

THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

OTOÑO 2023

HEMOPHILIA B NEWS

ORGANIZACIÓN NACIONAL SIN FINES DE LUCRO



RETIRO DE EDUCACIÓN Y EMPODERAMIENTO DE LA MUJER



ESTAMOS JUNTOS EN ESTO:
RETIRO DE PAREJAS



RETIRO DE EDUCACIÓN Y EMPODERAMIENTO PARA HOMBRES



PENSAMIENTOS DE UN VIEJO
LOGO DE LOS AUTOS

ENCONTRANDO UNA
COMUNIDAD A TRAVÉS DE
LA CRIANZA DE LOS HIJOS

MI VIAJE CON LA TERAPIA
GÉNICA

¡LLEGAR A LA CIMA Y
ELEVARSE A NUEVAS
ALTURAS!

SUBIRSE A LA MONTAÑA
RUSA DE LA VIDA Y AMAR
CADA MINUTO DE ELLA

CONTENIDO

ARTÍCULO PRINCIPAL: **MI VIAJE POR LA TERAPIA GÉNICA – PÁGINA 3**

INTERÉS HUMANO

- PENSAMIENTOS DE UN VIEJO LOCO DE LOS AUTOS – PÁGINA 6
- LO QUE DESEARÍA HABER SABIDO – PÁGINA 8

PANORAMA DE PRODUCTOS

- ACTUALIZACIONES SOBRE EL PANORAMA DE LA HEMOFILIA – PÁGINA 20
- PANORAMA DE LA HEMOFILIA: TERAPIAS EMERGENTES – PÁGINA 24

MUJERES CON TRASTORNOS HEMORRÁGICOS

- ¡KATY HAIGOOD ESTÁ LLEGANDO A LA CIMA Y ELEVÁNDOSE A NUEVAS ALTURAS! – PÁGINA 31

ABOGACÍA

- SEGUROS DE SALUD – PÁGINA 33
- EL SEGURO DE SALUD FAMILIAR YA NO ES ASEQUIBLE A TRAVÉS DE LOS PEQUEÑOS EMPLEADORES – PÁGINA 36

RESUMEN DE EVENTOS

- RETIRO DE OTOÑO DE EDUCACIÓN Y EMPODERAMIENTO DE LOS HOMBRES – PÁGINA 10
- RETIRO DE OTOÑO DE EDUCACIÓN Y EMPODERAMIENTO DE LA – PÁGINA 13
- ESTAMOS JUNTOS EN ESTO: RETIRO DE PAREJAS – PÁGINA 17
- ¡ENVEJECER CON HEMOFILIA B NO PUEDE DETENER A ESTA COMUNIDAD! – PÁGINA 29
- ENCONTRAR UNA COMUNIDAD A TRAVÉS DE LA CRIANZA DE LOS HIJOS – PÁGINA 30

PRÓXIMOS EVENTOS

- ¡KAHOOT! – PÁGINA 39
- REUNIÓN VIRTUAL SOBRE EL PANORAMA DE PRODUCTOS DE HEMOFILIA B – PÁGINA 39

B INSPIRED SECCIÓN PARA ADOLESCENTES

- CIBERACOSO Y REDES SOCIALES PARTE II: HERRAMIENTAS DE EMPODERAMIENTO PARA LOS PADRES – PÁGINA 38
- ¡ERA KAHOOT! – PÁGINA 40
- AIDEN – ¡UN VENCEDOR Y UN VERDADERO LÍDER DENTRO Y FUERA DEL CAMPO! – PÁGINA 41
- JAYDEN – ¡SÚBETE A LA MONTAÑA RUSA DE LA VIDA Y DISFRUTA CADA MINUTO DE ELLA! – PÁGINA 43
- NOCHE VIRTUAL DE ADOLESCENTES – GUESSPIONAGE – PÁGINA 45
- ¡TODO EL MUNDO ESTÁ EN EL MISMO EQUIPO DE GETTIN' IN THE GAME CAMPEONATO NACIONAL JUVENIL! – PÁGINA 46

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA 

MISIÓN

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



MI VIAJE CON LA TERAPIA GÉNICA

POR BRIAN O'MAHONY

Fui tratado con terapia génica con factor IX como parte de un ensayo clínico de fase tres en febrero de 2020, hace unos 45 meses. En el momento del tratamiento, tenía 62 años y había vivido una vida que abarcaba todas las generaciones de tratamiento de la hemofilia. Hasta los 14 años, no tuve acceso a ningún tratamiento regular y los episodios de sangrado no se trataban con ningún medicamento. Como consecuencia, tuve daños en la rodilla izquierda, el tobillo derecho y el codo derecho. A los 14 años, tuve mi primer tratamiento con un concentrado de factor que en realidad era un concentrado de complejo de protrombina.

Durante los siguientes tres años, si necesitaba tratamiento, era plasma fresco congelado que requería un viaje de ida y vuelta de 400 millas hasta el centro de tratamiento en Dublín. Obviamente, dado el tiempo que me tardaba en llegar a Dublín, para el momento que llegaba con un episodio de sangrado en una articulación esta ya estaba muy avanzada en el momento en que me infundían el plasma. Cuando me mudé a Dublín para ir a la universidad a los 17 años, tuve acceso a un tratamiento en casa con concentrado de complejo de protrombina. Este fue el tratamiento disponible hasta los 30 años, cuando cambié al concentrado FIX derivado del plasma. Luego, a principios de mis 40 años, el factor IX recombinante estuvo disponible, y este fue mi tratamiento de elección hasta finales de los 50 años, cuando cambié al concentrado de factor IX de vida media prolongada. No comencé el tratamiento profiláctico hasta mediados de los 50 años.

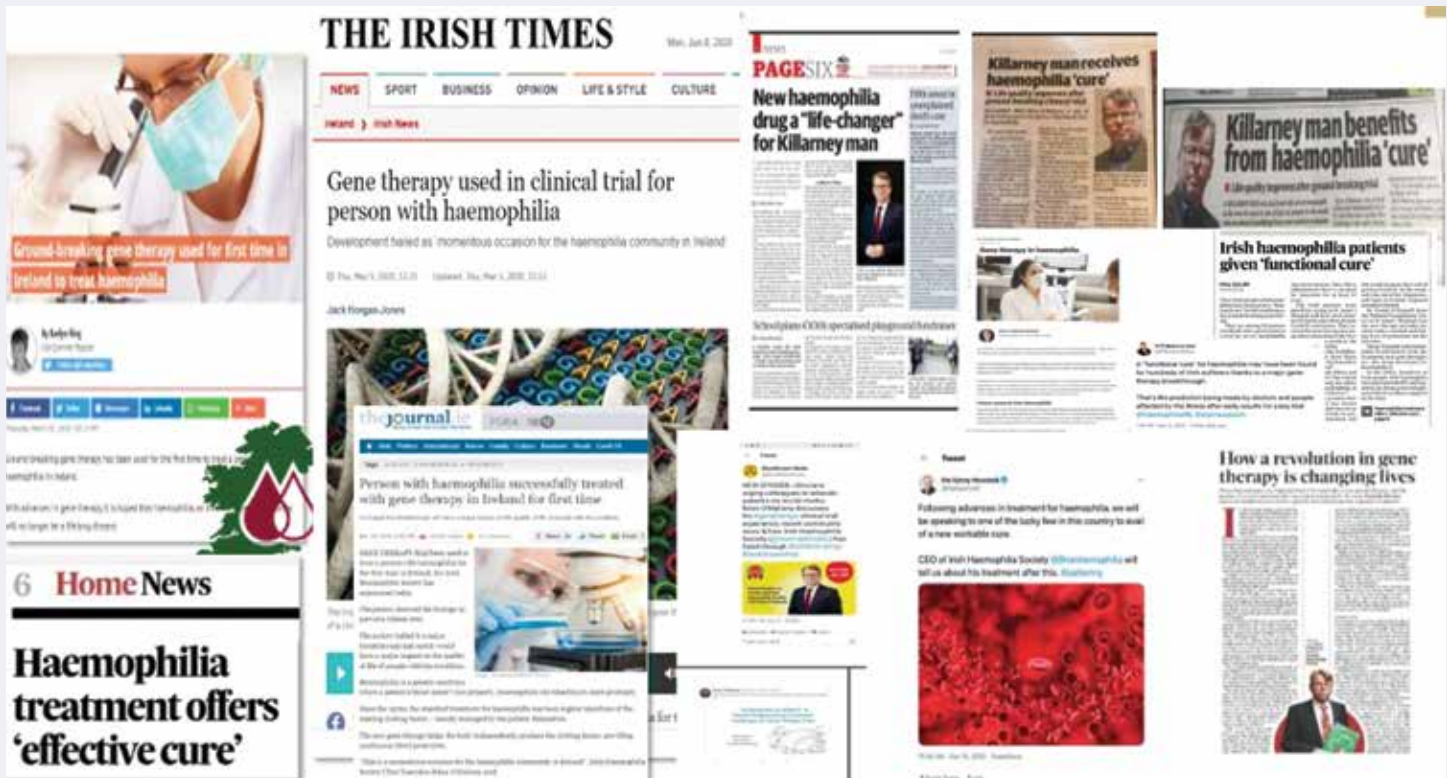
De todos estos cambios en el tratamiento, en mi opinión, la disponibilidad de un tratamiento en el hogar en el que se podía tratar una hemorragia rápidamente, tan pronto como había comenzado, fue el mayor cambio en el juego. La disponibilidad del factor IX de vida media prolongada también fue un hito importante que me permitió tomar

profilaxis una vez cada 10 días mientras me sostenía en un punto bajo que me mantenía en el rango leve.

Mi decisión de participar en un ensayo clínico de terapia génica fue cuidadosamente meditada. Había estado siguiendo la ciencia durante muchos años. Junto con nuestros médicos, participé en la tarea de animar a varias de las empresas que estaban llevando a cabo ensayos clínicos de terapia génica a considerar Irlanda como una de sus sedes de ensayo.

En el transcurso de los últimos 10 años, varias empresas vinieron a Irlanda para discutir sus ensayos clínicos de terapia génica con los médicos y los pacientes. Organicé reuniones de grupo. Por lo general, entre 10 y 20 personas con hemofilia que habían expresado algún nivel de interés en la terapia génica se acercaban y escuchaban más sobre los ensayos. También trabajamos con el regulador irlandés para asegurarnos de que los ensayos pudieran llevarse a cabo en Irlanda.

Durante el transcurso de estas reuniones, y después de mis lecturas e investigaciones sobre terapia génica, me convencí de que la relación beneficio-riesgo para mí de participar en el ensayo clínico de terapia génica era positiva. La ciencia me convenció del potencial de la terapia génica. Antes de inscribirme, era consciente de las incógnitas e incertidumbres. Sabía que no había garantía de durabilidad. Sabía que no hay garantía de expresión factorial que se pueda lograr. Era consciente de que algunas personas pueden no obtener una respuesta a la terapia génica y de que no lograrían ninguna expresión significativa del factor. Era consciente de la posible necesidad de tomar esteroides en caso de transaminitis para evitar cualquier posible pérdida de expresión del factor lograda. Era consciente del riesgo teórico de cáncer por mutagénesis insercional. A pesar de estas



incertidumbres, sentí que participar en un ensayo clínico de terapia génica era la decisión correcta para mí.

