a cirugía, murió. La angustia que ella experimentó por esta pérdida, encendió una misión de por vida para dedicarse a desarrollar un concentrado de factor IX más seguro.

Este trabajo la llevó a Estados Unidos y a la Cruz Roja donde se dispuso a trabajar para lograr su objetivo. Conociendo su intención, el Dr. Clark estaba muy entusiasmado por ser parte de su equipo. Él revela: “En el primer proyecto en el que trabajé estaba tratando de crear un mejor concentrado de factor IX”.

En ese momento, se contrató a Baxter para procesar todo el plasma de la Cruz Roja. Como parte de eso, el equipo pudo utilizar sus instalaciones de investigación para trabajar en el factor IX concentrado. La Cruz Roja nunca había desarrollado un producto como este anteriormente. Una



empresa farmacéutica normalmente puede tener un equipo de cincuenta personas trabajando en un producto, pero el equipo de la Cruz Roja estaba formado por el Dr. Clark y algunos más.

“No estábamos realmente seguros de lo que estábamos haciendo, y no teníamos suficientes personas para hacer el trabajo, pero continuamos adelante de todos modos. A pesar de los desafíos, lo hicimos muy bien” declaró el Dr. Clark. “Desarrollamos el producto, descubrimos cómo producirlo a gran escala, y comenzaron los estudios clínicos. Pudimos demostrar que este producto no causaba trombosis. Fue un éxito”.

Sin embargo, en ese momento, no hubo tiempo para celebrar la victoria, ya que la crisis del SIDA arrasó en el mundo. Las mentes medicas estaban dirigidas a encontrar una cura o al menos encontrar alivio para este misterioso virus. El Dr. Clark recuerda, “Tuvimos que luchar para encontrar un método de inactivación viral. Baxter había estado desarrollando un método de calor seco para inactivar el VIH y otros virus en sus productos y pudimos aplicar ese método a nuestro producto y dio resultado”.

Otro elemento importante del proceso fue mantener la transparencia que defiende la Cruz Roja. “Fuimos muy abiertos sobre lo que estábamos haciendo. Yo sostuve muchas charlas en múltiples lugares sobre nuestro progreso en el desarrollo y purificación de nuestro producto”, explica el Dr. Clark.

“Aunque no pudimos obtener la licencia para nuestro producto, creemos que nuestra influencia tuvo mucho que ver con el desarrollo de productos de factor IX más seguros”. Naturalmente, las empresas farmacéuticas comerciales se dieron cuenta del excelente trabajo que estaba haciendo el equipo de la Dra. Menache. Alfa Therapeutics pronto sacó a AlphaNine, la cual fue inspirada en el trabajo que hizo el equipo de la Cruz Roja. Fue aprobada en 1996 (Alpha Therapeutics fue adquirida por Grifols en 2003).

“Esto estuvo bien para nosotros”, comentó el Dr. Clark, “simplemente queríamos que los pacientes con hemofilia B tuvieran un producto seguro”. Luego, la Cruz Roja colaboró con Alpha utilizando el plasma que recolectaban para hacer su producto. Otra empresa, Armor Pharmaceutical (ahora

CSL Behring), fue la siguiente en la línea en desarrollar Mononine, otro producto de factor IX altamente purificado que evitaba la trombosis. El Dr. Clark recuerda la satisfacción que sintió, al saber que ahora había al menos dos productos seguros para pacientes con hemofilia B.

El equipo de la Cruz Roja siguió trabajando en una variedad de productos purificados derivados del plasma, incluyendo la antitrombina III, las proteínas C y S y el Factor X. “Estuvimos haciendo mucha investigación, estudio y desarrollo de varios productos. Hicimos ensayos clínicos y tuvieron bastante éxito”, dice el Dr. Clark. “La filosofía de la Cruz Roja sostiene que ellos son los administradores del abastecimiento de sangre. Manejan este valioso suministro de sangre del público estadounidense y lo quieren aprovechar al máximo, nosotros estábamos tratando de hacer lo mismo”.

“Fue una experiencia increíble”, recuerda Clark con gratitud. “Todos eran científicos de investigación y bioquímicos. Me contrataron como ingeniero químico para intentar hacer este producto a gran escala. No tenía idea de que esto era lo que iba a hacer, pero resultó ser algo tan maravilloso, y aprendí mucho de todas las personas y los proyectos en los que trabajamos”.

La gratificante experiencia con la Cruz Roja es parte de un tema recurrente en la vida profesional del Dr. Clark. Es un tema que él apoya y anima a otros a hacerlo parte de sus vidas. “Lo que realmente quería ser era un físico químico, pero me convertí en ingeniero químico para ganarme la vida. Resultó ser un buen camino para mí porque lo encontré práctico y útil. Un químico ingeniero obtiene formación básica en ciencia e ingeniería y con esta experiencia realmente puede desempeñarme bien en campos diferentes”.

Después de la Cruz Roja, el Dr. Clark trabajó en Clearant con varias personas que solían trabajar para la Cruz Roja. Usamos radiación para matar los virus, el Dr. Clark encontró este trabajo fascinante, “Trabajamos mucho en productos de plasma, pero sobre todo trabajamos con tejido humano donado”. Después de trabajar en Clearant, el Dr. Clark se convirtió en un asesor independiente para algunos de los bancos de tejidos. “Esto era un campo completamente diferente, pero estaba relacionado con el plasma ya que es material que proviene del cuerpo humano.



La empresa principal con la que Clark trabajó como asesor independiente fue Tissue Banks International en el área de la Bahía de San Francisco. Como parte de este trabajo, él y un amigo desarrollaron métodos para esterilizar el tejido usando la radiación. Mejoraron los métodos que habían aprendido durante su tiempo en Clearant.

Claramente se ve como se enciende una chispa cuando el Dr. Clark relata esta introspección sobre su trayectoria, “Esta es la historia de mi vida, y esto es lo que quiero enfatizar. En mi carrera, salté de un campo a otro. Una vez más, se trata de educación. Si se tiene una buena educación, te das cuenta de que puedes aprender aun más y te sientes cómodo y versado en un campo nuevo”.

Con un gesto de satisfacción y lleno de energía, dice: “Uno también encuentra que muchas de las experiencias que ha tenido en el pasado son valiosas para lo que está haciendo ahora. La gente lo llama pensar ‘fuera de los límites’, pero realmente es pensar en términos de las situaciones en las que se ha estado antes. Estás en una situación nueva pero tienes ideas que puedes agregar de las experiencias anteriores”.

Reflexiono sobre el maravilloso aspecto de la vida del Dr. Clark el cual lo llevó por caminos que no podría haber previsto mientras era un estudiante en la escuela. “Sí!” Exclamó: “El gran tema en la escuela de posgrado era la bioquímica, pero nunca quise hacer lo que todos los demás estaban haciendo, así que decidí que no iba a dedicarme a la ingeniería bioquímica. Bueno, es lo que hago ahora”, se ríe con un modesto movimiento de cabeza, “He pasado la mayor parte de mi carrera como ingeniero bioquímico. Esto demuestra que nunca sabes adónde podrás llegar. Mi filosofía siempre ha sido: “No intentes decidir a dónde vas. Deja que la vida te lleve. La vida me ha llevado hacia todo tipo de cosas y lugares interesantes”.

“A veces me critican porque la gente piensa que necesita establecer un objetivo específico y trabajar para lograrlo. Yo nunca lo hice de esa manera, al contrario, me deje llevar donde la vida quería llevarme. Este enfoque me ha llevado a lugares mucho mejores que cualquier objetivo que me hubiera fijado”. Es un consejo inusual y el Dr. Clark admite que muchos padres no quieren escucharlo. “Soy diferente, pero no sé si mi camino es necesariamente el incorrecto”.



El Dr. Dave se divirtió mucho trabajando con Patrick Lynch en la Feria de Ciencias. Le encanta trabajar con varias organizaciones y ¡está siempre dispuesto a ayudar!

Le pregunté al Dr. Dave cómo llegó a trabajar en The Coalition for Hemophilia B. “Uno de mis últimos jefes de laboratorio en la Cruz Roja fue el Dr. Bill Drohan. El era el jefe del laboratorio de derivados de plasma y era una gran persona con quien trabajar. Él estaba siempre guiándonos hacia nuevas ideas tales como los recombinantes y productos transgénicos, que no están hechos de la sangre humana”.

El Dr. Drohan conoció a John Taylor, fundador de la Coalition, y comenzó a escribir artículos para Factor IX Newsletter (ahora llamado Hemophilia B Newsletter). Reclutó la ayuda del Dr. Clark, y eventualmente le asigno enteramente la tarea al Dr. Clark. “He estado escribiendo para el boletín desde entonces” El Dr. Dave dice con una gran sonrisa. “Nunca pensé que podría escribir, pero aprendí que tengo un don para ello. Una vez alguien me dijo que para hacer un buen trabajo, necesito conocer a mi audiencia. Entonces, intento escribir como si estuviera hablando con el padre de un niño pequeño con hemofilia, que puede tener conocimiento médico limitado además de poco tiempo y escasos recursos para averiguar los términos técnicos”.

Concentrando nuestra conversación en la hemofilia B, le pregunte al Dr. Clark si tiene alguna frustración o preocupación. Él afirma enfáticamente que le preocupa la difícil situación de las mujeres con hemofilia y quiere verlas recibir más reconocimiento y que no sea una lucha su diagnóstico. “Hay tratamientos excelentes para la hemofilia y vienen productos aun mejores. Nadie debería estar





sangrando y sin embargo, muchas mujeres están siendo ignoradas y tienen problemas para encontrar la atención adecuada. Estas mujeres están sufriendo y ¿esto no debería estar ocurriendo!"

Le pregunté al Dr. Clark de dónde cree que proviene la raíz de esta mentalidad. "Es en parte ignorancia y en parte arrogancia. Nosotros Creemos que sabemos más de lo que sabemos. Una vez que adquirimos algún conocimiento primitivo y limitado de la genética de la hemofilia, decidimos, que como las mujeres tienen dos genes del factor IX (porque tienen dos cromosomas X), no deberían tener problemas de sangrado. Pensamos que si uno era malo el otro compensaría en la mayoría de los casos. Una de las cosas que he aprendido en mi carrera científica es que rara vez hay respuestas simples. Si crees que tienes una respuesta simple a un problema, probablemente estás equivocado. Durante años creímos que las mujeres genéticamente no podían tener hemofilia. Nosotros no sabíamos lo suficiente para darnos cuenta de que había otras razones que si la podían causar".

El Dr. Clark se rasca la cabeza con simpatía: "A lo largo de la historia, la sociedad normalmente no ha tomado a las mujeres suficientemente en serio. No entiendo esto. Tenemos maravillosos médicos que tratan la hemofilia en todo el país y muchos de ellos ahora están comenzando a tomar más en serio los problemas de sangrado de las mujeres, lo cual es bueno.

Otra preocupación por la cual el Dr. Clark envía una advertencia tiene que ver con la velocidad a la que los nuevos productos se están desarrollando para ajustar el sistema de coagulación. "Actualmente, están sucediendo muchas cosas con productos nuevos en desarrollo para la hemofilia. Creo que es bueno, pero en al mismo tiempo, me

pregunto si nos estamos adelantando mucho. Intentamos hacer cosas que creemos que comprendemos, pero no completamente, y eso puede ocasionar problemas. Me pregunto a veces, si los productos nuevos se fomentan demasiado rápido antes de entender completamente las implicaciones. Es ciencia. Siempre vamos a encontrar problemas que necesitaran ser resueltos.

El Dr. Clark dice que se ve más a sí mismo como un conservador de información que de concejos. Él señala que siempre habrán personas que quieren el mejor y más novedoso tratamiento, y aceptarán un producto tan pronto como esté disponible. "De cierto modo, su valentía es valiosa para el resto de nosotros. Mediante ellos, encontramos los problemas potenciales. Luego, hay otras personas que tienen demasiado miedo de probar algo nuevo, aunque potencialmente puede ayudarles mucho. No tengo hemofilia, así que no quiero presionar a nadie para que pruebe algo que quizás no es adecuado para ellos".

El hecho de que la hemofilia B esté recibiendo tanta atención últimamente le da esperanza al Dr. Clark. "Hay muchas cosas emocionantes que están pasando y creo que el futuro depara algunos tratamientos maravillosos para la hemofilia". Él está especialmente entusiasmado con los avances en la terapia génica. "Tenemos todavía un camino por recorrer, pero puede haber una cura potencial para hemofilia B en terapia génica". Sus ojos se iluminan al pensar en cómo su fascinante trabajo podría cambiar las vidas para mejor.

"Cuando la gente pide un consejo", dice, "siempre les digo que hablen con su doctor. No soy un médico. Los doctores son valiosos no solo por su conocimiento, sino también porque desarrollan formas de trabajar directamente con los pacientes, y esto es tan importante como la ciencia".



El Dr. Clark enhebra maravillosamente el hilo de los artículos sobre la hemofilia B por medio de informar a los lectores sobre investigaciones, productos, posibles problemas y beneficios, y deja que los pacientes y las familias tomen sus propias decisiones informadas. Él cree podemos obtener un buen cuidado hablando con muchas personas y obteniendo información sobre los productos.

Para terminar, el Dr. Clark dice: “A través de los años, me he involucrado cada vez más con la Coalition y con las familias

de la hemofilia B a las que me enorgullece servir. Me encanta esta comunidad. ¡Son gente increíble!”

“Gracias, al Dr. Dave, por ilustrarnos en cómo el tomar la educación seriamente puede llevarnos a viajes emocionantes y con propósito, e incluso a las oportunidades de nuestras vidas. Gracias por ser parte de esta importante educación. Eres una persona muy preciada de la Coalition for Hemophilia B. ¡Feliz 30 aniversario!”

“Conozco a Dave desde hace más de 20 años, ¡su pasión por esta comunidad es insuperable! Dave habla en todos los programas a nivel nacional. Yo especialmente disfruto cuando viene a los retiros y pone a todo el mundo al día sobre la investigaciones y actualizaciones científicas de una manera que podamos entenderlo y luego sale con todos los chicos y a ellos les encanta hablar y andar con él. Es una persona muy especial y ¡nosotros somos muy afortunados de conocerlo y tenerlo como parte de nuestra comunidad!”
– Wayne Cook

“¡Dave es asombroso! Recuerdo cuando yo estaba empezando, había mucho que aprender y él me lo hizo tan fácil de entender. Yo le he hecho un millón de preguntas, ¡y todavía las hago! Siempre tiene una sonrisa en su rostro y una maravillosa paciencia. Realmente ama el trabajo que hace y se preocupa profundamente por nuestra comunidad. Su pasión brilla intensamente. Dave es una verdadera joya que todos deberíamos apreciar mucho. ¡Me siento muy bendecida todos los días por conocerlo! – Kim Phelan



“El Dr. Clark comprende la ciencia de los trastornos hemorrágicos (especialmente hemofilia B) y las terapias actuales y emergentes mejor que nadie que yo haya conocido. Su capacidad para explicar la ciencia y los conceptos sobre dificultades médicas no tiene rival, y es a la primera persona a la que recurro cuando necesito entender algo complejo que tiene que ver con mi trastorno hemorrágico. Además de su increíble experiencia y su voluntad de compartirla, es una de las personas más amables que he conocido”. – Lori Long

SOLICITA BECAS

¡HOY!



NAT LATHROP
MUSIC SCHOLARSHIP



LET'S PLAY IX
GOLF SCHOLARSHIP

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

RESURGIENDO HACIA EL BIENESTAR CON LA COALITION

POR GLENN MONES

La primavera parece darnos nueva vida. Limpia nuestro espíritu y nuestros corazones. Sentimos emerger una renovación de nuestras propias energías.

Qué mejor manera de comenzar la primavera y el mes de concientización de la salud mental que dedicar tiempo todos los sábados para trabajar en nuestra mente y cuerpo. Para dar inicio a la temporada y ayudar a nuestros miembros en esta búsqueda vital, The Coalition for Hemophilia B presentó una Serie de Bienestar Personal todos los sábados durante el mes de mayo (excepto el fin de semana del Día de la Madre).

Se animó a los participantes a traer su taza de café mañanera afuera para que todos pudiéramos pasar tiempo juntos y jempesar a movernos! Para muchos que han estado encerrados todo el invierno, esta fue una buena oportunidad para salir de la casa al aire libre.

Cada sesión se inició con meditación y Tai Chi (simples movimientos rítmicos diseñados para mejorar el equilibrio, la fuerza y la flexibilidad y mantener o fortalecer la masa ósea). Esta antigua práctica física y mental fue dirigida por Rick y Cassandra Starks, un equipo de padre e hija que son muy conocidos en la comunidad. Curiosamente organizaciones de salud nacionales, incluida la Arthritis Foundation recomiendan clases de Tai Chi para aliviar el dolor. Es perfecto para adultos de todas las edades y lo apoyará en su camino hacia la salud. Esta fue una excelente manera de comenzar el día y

¡hacer que todos se levantaran y se movieran!

Cada semana contó con un orador invitado especial que nos inspiraron y motivaron agregado una herramienta más a nuestra caja de herramientas de autocuidado y nuestro viaje. Entre ellos están: coach de salud y vida y nutricionista, Catherine Canadeo; la instructora de salud mental certificada de primeros auxilios y madre con hemofilia, Debbie De La Riva LPC de Mental Health Matters Too, el golfista profesional con hemofilia Perry Parker y Diane Dimon, Dr.RS, una entrenadora de mente/cuerpo de Matters of the Mind. ¡Nos dejaron a todos muy fortalecidos!

Los comentarios que recibimos de los participantes han sido extremadamente positivos:

“Disfruté mucho de los eventos de CHB Spring into Wellness porque me ayudaron a recordar que quiero centrarme en mi salud mental así como mi salud física. Me gustó que no solo aprendimos de los oradores, sino que también participamos al meditar y hacer Tai Chi. Realmente desearía que el programa continuara de forma regular”.

“¡La Serie de Bienestar Personal fue INCREÍBLE! Fue tan



genial conectarse los sábados por la mañana y pasar una hora adquiriendo habilidades, conocimientos y técnicas para ayudarme a cuidar mi mente y cuerpo. Nunca podré expresar lo agradecida que estoy con The Coalition for Hemophilia B y CSL Behring por organizar estos invaluable eventos.

“El cuidado personal y el bienestar son muy importantes. Como madre, esposa, hermana, tía e incluso solo una amiga, a veces es difícil dar un paso atrás y cuidar de mí misma. Esto es algo que tengo que recordar de hacer, ya que no es mi naturaleza. Quiero darle las gracias personalmente a todos ustedes por ayudarnos a lo largo del camino. Yo realmente no comprendía lo importante que es contar con ayuda emocional, mental e incluso física en el camino hacia una vida saludable”.

“La Serie de Bienestar Personal fue una experiencia increíble. La Coalition realmente hace todo lo posible para que tengamos nuestra mente tranquila y nos ayuda a relajarnos del estrés del ajetreo diario – que a veces es una vida abrumadora. La meditación guiada, Tai Chi, y los múltiples programas realmente nos mostraron cómo participar y concentrarnos en nuestra salud mental y bienestar. Estoy absolutamente agradecida por estos eventos porque ahora ¡sé cómo puedo trabajar en mi salud mental, la de mi familia e incluso la de mis amigos! Realmente disfruté la experiencia y gané conocimiento de ella. Gracias a la Coalition for Hemophilia B ¡Me llevo hermosos regalos de paz mental! “He aprendido muchas cosas nuevas sobre mí y maneras de formar mi mente, cuerpo y alma en tiempos de crisis como

cuando ocurren episodios de sangrado grave. Me animó a encontrar una forma meditativa para superar el dolor”.

“Realmente aprecio los movimientos del Tai Chi y los oradores de bienestar personal. Como tengo hijos pequeños, a menudo me concentro en prepararlos por las mañanas y olvido tomar un tiempo para mí. Esta fue una excelente manera de programar un tiempo para mi cuidado personal y me proveyó con nuevas herramientas que puedo incorporar en las mañanas”.

Estos solo son una muestra de los muchos comentarios que hemos recibido.

Queremos expresar nuestro más sincero agradecimiento a CSL Behring, nuestro patrocinador para esta serie. Sin la visión compartida de socios como CSL, estos programas no serían posibles.

CSL Behring

La Coalición para la Hemofilia B se compromete a brindar a nuestra comunidad una variedad de oportunidades para conectarse con otros miembros y aprender juntos sobre bienestar físico, mental y autocuidado. Por favor, consulte nuestro sitio web, correos electrónicos y páginas de redes sociales con regularidad para programas y eventos en el futuro.

Día de Acción de Salud Mental

¡De la conciencia a la acción!

A raíz del covid-19, millones de personas han descubierto nuevas afecciones de salud mental y millones más han experimentado que su condición preexistente ha empeorado. Si bien más personas que nunca se sienten cómodas hablando de la salud mental, muchas quedan al margen entre el conocimiento del problema y la acción, en particular aquellos que han sido marginalizados o desatendidos por las instituciones existentes. Es por eso que una coalición de más de 1400 organizaciones sin fines de lucro, marcas, agencias gubernamentales y líderes influyentes se unieron para concientizar y tomar acción el 20 de mayo para la inauguración del Día de Acción de Salud Mental. La participación global incluyó 8K comentarios en IG y con una tendencia en Twitter de más de 6K tweets, incluyendo los del presidente Biden, Arianna Huffington, Kerry Washington y más. También hubieron 620 millones de visitas en GIPHY, 60 millones de visitas en TikTok, más de 5K de interacciones y más de 1700 visitas de prensa con una audiencia de 20 millones de espectadores/lectores.

¡Esperamos volver a trabajar con nuestros socios el próximo año!

NOTICIAS DE SALUD SOBRE LA HEMOFILIA

POR DR. DAVID CLARK

Varios de los elementos que se muestran a continuación se presentaron en el Congreso Anual de la European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD), realizada del 2/3 al 5/21. Los sumarios (resúmenes) de los estudios están disponibles sin cargo en el sitio web de EAHAD en <https://eahadcongress.com/abstracts/abstract-submission/>.

CARGA CLÍNICA Y ECONÓMICA DE LA HEMOFILIA B EN EE. UU.

2/3/21 y 20/3/21 Se analizaron dos artículos recientes relacionados con los resultados de los estudios CHES US y CHES US+ sobre la carga de la hemofilia B severa en los EE. UU. El estudio CHES de EE. UU. se basó en los análisis de registros médicos e información medica reportada. El estudio complementario CHES US+ se basó en la información recopilada reportada por el paciente mediante un cuestionario.

En 44 pacientes con hemofilia B grave, todos en profilaxis, el promedio de la tasa anual de sangrado (ABR) fue de 2,0 (rango 0-5). El hecho de que los pacientes en profilaxis todavía tenían hemorragias demuestra que todavía hay necesidades insatisfechas en el tratamiento de la hemofilia. 18% de los pacientes informaron al menos una articulación afectada y el 11% informó al menos una articulación problemática. 56,1% informó dolor crónico en un nivel de 1 al 5 (de 10) y el 28,1% reportó dolor crónico en un nivel de 6 al 10.

En el análisis económico, el costo médico anual promedio fue de \$614,886, la mayor parte del cual fue por el factor (\$611,971). Desglosando por tipo de productos de factor, el promedio de los costos anuales de los factores fueron de \$397,491 para productos de vida media estándar (SHL) y \$788,491 para productos de vida media extendida (EHL). El uso promedio real del factor fue de 287.141 UI para SHL y 232.278 UI para EHL.

La mayoría de los mismos autores también participaron en otro estudio (Li et al.) para modelar los costos estimados de por vida de los adultos a partir de los datos de CHES. Ellos estimaron que el total de los costos de por vida para pacientes adultos con hemofilia B severa y moderada son de \$21,086,607 para aquellos en SHL profilaxis, \$22,987,483 para aquellos en profilaxis con EHL y \$20,971,826 para aquellos en tratamiento por demanda. Para aquellos en profilaxis, los costos de los factores representan > 90% de los costos totales. Aquellos que usan el tratamiento

a demanda tienen costos de factores más bajos pero los costos médicos son mucho más altos. [Burke T et al., Orphanet J Rare Dis, 16 (1), 143, 2021 y Li N et al., J Med Econ, 24 (1), 363 372, 2021]

CARGA CLÍNICA DEL TRATAMIENTO CON INHIBIDORES EN EUROPA

4/2/21 En EAHAD, se presentó un estudio que registró datos de CHES II, un estudio europeo similar de la carga de la hemofilia B en pacientes con inhibidores. En 24 pacientes con inhibidores, encontraron un ABR promedio de 6.6, en comparación con un ABR promedio de 3.5 en 53 pacientes que nunca habían desarrollado un inhibidor. De los sujetos con inhibidores, el 38% tenía articulaciones problemáticas en comparación con el 26% en el grupo de los que no tenían inhibidores. El 29% de los del grupo con inhibidores se sometió a cirugía articular, en comparación con el 23% del grupo sin inhibidores. Los autores señalan que el número de pacientes con inhibidores fue relativamente pequeño y que se necesita investigación adicional. [Resumen de EAHAD ABS068]

ESPERANZA DE VIDA PARA PERSONAS CON HEMOFILIA EN PAÍSES NÓRDICOS, INCLUYENDO PORTADORES

2/4/21 En EAHAD, los investigadores presentaron resultados de un estudio de 3246 personas con hemofilia y portadores de hemofilia (A y B), observaron la expectativa de vida y las comorbilidades (otras enfermedades/trastornos) desde el 2007 al 2017. A pesar de las recientes mejoras en el tratamiento, tanto las personas con hemofilia y portadores tenían una expectativa de vida significativamente menor que en los controles de la población de personas sin hemofilia. Esta menor expectativa de vida no se debe solo a la infección por VIH. Encontraron una mayor prevalencia de artritis y de infecciones por VIH y hepatitis, como se esperaba. Sin embargo, ellos También encontraron prevalencias más altas de hipertensión (sangre alta presión arterial), diabetes, enfermedad renal y epilepsia. Los portadores tenían tasas

igualmente altas de estas comorbilidades. [Resumen de EAHAD ABS155]

HEMOFILIA LEVE A MODERADA

Personas con hemofilia leve a moderada, incluidas muchas mujeres con hemofilia, han sido excluidas en los estudios de investigación. La mayoría de los estudios de investigación clínica se centran en hombres con hemofilia A severa, con un número menor cubriendo a hombres con hemofilia B severa. Gran parte de nuestro conocimiento sobre la hemofilia se ha extrapolado de los resultados de esos estudios. Sin embargo, se está volviendo evidente que tanto hombres como mujeres con hemofilia leve o moderada tienen necesidades insatisfechas que son diferentes de las necesidades que tienen en la hemofilia severa. Además, muchos de los nuevos tratamientos que se están desarrollando, como la terapia génica, pueden terminar cambiando la hemofilia severa a leve, agregándose a la población leve/moderada.

Empezamos a reconocer algunas de las diferencias en el estudio de B HEROS realizado hace unos años en el que participó la Coalition. Ahora la revista, *Haemophilia*, diario oficial de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH), ha dedicado un número especial complementario a los problemas de la hemofilia leve a moderada. La publicación está disponible para acceso gratuito en Internet en <https://onlinelibrary.wiley.com/toc/13652516/2021/27/S1>. A continuación se presentan algunos aspectos destacados de ese número.

Los problemas comienzan con el diagnóstico. Dado que a menudo, muchos leves y moderados no sangran espontáneamente son diagnosticados más tarde en su vida, a menudo después de un traumatismo o una cirugía. Muchas personas pueden pensar que solo tienen “rodillas malas” o “tobillos malos”, aunque no lo entiendan, es el resultado de muchas hemorragias articulares pequeñas que se han producido desde la niñez. Muchos no saben como reconocer una hemorragia ni que se puede tratar. Como muchos de ustedes son conscientes, la mayoría de las personas sin hemofilia, incluso los médicos, no saben mucho sobre la hemofilia.

Incluso después del diagnóstico, muchos leves y moderados tienen dificultad para obtener atención. Esto es especialmente cierto en el caso de las mujeres con hemofilia y portadores que nunca han sido diagnosticados con hemofilia leve o moderada, pero incluso los hombres también han sido desatendidos. Aunque su hemofilia haya sido reconocida, muchos tienen problemas para obtener el factor y pocos saben cómo auto infundirse. Esto resulta en retrasos en el tratamiento, si es que pueden recibir tratamiento. Solo un pequeño porcentaje de los moderados que pueden tener pequeñas hemorragias de rutina, están en profilaxis. Hay demasiados leves y moderados que son prácticamente forzados por médicos desinformados y compañías de seguros para que dejen que sus articulaciones se degraden con el tiempo.

Los estudios han demostrado que los leves y los moderados tienen una vida normal, sin embargo, su calidad de vida a menudo no dura. Ellos y sus cuidadores también pueden

sufrir problemas sociales y psicológicos como los severos, pero sin el beneficio de ayuda del HTC. Tampoco suelen estar conectados con la comunidad de la hemofilia, y sabemos que la conexión puede ser de gran beneficio.

Las mujeres pueden experimentar períodos abundantes y un mayor riesgo de sangrado durante el embarazo y después del parto, pero no comprenden que estos problemas pueden tratarse. Se sabe que los leves y los moderados con hemofilia A todavía pueden desarrollar inhibidores, pero esencialmente no se sabe nada sobre la hemofilia B. Todo esto señala a la necesidad real de realizar más investigaciones sobre la hemofilia leve y moderada y hacer más conciencia de que estos pacientes no lo tienen fácil en comparación con los graves.

Gran parte de la historia del tratamiento de la hemofilia se ha centrado en severos y estamos haciendo grandes avances en su tratamiento. Ahora tenemos que reconocer que hay otros en nuestra comunidad que tienen necesidades insatisfechas. Tenemos finalmente que empezar a reconocer que muchas mujeres no son “sólo portadoras”, en realidad tienen hemofilia leve o moderada. También debemos reconocer que muchos hombres también caen en esa categoría.

¿Qué puedes hacer? Abogar por un mayor reconocimiento en sus capítulos locales y las organizaciones nacionales para que reconozcan que existen todavía miembros de la comunidad que no están siendo atendidos. Si usted proviene de una familia con hemofilia, asegúrese de que sus parientes saben que pueden tener hemofilia leve o moderada y no saberlo. Si tiene problemas para recibir atención, imprima el artículo del número especial de *Haemophilia* y enséñeselo a su médico o HTC. A menudo, el primer paso para resolver un problema es simplemente hacer que la gente se dé cuenta de que el problema existe.

DISCREPANCIAS EN ENSAYO DE FACTOR IX EN LEVES Y MODERADOS

5/2/21 Hay dos tipos principales de ensayos de factor IX, la prueba para determinar el nivel del factor IX en la sangre. Uno de ellos es el ensayo de coagulación, también llamado ensayo de una etapa (OSA) y el ensayo cromogénico (CA). En una AOS, la muestra de plasma del paciente se mezcla con reactivos (productos químicos) que activan la coagulación y proporcionan los otros elementos necesarios para formar un coágulo. Se mide el tiempo desde que se hace la mezcla hasta la formación del coágulo y se compara con el tiempo que toma una muestra con un nivel normal de factor IX (un “estándar”) para formar el coágulo. En una CA, la muestra se mezcla con diferentes reactivos más un “sustrato cromogénico” que cambia de color cuando está expuesto a los factores de coagulación activados. El tiempo y la intensidad del cambio del color se miden y también se comparan al estándar normal del factor IX. Diferentes laboratorios utilizan diferentes versiones de cada prueba. Usando el mismo estándar, se puede comparar los resultados de un laboratorio a otro.

Para las personas con hemofilia severa, los ensayos OSA y CA suelen dar el mismo resultado. Un estudio holandés presentado en EAHAD muestra que esto no siempre puede

ser cierto para pacientes con hemofilia leve/moderada. En un estudio de 58 pacientes con hemofilia B no grave, los investigadores encontraron que para el 17% (10/58) de los pacientes el resultado de la AOS (coagulación) fue significativamente más alto que el resultado de la CA (cromogénico), a veces el doble o más alto. Nueve de los pacientes se clasificaron en una categoría más severa dependiendo del ensayo que se utilizó. Este es otro caso que muestra que los leves y moderados necesitan una atención diferente a la de los severos. [Resumen de EAHAD ABS008]

PATRONES DE SANGRADO EN LEVES/ MODERADOS

5/2/21 Otro estudio holandés examinó los patrones de sangrado en personas con hemofilia A y B leve y moderada. Este tipo de estudio se puede realizar más fácilmente en muchos países europeos porque sus sistemas de salud gubernamentales tienen registros del tratamiento de casi todos durante su toda la vida. En 133 pacientes (102 A y 31 B) con hemofilia leve o moderada, el 81% había experimentado al menos una hemorragia a lo largo de su vida que requirió tratamiento con factor, y el 44% había experimentado al menos una hemorragia articular. El promedio de la tasa anual de sangrado (ABR) fue de 0,8 para los moderados y 0,2 para los leves. [Resumen de EAHAD ABS199]

PORTADORES Y MUJERES CON HEMOFILIA

24/12/20 al 20/3/21 Cuatro estudios de revisión recientes se han centrado en el manejo del cuidado de portadoras y mujeres con hemofilia durante el embarazo, el parto y el posparto. Los estudios señalan que hay una falta de detección y diagnóstico para mujeres en riesgo y falta de pautas de tratamiento para su cuidado y el cuidado de su bebé. Una revisión [Chaudhury et al.], también cubrió la atención durante la menstruación y otros episodios hemorrágicos. Existe definitivamente falta de investigación en esta área. La falta de directrices de tratamiento significa que los planes de tratamiento deben crearse a partir de cero y puede basarse tanto en la experiencia como en la intuición y los datos.