Hablé de esto con amigos y colegas, tanto líderes clínicos como de organizaciones de hemofilia, que tenían una variedad de opiniones en relación con la terapia génica. Hablé de esto con mi familia, pero tenían muy claro que confiaban en mi juicio y conocimiento. Dentro de los parámetros de las incertidumbres en la expresión del factor de durabilidad y la previsibilidad, identifiqué por mí mismo mis resultados personales preferidos, siendo en todo momento consciente de que estos podían no lograrse. Si esto no se lograba, creía que estaba listo para aceptar cualquier resultado que lograra.

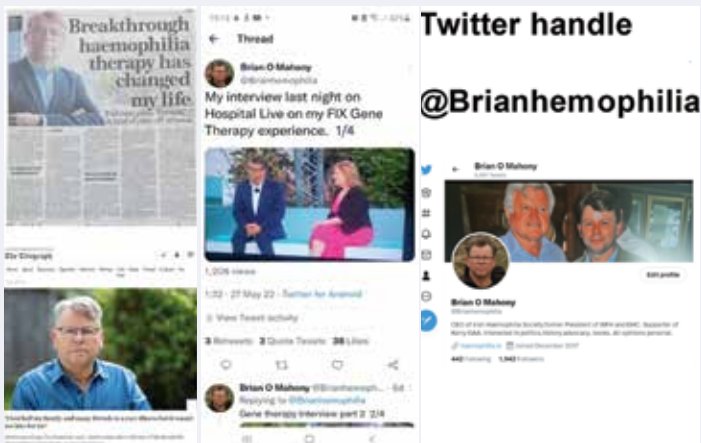
Esperaba una expresión factorial en el rango del 20% al 60%. Mi preferencia era que la expresión de mi factor no fuera demasiado alta, ya que quería mantener parte del efecto cardioprotector potencial de un nivel de factor ligeramente más bajo dada mi edad. Esperaba una durabilidad de al menos 10 años. Esperaba una disminución del dolor crónico en mis articulaciones dañadas y esperaba tener la capacidad de ser más activo físicamente y estar en mejor forma. Obviamente, si alcanzaba un nivel significativo de factor IX, significaría que podría suspender la profilaxis. Esto, a su vez, liberaría parte de mi tiempo y me permitiría tener cierta libertad mental para lidiar con mi propia hemofilia.

Era plenamente consciente de que, dadas mis funciones en la Sociedad Irlandesa de Hemofilia, el Consorcio Europeo de Hemofilia y el trabajo en curso con la Federación Mundial de Hemofilia, no lograría ni podría lograr nada parecido a una mente libre de hemofilia, ya que toda mi vida laboral ha estado consumida por la hemofilia y los trastornos hemorrágicos. Esperaba tener cierta libertad para no lidiar regularmente con mi

propia hemofilia, incluso en áreas como no tener que tomar profilaxis en los días de vuelos de larga distancia y planificar cuidadosamente cualquier actividad física significativa para que coincidiera con los días de profilaxis.

También hubo otros factores en mi decisión. A mi edad de 62 años, si la terapia génica tardaba varios años en ser autorizada y reembolsada en mi país, es posible que perdiera la oportunidad de recibir terapia génica. He vivido toda mi vida con hemofilia grave. Pensé que sería interesante probar la vida posiblemente sin hemofilia grave. Yo también quería liderar. A pesar de las reuniones celebradas a lo largo de varios años, ninguna persona con hemofilia en Irlanda había participado en un ensayo clínico de terapia génica. Yo fui el primero, y rápidamente me siguieron otros dos. Con la decisión tomada, entré en un período de introducción de aproximadamente 6 meses antes de que se infundiera la terapia génica. Durante ese período de tiempo, tuve que llevar un diario electrónico en el que registraba cualquier episodio de sangrado y la profilaxis. También me comprometí ampliamente con el equipo de investigación en el centro donde se infundiría la terapia génica.

En el año anterior a mi terapia génica en 2019, había viajado al extranjero en 44 ocasiones, ya que viajo mucho por trabajo. Tuve varias conversaciones con el equipo de investigación en relación con asegurar que pudiéramos programar mis citas de seguimiento, idealmente permitiéndome mantener algunos de mis compromisos laborales en el extranjero. Dicho esto, era plenamente consciente de los requisitos de supervisión y seguimiento y estaba plenamente comprometido con el protocolo. Quería que la terapia génica tuviera éxito y no quería poner en peligro el protocolo del ensayo debido a los compromisos de viaje.



Las visitas de seguimiento requirieron una visita una vez a la semana durante las primeras 12 semanas, seguida de visitas mensuales durante el resto del primer año y visitas semestrales después de eso hasta el final del año 5. Estaba totalmente comprometido a hacer todas estas visitas y estaba dispuesto a no viajar si eso interfería con mi capacidad para cumplir con el protocolo. Irónicamente, eso no fue necesario, ya que dos semanas después de mi dosis, llegó la pandemia de COVID-19 y no tenía compromisos de viaje durante los siguientes 18 meses. Esto facilitó la gestión de mi agenda y la programación de todas las visitas de seguimiento y, al mismo tiempo, lo hizo más difícil, ya que significaba que tenía que asistir a un hospital con mucha regularidad durante una pandemia en un momento en que la mayoría de la gente hacía todo lo posible para evitar ir a cualquier hospital. El equipo de investigación facilitó esto al facilitar las visitas en un entorno no clínico donde la exposición potencial a COVID-19 era muy limitada.

El día de la infusión de la terapia génica fue relativamente sencillo y sin incidentes. Asistí al centro de investigación cerca de mi centro de tratamiento de hemofilia con mi esposa unas dos horas antes de la infusión para hacerme algunos análisis de sangre, controles finales y conversaciones finales. Recibí la infusión durante un período de 90 minutos, esperé dos horas y me fui a casa. El procedimiento fue sencillo, aunque era consciente de que tenían un equipo de emergencia listo en caso que se presentara una reacción adversa. Estuve muy relajado durante ese día, pero esa noche, estaba emocionalmente agotado al darme cuenta de lo trascendental que era este día.

Luego tuve visitas semanales durante las primeras 12 semanas y, de hecho, excedí esto durante varias semanas al tener visitas dos veces por semana. Quería asegurarme absolutamente de que no había ninguna posibilidad de que pasaran por alto cualquier aumento en las enzimas hepáticas que podría resultar en la pérdida de expresión si había un retraso en el diagnóstico de esto y en el inicio de los esteroides. Las visitas se gestionaron en un espacio no clínico debido a la pandemia de COVID-19 y se gestionaron muy bien. El único evento adverso que tuve fue una disminución en mi hierro debido al gran volumen de sangre que se extraía semanalmente.

En el primer año, tuve visitas dos veces por semana

durante los primeros tres meses, y luego visitas mensuales. En total, en el primer año, visité el centro 30 veces. Me adherí completamente al protocolo y me abstuve de beber alcohol durante tres meses antes de la terapia génica y dos años después de la terapia génica (superando el año recomendado). Mi resultado desde el primer día fue bueno.

Mi nivel de factor IX aumentó desde la semana 1 y se ha mantenido en el rango alto-leve o normal durante los últimos 45 meses. Afortunadamente, no necesité esteroides ya que mis enzimas hepáticas nunca aumentaron. Sospecho que tuve una disminución del dolor crónico en algunas de mis articulaciones dañadas, en parte debido a la terapia génica y en parte debido al tiempo adicional desde mi reemplazo de rodilla en 2018. Estaba más en forma y más activa en el primer año después de la terapia génica debido a la terapia génica y al hecho de que no viajaba constantemente y pude entrar en un régimen equilibrado de ejercicio y dieta.

En el primer aniversario de mi terapia génica, estaba caminando con mi familia en las montañas de Dublín cuando me resbalé y caí de una pared baja sobre unas rocas. A pesar de esto, no tuve una hemorragia, y esto fue una revelación para mí. En otra ocasión en el primer año, dejé caer una mancuerna de 1,5 kg en mi descalzo y nuevamente no sangré. He tenido dos episodios de sangrado desde que comencé la terapia génica, uno de los cuales fue espontáneo y el otro se debió a un traumatismo. También he requerido factor IX en un par de ocasiones para aumentar mi nivel de factor antes de una cirugía o procedimiento menor. Ahora que estamos en un entorno post-COVID, vuelvo a viajar mucho por trabajo. Por lo general, no llevo conmigo ningún factor IX cuando viajo, a menos que se trate de un viaje largo o un viaje a un país en desarrollo o emergente donde tendría dificultades para acceder al tratamiento, si fuera necesario.

Para hacer ejercicio, camino rutinariamente. Comencé a consumir alcohol moderadamente dos años después de mi infusión de terapia génica. Ahora estoy lidiando con otros problemas de salud menores que no están relacionados con la hemofilia. Continúo siguiendo muy de cerca la ciencia en torno a la terapia génica y tengo que decir que, personalmente, no tengo ningún remordimiento por el tratamiento. Tomé la decisión correcta para mí en ese momento.

Mi resultado ha sido bueno, pero me gustaría pensar que incluso si mi resultado hubiera sido menos satisfactorio, no tendría remordimiento por el tratamiento porque había pensado completamente en todos los resultados que podrían ocurrir y había manejado mis expectativas en consecuencia.

Acerca de Brian O'Mahony, FASCLM

Brian tiene hemofilia B grave. Se desempeña como director ejecutivo de la Sociedad Irlandesa de Hemofilia y anteriormente como presidente del Consorcio Europeo de Hemofilia (EHC) y presidente de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH). Brian es autor de más de 80 artículos en revistas científicas arbitradas y es miembro de la Academia de Ciencias Clínicas y Medicina de Laboratorio (Irlanda).

PENSAMIENTOS DE UN VIEJO LOCO POR LOS AUTOS

POR RENAE BAKER

Dave Berkemann, nacido en 1945, se llama a sí mismo un "Viejo Gruñón" y un "Viejo Loco de los Coches", ¡solo uno de los cuales es cierto!

"Cuando era niño, me dijeron que había nacido con dos enfermedades: la enfermedad de la Navidad y la enfermedad de los coches antiguos", se ríe Dave. Mis padres decían que cuando tenía tres o cuatro años, si no me encontraban, salían a los pastorales a buscarme. Había un carro viejo Modelo T tirado allí y yo siempre estaba sentado en él".

"Compré un Modelo A cuando tenía solo doce años. Cuando tenía quince años, compré un Coup de 1930. Ambos siguen en el garaje. Son brillantes y corren. Todo original. Los desfiles son lo único para lo que son realmente buenos". A Dave le encanta restaurar autos antiguos, incluido ese viejo Modelo T de 1917 en el que solía esconderse.

Dave creció ordeñando vacas, alimentando gallinas y recolectando huevos en una granja en un pequeño pueblo de Iowa. Hacía sus tareas, iba en autobús a la escuela, volvía a casa y comenzaba con las tareas domésticas de nuevo. "A decir verdad, había muchos días en los que no estaba haciendo las tareas del hogar porque estaba en cama con una hemorragia". Señalando su frente, "No sé si puedes ver esta abolladura. Caí contra los cimientos del granero. No sé cómo lo sobreviví". Dice con un eufemismo despreocupado: "No había tratamiento en ese momento".

"En la década de 1940, simplemente decían: 'Este tipo es un sangrador'". Su condición no fue una sorpresa para sus padres, ya que Dave tenía un hermano tres años mayor que él, que también tenía la condición. También tenía heridas. "Sus reacciones ante las heridas fueron



diferentes a las mías. Yo tendía a tomar una pastilla para el dolor y seguía. Él tendía a acostarse", se ríe.