Un riesgo especial es inherente en las mujeres que no son percibidas en estar en riesgo, debido a desconocer su estado de portadora o sus niveles de factor. Incluso las mujeres con factores de riesgo conocidos puede que no se den cuenta de la necesidad de buscar atención adicional o se les puede negar el cuidado suficiente. El consenso general es de mantener los niveles de factor superiores al 50% al final del embarazo y a través del período posparto. Incluso entonces, las mujeres pueden enfrentar riesgos significativos de hemorragia posparto al igual que aborto espontáneo y muerte fetal.

Descuidar el cuidado de la madre también puede poner al feto/bebé en riesgo. Los niveles bajos de factor materno están asociados, en algunos casos, con retraso del crecimiento fetal. En general, debido a la falta de conocimiento significativo en esta área, las mujeres embarazadas que están en riesgo de trastornos hemorrágicos debe buscar atención de médicos experimentados y centros de tratamiento. [Chaudhury A

et al., Haemophilia en línea antes la impresión 24/12/20; Murakhovskaya I y Demasio KA, NeoReviews, 22 (2), e95 e103, 2021; Togioka BM y col., J Anesth, 35, 288 302, 2021; Punt MC y col., Blood Rev, en línea antes de la impresión 20/03/21]

NUEVOS PRINCIPIOS EUROPEOS DEL CUIDADO PARA MUJERES Y NIÑAS CON TRASTORNOS DE SANGRADO HEREDADOS

2/4/21 En EAHAD, el *EAHAD Grupo de Trabajo de Mujeres y Niñas con trastornos hemorrágicos* presentó los diez Principios de atención (PoC, por sus siglas en inglés) para mujeres y niñas con trastornos hemorrágicos heredados (WBD, por sus siglas en inglés). Este es un paso importante. Citando del resumen:

Se desarrollaron diez PoC complementarios para las WBD, enfatizando la importancia y los beneficios de un enfoque centralizado, multidisciplinario e integral centrado en la familia para apoyar y manejar las WBD durante todas las etapas de su vida:

Los 10 principios europeos de atención a mujeres y niñas con trastornos hemorrágicos hereditarios

1. Acceso equitativo y calidad de la atención para todas las personas con trastornos hemorrágicos, independientemente del sexo
2. Diagnóstico oportuno y preciso de los trastornos hemorrágicos en las mujeres y las niñas
3. Concientización de los desafíos adicionales que enfrentan las WBD a lo largo de la vida
4. La atención integral de los trastornos hemorrágicos requiere un enfoque centrado en la familia que incluye a WBD
5. Incluir a un obstetra y un ginecólogo en el equipo multidisciplinario
6. Educación de WBD y sus familias sobre los desafíos asociados con el ciclo menstrual y su manejo
7. Reconocimiento temprano y manejo óptimo del sangrado menstrual profuso
8. Prestación de asesoramiento previo a la concepción y acceso a diagnóstico prenatal
9. Provisión de un plan de gestión integral centrado en el paciente durante el embarazo y el período del posparto
10. Participación de WBD en los registros, la investigación clínica y la innovación

Estos PoC mejorarán la conciencia sobre los singulares desafíos de las WBD y servirán como punto de referencia para el diagnóstico y el manejo multidisciplinario integral de la WBD. Estos parámetros ofrecen un marco para guiar los HTC en la prestación de una atención equitativa para todas las mujeres en su propio centro y en otros entornos sanitarios. La implementación y el cumplimiento de estos principios están dirigidos para impactar positivamente en la salud, el bienestar y la calidad de vida para las WBD. [Resumen de EAHAD ABS291]

TERAPIAS EMERGENTES

POR DR. DAVID CLARK

Varios de los elementos que se muestran a continuación se presentaron en el Congreso Anual de la European Association for Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD), realizada del 2/3 al 5/21. Los sumarios (resúmenes) de los estudios están disponibles sin cargo en el sitio web de EAHAD en <https://eahadcongress.com/abstracts/abstract-submission/>.

Catalyst publica actualizaciones de Dalca



4/2/21 Catalyst Biosciences está desarrollando dalcinonacog alfa (Dalca), una variante subcutánea del factor IX con una actividad aumentada y una vida media más larga para uso como profilaxis en la hemofilia B. En su estudio de fase I / II de 11 hombres de 12 a 65 años con hemofilia B grave, se comparó a Dalca subcutáneo (subQ) con BeneFIX intravenoso (iv), y encontraron que Dalca tenía 24 veces mayor actividad que BeneFIX y una vida media de 54 a 07 horas. El nivel mediano del factor IX alcanzado después de 6 dosis fue del 15,7%. Dos pacientes (primos con genética presumiblemente similar) desarrollaron inhibidores de Dalca. [Usted CW et al., J Thromb Haemost, en línea antes de la impresión 4/2/21]

6/5/21 Catalyst también publicó un informe sobre su estudio de fase IIb de Dalca, que tiene como objetivo producir niveles circulantes del factor IX a un porcentaje del 12% o más. No hubo informes de reacciones adversas graves o trombosis. Sin embargo, varios pacientes experimentaron reacciones en el lugar de la inyección (ISR) incluyendo a un sujeto que dejó de participar debido a los ISR. En los cinco pacientes restantes, tres experimentaron niveles de factor IX de al menos 12% durante el día 7 y los cinco tuvieron niveles del 12% durante el día 29. La división de las dosis en diferentes lugares para las inyecciones subcutáneas adicionales redujo el número de ISR. [Mahlangu J et al., Haemophilia, en línea antes de la impresión 6/5/21]

Catalyst presenta datos sobre MarzAA y comienza los estudios de fase III



3/2/21 Catalyst Biosciences también desarrollo de marzeptacog alfa activado (MarzAA), a subQ una variante activada del factor VII con una actividad aumentada y vida media más larga para el tratamiento de pacientes con hemofilia A o B con inhibidores. En EAHAD informaron sobre estudios de MarzAA en animales, ratas y perros hemofílicos. MarzAA fue eficaz en el tratamiento de hemorragias espontáneas en ambos tipos de animales. [EAHAD resúmenes AB5027 y AB 5028]

5/5/21 Catalyst anunció que han dosificado el primer paciente

en su estudio de fase III de MarzAA. El estudio busca reclutar 60 pacientes con inhibidores de 12 años o más para el estudio en múltiples sitios de varios países. Ellos esperan completar el estudio a mediados de 2022. [Comunicado de prensa de Catalyst 5/5/21 y artículo de Hemophilia News Today 12/5/21]

CSL publica acerca de Factor X modificado para el tratamiento de la hemofilia

CSL Behring

23/4/21 CSL Behring está explorando el desarrollo de un producto de factor X modificado para el tratamiento de la hemofilia A o B con o sin inhibidores. El factor X es un factor clave que convierte la protrombina (factor II) en trombina (IIa), la cual convierte el fibrinógeno en fibrina para formar un coágulo. El factor X es activado por el complejo de factor VIII / IX activado. Pacientes con factor VIII defectuoso (hemofilia A) o factor IX defectuoso (hemofilia B) tienen problemas para activar suficiente factor X para producir buenos coágulos. Investigadores de CSL han modificado el factor X para que pueda ser activado por el factor XIa, eliminando la necesidad de factores VIII o IX. Esto también sirve como un agente de derivación para pacientes con inhibidores A o B. El factor X modificado mostró buenos resultados de coagulación en pruebas de laboratorio en ratones. Se necesita más investigación para averiguar el potencial de la molécula como tratamiento para la hemofilia. [Ebert M, et al., Blood Cells Mol Dis, en línea antes de la impresión 23/4/21]

¿Una ensalada de factor IX para la erradicación de inhibidores?

5/5/21 Un grupo de investigadores académicos está explorando el desarrollo de un producto de factor IX a base de plantas para uso en la inducción de tolerancia inmunitaria (ITI) en pacientes de hemofilia B con inhibidores. Los protocolos actuales de ITI proveen dosis normalmente diarias de factor de coagulación para tratar de enseñarle al cuerpo a tolerar el factor VIII o IX infundido. ITI a menudo tiene éxito en pacientes con hemofilia A pero tiene menos éxito en la hemofilia B. Los investigadores demostraron en 2017 que el factor IX recombinante producido por medio de la ingeniería genética en plantas de lechuga podrían usarse para inducir tolerancia en ratones y perros con hemofilia B e inhibidores cuando se administra por vía oral. El factor IX recombinante

TERAPIAS EMERGENTES

también está relacionado con la subunidad B no tóxica del cólera que ayuda al factor IX a pasar a través de las paredes de los intestinos.

Ahora, en preparación para un estudio clínico en humanos, el grupo ha realizado estudios de toxicidad en ratas y perros para mostrar que el producto es seguro. No encontraron evidencia de toxicidad. Tenga en cuenta que la lechuga se liofiliza, se muele y se mezcla con la comida del animal. (¡para los perros agregaron un poco de sabor a tocino!) Para los humanos, el producto probablemente va a ser molido y colocado en cápsulas. [Srinivasan A, et al., Plant Biotechnology Journal, en línea antes de la impresión 5/5/21]

Confusión de la FDA sobre las indicaciones de profilaxis pediátricas



17/02/21 La FDA ha rescindido temporalmente la indicación de profilaxis en niños para Ixinity de Aptevo/Medexus y BeneFix de Pfizer. Este es un problema administrativo y de etiquetado y no refleja ni la seguridad del producto ni la eficacia para su uso. Ambos productos siguen indicados como profilaxis en adultos. Rixubis de Baxalta (ahora de Takeda) fue aprobado para la profilaxis en niños en 2014, y dado que tenía el estatus de fármaco huérfano, tiene un derecho exclusivo a esa indicación durante siete años, hasta el 12/9/2021. La FDA pasó por alto, por error, la exclusividad de Rixubis cuando aprobó las indicaciones de la profilaxis pediátrica de BeneFIX e Ixinity. Ambas empresas podrán volver a solicitar una indicación de profilaxis pediátrica al final del período de exclusividad de Rixubis. Dado que los médicos pueden recetar cualquier producto con licencia fuera de etiqueta, esto no afectará el uso actual de los productos de ningún paciente. [Cartas de la FDA 17/2/21]

AGENTES REBALANCEADORES: REBALANCEANDO LA CASCADA DE COAGULACIÓN

Varias organizaciones están desarrollando productos para tratar la hemofilia sin infusiones de factor de coagulación, al inhibir varios de los anticoagulantes que controlan el sistema de coagulación. Hasta hace poco, esta área no tenía un nombre uniforme, pero últimamente el consenso parece ser “re-balanceando la cascada de la coagulación”.

Esa es en realidad una buena descripción de lo que estos productos están destinados a lograr. En una persona sin trastorno de sangrado, el sistema de coagulación (la cascada de la coagulación) está en equilibrio entre los factores de coagulación que causan la coagulación y los anticoagulantes que mantienen bajo control la coagulación. A los anticoagulantes a veces se les denominan “frenos” en el sistema de coagulación. Este equilibrio permite que la sangre se coagule cuando es necesario pero no permite la trombosis, que es coagulación no deseada y la cual puede

ser peligrosa o incluso mortal.

Los factores de coagulación defectuosos causan que la hemofilia desequilibre el balance para inclinar la balanza y que no se produzca la coagulación. Al inhibir parte de la actividad anticoagulante en el sistema, los productos que se están desarrollando esperan igualar desequilibrar y restaurar la capacidad de coagulación de la sangre cuando sea necesario. Sin embargo, es un equilibrio complicado de lograr sin llegar a empujar las cosas demasiado lejos y causar trombosis. Algunos de los anticoagulantes que se están analizando incluyen la antitrombina, el inhibidor de la vía del factor tisular (TFPI), y las proteínas C y S.

Uno de los mayores desafíos es tratar el sangrado intercurrente, hemorragias que ocurren en pacientes mientras están en los productos. Las dosis de factor de coagulación para pacientes sin inhibidores o las dosis de agentes de derivación para pacientes con inhibidores deben ser estrictamente controladas para no empujar la balanza demasiado hacia la trombosis. Muchos de los desarrolladores han tenido problemas con esto en sus estudios clínicos.

Muchos de los productos de reequilibrio en desarrollo tienen características atractivas. Se administran por vía subcutánea y requieren inyecciones menos frecuentes que los actuales factores de coagulación. Pueden usarse para tratar tanto la hemofilia A y B, e incluso a pacientes con inhibidores. Pero, lograr ese “equilibrio complicado” ha sido un desafío para muchos de los productos. Con suerte, ese problema se resolverá.

Apcintex presenta sobre SerpinPC



Apcintex
Effective and safe haemostasis

2/4/21 Apcintex está desarrollando SerpinPC para inhibir la proteína C activada (APC) con el objetivo de reequilibrar la cascada de coagulación.

APC es un anticoagulante que normalmente circula en forma inactiva y que se activa en el sitio de la coagulación. Muchos de los factores de coagulación, II, VII, IX y X, los anticoagulantes y las proteínas C y S, tienen estructuras químicas similares y se denominan proteasas de serina porque tienen el aminoácido serina en el sitio activo de la molécula. Los inhibidores de las proteasas de serina se denominan serpinas, una abreviatura para inhibidores de proteasa de serina.

Apcintex cree que SerpinPC será un atractivo candidato reequilibrante porque solo funciona en la proteína C que se activa en el sitio de la lesión/coagulación y, por lo tanto, puede ser menos probable que cause trombosis a lo largo del resto del sistema circulatorio. Está siendo estudiado para ambos, inyección intravenosa (iv) y subcutánea (subQ), pero esperan una dosis subQ mensual.

En EAHAD, informaron sobre los resultados iniciales de su estudio clínico de fase I/IIa. En 12 sujetos, encontraron que SerpinPC fue bien tolerado sin reacciones adversas y ningún aumento en los niveles del dímero D. Un aumento de los niveles del dímero D es una indicación de posible trombosis. Ellos encontraron una disminución del 55% en la tasa de sangrado y una disminución del 72% en hemorragias

espontáneas y musculares al inicio, con niveles de dosis no optimizadas. Todas las hemorragias que ocurrieron fueron tratadas con éxito utilizando infusiones de factor de coagulación, nuevamente, sin evidencia de trombosis la cual es medida por el dímero-D. Los estudios continúan con 23 sujetos tratados con inyecciones subQ mensuales durante seis meses en tres diferentes grupos de dosificación. [Resumen de EAHAD ABS296]

16/02/21 En otras noticias, Apicintex se ha sumado a otras nueve pequeñas empresas biotecnológicas que forman parte de Centessa Pharmaceuticals. Se espera que esto les dé acceso a una mejor financiación y más experiencia y conocimientos científicos adicionales. [Centessa comunicado de prensa 16/2/21]

Novo presenta actualizaciones sobre Concizumab

3/2/21 Novo Nordisk está desarrollando concizumab para inhibir el anticoagulante TFPI con el objetivo de reequilibrar la cascada de coagulación. En EAHAD, dieron actualizaciones sobre sus estudios clínicos de fase II y III en pacientes con hemofilia A y B, con y sin inhibidores. Sus estudios se habían detenido después de que tres pacientes con inhibidores hubieran experimentado un total de cinco eventos trombóticos después de recibir tratamientos para hemorragias intercurrentes. Basado en los datos de aquellos eventos, Novo revisó sus protocolos de dosificación y ha reanudado los estudios. También informaron sobre pacientes que habían recibido concizumab hasta por 76 semanas en la extensión del estudio clínico original. Encontraron un promedio de la tasa anual de sangrado (ABR) de 4.8 en el nivel de la dosis más alta (16% de los pacientes no presentaron hemorragias). No hubieron eventos trombóticos, pero algunos pacientes mostraron una tendencia hacia la trombosis según los datos del ensayo. [EAHAD resúmenes AB5188 y AB5194]



5/4/21 Investigadores de Novo también publicaron estudios de laboratorio de los efectos del concizumab en conjunto con un factor adicional VIII, factor IX o agentes de derivación de inhibidores (VIIa o FEIBA) sobre el rendimiento de la coagulación en el plasma de la hemofilia. Ellos encontraron que los efectos eran en su mayoría aditivos. No había grandes interacciones sinérgicas en las que concizumab más otro producto diera lugar a un aumento adicional del 25% en la actividad de coagulación cuando se combinan. Esto debería ayudar en estimar la dosis de productos adicionales utilizados en el tratamiento de hemorragias progresivas en pacientes tratados con concizumab. [Kjalke M, et al., J Thromb Haemost, en línea antes de la impresión 5/4/21]

Sanofi presenta dosificación modificada para Fitusiran

2/5/21 Sanofi está desarrollando fitusiran para inhibir la producción del anticoagulante antitrombina para reequilibrar la cascada de coagulación en personas con hemofilia A o B, con o sin inhibidores. En sus estudios clínicos de fase III, los pacientes con fitusiran experimentaron cinco eventos trombóticos graves, uno de los cuales fue fatal. Después de detener los



estudios, la investigación ha sugerido que estos eventos se debieron a niveles de antitrombina que eran demasiado bajos para controlar adecuadamente la coagulación. Sanofi había estado apuntando a los niveles de antitrombina de menos del 10% de lo normal con una dosis mensual subQ de 80 mg de fitusiran. Ahora aumentarán su objetivo a 15–5% de los niveles normales de antitrombina con una dosis subQ de 50 mg cada dos meses. Los estudios se han reanudado bajo las nuevas pautas de dosificación. [Declaración conjunta del Consorcio Europeo de Hemofilia (EHC), la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) y la Fundación Nacional de Hemofilia (NHF) 22/2/21 después del anuncio en EAHAD 2/5/21]

TERAPIA GENÉTICA

Algunas de las siguientes actualizaciones provienen de la Reunión Anual de la Sociedad Americana de Terapia Celular y Genética (ASGCT), celebrada del 11 al 14 de mayo de 2021. Los sumarios (resúmenes) de los estudios están disponibles sin cargo en el sitio web de ASGCT en <https://annualmeeting.asgct.org/>.