Después de graduarme de la escuela secundaria, "sabía que no podía cultivar. Pensé en convertirme en mecánico de automóviles, pero cuando estaba en el mercado laboral, muchas empresas no consideraban a un hemofílico. Los trabajos en los que habría sido bueno no estaban disponibles para mí. Las compañías proporcionaban el seguro y no querían un paciente de alto valor". Decidí ir a Oklahoma State Tech y tomé un curso de reparación de electrodomésticos de dos años. Encontré empleo en una empresa de reparaciones, pero se encargó de las entregas y recogidas de electrodomésticos pesados. El trabajo era demasiado pesado. Pasó a una variedad de trabajos, y finalmente terminó en ventas de equipos municipales lo que se ajustaba bien a sus necesidades y personalidad. A lo largo de sus años de trabajo, la hemofilia lo desafió. Experimentó muchas lesiones en el trabajo, a veces a varios cientos de millas de su casa.

"Cuando se empezó a usar el factor, tenías que estar cerca de una gran ciudad para conseguirlo. El factor era tan caro y difícil de conseguir que tendías a no conseguirlo si se trataba de una hemorragia menor o algo con lo que podías vivir. Guardábamos el tratamiento para las hemorragias extremas", recuerda Dave. "En la década de 1970, cuando podías guardarlo en tu refrigerador, todavía no lo usaba como debía, porque era muy caro". Además de eso, "tuve que pagar mi propio seguro. ¡Era la mitad de mis ingresos!"

Dave nunca ha tomado factor de forma profiláctica y solo lo ha usado para hemorragias más graves. Cuando se le preguntó si eso ha provocado daños permanentes, dijo: "¡Oh, sí! Mi problema es el dolor causado por hemorragias hace cuarenta años que dejaron daños. A pesar de que sé



que no es así, todavía lo veo como algo que tomas cuando lo necesitas. No estoy siendo inteligente al respecto. Es una idea de un viejo gruñón”, dice tímidamente. “¡Realmente debería usarlos!”

Puede ser difícil cambiar tu forma de pensar si viviste durante la época de un factor prohibitivamente caro y los escándalos de la sangre. Dave recuerda: “En 1953, había estado en el hospital por mucho tiempo, y los trabajadores sociales se acercaban a mí y me decían: ‘Tienes que entender; No vas a vivir una vida normal’. Me dijeron que nunca volvería a caminar. Dijeron que la mayoría de los hemofílicos llegan a los dieciocho o veinte años antes de que les suceda algo, así que ese era mi estado de ánimo. Luego conseguimos factor, así que pensé, bueno, ¡tal vez lo haga un poco más largo!”

“Pero alrededor de 1980, con el miedo a la sangre, mi HTC dijo: ‘Simplemente asumimos que cualquier persona con hemofilia tiene VIH o SIDA. Lo siento, pero probablemente vas a morir de SIDA. Bueno, un par de años después, desarrollaron pruebas para ello, y dijeron: ‘No tienes VIH, pero sí hepatitis C. Lo siento, no hay cura. El período de incubación es de alrededor de 18 años, por lo que dentro de 20 años vas a tener problemas’. Así que aquí estoy, con 45 años, y todo el mundo me dice que voy a morir”. Se ríe por un momento. “También causó problemas en el trabajo. Perdí un trabajo simplemente porque los otros trabajadores no querían estar cerca de mí. Compartíamos una fuente de agua potable y una mesa de almuerzo, y pensaron que eso era un problema”.

Dave no los envidiaba. “Tenía un amigo que tenía poliomielitis. Acostado en el hospital, conocí a personas que murieron de diabetes. Sentí que todo el mundo tenía algo. Esos son los descansos”.

“Algo contra lo que todavía lucho hoy es la falta de educación sobre la hemofilia”. Relata cómo ha visto esto especialmente fuera de las áreas metropolitanas. “Esto puede afectarte en situaciones de emergencia. Si tiene un accidente automovilístico en el centro de Mississippi o en algún otro lugar, las salas de emergencia no saben qué hacer para la hemofilia. No tienen factor disponible, o no saben qué factor usar”.

“La situación más amenazante que he tenido fue una visita rutinaria al dentista. Procedió a darme una inyección anestésica en el área de la mandíbula y se produjo una hemorragia. “No podía respirar. En otra ocasión, el “mejor” hematólogo que tenemos aquí le estaba dando a mi hermano un producto de factor en la dosis de un producto diferente. No estaba administrando lo suficiente”.

“Me reemplazaron la cadera aquí en Iowa. Me hicieron un buen reemplazo de cadera, pero tuve muchos problemas por la hemofilia No pudieron y no se ocuparon de ello aquí”. De hecho, el plan para su reemplazo de cadera

era infundirse de factor inmediatamente antes de la cirugía, y luego, veinticuatro horas después, me darían una dosis completa del 100% nuevamente”. Sin embargo, la aguja se infiltró, y la segunda dosis entró en el tejido, no en el torrente sanguíneo. “No me dieron más factor. Dijeron: ‘Está debajo de tu piel, así que lo tienes’. Afortunadamente, el único sangrado que experimente fue en el lugar de la mala inyección. “Mi brazo era más grande que mi pierna, pero podría haber sido muy grave si mi cadera hubiera sangrado”.

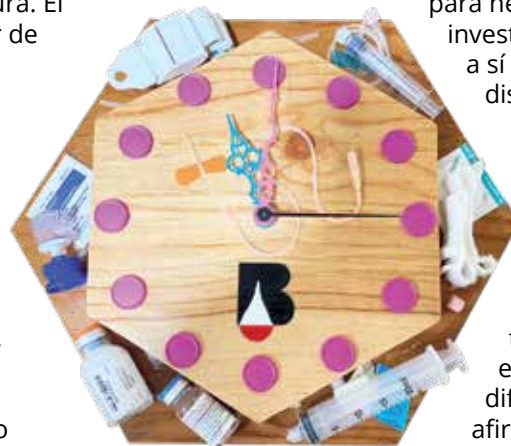
Recientemente, su médico quería que Dave se sometiera a un procedimiento, pero Dave mencionó la guía de tres HTC que decían que el procedimiento no se recomendaba para hemofílicos. El médico no escuchó la investigación. Dave continuó defendiéndose a sí mismo, lo que se convirtió en una discusión.

“Bueno, ¿por qué no te mudas a Minneapolis?”, sugirió el médico. El consultorio médico estaba ubicado en un pequeño pueblo en las afueras del área de Des Moines. Dave dice: “Estoy seguro de que hay alguien que sabe todo sobre la hemofilia, pero a veces encontrar a esa persona es realmente difícil. Hay un montón de personas que afirman saberlo todo sobre la hemofilia cuando, de hecho, no lo saben. Solo quieren saber: ‘¿Cuándo te contagiaste?’.

A Dave le gustaría compartir sus experiencias con jóvenes con hemofilia. Les insta a participar y apoyar a grupos como la Coalition. “Van a aprender mucho y van a recibir mucha ayuda. El panorama de la hemofilia es muy diferente hoy en día de lo que era cuando yo era niño, pero hay mucho que aprender sobre la historia de los trastornos hemorrágicos”.

“No sé si hoy me he encontrado con un joven con hemofilia que no esté en tratamiento profiláctico. Nacieron con factor disponible para ellos. ¡Nunca tomarían las decisiones tontas que yo he tomado! Hoy en día, está cubierto por las compañías de seguros y Medicaid. La generación más joven no podía entender cómo era la vida antes del factor”.

Dave todavía vive en Iowa, en las afueras de Des Moines, con su esposa, donde disfrutaban de sus hijos, nietos y perro. Es voluntario como defensor del pueblo para los residentes de atención a largo plazo en un hogar de ancianos. Todavía trabaja en sus viejos coches. Al igual que él, no se alejan demasiado de casa en estos días, pero aún funcionan, se ven bien y son todos originales.



Lo Que Me Hubiera Gustado Saber

POR PAM WILLIAMS

Diciembre de 1997 cambió para siempre la vida de mi familia. Fue entonces cuando la hemofilia B entró en nuestras vidas. Mi hijo mayor, Joshua, tenía 11 años, acababa de someterse a una cirugía de reconstrucción de orejas en el Hospital Infantil de Cincinnati. Cuando salíamos de la oficina del otorrinolaringólogo para su revisión postoperatoria, su oído comenzó a sangrar profusamente. Por suerte para nosotros, su otorrinolaringólogo a menudo trabajaba en estrecha colaboración con el departamento de hematología y sabía exactamente qué pruebas de laboratorio solicitar. Al día siguiente, nos contactó el hospital para que regresáramos, mi hijo fue ingresado para hacerse pruebas y tratamientos adicionales. Recuerdo que le dije a mi esposo en ese momento: "Será mejor que no pierdas tu trabajo, vamos a necesitar muy buena atención médica". Pensando en esa conversación, probablemente no fue mi mejor momento ni la mejor reacción que pude tener.

En 1991, Joshua comenzó a despertarse todas las mañanas cubierto de moretones. Habiendo tenido un primo joven que murió de leucemia, sabía que uno de los síntomas eran moretones inexplicables. Al instante llevé a Joshua a su pediatra en el Centro Médico de Dartmouth. Un residente de pediatría lo vio y ordenó un análisis de sangre, pero era obvio que pensaba que los moretones inexplicables solo podían significar una cosa: abuso infantil.

Mientras estábamos parados en el pasillo del hospital, el pediatra de Joshua se acercó caminando hacia nosotros, "¿Qué pasa, Joshua?" Josué respondió: "Tengo moretones.

No he estado jugando al Rey de la Montaña en el recreo, lo prometo".



La doctora inmediatamente comenzó a revisar los moretones, luego lo llevó rápidamente a una sala de examen donde encontró al residente preparándose para escribir "abuso infantil" en la historia clínica de Joshua. Ella tomó el bolígrafo de su mano y le informó que no había forma de que Joshua estuviera siendo abusado, y que lo conocía desde que nació. Revisó



la lista de análisis de sangre, agregó más pruebas y nos envió a casa a esperar los resultados. Varios días después, llamó para decir que Joshua no tenía leucemia. Que tiene un tipo de trastorno sanguíneo, pero no había nada de qué preocuparse. No cuestionamos nada y durante los siguientes seis años, aunque había muchas señales que apuntaban a algo significativo, simplemente lo atribuimos a la vida de un niño y seguimos adelante.

Como mujer, tenía ciclos menstruales anormales, pero nadie los cuestionaba. La respuesta típica a mis preocupaciones era: "Es normal, todas las mujeres tienen sangrado abundante y ciclos largos, estás bien". Como en ese momento no se sabía que mi papá tenía hemofilia B, no me di cuenta. Incluso después de un aborto espontáneo y de dar a luz a Josué y a su hermano menor, Tomás, nadie se preocupó por la cantidad de sangre que acompañaba a esos nacimientos. Incluso cuando le mencioné a mi obstetra/ginecóloga que sangraba continuamente durante 6-8 semanas después del parto, a veces expulsando coágulos del tamaño de una moneda de veinticinco centavos, ella me descartó como una madre primeriza que no se había tomado el tiempo para recuperarse antes de regresar a un trabajo de tiempo completo.

En 1997, Thomas, así como mi padre, fueron diagnosticados con hemofilia leve por deficiencia del factor IX. Mi padre tenía 62 años, se había criado en una granja y había pasado un tiempo en el ejército durante la Guerra de Corea. Nunca lo supo; sin embargo, su padre les había dicho a sus hermanos que "Fred era un sangrador". Nadie sabía lo que eso significaba exactamente, lo que



significaba que papá nunca había recibido tratamiento para la hemofilia B y, por lo tanto, no tenía idea de que tener una hija significaría que el trastorno se transmitiría genéticamente y el círculo continuaría.

Entonces, ¿qué me hubiera gustado saber? Si hubiera sabido que tenía hemofilia B o, al menos, hubiera sabido que era portadora obligada, no me habría casado con el hombre que me casé. Habría podido decirles a las personas con las que salía que tenía un trastorno hemorrágico y lo que significaría para nuestras vidas futuras y para la maternidad. Habrían sabido desde el principio que dar a luz a hijos varones significaría una probabilidad de 50-50 de que el hijo tuviera hemofilia B. Cuando mi ahora ex esposo se enteró de que Joshua y Thomas tenían un trastorno hemorrágico, dijo: "Todo esto es culpa tuya. Mis hijos nunca serán 'niños de verdad', ya sabes, del tipo que juegan al fútbol o se unen al ejército". Fue en ese momento que me di cuenta de que si hubiera estado al tanto de mi historia genética, él no habría sido mi elección como esposo. Tardé tres años en dejar el matrimonio.

La hemofilia B ha traído a muchas personas maravillosas a la vida de mis hijos y a la mía. Conocí a muchas familias que han abordado la hemofilia juntas, sin que nadie culpe a nadie y con parejas que permanecen juntas. Claro, algunas familias se separan, pero la mayoría de las veces por razones no relacionadas con la hemofilia. Si bien nuestro matrimonio se disolvió por muchas razones, siento que el diagnóstico de hemofilia jugó un papel en la



desaparición de nuestra unión. Me di cuenta de que la mayoría de las familias con hemofilia aguantaron. Hacen lo que necesitan para el seguro e incluso buscan un empleo basado en las necesidades de sus hijos.

Mis dos hijos iniciaron sus relaciones de manera directa y honesta con sus seres queridos con respecto a su trastorno hemorrágico. Ambos se casaron sabiendo que tener una hija significaría que ella era una portadora obligada y, como ahora sabemos por nuestra defensa y educación, posiblemente sería diagnosticada como una mujer con hemofilia B leve.

Habría entrado en el matrimonio sabiendo que mi pareja era plenamente consciente de lo que significaría para nosotros tener hijos... específicamente, lo que podría significar tener hijos. Habría podido determinar de antemano cómo respondería la pareja potencial a las posibles complicaciones genéticas y si tendría lo que se necesita para recorrer el largo plazo conociendo el tratamiento y los costos. Habría tomado decisiones diferentes. Habría puesto todas las cartas sobre la mesa y habría observado su expresión cuando lo explicaba todo. Me habría asegurado de que mi pareja entendiera también lo que significaba un trastorno hemorrágico para mi salud. Habríamos entrado en una relación y matrimonio con los ojos bien abiertos y habríamos estado más preparados para nuestro futuro.

Durante los últimos 26 años, he aprendido mucho sobre los trastornos hemorrágicos y la hemofilia B. He aprendido que ser mujer con hemofilia es un largo camino hacia un diagnóstico y tratamiento. A veces, se necesita prueba y error para encontrar al hematólogo que lo escuche, ordené las pruebas adecuadas y acepté el tratamiento con los reemplazos de factor necesarios. Como mujeres, aún nos queda un largo camino por recorrer para alcanzar la igualdad en estos ámbitos. Con otras mujeres con hemofilia, continuaremos abogando y presionando por el diagnóstico y el tratamiento hasta que se nos tome tan en serio como a nuestros homólogos masculinos. Es una misión y un viaje continuos.

Debería haberlo hecho. Lo habría hecho. Podría haberlo hecho. Lo que me hubiera gustado saber.



RETIRO DE OTOÑO DE EDUCACIÓN Y EMPODERAMIENTO MASCULINO

POR RYAN CROWE Y ROCKY WILLIAMS

Celebramos nuestro retiro anual para hombres en Lake Las Vegas del 7 al 10 de septiembre, ¡y fue un éxito fenomenal! Fue un evento atractivo y dinámico, con actividades y sesiones informativas que hicieron hincapié en la promoción y la formación de equipos, así como en la salud física y mental. La terapia acuática, el tai chi y diversas sesiones que cubren temas como el tratamiento de la hemofilia, el manejo del estrés y la alimentación saludable subrayaron el compromiso del retiro con el bienestar de nuestra comunidad.



Tuvimos una gran cantidad de oradores increíbles que compartieron sus experiencias. El Dr. Rahasson Ager dirigió una sesión sobre *Comprender los nuevos enfoques terapéuticos para la hemofilia B: Decodificando la ciencia*, se arrojó luz sobre los avances médicos críticos. Fernando Reyes, MEd Psy, guió a los asistentes a través de una sesión sobre el manejo del estrés, equipándolos con valiosas estrategias de adaptación. Y el Dr. Robert Friedman dirigió una sesión sobre *Un camino hacia la fuerza interior*, inspirando el crecimiento personal y la resiliencia entre los participantes.

Si bien aprendimos mucho juntos, este evento brindó un espacio seguro para que los hombres de la comunidad de hemofilia B hablaran abiertamente, fomentando la unidad, la camaradería y la formación de equipos. Realizamos varias sesiones





de charlas en las que compartimos nuestras historias y nos acercamos aún más. Los hombres con hemofilia B compartieron sus experiencias con sus padres y cónyuges, y los miembros mayores de la comunidad compartieron sus experiencias con los más jóvenes. Fue una gran oportunidad para conectar y aprender de nuestros oradores, así como de los demás.



Además de los oradores de primer nivel, también compartimos una buena cantidad de risas. Continuamos con nuestra tradición de organizar nuestras Olimpiadas *Bleeder* anuales, donde nos desafiamos unos a otros en divertidos juegos recreativos al aire libre. Y añadimos algunas actividades de trabajo en equipo absolutamente divertidas que nos hicieron disfrutar a todos. Un ejemplo fue *Dude, Dude, Dude*. En este juego, aprendimos un par de cosas sobre cómo comunicarnos mientras usamos las mismas palabras. Incluso trajimos de vuelta un viejo pero divertido juego llamado *Poesía en acción*. Imagínense a nuestros muchachos leyéndose poesía unos a otros. ¡Sin duda era un espectáculo para la vista!



El evento llegó a su gran final con una emocionante noche de casino con un mago ambulante y una aparición especial de Elvis, agregando un toque de magia a la noche. Sí, Elvis estaba en el edificio. Fue el toque final perfecto para un fabuloso fin de semana juntos. "¡Viva, Las Vegas!"



Extendemos nuestro más sincero agradecimiento a Pfizer por patrocinar generosamente este fin de semana transformador.





Comentarios:

“El retiro para hombres, para mí, es una oportunidad para revitalizarme, permitirme renovar amistades con viejos conocidos y conocer a nuevos miembros de la comunidad. Todos tenemos historias que compartir, y siempre me sorprende la fuerza y la felicidad de tantos cuerpos supuestamente rotos. Sus cuerpos pueden ser menos funcionales, ¡pero su espíritu es tan fuerte! Es un momento de sanación para mí”.

“El fin de semana del retiro para hombres fue una combinación perfecta de educación, camaradería, relajación y emoción. Aprendimos sobre la vida saludable y el bienestar mental mientras nos divertíamos mucho. Fue un fin de semana de crecimiento y conexión con nuestros hermanos”.



“Siempre disfruto de los retiros de hombres porque todos podemos reunirnos y comparar notas. He aprendido mucho de los señores mayores sobre cómo cuidarme y cómo superar los momentos difíciles”.

“Estoy muy agradecido de poder asistir al retiro de hombres. Nos da la oportunidad de pasar tiempo con nuestros hermanos, divertirnos y, ¡oh, aprender cosas nuevas!”.



“El retiro de hombres es una experiencia increíble; No hay mejor manera de conectarse con los demás que en una comunidad cercana y segura. Nunca dejo de aprender de la sabiduría ilimitada de todos los que están allí. Como padre sin hemofilia, también gano perspectiva, y escuchar las historias de otras personas es como encender las luces para prepararme para el camino que tengo por delante”.

“El Retiro para Hombres de la Coalition for Hemophilia B es una experiencia verdaderamente única, donde el viaje compartido de nuestra condición crea un vínculo inquebrantable. Es una sensación como ninguna otra, reunirse con compañeros guerreros, no solo como amigos, sino como familia. La camaradería que compartimos en este retiro es lo que lo convierte en un evento que espero ansiosamente cada año”.

*** Para ver más fotos, visítenos en nuestro sitio web, Facebook y en el Centro Educativo de CHB.**



RETIRO DE OTOÑO DE EDUCACIÓN Y EMPODERAMIENTO DE LA MUJER

POR ERICA GARBER

El Retiro de Educación y Empoderamiento de Mujeres de septiembre 2023, realizada del 14 al 17 de septiembre, en el Hilton Phoenix Resort at the Peak en Arizona fue más que un fin de semana de aprendizaje: fue una hermosa experiencia de empoderamiento y conexiones compartidas, dejándonos no solo iluminadas, sino profundamente conectadas y enriquecidas. Nuestro viaje comenzó con cálidos abrazos y alegres saludos, hilando el tejido de viejas y nuevas amistades, una introducción perfecta para el fin de semana que se avecinaba.

Las risas llenaron el aire durante *El desafío de las reinas de las cartas*, un evento de lanzamiento en el que fusionamos un nostálgico juego de cartas con la diversión de la creación de equipos. Fue un placer ver cómo la camaradería resultante se convertía en el latido del corazón del fin de semana, fomentando la chispa de la conexión y la alegría. Las mesas redondas del día de apertura llevaron adelante este espíritu. Stormy Johnson, una ferviente defensora de las mujeres con trastornos hemorrágicos, dirigió la *mesa redonda de mujeres con trastornos hemorrágicos*, compartiendo su viaje personal con un corazón abierto, creando un entorno donde las historias fluían libremente. No fue solo una discusión; Fue una conversación sincera que exploró desde el diagnóstico erróneo hasta la defensa, dejando a las mujeres en el círculo sintiéndose escuchadas y

comprendidas.

Al mismo tiempo, Sherry Upton, una cuidadora dedicada y cofundadora de Common Ground Ministries, y Tiffany Pokrajac, RN, enfermera y apasionada defensora de las familias con trastornos hemorrágicos, convirtieron la *Mesa redonda de cuidadoras* en un refugio para nuestros héroes anónimos, ofreciendo una plataforma para compartir ideas y herramientas para mejorar el bienestar tanto de los cuidadores como de sus seres queridos. Codirigiendo la *sesión de charlas de la noche* con Farrah Muratovic, creamos un espacio conmovedor para contar historias, terminando el día aprendiendo mucho la una de la otra y fomentando las conexiones.

Después de un día de viaje y expresión emocional, era apropiado crear un espacio para la salud





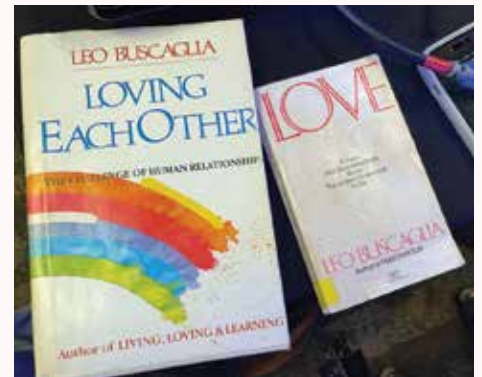


física y la preparación mental. Lynn Yaeger, una madre y defensora que reside en Cincinnati, OH, dirigió en la mañana dos de caminatas por la naturaleza, y Erin DuPree, NASM CPT, FNS, entrenadora personal certificada, profesional del acondicionamiento físico y entrenadora de nutrición deportiva, orquestó algunas clases de aeróbicos acuáticos energéticos. Estos ejercicios matutinos sirvieron como experiencias holísticas, alineando la mente y el cuerpo para el contenido que nos esperaba.