¿Quién es elegible para la terapia genética?

14/03/21 Un HTC en Bruselas, Bélgica hizo una encuesta de sus pacientes actuales con hemofilia para ver cuántos serían elegibles para la terapia génica. De 260 pacientes registrados con hemofilia, 87 tenían hemofilia A grave o B, lo cual los hacía potencialmente elegibles. De estos 87 pacientes, 11 serían excluidos porque la edad era mayor de 65 años, cinco debido a comorbilidades no controladas, seis por tener inhibidores, dos porque eran mujeres, una por hepatitis C activa, otra por insuficiente exposición a factores, dos por abuso de alcohol, y dos porque estaban participando en otros estudios.

Eso dejó a 57 posibles pacientes. Siete de ellos serían excluidos debido a la distancia geográfica del centro, barreras del idioma, factores socioeconómicos o discapacidad mayor. De los 50 restantes, 29 se negaron por diversas razones y otras siete lo consideraron inadecuado. De los 29 que se negaron, tres sentían miedo o falta de confianza en el tratamiento, 16 se mostraron satisfechos con su tratamiento actual, y 12 informaron una falta de motivación para participar en un estudio.

Eso dejó 14, siete de los cuales serían excluidos debido a anti-AAV anticuerpos preexistentes (6) o condición hepática deficiente (1). Eso dejaba solo a siete (8% de los 87 iniciales) que estaban realmente dispuestos y capacitados para ser tratados. Basado en su conocimiento de los pacientes, el centro estimó que 36 de los 87 pacientes aceptarían la terapia génica, si fuera un procedimiento autorizado con menos criterios de exclusión y no fuera un estudio clínico. [Krumb E, et al., Res Pract Thromb Haemost, 5: 390-394, 2021]

Bajo riesgo de cáncer en terapia génica AAV

12/05/21 Uno de los temores en torno a la terapia génica es que podría desencadenar cáncer, posiblemente años después del tratamiento. En un estudio presentado en

TERAPIAS EMERGENTES

ASGCT, un grupo de investigadores trataron ratones propensos a tumores con una dosis alta de terapia génica AAV2. Observaron tanto la administración intravenosa, que es el método que se está estudiando en los estudios clínicos actuales, así como la administración intramuscular, un potencial futuro método. No encontraron evidencia de aumento en la generación del tumor (cáncer) en los ratones. Aunque estos resultados fueron en ratones, no en humanos, y solo para una cepa de AAV, ayudan a respaldar la seguridad general de la terapia génica AAV. [ASGCT resumen 346]

BAX 335: Lección de un estudio de terapia génica fallida

11/2/21 Baxalta, ahora parte de Takeda, discontinuó su estudios clínicos de terapia génica BAX 335 de varios años debido a los malos resultados. Los investigadores clínicos de este estudio publicaron recientemente un análisis extenso de los resultados que podrían arrojar algo de luz sobre los problemas que ellos y otras terapias génicas en desarrollo han experimentado. A menudo, al leer sobre terapias genéticas, notará que a los genes se les describe como "codones optimizados". Que significa que los elementos codificantes del gen han sido modificados ligeramente para hacer que la producción de su proteína sea más eficiente. Esta optimización se realiza todo el tiempo para hacer proteínas recombinantes en plantas farmacéuticas, donde el aumento de la eficiencia es importante. Sin embargo, puede que no haga mucha diferencia, o hasta podría ser perjudicial, cuando se producen proteínas dentro del cuerpo humano. Después de todo, los genes de nuestras células están presentes en un formato no optimizado, y eso puede ser por una alguna razón.

La investigación sugiere que en el tratamiento de BAX 335 el gen del factor IX podría haber sido optimizado de una manera que creó inadvertidamente una serie de "secuencias CpG" en el gene. Estas secuencias de CpG no afectan la producción de la proteína del gen, pero investigaciones recientes han sugerido que podrían estar mandando una alerta al sistema inmunológico: "¡Oye, aquí hay algo a lo que debes prestar atención!" Es decir, las secuencias CpG pueden estar alertando al sistema inmunológico que el nuevo factor IX que sale de las células transformadas podría ser una proteína extraña y que debe deshacerse de ella, pues no es el mismo factor IX que este humano siempre ha producido (a pesar de que ese factor IX fue mutado y no funcionó bien). Esa podría ser una de las razones por las que algunas terapias genéticas no duran. El sistema inmunológico podría estar destruyendo las células que han sido transformadas con el nuevo gen.

Resulta que muchos agentes infecciosos tienen secuencias CpG en sus genes, y el sistema inmunológico podría estar programado para reconocerlas y comenzar una respuesta inmunitaria. Los desarrolladores de la terapia genética probablemente pensaron que la optimización de codones no puede hacer daño. Sin embargo, lo que funciona para la producción eficiente de proteínas en una planta farmacéutica

(que no tiene un sistema inmunológico) podría causar problemas en el cuerpo humano. Este estudio debería proporcionar información útil para todos los que desarrollan terapias génicas. [Konkle BA y col., Blood, 137 (6), 763-774, 2021]

Catalyst publica sobre potente variante del FIX para terapia génica



18/03/21 Catalyst Biosciences está desarrollando una terapia génica para la hemofilia B con base en su variante de factor IX de alta potencia CB 2679d-GT, que también se está desarrollando como Dalca para la terapia de reemplazo del factor IX, ver arriba. Varios creadores de terapias génicas para la hemofilia B están utilizando la variante del factor hiperactivo IX Padua para alcanzar mejores niveles de factor IX con dosis más bajas de vectores AAV. Se ha demostrado que en algunos casos, altas dosis de vectores AAV presentan riesgos de toxicidad hepática e inflamación. En un modelo de ratón con hemofilia B, Catalyst demostró que CB 2679d-GT tiene una actividad de coagulación aproximadamente tres veces mayor en comparación con FIX-Padua. Esto podría permitir incluso menores dosis de AAV para producir niveles adecuados de factor y mejorar la función de la coagulación. [Nair N et al., Blood, en línea antes de imprimir 18/3/21]

Freeline actualiza los resultados del estudio de terapia génica de fase I / II



14/12/20 y 4/2/21 Freeline Therapeutics está desarrollando verbrinacogene setparvovec (FLT180a), una terapia génica para la hemofilia B. A finales de 2020 y en EAHAD, ellos proporcionaron actualizaciones de los resultados de su fase I/II, en los que se mostraron niveles duraderos de expresión del factor IX de 36 a 176% (transitoriamente hasta 250% en un paciente) hasta casi por tres años para algunos pacientes. El estudio incluyó diez pacientes en cuatro niveles de dosis de vector diferentes. Varios de los pacientes experimentaron inflamación del hígado, que requirió tratamiento por inmunosupresión y resultó en la pérdida de producción de factor IX. No hubo otros eventos adversos graves. Freeline cree que estos resultados sugieren que pueden alcanzar niveles de factor IX en el rango normal (50–150%) utilizando dosis de vector más bajas que las utilizadas por otros creadores de terapia génica. [Comunicado de prensa de Freeline 14/12/20 y resumen de EAHAD ABS114]

Genascence desarrolla terapia para la osteoartritis



12/05/21 Genascence, una empresa de biotecnología con sede en California, está desarrollando una terapia génica para el tratamiento de la osteoartritis. La osteoartritis es la forma común de artritis, que a menudo se experimenta al envejecer. Aunque no se dirige directamente al daño articular de la hemofilia (artropatía hemofílica), el tratamiento puede aplicarse para esa indicación también. GNSC-001 es una terapia genética que utiliza AAV los cuales transportan un gen al receptor interleucina-1 antagonista, un inhibidor de la interleucina-1

(IL-1). La actividad de IL-1 se considera una de las principales causas de inflamación articular y destrucción del cartílago en la osteoartritis, y puede ser asociado con la artropatía hemofílica también. GNSC-001 es una inyección de una dosis aplicada directamente en la articulación afectada, que hace que el tejido circundante produzca el receptor de IL-1 antagonista. En ASGCT, Genasce presentó resultados de un estudio clínico de fase I en diez pacientes. Este fue un estudio de seguridad que demostró que el tratamiento es seguro y bien tolerado. Genasce está planeando un estudio de fase II de eficacia, que ya ha recibido la aprobación de la FDA. [ASGCT resumen 595]

GeneLeap está desarrollando una terapia genética para la hemofilia



12/5/21 GeneLeap Biotech está desarrollando una terapia genética para el tratamiento de la hemofilia B utilizando vectores patentados AAV8. GeneLeap es una empresa de Estados Unidos subsidiaria de Luye Life Sciences Group de China. Su producto GLB-2001 se encuentra actualmente en estudios preclínicos. En ASGCT, presentaron información sobre sus genes de factor IX de alta potencia y expresión y vectores en experimentos de laboratorio en ratones con hemofilia B. También informaron de su proceso de producción, el cual proporciona alto rendimiento y excelente separación entre genes contenidos y vectores AAV con cápside vacía. El eliminar las cápsidas vacías ayuda a reducir la dosis total del vector y reduce potencialmente las reacciones inmunes al producto. [ASGCT resúmenes 340 y 834]

Pfizer publica discrepancias en ensayos con terapia de genes FIX-Padua



26/2/21 Pfizer está desarrollando

fidanacogene elaparvovec, una terapia genética para la hemofilia B con base en la variante del factor hiperactivo IX Padua. En un reciente estudio publicado, encontraron que los ensayos para determinar los niveles de actividad del factor IX en pacientes después de la terapia genética con la variante de Padua es problemática. Pueden dar diferentes valores dependiendo del ensayo específico utilizado, los reactivos (productos químicos) utilizados en los ensayos y los laboratorios en que se realizaron los ensayos. Miraron muestras de pacientes en terapia genética, así como en plasma hemofílico donado combinado con FIX-Padua o BeneFix. Los resultados sugieren que las discrepancias del ensayo son inherentes a la molécula de FIX-Padua y no es específica para su uso en terapia genética.

Esto podría ser un problema para todas las empresas que desarrollan tratamientos de terapia genética con FIX-Padua. Los ensayos son de fundamental importancia para cualquier producto nuevo que se esté desarrollando. A menudo se dice en la industria farmacéutica que si no se tiene un ensayo, no se tiene un producto. Los fabricantes deben abordar este problema. [Robinson MM et al., J Thromb Haemost, en línea antes de la impresión 26/2/21]

Pfizer presenta eliminación de vectores en terapia genética



2/4/21 En EAHAD, Pfizer presentó resultados de un estudio de eliminación de vectores del cuerpo de su terapia genética. En 15 pacientes de hemofilia B que habían recibido su terapia genética fidanacogen elaparvovec, los investigadores encontraron que el material genético se había eliminado de la orina (indetectable) en la semana 7 después del tratamiento, en la saliva a la semana 8 y en el semen a la semana 12 en todos los pacientes. En el suero (plasma) y la sangre periférica de las células mononucleares (PBMC) tardaron más en eliminarse, en 22 semanas y 52 semanas, respectivamente. Las PBMC incluyen varios tipos de glóbulos blancos, que forman parte del sistema inmune. La importancia del ADN de la terapia genética que persiste durante períodos de tiempo después del tratamiento se desconoce. [Resumen de EAHAD ABS064]

Acuerdo finalizado de la terapia genética de uniQure/CSL



5/6/21 uniQure está desarrollando

etranacogene dezaparvovec (AMT-061), una terapia genética para el tratamiento de la hemofilia B. En junio de 2020, uniQure anunció un acuerdo exclusivo de licencia mundial con CSL Behring para el tratamiento. Ahora que las revisiones regulatorias y antimonopolio se han completado, el arreglo se ha finalizado. uniQure seguirá siendo responsable de completar los estudios clínicos y para la fabricación inicial del producto. CSL será responsable de las presentaciones regulatorias y la comercialización. [comunicado de prensa de uniQure 5/6/21]

Estudio clínico de terapia genética de uniQure suspendida por la FDA



21/12/20 y 26/04/21 El estudio de fase III de uniQure fue puesto en espera clínica por parte de la FDA después de que un paciente que fue tratado en octubre de 2019 fue diagnosticado recientemente con carcinoma hepatocelular (HCC), una forma de cáncer de hígado. Una investigación independiente muestra que es muy poco probable que AMT-061 sea la causa del CHC del paciente. uniQure envió los hallazgos a la FDA y la suspensión fue levantada el día 26/4/21. Ellos no esperan ningún efecto significativo en el tiempo de desarrollo de su programa ya que todos los pacientes han sido tratados y ahora les están dando seguimiento.

El paciente afectado tiene múltiples factores de riesgo de CHC incluyendo un historial de 25 años con hepatitis C, hepatitis B y enfermedad de hígado graso no alcohólico, más edad avanzada. Las infecciones crónicas por hepatitis B y C están asociadas con aproximadamente el 80% de los casos de CHC.

Con algunos vectores de terapia genética, los nuevos genes pueden integrarse en el genoma (es decir, insertarse en genes en los cromosomas de una célula) en lugares no controlados. Si el nuevo gen se inserta en medio de otro gen, interrumpirá

ese gen. Si eso sucede en un gen que causa cáncer, puede activar el gen del cáncer. Esto sucedió en un estudio clínico inicial de terapia génica no relacionada con la hemofilia y provocó que dos niños en Francia desarrollaran leucemia. Una de las principales razones por las que AAV se utiliza ahora como vector es que tiene una tasa de integración extremadamente baja y es considerado mucho más seguro.

Esto era, por supuesto, una preocupación con el paciente que desarrolló HCC. Sin embargo, un laboratorio externo analizó más de 220.000 células hepáticas de una biopsia del tumor del paciente y encontró solo 60 integraciones (0.027%). Ninguna de esas integraciones fueron en áreas del genoma que se sabe que activa el HCC u otros genes que causan cáncer. Además, La secuenciación completa del genoma del tumor mostró que el paciente tenía grandes anomalías en los cromosomas 1 y 8 que se asocian comúnmente con el CHC, además de otras mutaciones en genes asociados al cáncer. Todos los resultados sugieren que el paciente ya tenía un HCC en desarrollo y no fue el resultado del tratamiento con terapia génica.

Todos los demás pacientes de hemofilia B del programa de terapia genética de uniQure, incluyendo todos los estudios clínicos previos tan antiguos como hace diez años, han sido examinados y no se han identificado casos adicionales de CHC. A todos los pacientes se les seguirá monitoreando, como es el caso en todos los estudios clínicos de terapia génica. [comunicados de prensa de uniQure el 21/12/20, el 1/3/21, 29/3/21 y 26/4/21]

uniQure presenta actualizaciones adicionales de estudios clínicos

uniQure

2/4/21 uniQure dio tres presentaciones en EAHAD sobre sus estudios clínicos de fase I/II, IIb y III de terapia génica para la hemofilia B. Para su estudio de fase III de AMT-061, informó sobre los resultados de 54 pacientes que han completado 26 semanas de seguimiento. No se excluyó a ningún sujeto por presencia de anticuerpos preexistentes contra el vector AAV5. Para los 23 pacientes que tenían anticuerpos preexistentes con una titulación de hasta 1: 678, no hubo ningún efecto en el título de anticuerpos en los niveles de factor IX subsiguientes. Solo un paciente que tenía una titulación muy alta de 1: 3212 no mostró respuesta al tratamiento. Cincuenta y dos pacientes pudieron interrumpir la profilaxis y 39 de los que informaron no sangraron. El nivel medio del factor IX del paciente fue de 37,2%. Nueve pacientes requirieron tratamiento para la inflamación del hígado. No hubo eventos adversos graves ni indicios de desarrollo de inhibidores. [Resumen de EAHAD ABS089]

En el estudio de Fase IIb, que cubrió el cambio de un gen normal del factor IX (AMT-060) a un gen del factor hiperactivo IX Pauda (AMT-061), los tres pacientes tenían niveles sostenidos de factor IX de 31%, 41% y 50% un año después del tratamiento. No hubieron hemorragias posteriores al tratamiento y no se requirieron infusiones de factor IX, excepto por un paciente que se sometió con éxito a una cirugía de reemplazo de cadera por una condición preexistente. Aunque algunos de los pacientes tenían anticuerpos preexistentes contra el vector AAV5,

esto no parecía tener ningún efecto sobre su respuesta al tratamiento. No hubieron signos de inflamación del hígado, no fue necesario el tratamiento con esteroides y no se desarrollaron inhibidores. [Resumen de EAHAD ABS100]

uniQure también informó los resultados de su estudio de fase I/II de AMT-060 tras cuatro años de seguimiento. Para cinco pacientes en el grupo de dosis más baja, el nivel medio del factor IX fue de 5,1% y para los cinco pacientes en la dosis más alta, el nivel fue del 7,4%. El promedio de la tasa anual de sangrado (ABR) en el último año fue de 3.3 para el grupo de dosis baja y cero para el grupo de dosis alta. No hubieron preocupaciones de seguridad adicionales y no hubo evidencia de desarrollo de inhibidores. [Resumen de EAHAD ABS043]

12/5/21 En ASGCT, uniQure presentó datos adicionales que muestran que no hay ningún efecto de los anticuerpos anti-AAV5 preexistentes en la seguridad, el rendimiento y los niveles de factor para el tratamiento de su terapia génica. Estos hallazgos respaldan una elegibilidad más amplia para sus terapias génicas basadas en AAV5 y la posibilidad de volver a administrar dosis a pacientes que han recibido terapia génica previa con AAV. [ASGCT resúmenes 88 y 741]

Universidad de Florida terapia génica para niños y para re-dosificar adultos

5/12/21 Un grupo de la Universidad de Florida está trabajando en una terapia génica basada en AAV para niños con hemofilia. Ya que los hígados de los niños todavía están creciendo hasta aproximadamente la edad 10-12 años, cualquier tratamiento temprano de terapia génica puede tender a ser diluida a medida que se desarrollan nuevas células hepáticas que no han recibido el tratamiento. Dado que los niños deberán ser re-dosificados a medida que crecen, los investigadores de Florida han desarrollado un vector sintético de VAA que no produce reacción del sistema inmunológico. (Tenga en cuenta que otras organizaciones están desarrollando otros métodos para tratar a los niños con terapia génica). Este trabajo también podría conducir a métodos para volver a administrar la dosis a adultos cuyos tratamientos anteriores de terapia génica han fracasado. El grupo también está estudiando la posibilidad de incluir vectores AAV en exosomas para una mayor protección contra el sistema inmune. Los exosomas son diminutos vasos encapsulados en lípidos que las células utilizan para comunicarse con otras células. [ASGCT resumen 360]



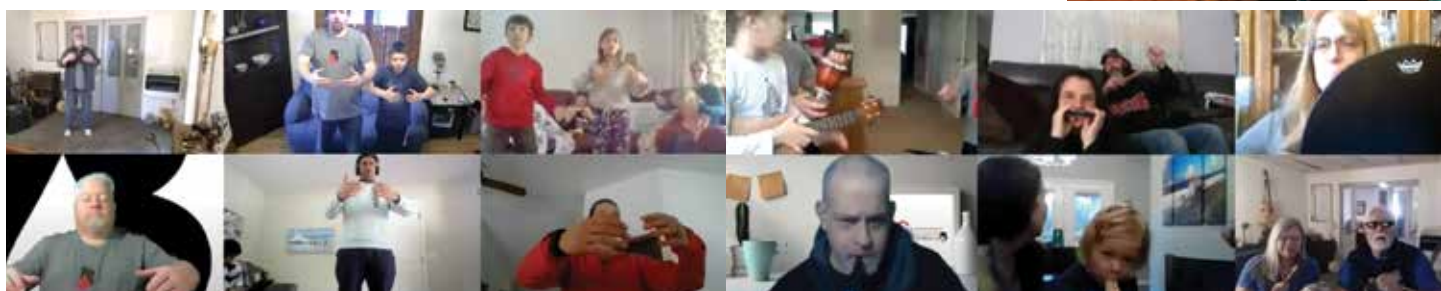
“REUNIONES EN EL CAMINO” (VIRTUALES) CON THE COALITION FOR HEMOPHILIA B



Las Reuniones en el Camino de la Coalition for Hemophilia B es nuestra forma de “llevar la Coalition a ti”. En el pasado, el programa consistía en reuniones de educación de un día celebradas en ciudades de todo el país. Este año, mientras continuamos haciéndole frente a las limitaciones impuestas por la pandemia, ¡decidimos hacer todo el programa virtual! Se llevaron a cabo una serie de nueve reuniones durante los sábados de enero, febrero y marzo. Agrupamos a los participantes en diferentes regiones del país para que pudieran interactuar con otros miembros del área de su misma comunidad en grupos más pequeños. Los programas fueron extremadamente exitosos y muchos de los asistentes eligieron asistir a más de una reunión.

Si bien no todos los programas fueron idénticos, todos los participantes tuvieron la oportunidad de escuchar a una gran variedad de expertos que compartieron información con los miembros de la comunidad para que pudieran aplicarla a sus propias vidas. Algunas sesiones populares fueron: “¿Qué es tan divertido? y el “¡El ritmo te atrapará!” con Robert Friedman; “Tus historias, tu defensa” con Natalie Sayer; y “El valor de soñar: criar a un niño con un trastorno hemorrágico” con Shonda Joshua.

Muchos participantes disfrutaron de una sesión llamada “Descubriendo formas creativas de Conectarse con otros” con Lee Kim. El miembro de la comunidad Rick Starks dirigió varias sesiones a lo largo de la serie entre ellas una llamada “El camino hacia la resiliencia: encontrando la confianza en ti mismo” y otra en los beneficios del “Arte suave del Tai Chi”. Los asistentes también recibieron actualizaciones sobre las últimas novedades científicas e información médica, incluyendo una evaluación interactiva de la hemofilia B, control y un resumen de los últimos





conocimientos sobre la hemofilia y el COVID-19 presentado por el miembro de la junta directiva de la Coalición, el Dr. David Clark.

Los comentarios que recibimos de los participantes fueron abrumadoramente positivos. A continuación se muestran algunos ejemplos de cosas que los asistentes expresaron:

“Nos dieron una información maravillosa sobre cómo manejar el estrés y cómo podemos superarlo con gratitud”.

“¡CHICOS! ¡No sabía qué esperar al entrar en esta cosa, pero fue muy divertido! Fue realmente asombroso conectarse con toda la familia y tener la oportunidad de asociarnos con otros en la comunidad”.

“Para mí, el mayor valor que obtuve durante las reuniones fue poder conectarme por medio de una conferencia de zoom con personas con las que creo que pueden identificarse con la dinámica de mi vida. Muchas cosas no se dicen, muchas cosas no se pueden verbalizar, a veces esto se convierte en una profunda parte de nuestro psique que intuitivamente nos hace sentir que solo aquellos que han tenido experiencias

similares pueden entendernos”.

“La experiencia de la conferencia fue edificante. Tuve muchos momentos de risas y tuve una velada agradable simplemente pasando el rato con los demás sin que yo fuera el centro de atención. Espero con ansia cualquier evento que puedan llevar a cabo en el futuro”.

¡Queremos agradecer a nuestros generosos patrocinadores que hicieron este programa posible! CSL Behring (ocho reuniones)

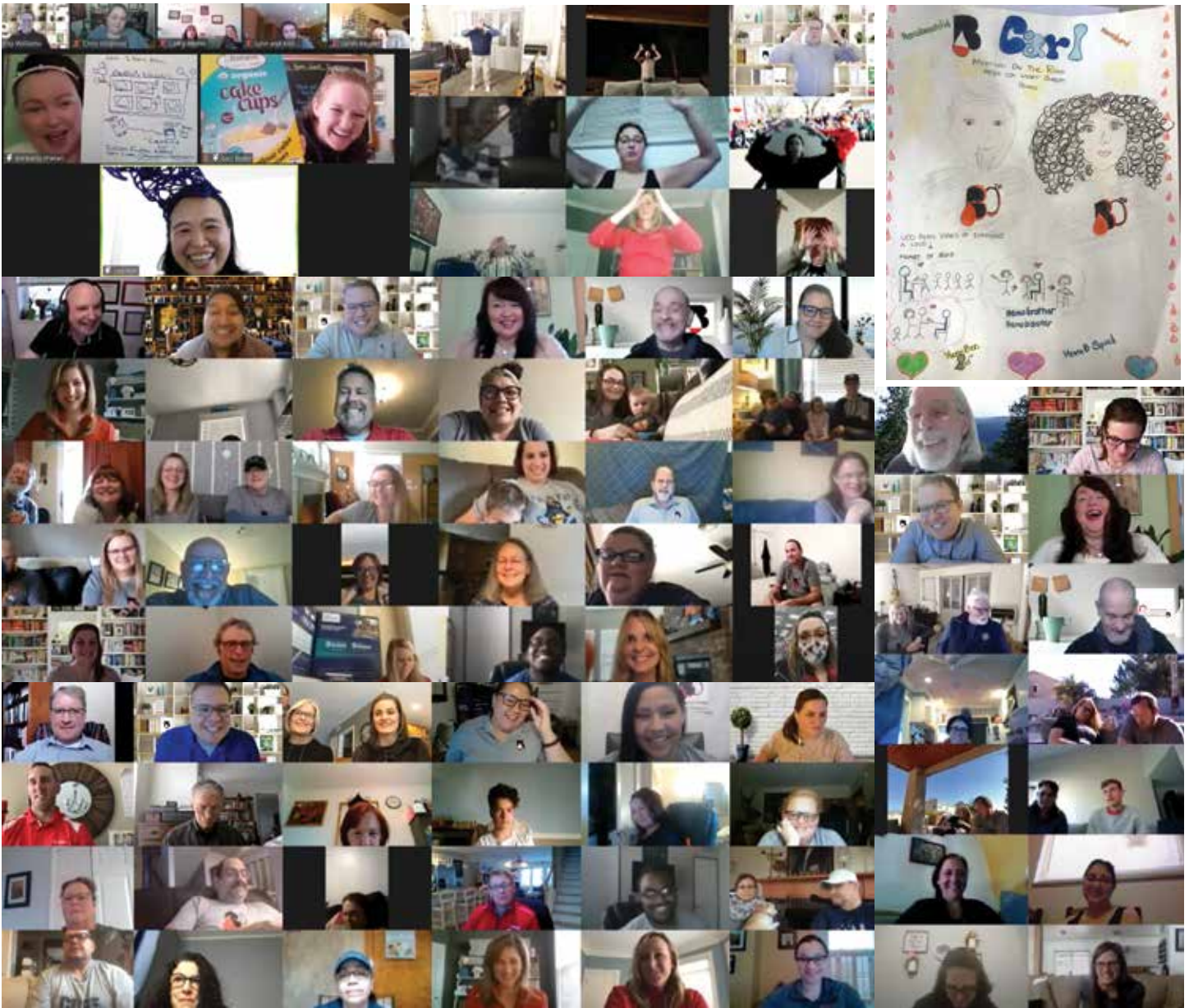
Novo Nordisk (una reunión)

CSL Behring

Actualmente estamos planeando nuevos programas para el resto del año 2021, incluyendo más “programas híbridos” (que combinan elementos presenciales y virtuales). Estén atentos y visite nuestro sitio web en www.hemob.org.



“REUNIONES EN EL CAMINO” (VIRTUALES) CON THE COALITION HEMOPHILIA B



ACTUALIZACIÓN DEL SIMPOSIO 2021



- NO NECESITA USAR MÁSCARAS EN INTERIORES O EXTERIORES para asistentes vacunados.
- Los padres con niños de 2 años o menos pueden asistir siempre y cuando los niños se queden en el hotel con uno de sus padres. Los padres deben preguntarle a su pediatra si pueden viajar y seguir las pautas del CDC.



GEN IX 2021: RECONSTRUYENDO JUNTOS

POR ROCKY WILLIAMS

The Coalition for Hemophilia B está dirigiendo el camino para los líderes en la comunidad de la hemofilia B. Durante tres semanas sucesivas en marzo, miembros adultos de la comunidad de todo el país se reunieron en línea todos los lunes y jueves para el Programa Virtual de Liderazgo de Generation IX. Los participantes aprendieron y practicaron habilidades y técnicas a través de una variedad de experiencias interactivas para convertirse en mejores líderes. El programa se centró en el tema de “reconstruir juntos”, en el cual exploramos lo que fue, lo que es y lo que puede ser.

Este programa es una parte integral de Generation IX y tiene componentes enfocados en la defensa y la tutoría. El programa de Generation IX ha estado en curso desde el 2014 y desde entonces ha beneficiado a más de 200 personas con hemofilia B. El programa se presentó en cooperación con GutMonkey, un empresa que se especializa en aprendizaje experiencial, y fue posible gracias al generoso apoyo de Medexus Pharma.

Comenzamos el primer día de marzo introduciéndonos ¡y con el primer gran Concurso de Panqueques de Gen IX! Usando los utensilios y los ingredientes de la caja que recibimos, a todos se nos pidió que creáramos tres piezas únicas de arte hechas de panqueques: uno que representara un temor en el futuro, uno que representara un sueño fantástico para el futuro, y uno que representara una esperanza para el futuro. Los resultados fueron coloridos y sorprendentes. En los imaginativos panqueques se incluyeron corazones, manos entrelazadas y fogatas. A cada equipo también se le pidió que creara un panqueque SENSACIONAL, y un grupo hizo un árbol para mostrar la reconstrucción y el florecimiento de nuestra comunidad.

Otro punto culminante fue una increíble y divertida carrera de relevos llamada “¿Qué hacer?”. A cada equipo se le asignó un miembro del personal de GutMonkey el cual corrió literalmente alrededor de el Peninsula Park en Portland. Cada ubicación del parque tenía una “Pared con artículos” de donde los miembros del equipo elegían un número y escogían un cuadrado para recibir un desafío. Estos desafíos incluyeron trivia de películas y música, habilidades utilizando



mapas e incluso juegos de mesa. Mientras tanto, el resto del equipo trabajaba en una la búsqueda de un tesoro en casa, se trataba de fotos. Los participantes publicaron fotos y videos en Padlet. Los desafíos incluían posar con un animal salvaje vivo, comer col rizada, cantar, aplicándose la infusión e incluso cortándose su propio cabello. Los desafíos valieron la pena para pasar un tiempo afuera y el equipo con el tiempo más rápido ganó.

Nos basamos en el tema de la reconstrucción utilizando el compostaje, plantando lo que se llaman hojas baby y aprendiendo nuevas formas de reutilizar los elementos que pueden desecharse. Aprendimos sobre qué materiales se pueden usar como abono y creamos nuestros propios tarros de compostaje para continuar nutriéndolos durante el programa y después de él. Luego, aprendimos una nueva habilidad. Utilizamos las bolsas de plástico que pueden desecharse después de haber sido usadas y aprendimos a tejerlas y convertirlas en cosas nuevas tales como macetas o posavasos.