Patty Eastin, Enlace de Asuntos del Paciente de Pfizer Rare Disease, dirigió una sesión sobre *Herramientas para la autodefensa* que se convirtió en algo más que recursos prácticos; fueron faros de empoderamiento, proporcionándonos herramientas tangibles para navegar los desafíos únicos que enfrentan las personas con hemofilia. Rahasson Ager, PhD, director médico de campo de Pfizer Rare Hematology, desentrañó las complejidades de los nuevos enfoques terapéuticos para la hemofilia B. En esta sesión esclarecedora, no solo obtuvimos

una comprensión más profunda del panorama del tratamiento en evolución, sino que nos fuimos con una profunda sensación de empoderamiento arraigada en el conocimiento. Estas sesiones no se trataban solo de aprender; Se convirtieron en catalizadores para el empoderamiento, dejando a los participantes con una perspectiva positiva y nueva información para considerar en el camino a seguir.

Cheyenne Autumn, una experta en educación y bienestar, transformó su sesión de *Amor y vida saludable* en una exploración del intrincado tejido del amor. No se trataba solo de amor propio; Fue un viaje inmersivo hacia el amor por los demás y la pasión por la vida. A medida que profundizamos en la esencia del amor, descubrimos no solo un sentido renovado de nosotros mismos, sino también una profunda conexión con el latido colectivo del retiro. La sesión de la noche *Charla y chocolate*, organizada por Heidi Hart, miembro fundador de la junta directiva de la Asociación de Hemofilia y Trastornos Hemorrágicos de las Montañas Rocosas, y Thea





Russo, profundamente involucrada en la comunidad de hemofilia B, se convirtió en una experiencia conmovedora para contar historias. Las risas, las lágrimas y el consuelo compartido del chocolate crearon un tejido emocional que fortaleció los lazos forjados durante el fin de semana.

Gha'il Rhodes Benjamin, una galardonada artista de *spoken word* nominada al Grammy, convirtió su sesión llamada *Expresando a la diosa interior* en una afirmación colectiva de autoexpresión. No nos limitamos a presenciar la palabra hablada; Nos convertimos en partes activas de una celebración de la individualidad y el empoderamiento. Natalie Sayer, fundadora de The Blair David Company y coach ejecutiva y de equipos, nos dotó de herramientas prácticas para navegar por los diálogos internos, fomentando no sólo una sensación de control, sino una reescritura activa de las narrativas personales. La habitación resonaba con una nueva conciencia de sí misma, un coro de grilletes mentales que se liberaban.

Vanessa Vitali, nutricionista holística, entrenadora de salud y educadora de enfermedades crónicas, exploró la *Ley de la atracción* en una experiencia transformadora. A medida que profundizábamos en el poder del pensamiento positivo para dar forma no solo a nuestro fin de semana, sino a nuestras realidades más amplias, la atmósfera vibraba con una comprensión colectiva del profundo impacto de los pensamientos en el viaje que tenemos por delante. Cerrando las sesiones educativas, Aura H. Bermúdez, psicóloga licenciada, consejera de salud ayurvédica certificada a nivel nacional y practicante de yoga, nos invitó a un viaje de autodescubrimiento y bienestar a través de la *Ayurveda para una vida saludable y equilibrada*. La sesión se desarrolló no solo como una exploración de prácticas ancestrales, sino como una hoja de ruta para el crecimiento personal y el bienestar holístico.

El evento de la última noche del retiro fue un reconocimiento de los logros compartidos y un testimonio de los lazos duraderos forjados. Se convirtió en una

noche mágica en la que nos relajamos, conectamos y nos deleitamos con el encantador ambiente de amigas. Al amanecer del domingo, un desayuno de despedida se convirtió en un momento de reflexión. La gratitud llenó el aire cuando expresamos nuestro agradecimiento por las conexiones hechas y el conocimiento adquirido. Un sincero agradecimiento resonó durante el retiro, subrayando la generosidad de Pfizer, nuestro patrocinador cuyo apoyo fue fundamental para crear esta experiencia transformadora.

El Retiro de Otoño de Educación y Empoderamiento de las Mujeres 2023 fue una celebración del empoderamiento, la resiliencia y el poder indomable de la comunidad, amplificada aún más por la experiencia y la pasión de nuestros estimados oradores. En cada momento compartido, resonaba un latido colectivo, un testimonio del poder transformador del conocimiento, la conexión y el autodescubrimiento.



*** For more photos, please visit us on our website, Facebook, and in the CHB Educational Hub.**



ESTAMOS JUNTOS EN ESTO: RETIRO DE PAREJAS

POR CARL Y GWYN WEIXLER

Este otoño, la Coalition for Hemophilia B celebró su 2º Retiro Anual de Parejas “Estamos juntos en esto” en Nashville, Tennessee, del 28 de septiembre al 1 de octubre. Asistieron 16 parejas que iban desde el compromiso hasta los 40 años de matrimonio y que venían de todas partes de los Estados Unidos y Puerto Rico. Disfrutamos de masajes en silla para hacer desaparecer el estrés del viaje.

Comenzamos nuestros días con yoga y estiramientos para despertar nuestros cuerpos, luego disfrutamos de muchas sesiones para crecer como parejas. En primer lugar, exploramos cómo nuestras zonas de confort individuales afectan a la forma en que tendemos a responder a las necesidades de nuestra pareja, la sesión la dirigió Kim Kilcauski. Todos tenemos diferentes niveles de comodidad, como aprendimos cuando pensamos en una variedad de escenarios diferentes y decidimos dónde estaba nuestra zona de confort. Descubrimos que la mayor parte del tiempo, nuestra pareja estaba en una zona diferente. Los niveles fueron: *Una zona de confort donde se siente seguro y bien; un poco desafiante, pero creo que podría manejar eso; y muy estresante y realmente no querría hacer esto!* En la siguiente sesión, disfrutamos de una

mesa redonda de charla, conformada por pacientes y cuidadores. ¡Fue una oportunidad para compartir nuestro estrés, nuestras estrategias y nuestros éxitos! ¡Pasamos un rato divertido y relajante después de la cena hablando! ¡Todo esto fue solo nuestra primera noche!

El siguiente tema se trató en el transcurso de dos días. Tuvimos una visita de regreso con Natalie Sayer, MSMSE, ACC mientras explorábamos y ampliamos nuestra comprensión de la evaluación del Índice de *Valores Fundamentales*. Tuvimos una sesión sobre esto en nuestro primer retiro, pero fue tan útil que incluso aquellos de nosotros que lo experimentamos el año pasado, lo encontramos muy útil y pertinente para nuestras relaciones, no solo como parejas, sino como miembros de la familia, compañeros de trabajo y amigos.





El segundo día, continuamos con Gena Kay Shealy. Descubrimos prácticas que nutrieron nuestro bienestar al tiempo que fortalecieron nuestro vínculo con nuestra pareja. Aprendimos a reconocer nuestras respuestas predeterminadas al estrés y cómo manejarlas. Exploramos formas de crear una relación próspera que priorice nuestro bienestar individual y colectivo.

Terminamos el día con Coriss Bragg. En este taller aprendimos a conectarnos con nuestro propio cuerpo y energía. Aprendimos sobre las herramientas que disminuyen la velocidad juntos y cultivan la presencia, así como lo que el cuerpo necesita para abrirse verdaderamente y recibir una conexión física y energética.

Los presentadores, Karen Boyd, LMSW, ACSW, DCSW, y David Rushlow, LMSW, regresaron del retiro del año pasado para facilitar una sesión muy interactiva que explora la intimidad y la comunicación que permite a ambos miembros de la pareja "ganar" mientras luchan con aspectos difíciles de las relaciones.

Nuestra última sesión fue dirigida por Matthew Barkdull MS, MBA, LMFT, MedFT. Descubrimos las trampas del perfeccionismo en términos de nuestros niveles de estrés y expectativas en las relaciones y actividades individuales. Afecta nuestro rendimiento, felicidad y éxito en la aceptación de las experiencias de la vida. En otras palabras, ¡tenemos que aceptar la imperfección!

Comimos muy bien con los servicios de comida del hotel y disfrutamos del tiempo conociéndonos informalmente. ¡Terminamos el maravilloso fin de semana con una divertida noche de baile en línea y música country! Estamos agradecidos con la Coalition por reconocer que las parejas tienen una gran responsabilidad en el manejo de la hemofilia en nuestra vida diaria y apreciamos la oportunidad de crecer como socios y nos sentimos rejuvenecidos por el tiempo libre.

Muchas gracias a nuestro generoso patrocinador, CSL Behring.

CSL Behring

* Para más fotos, visítenos en nuestro sitio web, Facebook y en el Centro Educativo CHB.



ACTUALIZACIONES DEL PANORAMA DE LA HEMOFILIA

POR EL DR. DAVID CLARK

Otoño 2023

Varias de las actualizaciones a continuación son de la reunión anual de la Sociedad Americana de Hematología (ASH, por sus siglas en inglés) del 9 al 12 de diciembre de 2023 en San Diego. Las copias de los resúmenes se pueden obtener gratuitamente en el sitio web de la reunión, <https://www.hematology.org/meetings/annual-meeting>.

INACTIVACIÓN DEL CROMOSOMA X Y HEMORRAGIA EN PORTADORES DE HEMOFILIA B

11/12/23 Las mujeres tienen dos cromosomas X, a diferencia de los hombres que tienen un cromosoma X y un cromosoma Y. El gen del factor IX se encuentra en el brazo inferior derecho del cromosoma X, el que falta en el cromosoma Y. Por lo tanto, las mujeres tienen dos copias del gen del factor IX en cada célula, mientras que los hombres solo tienen una copia.

Con el fin de prevenir interacciones peligrosas entre los dos cromosomas X en las mujeres, solo una copia del cromosoma X en cada célula está inactivado. Se cree que la inactivación del cromosoma X (XCI) es un proceso aleatorio en cada célula, por lo que una mujer que tiene un cromosoma X con un gen del factor IX mutado y un cromosoma X con un buen gen del factor IX debería terminar con aproximadamente el 50% de sus células que contienen el cromosoma X con la mutación y el 50% con el cromosoma X bueno sin la mutación. (Esto es como lanzar una moneda al aire. Si lo haces suficientes veces, deberías salir con una proporción de 50-50 de cara y cruz).

Por lo tanto, la portadora promedio debe tener alrededor del 50% de la actividad normal del factor IX: la mitad de sus células hepáticas producen el factor IX "bueno" y la mitad de sus células hepáticas producen el factor IX mutado. Sin embargo, sabemos que el proceso XCI puede estar sesgado, es decir, que en lugar de una división 50-50, puede variar hasta una división 80-20 o peor. Si el 80% de sus células hepáticas están produciendo el factor IX "bueno", se esperaría que el nivel de factor IX de una mujer fuera aproximadamente el 80% de lo normal y no debería tener hemofilia.