Pasamos tiempo hablando de descanso y rejuvenecimiento. Conversamos sobre las diferentes formas en que las



Tema de este año: Reconstrucción

Vamos a explorar:

¿Qué fue?

¿Qué es?

¿Qué puede ser?



personas se pueden recargar. Nos dividimos en diferentes salas organizadas en grupos de personas que utilizan las mismas formas de recargarse. Un grupo creó una canción llamada "Plain Chicken Nuggets", mientras que en la sala social jugaron un juego. Todos participaron en la exploración del mundo del descanso y el rejuvenecimiento, re-imaginamos las fiestas de piscina, y ¡soñamos despiertos con nuestro futuro!

A lo largo del programa, todos trabajamos en un proyecto especial: "¡Elige tu propio libro de informe de aventuras!" Cada participante recibió el libro Choose Your Own Adventure y se les pidió que usaran el libro para crear algo concerniente al tema de la reconstrucción. Les pedimos a todos que se concentraran en tres preguntas:

- ¿Qué te gustaría reconstruir en tu mundo?
- ¿Por qué te gustaría reconstruirlo?
- ¿Cuál es tu visión para reconstruirlo?



También pedimos a los participantes que reflexionaran sobre las actividades que habíamos realizado durante el programa para ayudarlos a guiar su aventura. Por ejemplo, si pensaban en la actividad de compostaje, podrían estructurar el informe

de su libro en torno a reconstruir algo en su "suelo" (espacio personal, hábitos, rituales, rutinas) mientras se toma en cuenta la "vida vegetal vecina" (comunidad local, HTC, sucursal local, barrio) y el "macro entorno" (gobierno, salud, organizaciones nacionales).

Kirstin presentó el informe de su libro y compartió con nosotros lo siguiente: "El libro te muestra que cuando tomas decisiones en la vida a veces el resultado es bueno y a veces no es tan bueno, pero aprendes de él y te llevas esas lecciones contigo. El programa de liderazgo proporcionó una sesión sobre compostaje, he intentado esto con mi jardín durante varios años, a veces exitosamente y a veces no tanto, pero espero tomar esta lección de compostaje y utilizarla más adelante con el rebrote de mi jardín".

Después del programa, pedimos a los participantes que reflexionaran sobre su experiencia con Gen IX. Esto fue lo que dijeron. "Gen IX fue divertido, interactivo y una excelente manera de conectarse con otras personas con hemofilia B!" dijo Cassandra. "El programa fue genial", dijo Manny. "Gutmonkey siempre ofrece excelente programación ya sea presencial o virtual. Ellos juegan un papel esencial en la cultura de lo que es GEN IX, que para mí significa familia, comunidad y apoyo". Aamina agrega, "He asistido a varios eventos de Gen IX en persona y virtualmente. Puedo decir con orgullo que las actividades y las lecciones me ayudaron a convertirme en una mejor persona y líder".

The Coalition For Hemophilia B agradece a GutMonkey, nuestro socio del programa, y a Medexus Pharma, el patrocinador único del Generation IX Project por hacer este maravilloso programa disponible para la comunidad de la hemofilia B. Las lecciones aprendidas y el tiempo que pasamos juntos nos ayuda a crecer individualmente y juntos.



EVENTOS DEL LUGAR DE ENCUENTRO DE GEN IX

Durante la última temporada, tuvimos el placer de presentar varios programas virtuales de Gen IX los cuales fueron divertidos y atractivos.

LUGAR DE ENCUENTRO VIRTUAL

Comenzamos este evento con una serie de actividades cortas, llamadas Friendzies, en las que se le pidió a los miembros de la comunidad que eligieran y discutieran colores que podían representar para ellos tanto el año 2020 como el 2021. El resto del evento fue una súper-fiesta de juegos de GEN IX, que incluso incluía un *Jumbotron* que nos mantuvo compitiendo en los desafíos de equipo. Terminamos la noche haciendo que los asistentes escribieran y compartieran un brindis por ellos mismos.

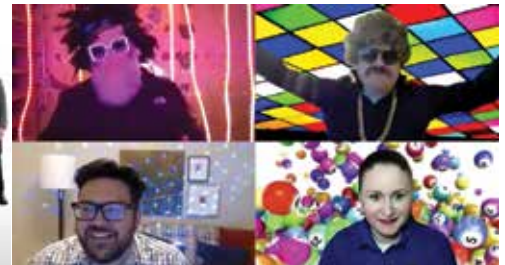


DISCO BINGO

Esta fue una forma súper divertida de pasar un viernes por la noche mientras estábamos atrapados en casa durante el pico de la pandemia. El personal se disfrazó de noche de disco de los 1970 y jugó con nosotros bingo y trivia mientras bailaban al ritmo de los éxitos de la época. Singulares reglas mantuvieron la actividad animada cuando se anunciaban letras o números particulares. La noche estuvo llena de risas, bailes, premios, y un grupo sincronizó la canción clásica "We Are Family".

Queen Victoria of England carried the Hemophilia B gene and passed it on to her son. Who was her son?

A. Prince Leopold
B. Rasputin
C. Prince Charles
D. The artist formerly known as Prince



REUNIÓN GEN IX

Miembros de la comunidad que participaron anteriormente en los talleres de Mentoría, Liderazgo y Defensa de GEN IX fueron invitados a reunirse con otros "graduados" de los programas para un divertido encuentro virtual. Los asistentes compartieron recuerdos y objetivos logrados, recordaron actividades, desde carreras de relevos hasta trenzas de cabello, vieron una presentación de diapositivas de los aspectos más destacados del programa anterior ¡y mucho más! Principalmente, se les dio a los participantes la oportunidad de compartir lo que Gen IX ha significado para ellos. Esto incluye palabras como familia, amor, apoyo, diversión, crecimiento, comunidad, conexión, inspiración y mucho más.



Queremos agradecer a nuestros socios creativos en GutMonkey y a nuestro generoso patrocinador, Medexus, que ayudó a hacer estos eventos posible. Gracias también a los muchos participantes que se unieron para lograr hacer recuerdos duraderos.



Juntos En ZOOM

POR ROCKY WILLIAMS

¡Es difícil creer que estamos a mitad de camino del 2021! Hemos tenido mucha diversión aprendiendo “Juntos en Zoom” y conectándonos en eventos virtuales. Esperamos poder reunirnos en persona pronto y también habrán muchas más oportunidades para conocernos virtualmente. Recordemos algunos de los aspectos más destacados del año hasta ahora!



BINGO DE CARTERAS

Damas de la comunidad de la hemofilia B se reunieron con Kim y Chris para una noche épica de bingo, ¡con carteras como premios! La damas que participaron también fueron deleitadas con una maravillosa actuación sorpresa de Jayden ¡quien tocó la ocarina durante la noche de bingo de carteras!



NOCHES DE TRIVIA EN KAHOOT

Reunimos a las familias a lo largo abril y mayo para competir en noches de trivia en ¡Kahoot! Había algo para todos, con temas que iban desde juguetes, videos juegos y animales a salud y la hemofilia. Fue divertido y educativo para todos los que participaron.



ALIMENTANDO LA MENTE Y EL CUERPO

El chef profesional Mike Hargett es el primera persona con hemofilia que ha recibido ¡un trasplante doble, de corazón/riñón! Durante este evento especial, presentado por Biomatrix y patrocinado por Medexus, el chef Mike nos contó su historia mientras compartía algunas de sus deliciosas recetas y asombrosas técnicas. Los miembros de la comunidad lo siguieron mientras el chef Mike hacía su “Bada Bing Chicken à la King” con una ensalada elegante, complementada con una vinagreta casera. La noche también incluyó a Kelly González quien compartió su historia y nos enseñó a que



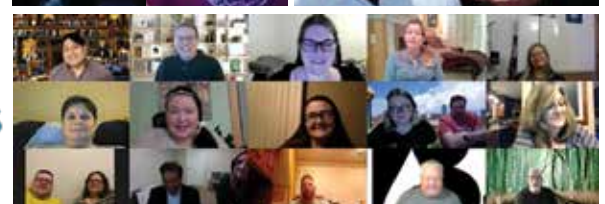
Está bien no estar bien, pero ¡no está bien quedarse callado! ¡No estas solo!



DÚO DINÁMICO

Nuestra noche de Dúo Dinámico para parejas ¡fue increíble! El taller comenzó con Bob Kalison quien nos guió en ejercicios improvisados los cuales nos ayudaron a tomar conciencia de nuestras habilidades para escuchar y apoyarnos mutuamente. Los ejercicios incluyeron la creación de escenas sencillas de tres líneas con dos participantes, y un breve video sobre cómo ser más consciente de nuestras circunstancias.

Luego las parejas se dividieron en diferentes salas de reuniones para averiguar cuanto sabían realmente el uno del otro. Fue muy revelador - ¡y muy divertido! Para concluir la noche, Carl y Gwyn Weixler llevaron a cabo una sesión íntima de rap. Especiales agradecimientos a Medexus por patrocinar esta programación.



DECORACIÓN DE MAGDALENAS EN FORMA DE CATARINAS

El fin de semana del Día de San Valentín, nos reunimos en Zoom desde nuestras cocinas con Daniela Delgado de *Daniela's Little Wish* donde decoramos magdalenas en forma de catarinas para el Día del Amor y la Amistad. Estas golosinas aprobadas por los niños fueron divertidas de hacer y comer. ¡Mira las fotos de nuestras creaciones en Facebook! Agradecimientos especiales a Medexus por patrocinar esta programación.



¡NUEVO GRUPO DE FACEBOOK!

COMUNIDAD HEMO B

CONECTAR, COMPROMETER & APOYAR



Grupo oficial de The Coalition for Hemophilia B

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

Afortunada, desafortunada: La historia de Ashley

POR RENAE BAKER

Ashley creció viendo a su padre aplicándose infusiones tan a menudo que le parecía que era algo diario. De niña, ella lo acompañaba a sus citas en el HTC y sentía que sabía todo lo que se podía saber sobre la hemofilia hasta ese momento.

Su padre creció en la década de los 1960 con hemofilia B severa. Fue una época en la que todo el mundo le tenía miedo a la hepatitis y se sabía poco sobre el cuidado de un niño con hemofilia. Ella ha visto fotos y ha escuchado historias sobre cómo él pasó gran parte de su tiempo en el hospital. Su corazón le duele por el niño que tuvo que instalarse en un hospital – los cumpleaños, los días festivos y días llenos de un dolor insoportable mientras estaba lejos de su familia.

“He sido afortunada y no afortunada de haber estado muy familiarizada con la hemofilia toda mi vida. Puedes mirar a mi padre y ver que la hemofilia lo ha afectado físicamente. Para mí, crecer fue difícil porque la hemofilia impactó todo lo que él hizo y afectó su salud mental”. Ashley dice con notas de solemnidad y consideración.

Ashley supo desde el principio que era una portadora obligada. “Empecé a comprender lo que eso significaba para mí cuando alcancé la pubertad. Fue entonces cuando mis padres me hablaron sobre lo que esto podría significar para mí si tuviera hijos. Y ¡Entonces tuve mi hermoso periodo de menstruación!” ella dice a través de una triste e indecisa risa. “Sabía que lo que me estaba pasando no era por lo que pasaban las demás chicas. No creía que alguien pudiera sangrar tanto como yo. Sabía que algo no estaba bien”. El padre de Ashley comenzó a llevarla a las visitas del HTC. Alrededor de este tiempo ella comenzó a tener un dolor severo en su rodilla derecha. Tuvo su primera cirugía de rodilla a los doce años. Actualmente a los veintinueve años, ella nos cuenta que ya se ha sometido a ocho cirugías de rodilla y tiene otras más delante.

Ashley decidió tener hijos a una edad temprana. Tuvo su primer hija a los dieciocho años. Ella le da crédito al HTC por la guía tan directa que le dieron. Eran alentadores pero con notas de precaución: “Querían hacerme sentir cómoda con la idea de tener hijos. Sabía los riesgos: si yo tenía un niño, este podría tener hemofilia. Si tuviera una niña, ella podría ser portadora. Sin embargo, dijeron: Tu hijo podría nacer con una serie de cosas: su hijo podría tener cáncer o diabetes. Lo que sucede es que sabes que tienes este gen, así que si quieres tener hijos, no dejes que eso te detenga”.



Quizás el punto más directo que HTC quería que Ashley entendiera era que “La hemofilia de hoy no es la misma que experimentó cuando crecía al lado de su padre”. Ashley se lo tomó en serio y dijo: “Incluso si lo fuera, no estoy segura de que hubiera afectado mi decisión. Puede ser que me lo decían porque sabían que había sido muy difícil ver lo que mi padre tuvo que pasar, pero estaba muy agradecida por el apoyo que me brindaban”.

Asistir a la Coalition, otras conferencias nacionales y reuniones de la división local le ha dado a Ashley una visión clara de como es la hemofilia en los niños de esta generación. “Estas reuniones me han brindado mucho consuelo”, dice Ashley. “Todavía no es fácil para la gente, obviamente, pero no es lo que yo pensé que podría ser”. Sin faltarle el respeto a los chicos y a los hombres, Ashley sonríe y revela: “¡Tuve suerte y tuve tres hijas!” Ahora Ashley se encuentra en un punto de su trayectoria en el que quiere darles respuestas. “Como dije, soy privilegiada. Sé que soy portadora, pero ellas aún no tienen idea. Quiero que ellas conozcan su condición, pero me he dado cuenta de que para someter a prueba su estado de portadoras prácticamente se necesita un acto del Congreso y mucho dinero, así que estoy luchando para encontrar una manera de que les hagan las pruebas”. Aunque Ashley tiene antecedentes familiares de hemofilia, uno pensaría que no sería tan difícil. Ashley explica, “Lo que el HTC me dijo fue que el seguro lo ve como un beneficio para nosotros cuando queremos tener hijos,



pero no cubre a nuestros hijos". Ashley va a intentar afrontar esta situación señalando que si sus hijas son portadoras, les puede afectar cuando atraviesen por la pubertad, lo cual está a la vuelta de la esquina para dos de sus hijas. "Yo quiero saber si es probable que ellas estén más propensas a sangrar o si necesitarán cirugías y ese tipo de cosas". Ashley continúa: "Vamos a chequear sus niveles, pero el problema que tengo con esto es que aunque mis niveles son normales, sigo sangrando". Esto parece ser un fenómeno común entre las portadoras.

Ashley ha recibido algunos recursos de la Coalition y está decidida a hacer todo lo posible para obtener respuestas para sus hijas. "Sin embargo, no debería ser tan difícil". Ella lamenta. Este es el cambio en el sistema que a Ashley y a la mayoría le gustaría ver.

"Cuando voy a retiros de mujeres y otros eventos de la Coalition, sigo escuchando a las mujeres decir: 'Ojalá mi familia hubiera tocado el tema'. Para algunos, era un tema tabú". Ashley puede ver que hay mucho miedo fuera, por falta de información. Ella quiere que sus hijas participen en la Coalition para que puedan crecer con el beneficio de la educación que ella tuvo al crecer.

"Cuando tengan hijos, ¿les dará miedo? Posiblemente. El tener esta educación ¿les quitará un poco de miedo? estoy segura ¡eso espero!" Ashley afirma que el tener los ojos bien abiertos a las realidades y los recursos de la hemofilia fueron un gran beneficio para ella cuando decidió tener sus hijas. Todo el mundo debería tener la misma oportunidad. "Si yo hubiera tenido un hijo, sabría cómo obtener factor para él, sabría con cuál HTC contactar. Yo sabría que decirle a los médicos que tal vez nunca han tratado con pacientes de hemofilia antes. Mis hijas también merecen tener ese conocimiento".

"Me entristece mucho escuchar a personas que dicen que la primera vez que oyeron hablar de la hemofilia fue cuando dieron a luz, o cuando su bebé recibió una vacuna y tuvo

una hemorragia. Creo que si podemos brindar esta información a la gente, ¿por qué no hacerlo!"

Ashley elogia a la Coalition por un evento reciente donde se enfocaron en la importancia de aprender a "contar nuestras historias" como un componente vital de autodefensa. "No me daba cuenta de lo importante que es, sino hasta que comencé a escuchar las historias de otras personas. Ahora sé que eso es exactamente lo que quiero hacer. Cuanto más pueda compartir sobre esto en las redes

sociales y conseguir que alguien busque en Google qué es la hemofilia, mejor será nuestra comunidad".

A los ocho y a los diez años, dos de las hijas de Ashley visitaron eventos de la Coalition. Están muy interesadas en su conexión con la hemofilia. Se sientan a través de presentaciones con una madurez que ha sorprendido a Ashley y están comenzando a atormentarla con preguntas al respecto. "Es genial ver cómo sus cerebros comienzan a funcionar y cómo estas presentaciones provocan preguntas, incluso semanas después. Hace que sus próximos períodos sean menos aterradoras".

Ashley reflexionó recientemente sobre si después tener tres hijas y ningún hijo, estaba bien que ella siguiera viniendo a los eventos de la Coalition. Ella se preguntaba si estaba tomando el puesto de alguien que merecía estar allí más que ella. El consejo que recibió fue que la información actualizada era muy valiosa para toda su familia, y el apoyo de la comunidad es algo que sería muy beneficioso para sus hijas.

Mirando hacia el futuro, Ashley cree que la Coalition tiene la oportunidad de ir más allá en el área de la salud mental de la hemofilia. "Me encantaría hablar con otras niñas que crecieron con un padre con hemofilia y que luchan con la depresión", dice ella. La trágica infancia del padre de Ashley afectó su bienestar mental. El presenciar el sufrimiento físico y mental de su padre afectó la salud mental de Ashley. Las personas con problemas hemorrágicos y los hijos de ellos que sufren de depresión son sólo dos de varios grupos de enfoque de salud mental que Ashley piensa que podrían beneficiarse en la comunidad.

Cuando se le preguntó qué consejo le daría a los demás, Ashley dijo: "Es muy importante comenzar a aprender desde joven. No me arrepiento de haber aprendido sobre la hemofilia a una temprana edad, y creo que es importante para las personas con hemofilia, portadoras y cónyuges de portadoras que aprendan tan pronto como sea posible". Afortunadamente, ¡la Coalition for Hemophilia B está aquí para ofrecer educación y apoyo a lo largo de nuestro viaje!



Mamografías y vacunas

POR EL DR. DAVID CLARK

Tenga en cuenta que la aplicación de cualquiera de las vacunas COVID (o muchas otras vacunas) pueden causar resultados falso positivos en mamografías. La razón es que las vacunas pueden causar hinchazón en los ganglios linfáticos debajo de los brazos.

La hinchazón no es nada de qué preocuparse y no tiene nada que ver con el cáncer de mama. Es solo una reacción normal de su sistema inmunológico. Sin embargo, si se hace una mamografía poco después de haber recibido una vacuna, los ganglios linfáticos hinchados aparecerán en la mamografía y pueden ser considerado como sospechoso.

Se recomienda, que si es posible, se programe la mamografía antes de la vacuna o que espere alrededor de 4 a 6 semanas después de su última inyección. Los médicos,



sin embargo, recomiendan que no retrasen su mamografía, así que intente organizar las citas.

Este problema es cada vez más reconocido, por lo que los técnicos en mamografías probablemente le pregunten si se ha vacunado recientemente. Si no le preguntan, no dude en decírselo a ellos, si ese es el caso. Esta no es una situación peligrosa. Es más un inconveniente, pero podría ser preocupante hasta que descubra que fue sólo un efecto secundario de recibir la vacuna.

¿ESTÁS LISTO PARA CONTAR TU HISTORIA?



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

¿QUÉ TE MOTIVA?

TODOS TIENEN UNA HISTORIA

¿CUÁL ES TU HISTORIA?

NUESTRO HÉROE PLASMA

Nemo Delgado

“Nemo tiene una motivación personal y especial por la cual dona plasma - su hija de 13 años, Daniela”.

Nemo Delgado ha donado plasma muchas veces. Él sabe que sus donaciones ayudan miles de individuos con condiciones debilitantes que dependen de terapias derivadas del plasma para su salud. Sin embargo, Nemo tiene una motivación especial y personal para donar plasma - su hija de 13 años, Daniela.



Daniela padece de la enfermedad de von Willebrand (EvW) grave Tipo 1C y del síndrome de Ehlers-Danlos, ambas condiciones son debilitantes. EvW es una condición genética como

la hemofilia que puede causar hemorragias incontroladas, daños en las articulaciones y otras complicaciones. Es una dolencia de por vida y no hay cura. El tratamiento para la EvW de Daniela consiste de infusiones intravenosas regulares de un factor de coagulación elaborado del plasma humano donado y se aplican en casa. Sin estas donaciones, la medicina que ella usa no existirían.

Nemo y su esposa Janine, quien también tiene EvW y también usa un producto derivado del plasma, han ayudado a inspirar a Daniela a utilizar sus condiciones como una fuerza para hacer el bien. Cuando ella tenía solo cuatro años, se dio

cuenta de que había otros niños con enfermedades o discapacidades mortales y a menudo necesitan algo que los haga sonreír. Ella decidió que quería elaborar pasteles especiales y hermosos y quería personalizarlos y llevárselos a los niños que lo merecen, sin ningún cargo. Nemo y Janine son ávidos panaderos, así que no fue una sorpresa que Daniela eligiera hornear deliciosos pasteles lo que significa para ella una misión importante. Hoy, a través de *Daniela's Little Wish* (www.danelaslittlewish.org), la

organización que ella fundó con el apoyo de sus padres, ella sigue horneando y regalando tortas mientras da charlas motivadoras y talleres de magdalenas en toda la comunidad y en todo el país. Nemo, Janine y Daniela también participan en la Coalition for Hemophilia B (www.hemob.org), donde algunos de los participantes tienen EvW.

Recientemente, Daniela dirigió un taller virtual de elaboración de magdalenas para las familias de nuestra comunidad. La Coalition ha brindado apoyo a los esfuerzos de los Delgado en una variedad de formas y está orgullosa de haber nominado a Nemo Delgado como nuestro *Héroe Plasma*.

EL PLASMA SALVA VIDAS

¿Sabía que las personas con hemofilia no son las únicas que dependen de terapias hechas con el plasma humano donado? Personas con otras afecciones potencialmente mortales, incluyendo la inmunodeficiencia primaria, utilizan inmunoglobulina intravenosa (IVIG) y albúmina de suero humano (HSA). Aunque la mayoría de las personas con hemofilia ahora usan productos recombinantes, algunas otras con trastornos de hemorragias raras, como la enfermedad de von Willebrand o inhibidores no tendrían tratamiento sin productos derivados de donaciones de plasma.

The Coalition for Hemophilia B está trabajando con un grupo de organizaciones que representan a pacientes que utilizan terapias derivadas del plasma para crear conciencia sobre la importancia de donar plasma. Muchas personas con trastornos hemorrágicos no pueden ser elegibles para donar sangre o plasma, pero si hay personas en sus vidas que no se ven afectadas personalmente, por favor considere animarlas a ayudar. Para obtener más información o para encontrar un centro de donación de plasma cerca de usted, visite PlasmaHero.org.



UNA BIENVENIDA PARA NUESTRO NUEVO MIEMBRO DE EQUIPO: JIBIN JOHNS

¡Jibin se ha unido a nuestro equipo como analista de datos! Él tiene hemofilia B y es de Trivandrum, India, pero actualmente reside en Texas. Él dice: “Estoy emocionado de unirme al equipo de la Coalition y trabajo donde más se me necesita!”

WASHINGTON DAYS



Los defensores del estado de Nueva York de la comunidad de trastornos hemorrágicos se reunieron virtualmente con miembros del Congreso el 4 de marzo, como parte de Washington Days de la NHF. Les damos las gracias a todos (aquí están algunos participantes “en persona” de un evento anterior).

Agradecemos especialmente a Chris Villarreal y Glenn Mones de nuestro equipo de la Coalition for Hemophilia B por haber proporcionado la “Voz B” para nuestra comunidad. En su nombre, solicitaron fondos federales continuos para centros de tratamiento y para que la legislación elimine los injustos “ajustadores del acumulador” de copagos de los seguros. ¡Manténganse atentos a las actualizaciones!

contados como recursos en aplicaciones y cualificaciones para programas públicos como SSI, Medicaid y otros.

Las nuevas revisiones de la ley permiten que un beneficiario activo pueda contribuir una cantidad adicional igual al límite de aporte anual de su salario bruto o la cantidad del Nivel de Pobreza Federal individual (\$12,880 para el 2021) si ellos o su empleador no contribuyen a un plan de jubilación. Esto permite a una persona discapacitada depositar hasta \$27,880 en una cuenta ABLE en el 2021 y alcanzar el límite de exención de \$100,000 de una manera más rápida.

Existen limitaciones en el uso de los fondos de la cuenta ABLE, ya que deben utilizarse para “gastos de discapacidad calificados” para el beneficiario. Los gastos incluyen: educación, vivienda, transporte, formación laboral y apoyo, asistencia tecnológica y servicios de apoyo personal, salud, prevención y bienestar, honorarios de servicio para la cuenta ABLE, honorarios legales, gastos de funeral/entierro y otros gastos aprobados por el gobierno.

Si un beneficiario de Medicaid tiene una cuenta ABLE que excede la exención máxima de \$100,000 en recursos contables, el titular puede conservar la elegibilidad para Medicaid sin límite de tiempo mientras permanezca elegible de otra manera. La cantidad que exceda los \$100,000 del límite máximo, se contabilizaría como un recurso. Si un beneficiario recibe SSI y su cuenta ABLE excede la exención máxima de \$100,000 en recursos contables, los pagos del SSI se suspenderán hasta que estos recursos caigan por debajo de los límites y después el SSI se restaurará. No

hay ningún requisito para la determinación de una nueva discapacidad.

Algunos estados han optado por no tener un programa de cuentas ABLE debido a los costos asociados o porque no hay suficiente necesidad en su población. Algunos estados también limitan los solicitantes a los residentes de su estado, mientras que otros estados permiten que residentes de otros lugares sean propietarios de cuentas ABLE, si es lo más adecuado o preferido para sus necesidades. Esto permite que todas las personas calificadas tengan acceso a abrir una cuenta ABLE.

El manejo de un programa de cuenta ABLE suele llevarse paralelamente junto a una cuenta similar utilizada principalmente para ahorros educativos que están exentos de impuestos conocida como una cuenta “529”. La cuenta ABLE también se conoce como cuenta “529A”. El estado elige el tipo de institución financiera o las cuentas de inversiones elegibles para los depósitos en su estado. Algunos son amplios y otros tienen solo una opción.

Una persona discapacitada solo puede tener una cuenta ABLE. Comience a abrir una cuenta ABLE si cumple con el criterio, es relativamente simple. Comience con una búsqueda de su programa estatal y tipos de programas de depósito disponibles. Si desea más opciones, puede buscar programas en otros estados para ver si cumple con sus criterios y prefiere sus opciones de inversión.

¡Queremos agradecerle por su tiempo!

- El equipo de la Coalition for Hemophilia B está capacitado y certificado en Primeros Auxilios de Salud Mental.
- The Coalition for Hemophilia B está comprometida con la excelencia y brinda servicios de la más alta calidad a nuestros miembros. Es una parte fundamental de este compromiso, y de nuestra capacidad de inclusión y pertenencia (EDIB) –empezando con nuestro equipo.



In Memoriam



Kaylean Marie Gentry

2 de abril de 1990 - 29 de marzo de 2021

Con el corazón apesadumbrado, compartimos que Kaylean Marie Gentry de Firth, Nebraska, falleció inesperadamente. Ella era la esposa de Brandon y madre de 5 hijos Liam, Annabelle, Barrett, Nikolaus y Emmitt. Kaylean era muy querida y activa en nuestra comunidad. Ella era una persona muy sociable que nunca trato a nadie como extraño, siempre tenía una sonrisa en su rostro y ¡estaba lista para apoyar a cualquiera que la necesitara!



Tanya Hunnewell

19 de enero de 1974 - 13 de marzo de 2021

Nos entristece informar que Tanya Hunnewell de Dayton, Ohio, falleció. Ella era un miembro activo de la comunidad desde hace mucho tiempo. Fue una amorosa y firme defensora de su familia. Deja atrás a su esposo Bill, a sus hijos, Krystal, Brad y Zach, y a su hermana Tina Sturigel Ascough.



Jack Thomas Silliman

4 de octubre de 1975 - 24 de mayo de 2021

Compartimos con tristeza el fallecimiento de nuestro hermano Jack Thomas Silliman. Jack era el amado padre de su hijo Mason, fue hijo, hermano, maestro y amigo. Creció en Fort Stockton, una pequeña ciudad de Texas, y luego recibió una licenciatura en la Universidad Estatal de México, en Las Cruces. Pasó 17 años enseñando quinto grado en Enchanted Hills Elementary School en Rio Rancho, Nuevo México. Extrañaremos mucho a Jack.



Jeremy Michael Sweeney

10 de julio de 1975 - 28 de febrero de 2021

Tenemos el corazón roto al anunciar que Jeremy Sweeney de Simi Valley, California, falleció. A Jeremy le encantaba pasar el rato con sus hermanos con hemofilia. Él era el maravilloso esposo de Kim y padre de Rachel. Extrañaremos mucho a Jeremy.

Los pensamientos y oraciones de la Coalition están con cada una de estas familias.

Si desea enviar un mensaje de condolencia, envíenos un correo electrónico a contact@hemob.org.

GUARDE LAS FECHAS



**LET'S PLAY IX
TORNEO DE GOLF
23 DE SEPTIEMBRE**



**SIMPOSIO
24-27 DE SEPTIEMBRE**



**EXPERIENCIA DE DEFENSA
DE GEN IX
DEL 28 AL 31 DE OCTUBRE**



**RETIROS DE EDUCACIÓN Y
EMPODERAMIENTO PARA
HOMBRES
28-31 DE OCTUBRE, EN PERSONA
9-12 DE DICIEMBRE, EN PERSONA**



**RETIROS DE EDUCACIÓN Y
EMPODERAMIENTO PARA
MUJERES
12-15 DE NOVIEMBRE, EN PERSONA
16-19 DE DICIEMBRE, VIRTUAL**

PARA OBTENER MÁS INFORMACIÓN Y REGISTRARSE: HEMOB.ORG/NEW-EVENTS



The Coalition for Hemophilia B

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



VISITE NUESTROS SITIOS DE INTERNET:

Sitio oficial: www.hemob.org

Facebook: www.facebook.com/HemophiliaB/

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

Instagram: www.instagram.com/coalitionforhemophiliab

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

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

¡ESTÉ PREPARADO! LA HISTORIA DE TRISTAN

ENTREVISTA DE RENAE BAKER

“Se siente realmente bien estar un paso más cerca de ser más independiente”, dice Tristan, que tiene catorce años y está aprendiendo a auto infundirse.

Ser independiente es muy importante para él porque ¡Tristan es un joven muy ocupado! Al conocer a este educado joven con su suave acento sureño y su encantadora tranquilidad, puede ser fácil pasar por alto el motor proactivo y dinámico que se encuentra justo debajo de la superficie! No solo tiene cuatro años como cinturón negro en Taekwondo, pero también toca en la línea de tambores de la banda de música de su escuela, y está a cuatro rangos de convertirse en un Eagle Scout con los Boy Scouts de América.

Ya que es parte de los Scouts y la banda, Tristan a menudo necesita viajar. Y pesar de que Tristan aprecia la buena voluntad de su padre para acompañarlo, el ser capaz de auto infundirse significa que él no será más el único joven con un padre que lo acompañe a los viajes de la escuela, por si hay una emergencia.

“Crecí con el lema, ‘En caso de duda, administrar la infusión’, Tristan dice. Quizás por ser consiente de su dramático enfrentamiento con la muerte al momento de su nacimiento, Tristan mantiene una estricta posición con respecto a ser disciplinado y así obtener un bienestar óptimo. “Cuando mi mamá me contó la historia, yo me preguntaba: “espera, ¿qué?” exclama Tristan.

Durante las horas que transcurrieron entre su difícil nacimiento y su diagnóstico de hemofilia B grave, sus órganos no vitales dejaron de funcionar. Si no hubiera sido por una hábil enfermera quien exigió que no fuera dado de alta del hospital después de un solo día y los presionó para que hicieran análisis de sangre, la madre de Tristan cree que él no hubiera podido sobrevivir dos días.

Tristan se considera afortunado de tener un plan de profilaxis aprobado. La persistente constancia a su tratamiento en caso de duda, probablemente ha contribuido al hecho de que,



hasta la fecha, nunca ha tenido una hemorragia articular. Aprender a administrarse su propio tratamiento no ha sido fácil. “Todavía tengo dificultades al recordarlo”, admite, pero Tristan es un estudiante muy determinado de la enfermera que lo visita en su casa y le enseña como hacerlo. Agradece la paciencia de su enfermera y la flexibilidad para trabajar de una forma poco convencional que logra que Tristan se sienta cómodo al hacerlo.