Por otro lado, con una división de 80-20, si el 80% son las células que producen el factor IX mutado, solo tendría un nivel de factor de alrededor del 20% y tendría hemofilia. En cualquier caso, seguiría siendo portadora, porque aún podría transmitir el gen mutado a sus hijos.

Actualmente, la mejor teoría sobre por qué algunas portadoras tienen hemofilia es que tienen un XCI sesgado, aunque no sabemos por qué sucede eso. Eso puede

estar a punto de cambiar. En ASH, un grupo del Centro Médico Hershey de la Universidad Estatal de Pensilvania presentó datos que sugieren que la XCI sesgada podría no ser la razón después de todo, o al menos no toda la razón. Encontraron en 15 sujetos que no había correlación entre el grado de sesgo XCI y los niveles de factores. Este hallazgo se suma a una lista creciente de estudios sobre XCI y la hemofilia, algunos de los cuales no muestran correlación con el sesgo de XCI y otros sí muestran una correlación. Esto simplemente nos dice que no sabemos lo suficiente.

Los autores de la ASH reconocen esto y proponen que la respuesta podría ser mucho más compleja, especialmente para la hemofilia B. Por un lado, ahora que sabemos que el factor IX unido a las paredes de los vasos sanguíneos es importante para la coagulación. Dado que una portadora tiene tanto el factor IX "bueno" como el factor IX mutado en su torrente sanguíneo, uno podría estar compitiendo con el otro por los puntos de unión en la pared del vaso, y eso podría afectar sus tendencias hemorrágicas.

Ahora que estamos reconociendo que las mujeres contraen hemofilia, es probable que haya más investigaciones para averiguar por qué sucede esto. Esa investigación también podría ayudar a los hombres con hemofilia, ya que todavía hay mucho que no sabemos al respecto. [Cygan PH et al., ASH abstract 3990]

¡LAS MUJERES TAMBIÉN PRODUCEN INHIBIDORES!

14/01/20 Mientras investigaba el artículo anterior sobre mujeres con hemofilia, encontré un artículo en mis archivos que podría ser importante para algunos. El 14/01/20, Shellye Horowitz escribió un artículo en Hemophilia News Today que señalaba que las mujeres con hemofilia también pueden producir inhibidores. Un inhibidor es un anticuerpo que bloquea la acción del factor de coagulación infundido. Ahora se recomienda que los hombres se hagan pruebas de inhibidores al menos una vez al año, y las mujeres también deben hacerse la prueba.

Los CDC ahora recomiendan que cualquier persona con hemofilia o con la enfermedad de von Willebrand tipo 3 se haga una prueba anual para detectar inhibidores. Uno de

los primeros signos de un inhibidor es el sangrado que no se detiene, incluso después de que se haya utilizado una cantidad sustancial de factor de coagulación. [Horowitz S, Hemophilia News Today, artículo del 14/1/20]

EL PROYECTO DE ULTRASONIDO DE LOS PORTADORES

9/12/23 No se sabe mucho sobre el daño articular en mujeres con hemofilia. El *Carriers Ultrasound Project* (CUT) quiere cambiar eso. La CUT reclutó a 28 portadoras de hemofilia (24 A; 4 B) y 30 controles, mujeres que no tenían antecedentes familiares o personales de hemofilia. Las portadoras mostraron una mayor prevalencia de hemorragia y más síntomas relacionados con las articulaciones, incluido el dolor, que las de control. Curiosamente, las portadoras mostraron sus síntomas en el cuestionario Hemophilia Joint Health Score (HJHS), pero no mostraron diferencias con los controles de la encuesta Hemophilia Early Arthropathy Detection with Ultrasound (HEAD-US). La encuesta HEAD-US está diseñada para detectar cambios tempranos en la salud de las articulaciones en hombres con hemofilia, pero puede ser insuficiente para las mujeres.

Un índice de masa corporal (IMC) alto también se correlacionó con un aumento de la hemorragia articular entre los portadores. Aparentemente, el daño articular es común entre los portadores, incluso aquellos sin hemofilia. Se necesita más investigación. [Kronenfeld RS et al., ASH abstract 29]

NIVELES DE FACTORES Y RIESGO DE HEMORRAGIA EN PACIENTES CON HEMOFILIA QUE PRACTICAN DEPORTES

24/05/23 Un grupo de investigadores de los Países Bajos analizó el riesgo de hemorragia en función del nivel de factor para los pacientes con hemofilia que practican deportes. En 125 sujetos de entre 6 y 49 años (90% A, 10% B, 48% graves), encontraron que las lesiones deportivas eran raras. Solo se registraron 26 lesiones relacionadas con el deporte en 15.999 exposiciones deportivas (0,16%). La mayoría de las lesiones y episodios hemorrágicos de los sujetos no fueron sufridos durante las actividades deportivas.

No hubo correlación entre el sangrado asociado al deporte y la gravedad de la hemofilia, la salud articular, la categoría de riesgo deportivo o la intensidad del deporte. La única correlación fue con los niveles de factores en el momento de la lesión. Encontraron que las personas con niveles de factor por debajo del 10 por ciento tenían más del doble de riesgo de sangrado que las personas con niveles de factor por encima del 10 por ciento. Esto demuestra la importancia de mantener altos los niveles de factor cuando se practica deporte. [Versloot O et al., Haemophilia, en línea antes de la impresión del 24/05/23]

NO HAY DIFERENCIAS EN LA CALIDAD DE VIDA ENTRE LAS PERSONAS CON HEMOFILIA GRAVE A Y B

15/02/23 Periódicamente vemos artículos que analizan las diferencias en la gravedad entre las personas con hemofilia A y B. Algunos ven esto como una "competencia", pero el verdadero valor está en tratar de encontrar diferencias entre las dos hemofilias que podrían

proporcionar pistas para una mejor comprensión de ambas enfermedades.

Un grupo grande en Escandinavia analizó la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) utilizando varios cuestionarios en 63 personas con hemofilia B grave en comparación con 63 personas con A grave. Los A en el grupo control fueron emparejados por edad, sexo y modalidad de tratamiento (a demanda o profilaxis) a los B. No se incluyeron pacientes inhibidores.

Los problemas de movilidad fueron reportados por el 46% de los B y el 44% de los A. El dolor o malestar fue reportado por el 62% de los B y el 56% de los A. Sorprendentemente, la ansiedad o la depresión fueron reportadas por el 33% de los B y solo el 17% de los A. En cuanto a las respuestas al cuestionario en general, no hubo diferencias significativas en la CVRS entre los A y las B. El mayor impacto negativo fue la mala salud de las articulaciones en ambos grupos.

La verdadera conclusión del estudio es que tanto los A como los B tenían una CVRS deteriorada, a pesar de que la mayoría de los sujetos estaban en profilaxis. Todavía se necesitan mejores tratamientos para la hemofilia. [Kihlberg K et al., Haemophilia, en línea antes de la impresión del 15/02/23]

¿ES LEVE REALMENTE LEVE? ¿ES MODERADO REALMENTE MODERADO?

Las personas con hemofilia B leve o moderada (incluidas las mujeres) a menudo no reciben el tratamiento que necesitan, incluso en los EE. UU. Gran parte de la investigación se centra en la hemofilia grave, por lo que sabemos relativamente poco sobre la hemofilia leve y moderada. Varios artículos en el último año están tratando de cambiar eso.

12/10/22 Un estudio analizó el uso del factor de coagulación en personas con hemofilia no grave mediante un análisis de estudios anteriores. Encontraron cierta información para la hemofilia A, pero solo escasa información para pacientes no graves con hemofilia B y para mujeres con hemofilia. En general, justifican que la profilaxis debe iniciarse en una etapa temprana de la vida en personas con hemorragias significativas, independientemente de su nivel de factor. [Iorio A et al., Haemophilia, en línea antes de la impresión del 12/10/22]

25/01/23 Un grupo de investigadores de Argentina analizó lo "leve" de la hemofilia leve. Se centraron específicamente en la artropatía (daño articular) en 85 sujetos (19 B) y 510 articulaciones (tobillos, codos y rodillas). La edad media de la cohorte fue de 35,9 años, y encontraron que el 90,5% de los pacientes mayores de 20 años tenían artropatía. Solo el 28% de los pacientes no presentaban daño articular y el 72% presentaba al menos una articulación con artropatía. Encontraron una diferencia significativa en el índice de masa corporal (IMC) en el que el grupo con artropatía tenía un IMC promedio de 28, mientras que los que no tenían artropatía tenían un IMC promedio de 20,3.

La mediana de edad en el momento del diagnóstico fue

de 3 años (rango 1 a 7) para el grupo sin artropatía y de 10 (4 a 19) para los sujetos con artropatía. Esto demuestra la importancia del diagnóstico temprano, especialmente si el niño proviene de una familia con antecedentes de hemofilia. Otro predictor importante de daño articular es el antecedente de hematomas musculares. El antecedente de hematoma muscular estaba presente en el 65,2% de los pacientes con artropatía, pero solo en el 20,8% de los que no la tenían. [Daffunchio C et al., Haemophilia, en línea antes de la impresión del 25/01/23]

10/5/23 En la Cumbre de Atención Integral de la FMH, celebrada en mayo en Buenos Aires, el mismo grupo de investigadores argentinos presentó datos sobre el impacto físico y social de la hemofilia leve. Informan que el determinante clave de la calidad de vida de las personas con hemofilia leve es la salud de las articulaciones. Al estudiar a los mismos 85 sujetos/510 articulaciones, encontraron que 61 pacientes tenían al menos una articulación con daño (definida como una puntuación HEAD-US ≥ 1). La articulación más afectada fue el tobillo.

Un total de 56 sujetos tuvieron al menos una hospitalización por hemofilia, siendo las causas más comunes un hematoma por psoas ilíaco, cirugía musculoesquelética y hemartrosis (hemorragia articular), en ese orden. Probablemente debido a que tienden a pasar tanto tiempo sin tratamiento, el daño articular y la calidad de vida se asociaron con la edad. [Landro M et al., Cumbre sobre la atención integral de la FMH, resumen PP-TH-019. Resúmenes en Hemofilia, 29(S2) 2023]

07/10/23 Un grupo de investigadores de los Países Bajos analizó los patrones de sangrado en pacientes con hemofilia moderada que sangran como los graves, es decir, aquellos que tienen un fenotipo de hemorragia grave a pesar de que sus niveles de factor son $\geq 1\%$ de lo normal. (Su fenotipo es la forma en que realmente sangras. Su genotipo predice su nivel de factor, que predice cómo se espera que sangre. No siempre coinciden).

En 116 sujetos, encontraron que el 21% tenía un fenotipo hemorrágico severo y el 46% de ellos estaban en profilaxis. Los pacientes moderados con un fenotipo hemorrágico grave tratados a demanda tuvieron una mediana de ABR más alta de 7, en comparación con los que estaban en profilaxis que tuvieron una mediana de ABR de 2. Los pacientes a demanda también tenían una menor calidad de vida. [Verhagen MJA et al., J Thromb Haemost, en línea antes de la impresión del 7/10/23]

11/12/23 Por último, en la ASH un grupo de investigadores de España actualizó un estudio previo sobre el daño articular en pacientes con hemofilia no grave. Analizaron los efectos de la edad, el nivel basal del factor y la capacidad hemostática global (GHC) en 98 pacientes no graves, incluido un paciente con hemofilia B moderada y cuatro pacientes con B leve. Incluso con tan pocas B, los hallazgos son probablemente aplicables a la mayoría de los pacientes con hemofilia leve y moderada, A o B.