A medida de que su independencia crece, Tristan es consiente del valor de tener amigos en The Coalition for Hemophilia B, a los cuales no tiene que explicarles lo que es tener hemofilia. También está aprendiendo el valor de comprender que la mayoría de la gente no entiende sus exclusivas necesidades.

“Siempre he tenido el desafío de que muchas personas no entienden por lo que estoy pasando”. Tristan lo ilustra con una historia durante el final de la temporada de fútbol hace un año. “Teníamos práctica con la banda y yo estaba en un carrito llevando el equipo de ensamble al campo. Por descuido y tonto dejé mis piernas un poco fuera del carrito. El hombre que conducía era un señor mayor. Tenía bastante experiencia como buen conductor, pero estaba a punto de chocar con otro carrito”. Tristan señala, unas tres pulgadas, a medida que su voz se hace más alta y sus ojos se agrandan. “Por supuesto, me choqué. Había una cubeta en la puerta trasera de el otro carro y fue directo a mi pierna. Me cortó. No fue lo peor del mundo. He tenido peores, pero fue bastante malo”.

¿Fue directamente al hospital, me pregunté? Él lo minimizó, “No fue tan malo. Era solo un corte profundo de más o menos un centímetro en mi pierna”.

“¡Todavía! Eso es bastante profundo, ¿no?” Le pregunté, sin

esconder mi incredulidad ante su indiferente respuesta.

“Sí dolió”. Lo acepta con una sonrisa tímida. “Dolio. Mucho”. Y, por supuesto, tenía que ser un martes; el día antes de aplicarme mi tratamiento, así que mi nivel estaba prácticamente en lo más bajo, por eso me salió un moretón de inmediato. Una vez que llegué al campo, me di cuenta de que había sangre corriendo por mi pierna”.

Entonces, ¿Tocó su instrumento? “Sí señora, lo hice. Lo toqué. La sangre se secó, así que todo lo que hice fue limpiarme la sangre seca”. Tristan ve mi sorpresa y se ríe un poco, porque sabe lo que está a punto de decirme. “La sangre que no salió”, continúa su risa con un arrepentido movimiento de cabeza, “Estaba en mi músculo; en el Lugar equivocado”.

Él describe el resultante hematoma de dos pulgadas como “bastante grande. No muy bueno”.

Entonces, ¿qué aprendió de ese evento? “¿Conoces las atracciones de Disney, donde dicen ‘mantengan sus manos y piernas dentro del vehículo en movimiento? Bueno, señora, eso es lo que yo aprendí de esta experiencia; sigo esa regla!”

Algo más que Tristan aprendió: “Una de las madres de un chico de la banda era enfermera, por lo que pudo ayudarme, pero las demás personas, como el director de la banda y el técnico de percusión, no sabían qué hacer. Tenían una actitud de, “Está bien, le pondremos una bandita y esperemos a que funcione”.

Fue diferente en la escuela primaria y secundaria. Tristan recuerda que se necesitó mucha defensa por parte de su mamá, pero pudieron conseguir una asistente de LPN para acompañarlo en excursiones escolares. Ahora que está en la escuela secundaria, durante la mayor parte del tiempo, él está manejando sus necesidades por su cuenta, y está aprendiendo rápidamente lo importante que es ser tan autosuficiente como sea posible y poder expresar sus necesidades durante una emergencia.

Esta es una idea natural para Tristan, quien como boy scout está prácticamente programado para “estar listo”. Recientemente, Tristan ha estado notando temas comunes en el diferentes áreas de su vida. “Al igual que hacer escalas, memorizar música y coreografías de la banda, tengo que ser disciplinado en mi práctica de Taekwondo. Al subir de cinturón en cinturón, tengo que aprender, memorizar y



perfeccionar completamente ciertos movimientos”.

Es cierto. Debes memorizar y practicar estas rutinas si no quieres causar un accidente (y ¡parecer un tonto!). Uniendo los temas de práctica, disciplina, perseverancia y preparación para la vida diaria con hemofilia, él ofrece este consejo para ayudar a los adolescentes con hemofilia a que vivan una vida mejor: “Si aún no has aprendido a aplicarte el tratamiento tu mismo, te animo a que lo hagas. No olvides ni una sola dosis de profilaxis. Y si sufres una lesión, que tal vez no se vea tan mal, continua administrándote el tratamiento de todos modos. No sabes lo que va a suceder en el futuro. Debes estar preparado”.

¡Suena como un buen consejo! ¿Y una cosa más? Tristan agrega con una sonrisa modesta, “No hagas tonterías!”



PROTÉGEME – NO ME PONGAS EN UNA BURBUJA: LA HISTORIA DE BRYEN

ENTREVISTA POR RENAE BAKER

Después de semanas de intentar programar nuestra entrevista en Zoom, le dije a Bryen que parecía ser un joven muy ocupado. “Algunos debatirían eso”, dijo, tratando de no dejar que la sonrisa se extendiera demasiado en su rostro.

A pocas semanas de su cumpleaños número 17, lo primero que note de Bryen fue su sorprendente y profunda voz. No soy la única que imagina su voz en comerciales de televisión o libros narrativos o películas dramáticas, Bryen usa su voz suavemente sin ninguna pretensión mientras describe su situación escolar. “Antes del COVID, iba a Creekview High School, que está básicamente en la misma calle donde vivo. Puedo caminar hasta allí”.

El viaje diario de Bryen pasó de ser bastante bueno a fantástico cuando la pandemia hizo que su escuela empezara a dar clases de forma remota. Cuando Bryen empezó a asistir a la escuela a través de una pantalla de computadora desde su casa, sus calificaciones subieron. De repente estaban mejor de lo que habían estado en muchos años, ¡y lo colocaron en el cuadro de honor de su escuela!

“¿Qué crees que marcó la diferencia para ti?” le pregunté.

“¿Honestamente?” Él mueve la cabeza, “Esa es la pregunta del millón de dólares. Realmente no puedo entenderlo. Todo lo que sé es que cuando comencé las clases de forma remota, mis calificaciones mejoraron drásticamente”.

Él dice que algunos sospechan que tiene que ver con el hecho de que nuestros padres están allí, 24 horas al día, 7 días a la semana, lo que lo disuade de descuidar su trabajo. De hecho, el escritorio de Bryen está estratégicamente colocado junto al escritorio en el que su padre ha trabajado desde antes de la pandemia.

“¿Y qué trabajo hace tu padre?” Pregunto.

“¡Buena pregunta!” dice Bryen, como si fuera un tema de conversación divertido para la familia.



Aparte de su nuevo éxito académico, el tiempo que Bryen ha pasado con su familia en casa durante la pandemia lo ha sentido muy natural y “más o menos igual que siempre”. Bryen ha tenido la suerte de que sus abuelos hayan sido parte habitual de su rutina diaria antes y durante el COVID. Antes de la pandemia, a menudo lo recogían al terminar las clases y pasaban tiempo con él después de la escuela. Aunque ha elegido continuar con el aprendizaje a distancia, él y su abuelo todavía encuentran formas de pasar tiempo de calidad juntos.

Aprovechando la plataforma Arduino, Bryen ha estado creando dispositivos de asistencia para estacionamiento los cuales ayudan a su abuelo a estacionar su auto directamente en su garaje y detenerse antes de llegar a su mesa de trabajo. A través de estos proyectos y cursos disponibles para él en la escuela, el interés de Bryen ha crecido más y más por la electrónica, la ingeniería, la programación informática y las ciencias de la computación.

Bryen es un joven de pocas palabras, que fue diagnosticado con hemofilia B severa, y parece estar igual de desconcertado con su trayectoria con la hemofilia B, como lo hace con su experiencia en el mundo del COVID-19. “No hay mucho que contar”, nos dice. Él Comparte conmigo que estaba en un régimen de factor dos veces por semana y luego trató un tratamiento cada dos semanas. “Pero solo me duraba alrededor de diez días, o tenía una hemorragia el día que me tocaba aplicar el factor. Decidimos hacer un tratamiento una vez a la semana, lo cual fue mucho mejor que dos veces por semana”.

Bryen, quien se ha autoproclamado como una persona introvertida, no ha sentido mucho el cambio en la reducción de interacción social en persona. Sin embargo, extraña ir a jugar boliche. Él hubiera disfrutando mucho de poder continuar siendo parte de un equipo de bolos

para adolescentes, pero tuvo que tomar tiempo libre para rehabilitarse después de una cirugía sinovectomía artroscópica en los tobillos y el codo derecho. Justo cuando había recuperado su rango de movimiento y estaba a punto de obtener luz verde para reincorporarse al equipo, todo se cerró cuando el COVID-19 puso todo el mundo al revés.

Desde la sinovectomía, Bryen afirma que ha tenido una notable baja en el número de hemorragias, “Básicamente están en cero, ¡así que me gustaría hablar con mi hematólogo sobre eso!” Bryen describe su relación con su hematólogo como una relación abierta donde se siente libre para hablar y hacer preguntas. La mayor petición que tiene para su equipo médico (y todos los demás) es que , “¡No me envuelvan en una burbuja! Sé lo que puedo y no puedo hacer la mayor parte de el tiempo”.

Lo ilustra señalando que antes de que él mismo se aplicara infusiones, a veces le tomaba a su padre o abuelo múltiples pinchazos para administrarle la infusión. “A veces le iba tan mal que tenían que hacérsela en el tobillo”. Me estremezco ante lo doloroso, pero Bryen lo minimiza diciendo, “Pensarías que me dolía mucho, ¡pero en realidad me hacia cosquillas!”

¿Qué?! Bueno, no le ha hecho cosquillas desde que lo se lo hace él mismo, pero una vez que comenzó a auto infundirse a los once años, dice: “Puedo hacer mis infusiones fácilmente con un solo pinchazo”.

Bryen y su familia tenían planeado asistir al Simposio de The Coalition for Hemophilia B que se suponía que tendría lugar en Orlando, Florida en 2020. Qué lástima. Él hace bastante bien en ocultar su decepción, pero ¿quién no puede notar su decepción por esa pérdida? Como ya había demostrado, Bryen no es de los que se ahogan en autocompasión. Después tornamos la conversación al agradecimiento que él siente por los eventos en línea. Particularmente le gustó la parte educativa, los eventos interactivos a los que él y sus padres pudieron asistir como familia y también el programa de Mentoría de Gen IX para adolescentes. Espera participar en eventos en persona cuando vuelvan a estar disponibles.

Considerando el papel que ha jugado la hemofilia en su vida, Bryen lo ve como un escudo y una espada. Ya que la gente sabe que él tiene hemofilia, tratan de protegerlo para que no se lastime, pero a veces eso puede llevarlo a sentirse excluido. El da el ejemplo de un juego de manos, donde mantienes extendidas las manos y dejas que tu oponente las golpee. “Sé una buena forma de hacerlo, en la que en realidad no te lesionas porque lo investigué, pero la mayoría de las veces me dicen, ‘No, no vamos a dejar que Bryen juegue porque no queremos que se lesione y meternos en problemas’. Y cosas como esas”.

A veces, ese escudo protector es útil. “En la clase de gimnasia, los entrenadores me vigilan más cuando queremos jugar dodgeball”.

¿Dodgeball ?!

“Bueno, usamos bolas de espuma, donde no importa cuán duro la gente te los arroja, no puedes salir lastimado. La única ocasión en que tuvieron que llamar a mis padres fue



cuando me lesioné el hombro lanzando la pelota!” Oh, que ironía.

Aunque la hemofilia no ha tenido un efecto dramático en la vida de Bryen, no siente la bendición de ella como lo hacia cuando era pequeño. “Cuando era más joven e iba al campamento Ailihpomeh, (eso es “hemofilia” deletreada al revés) Me alegraba de tener hemofilia porque era un campamento muy divertido. Era como si tuviera una razón para tener hemofilia. Ahora que estoy mas grande y he tenido que dejar el campamento, me pregunto ‘¿Existe una cura? ¡Si es así, inscríbeme!’ ¿Terapia genética? No me importa si es experimental; ¡Anótame! No tener que hacerme infusiones cada semana o con tanta frecuencia sería menos molestia”.

No puedo evitar pensar que los eventos de la Coalition en vivo no se pueden reanudar ¡pronto!

“El mejor consejo que he recibido es: ‘Si necesitas algo, déjalo saber’. Esto funciona para muchas cosas”. El mejor consejo que le puede dar a alguien con hemofilia es: “Rotar el uso de las venas”. Bryen habla desde su propia experiencia personal. “Quería rotar mis venas, pero no se dejaban rotar. En una ocasión una vena se utilizó en exceso y se sumergió profundamente. Ahora tengo un poco de tejido cicatrizante. El nuevo tratamiento le brinda a mis venas más tiempo para sanar, así que eso está ayudando”. Entonces, si tienes problemas para rotar su venas, (es decir, necesita algo), comunícaselo a tu hematólogo. Quizás un tratamiento diferente te pueda ayudar, como lo fue en el caso de Bryen.

A lo largo de sus diecisiete años, Bryen parece haber

encontrado formas de manejar problemas y situaciones sociales complicadas con una buena actitud. La pandemia le ha enseñado formas de concentrarse y sobresalir en áreas de su vida que están guiándolo a caminos interesantes, que espera seguir como adulto: todo esto mientras se cultivan las relaciones familiares y se evita – sí - el estar sumergido en una burbuja.”



**ÚNETE
AL**

TEEN TASK FORCE

ÚN Para el boletín informativo de Factor IX ETE AL

**¡Obtén horas
de servicio a la
comunidad!**

**- Propón tus ideas -
Escribe o reporta**

historias

- Toma fotografías -

¡Involúcrate!

**¡Únete al Teen Task Force de The Coalition for
Hemophilia B! Envíe un correo electrónico a
Rocky Williams para más información:**

rockyw@hemob.org.



¿ESTABAS “ENTRE NOSOTROS?”

En abril y mayo, nuestros adolescentes se unieron a los adultos jóvenes virtualmente para jugar un juego interactivo llamado “Entre nosotros”, donde utilizamos teléfonos inteligentes y computadoras. Los participantes tenían que hacer trabajo en equipo como miembros de una tripulación que estaban reparando una nave espacial averiada. La trampa es que un compañero de equipo era un impostor quien estaba trabajando para sabotear

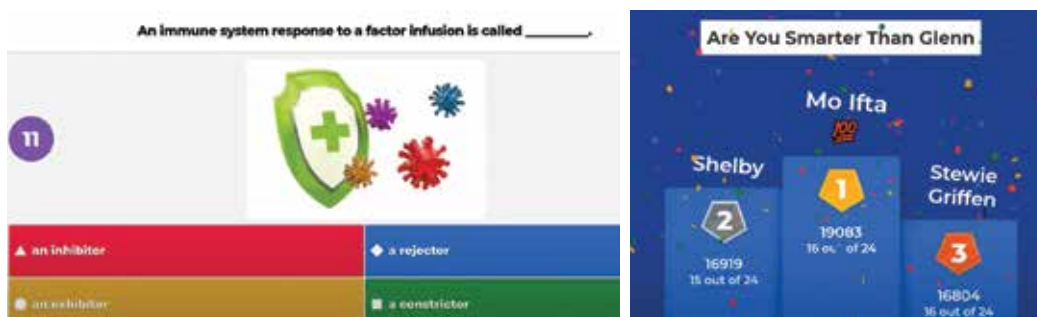
el barco y eliminar a la tripulación.

¿Qué lo hizo más divertido y especial es el miembro de la comunidad, Bryen, asumió un papel de liderazgo, y presentó al grupo la versión “*Hide and Seek*” del juego. El juego es muy popular y ayudó a los participantes a aprender cómo resolver los desafíos trabajando juntos. Estén atentos para juegos futuros.



¿ERES MÁS INTELIGENTE QUE GLENN?

En enero y febrero, les hicimos a los adolescentes una pregunta muy importante: “¿Eres más inteligente que Glenn? Para averiguarlo, Glenn organizó dos noches de juegos vestido y actuando en carácter (con acento y todo) como Albert Einstein, el famoso físico teórico que desarrolló la teoría de la relatividad. (En la versión de Glenn, también inventó la toalla de papel y muchas otras cosas útiles). Los participantes disfrutaron de las batallas de trivia del Dr. Einstein incluyendo *Kahoot*, *Mad gabs* y *Outburst*. Una cosa que todos aprendimos de esta diversión programa educativo: ¡nuestros adolescentes son inteligentes!



B inspired!

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

Primavera 2021

EN ESTE NÚMERO:

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



¡ESTÉ PREPARADO! LA HISTORIA DE TRISTAN



PROTÉGEME – NO ME PONGAS EN UNA BURBUJA: LA HISTORIA DE BRYEN

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!