Alrededor del 56 por ciento de los pacientes moderados

y el 45 por ciento de los pacientes leves tenían daño articular. Se observaron articulaciones diana en aproximadamente el 9% de los pacientes leves. No hubo correlación entre el nivel de factor o GHC y el daño articular. El daño articular aumentó con la edad, lo que refuerza los hallazgos anteriores. Su conclusión es que se debe prestar más atención al daño articular en pacientes leves y moderados para poder determinar si se necesitan nuevos protocolos para el diagnóstico, la prevención y el tratamiento. [Rico AM et al., ASH abstract 3986]

Estos estudios tienen un patrón común. Muchos pacientes con hemofilia leve y moderada (incluidas las mujeres) necesitan tanta atención médica y tratamiento con factores de coagulación como los pacientes con hemofilia grave. Definitivamente experimentan hemorragias articulares, pero a menudo pasan desapercibidas debido a su baja frecuencia. Sin embargo, notadas o no, esas hemorragias contribuyen al daño articular y pueden provocar artropatía y una menor calidad de vida en el futuro.

MEJORA DE LA SALUD DE LAS ARTICULACIONES CON PRODUCTOS DE VIDA MEDIA PROLONGADA (EHL)

10/5/23 Continuando con el tema de la salud de las articulaciones, dos ponencias de la Cumbre de Atención Integral de la FMH analizaron la mejora de la salud de las articulaciones después del uso de productos de EHL. En el pasado, cuando los pacientes tomaban productos de vida media estándar (SHL) y muchos pacientes seguían utilizando el tratamiento a demanda, nunca sabíamos si las articulaciones se curarían si la persona tomaba suficiente factor IX. En aquel entonces, nos alegrábamos de que los niveles de factor de los pacientes graves estuvieran por encima del 1% de lo normal.

Imagínese el costo (sin mencionar la cantidad de infusiones) que habría costado igualarlos por encima del 5% y en el rango suave. Los productos EHL se desarrollaron originalmente para reducir el número de infusiones, pero por casualidad también proporcionan a los pacientes niveles mínimos más altos y menos hemorragias articulares.

Sanofi presentó un análisis teórico de los datos históricos de su producto EHL Alprolix. Usando puntajes de Pettersson para calificar el daño articular (cero es el mejor y 13 es el peor), proyectaron que una persona que comenzara la profilaxis con Alprolix a los 12 años sin problemas articulares (una puntuación de cero) solo tendría una puntuación de 5.0 a los 70 años. Por el contrario, un paciente que utiliza el tratamiento a demanda a partir de los 12 años tendría una puntuación total de 32,0 a los 70 años. (Las puntuaciones se suman, por lo que una puntuación de 32 podría ser cuatro articulaciones con puntuaciones de 8,0 cada una, o cualquier otra combinación). Esto muestra el valor del tratamiento profiláctico en comparación con la atención a demanda.

Un aspecto interesante de su modelo es que muestra que, si un paciente a demanda cambia a profilácticos, incluso a los 51 años, su puntuación a los 70 años se reduciría a

18,4, una gran diferencia. Cambiar antes podría conducir a puntuaciones de daño articular aún más bajas a los 70 años. [Olive M et al., FMH Comprehensive Care Summit, abstract PP-WE-024. Abstracts in Haemophilia, 29(S2) 2023] Un grupo de Grecia analizó a 63 pacientes (17 B: 12 a demanda, 5 profilaxis tardía) que cambiaron a profilaxis con productos de EHL. Monitorizaron a los pacientes para determinar la ABR y la salud de las articulaciones antes del cambio y cada seis meses a partir de entonces durante un máximo de cuatro años. Encontraron que la mediana de ABR se redujo de 4.0 (rango 2 a 10) en el grupo que había estado en profilaxis a 2.0 (0 - 5) después de cambiar a productos EHL. El grupo bajo demanda que tenía una mediana de ABR de 20 (18 - 35) antes del cambio también terminó con un ABR de 2.0 después. En este estudio, utilizaron la Puntuación de Salud Articular de Hemofilia (HJHS, por sus siglas en inglés) para calificar el daño articular y encontraron una mejora con el tiempo. La mediana de HJHS se redujo de 31,25 (17 - 58) a 21,3 (14 - 54) en el cuarto año. Esto demuestra que las articulaciones pueden mejorar con un tratamiento adecuado. [Christidi SD et al., FMH Comprehensive Care Summit, abstract PP-WE-040. Abstracts in Haemophilia, 29(S2) 2023]

IMPORTANCIA DE LA PROTEÍNA YKL-40 EN EL DAÑO ARTICULAR

11/12/23 Realmente no sabemos la causa del daño articular en la hemofilia. Sabemos que es causada por la sangre en la cápsula que rodea la articulación, y parece que el hierro de esa sangre está involucrado. Pero profundizando más, no sabemos realmente las causas de los cambios químicos que tienen lugar en la articulación. Ahora, un grupo de Grecia ha demostrado que una proteína llamada YKL-40 es probable que esté involucrada. YKL-40 es una proteína conocida que se asocia con enfermedades articulares como la artritis reumatoide y la osteoartritis. Es producida en las articulaciones artríticas por las células inmunitarias y los condrocitos (células que producen cartílago).

Encontraron que los niveles de YKL-40 en el torrente sanguíneo eran significativamente más altos en los pacientes con hemofilia que en el grupo de control sin hemofilia. También encontraron que los pacientes con artropatía (daño articular) tendían a tener niveles circulantes más altos de YKL-40 que los pacientes con hemofilia sin daño articular o los pacientes con hemofilia con hemorragias activas. Por lo tanto, YKL-40 podría ser una causa de degradación articular, e incluso si no lo es, parece ser un marcador de la actividad de degradación articular. La medición de YKL-40 en la sangre podría ser un buen indicador alternativo del daño articular en curso, incluso a niveles que de otro modo serían indetectables, en lugar de la obtención de imágenes. [Michalopoulou A et al., ASH abstract 3996]

¿LOS PACIENTES ADULTOS GRAVES DEBEN RECIBIR PROFILAXIS?

10/5/23 En la Cumbre de Atención Integral de la FMH, otro grupo de investigadores argentinos presentó una evaluación de la hemorragia y el uso de factores en adultos con hemofilia grave en el mundo real. Se

incluyeron en el estudio un total de 89 pacientes (74 A; 15 B; todos varones) mayores de 21 años con hemofilia A o B grave. La edad promedio fue de 35,8 años (rango de 22 a 67 años) y todos los pacientes estaban en tratamiento con productos de vida media estándar (SHL). Los 46 pacientes a demanda tienen una edad media de 38 años y una RABR media de 24,5 sangrados/año. El grupo profiláctico tiene una edad media de 43 años y una ABR media de 2,5 sangrados/año. Esos resultados sugieren de manera bastante convincente que a los pacientes mayores graves probablemente les iría mejor con la profilaxis. La única ventaja que tenía el grupo bajo demanda es que utilizaban aproximadamente la mitad la cantidad de factor. Eso podría ayudar a pagar las facturas de la cirugía articular.

Siempre señalamos que cada paciente es diferente. Si es mayor, grave y usa tratamiento a demanda con pocas hemorragias, es posible que esté bien como está. Sin embargo, si tiene más de un par de hemorragias al año, es posible que desee hablar con su médico sobre el cambio a la profilaxis. Podría mejorar significativamente la salud de sus articulaciones y su calidad de vida en general.

Si le preocupa la cantidad de infusiones, podría probar un producto de vida media prolongada. [Martinez M et al., FMH Comprehensive Care Summit, abstract PP-WE-007. Abstracts in Haemophilia, 29(S2) 2023]

OSIFICACIÓN HETEROTÓPICA EN LA HEMOFILIA

9/12/23 La osificación heterotópica (HO, por sus siglas en inglés) es el crecimiento de hueso donde se supone que no debe crecer, a menudo en el tejido muscular. Esta es una complicación reciente de la hemofilia, que se ha descubierto debido al uso cada vez mayor del ultrasonido en la atención de la hemofilia. Está surgiendo como una complicación imprevista de contusiones (hematomas) y hemorragias musculares relacionadas con lesiones en la hemofilia. Un grupo de investigadores estadounidenses e internacionales observó 29 casos de nueve HTC que representaban hemofilia A y B en todas las gravedades.

Las áreas más comunes para la HO fueron el muslo y la cadera, pero también incluyeron la parte superior del brazo y la mano. Todos los casos se debieron a traumatismos cerrados, excepto cuatro en el psoas (músculos grandes de la cadera) y un codo. Ocurrió principalmente por hemorragias musculares profundas donde el músculo está cerca del hueso (24/29 casos: 83%). Solo tres pacientes estaban en profilaxis en el momento de la lesión (uno grave A, uno grave B y uno moderado B). La HO se descubrió en promedio a los 23 días después de la lesión (rango de 11 a 60) y la mayoría de los casos fueron descubiertos por un fisioterapeuta (22/29 casos) o un médico (2/29 casos). El aumento de la detección de HO se debe principalmente al uso cada vez mayor de imágenes ecográficas.

Este estudio confirma que la HO es una complicación de las hemorragias profundas, especialmente en pacientes que no están en profilaxis. Se necesitan más estudios. [Steiner BUK et al., ASH abstract 1248]

PANORAMA DE LA HEMOFILIA TERAPIAS EMERGENTES

POR EL DR. DAVID CLARK

Hay una gran cantidad de nuevos productos en desarrollo para la hemofilia B. Los nuevos productos potenciales se pueden separar en tres categorías: 1) productos de factor mejorados, 2) agentes re-equilibrantes y 3) terapia génica. Estas actualizaciones se dividen en esas tres categorías. Dentro de cada categoría, las entradas generalmente se enumeran en orden de los nombres de las organizaciones que desarrollan el producto.

Muchas de las actualizaciones a continuación son de la reunión anual de la Sociedad Americana de Hematología (ASH, por sus siglas en inglés) celebrada del 9 al 12 de diciembre de 2023 en San Diego. Las copias de los resúmenes (abstracts) se pueden obtener gratuitamente en el sitio web de la reunión, <https://www.hematology.org/meetings/annual-meeting>.

PRODUCTOS DE FACTOR MEJORADOS

Estas son versiones mejoradas de los productos de factor que la mayoría de las personas con hemofilia B están usando actualmente, incluyendo también productos para el tratamiento con inhibidores. Las mejoras incluyen vidas medias más largas y la administración por inyección subcutánea. Esta sección también incluye actualizaciones sobre algunos de los productos actuales en el mercado.

VIDA MEDIA ESTÁNDAR (SHL) VS. PRODUCTOS DE FACTOR DE VIDA MEDIA EXTENDIDA (EHL)

11/8/23 Dos estudios recientes han analizado los resultados del tratamiento en pacientes que toman productos de factor EHL. Un grupo de centros de tratamiento en Australia examinó los datos de 174 pacientes con hemofilia, 115 con hemofilia A (HA) y 59 con hemofilia B (HB), del Registro de Trastornos Hemorrágicos de Australia. Todos los pacientes habían estado tomando productos EHL durante todo el año 2019. La adherencia al tratamiento fue del 87,2% en los pacientes con HB (85,7% para HA) y el 64,4% de los pacientes con HB no presentaron hemorragias espontáneas durante el año.

Alrededor de un tercio de los pacientes tuvieron sus dosis ajustadas durante el año, siendo las principales razones su respuesta a los productos, los cambios en el peso corporal y las hemorragias intercurrentes. Los datos también mostraron un impacto significativo de la no adherencia (no tomar el producto según lo prescrito). [George C et al., Hemofilia, 29(5) 1283, 2023]

10/12/23 Investigadores de Pfizer realizaron otro estudio sobre los productos de EHL frente a SHL utilizando los datos del Programa Adelphi Hemophilia Disease-Specific, una encuesta de pacientes con HA y HB en partes de Europa y en los EE. UU. De los 81 pacientes con HB, 33 (42%) tomaban productos SHL y 47 (58%) productos EHL. Representaban un rango de gravedad, desde leve hasta grave.

El promedio de la tasa anual de sangrado (ABR, por sus siglas en inglés) fueron de 1.4 para los que tomaron productos SHL y 0.9 para los productos EHL, lo que no es

una diferencia estadísticamente significativa.

La tasa de adherencia de los consumidores de productos SHL fue de solo el 12%, mientras que la de los consumidores de productos EHL fue del 51%. Esto demuestra una de las ventajas teóricas de los productos EHL, que un menor número de infusiones debería dar lugar a una mejor adherencia. Sin embargo, hay que tener en cuenta que incluso en los productos de EHL, la mitad de los pacientes no se adhirieron. El estudio también mostró que la falta de adherencia condujo a un mayor ABR, especialmente en los productos SHL. El promedio de ABR para los pacientes no adherentes a los productos SHL fue de 1,5 en comparación con un ABR de 0,5 para aquellos con una adherencia del 100%. Hubo una diferencia mucho menor para los que tomaron productos de EHL, 1,0 para los pacientes no adherentes y 0,9 para los pacientes con 100% de adherencia. Los niveles de factores tienden a disminuir mucho más lentamente con los productos EHL que con los productos SHL.

Por lo tanto, ambos estudios muestran que hay ventajas en estar en un producto EHL. Ambos también muestran la importancia de la adherencia. Una conclusión puede ser que si tiendes a no adherirte, es posible que te convenga más un producto EHL. [Thakkar S et al., ASH abstract 2616]

A pesar de los estudios, uno de los principios más importantes de la medicina es que cada paciente es diferente. Una de las ventajas de tener varios productos diferentes disponibles es que la mayoría de los pacientes podrían encontrar un producto que funcione bien para ellos. No se trata de productos intercambiables y básicos. A algunos pacientes incluso les va mejor con el producto SHL, que incluye plasma. La elección del producto debe dejarse en manos del paciente y su médico para encontrar el producto que tenga el mejor beneficio clínico para el paciente.

FACTOR IX DE VIDA MEDIA PROLONGADA FUSIONADO CON LA SUBUNIDAD DEL FACTOR XIII

14/09/23 Un grupo de investigadores estadounidenses y europeos está desarrollando un factor IX de vida media extendida, rFIX-LXa-FXIIIb, en el que una molécula de

factor IX se une a la subunidad B del factor XIII. El factor XIII forma enlaces cruzados entre las fibras de fibrina para fortalecer un nuevo coágulo. También es el factor de coagulación con la vida media natural más larga en circulación. El grupo ha demostrado en ratas y ratones que rFIX-LXa-FXIIIB forma coágulos que son indistinguibles de los formados por el factor IX normal. [Desage S et al., Haemophilia, en línea antes de la impresión del 14/09/23]

REBINYN DE NOVO FUNCIONA BIEN EN CIRUGÍAS



21/09/23 Novo Nordisk

comercializa Rebinyn, un factor IX de vida media extendida que utiliza polietilenglicol para estabilizar la molécula en circulación. La experiencia en el mundo real sobre su uso durante la cirugía es limitada, por lo que el grupo identificó 31 casos quirúrgicos reales en los que los pacientes estaban usando Rebinyn. En la mayoría de los procedimientos (27/31; 87%) la hemostasia se consideró "muy buena" o "excelente". No hubo casos de trombosis ni complicaciones quirúrgicas relacionadas con el uso de Rebinyn. [Phua CW et al., Res Pract Thromb Haemost, en línea antes de la impresión del 21/09/23]

AGENTES REEQUILIBRANTES

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

CENTESSA REPORTA NUEVOS DATOS DEL ESTUDIO DE FASE II DE SERPINPC



10/12/23 Centessa Pharmaceuticals está desarrollando SerpinPC, un agente reequilibrante que inhibe la proteína C activada por anticoagulante (APC) para restaurar la coagulación. SerpinPC es un tratamiento subcutáneo que se realiza una vez cada dos semanas para pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. En ASH, Centessa presentó datos de sujetos en su estudio clínico de Fase II que han estado tomando el producto durante aproximadamente tres años. En 20 pacientes, la mediana de ABR se redujo de 35,6 antes del tratamiento, a 1,0 con SerpinPC. No hubo eventos adversos ni episodios tromboembólicos. Los investigadores también midieron los niveles de dímero D, que es un indicador sensible de trombosis y no encontraron problemas. [Baglin T et al., resumen de ASH 2619]

LA FDA Y LA EMA ACEPTAN EL BLA Y EL MAA DE PFIZER PARA MARSTACIMAB



11/12/23 Pfizer está desarrollando marstacimab, un agente reequilibrante que inhibe el inhibidor de la vía del factor tisular para restaurar la coagulación. Marstacimab es un tratamiento subcutáneo que se administra una vez a la semana a través de un auto-inyector para el tratamiento de pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. El 11/12/23, Pfizer anunció que la FDA ha aceptado su Solicitud de Licencia de Productos Biológicos (BLA, la solicitud de licencia de un producto) para su revisión. Su Solicitud Europea de Autorización de Comercialización (MAA) también fue aceptada para su revisión por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA). Se espera que las decisiones sobre sus solicitudes se tomen en el cuarto trimestre de 2024 en Estados Unidos y en el primer trimestre de 2025 en Europa. [Comunicado de prensa de Pfizer 12/11/23]

PFIZER PRESENTA DATOS DE FASE III DE MARSTACIMAB



9/12/23 En ASH, Pfizer presentó los datos de la Fase III para marstacimab que son la base de su BLA y MAA (ver arriba). En 116 sujetos, la fase inicial de seis meses de los estudios antes del tratamiento encontró un promedio de ABR de 7,85 para el tratamiento profiláctico y de 38,0 para el tratamiento a demanda con factores de coagulación. La fase de tratamiento de doce meses con marstacimab mostró una reducción de la ABR promedio de 5,08 para el grupo que había estado en profilaxis y de 3,18 para el grupo que había estado en tratamiento a demanda. Los pacientes que completaron la fase de tratamiento de doce meses pudieron continuar el tratamiento con marstacimab en un estudio de extensión. Los ABR para el estudio de extensión (87 sujetos durante 16 meses más) fueron de 2,27 para el grupo que originalmente había estado en profilaxis y de 3,88 para el grupo que había estado en tratamiento a demanda. No hubo problemas de seguridad significativos ni muertes. Sin embargo, los datos de calidad de vida no mostraron diferencias significativas con respecto a los tratamientos profilácticos o a demanda anteriores del sujeto. [Matino D et al., ASH abstract 285]

SANOFI INFORMA SOBRE LA FARMACOCINÉTICA DE FITUSIRÁN



12/10/23 Sanofi está desarrollando fitusiran, un fármaco de interferencia de ARN que disminuye la producción de antitrombina (AT) en el cuerpo, un anticoagulante. En la ASH, presentaron un modelo farmacocinético (PK) actualizado para correlacionar la dosis de fitusirán con los niveles de AT en circulación. Los datos para el nuevo modelo de PK se obtuvieron de sujetos en los estudios clínicos de Fase I, Fase I/II y Fase III, un total de 339 participantes. En un momento dado, el estudio de fase III se suspendió porque algunos sujetos desarrollaron signos de trombosis (demasiada coagulación), por lo que Sanofi ha estado trabajando para reducir la dosis y comprender mejor la farmacocinética del fitusirán. Descubrieron que una dosis inicial de 50 mg por inyección subcutánea

cada dos meses mantendría el nivel de AT en el 15-35% deseado del nivel normal. (La dosis clínica original era de 80 mg una vez al mes, lo que daba un nivel de AT por debajo del 10%, aparentemente demasiado bajo para prevenir la trombosis). Actualmente están confirmando ese hallazgo en estudios clínicos utilizando el nuevo modelo de dosificación. [Madrasi K et al., resumen de ASH 2614]

TERAPIA GÉNICA Y CELULAR

La terapia génica es el proceso de insertar nuevos genes funcionales del factor IX en el cuerpo para permitirle producir su propio factor IX. La terapia celular es el trasplante de células enteras que han sido modificadas para realizar una función específica, como la producción del factor IX.

BE BIO INFORMA SOBRE LAS CÉLULAS B MODIFICADAS GENÉTICAMENTE PARA LA PRODUCCIÓN DE FACTOR IX

10/12/23 Be Biopharma está desarrollando una terapia celular para la hemofilia B en la que las células B se modifican genéticamente mediante técnicas CRISPR/Cas9 para producir factor IX. Las células B son un tipo de glóbulos blancos que se producen en la médula ósea a partir de células madre que producen continuamente todas las células sanguíneas del cuerpo. Forman parte del sistema inmunitario; Reconocen antígenos (materiales extraños que causan una respuesta inmunitaria) y producen anticuerpos contra esos antígenos. Las células B se dividen continuamente para producir nuevas células B las cuales tienen una "memoria" para que las nuevas células puedan producir los mismos anticuerpos que las células originales.

La técnica recolecta células B de un paciente y luego las modifica genéticamente en el laboratorio utilizando el método CRISPR/Cas9 para insertar genes buenos del factor IX en las células. Luego, las células transformadas se expanden (se convierten en células adicionales) y se trasplantan nuevamente al torrente sanguíneo del paciente, donde eventualmente encontrarán su camino hacia la médula ósea. Las células se vuelven a injertar en la médula ósea, donde producirán continuamente el factor IX.

En ASH, Be Bio presentó datos preclínicos de experimentos en ratones y primates no humanos que sugieren que el método funciona y parece seguro. [Liu H et al., resumen de ASH 463]

CSL OFRECE ACTUALIZACIONES SOBRE HEMGENIX

9-13/12/23 La terapia génica Hemgenix de CSL para la hemofilia B ha estado en el mercado durante más de un año, y CSL continúa proporcionando actualizaciones de sus estudios clínicos. Una de las características únicas de sus estudios clínicos fue que incluyeron sujetos infectados con los virus de la hepatitis B y C (VHB y VHC) y con el VIH, el virus del SIDA. Se excluyeron las personas con infecciones activas por VHB/VHC o con infecciones no controladas por el VIH, pero se admitieron aquellas con infecciones

históricas o controladas por el VIH. En ASH, informaron sobre los resultados de las enfermedades infecciosas.

De los 54 sujetos del estudio de fase III, 31 (57,4%) tenían antecedentes de infección crónica por el VHC, mientras que siete de los 31 también tenían antecedentes de infección crónica por el VHB. Dos sujetos estaban coinfectados con el VHC y el VIH y dos eran positivos para el VHB, pero negativos para el VHC y el VIH. Las condiciones de estos sujetos no parecieron afectar el éxito del tratamiento ni su expresión del factor IX. Tanto el grupo de VHB/VHC como el grupo no infectado tenían el mismo nivel promedio de factor IX antes del tratamiento, <1%. Curiosamente, el grupo VHB/VHC tenía una mediana de factor más alta después de tres años, 40,5% (rango 4,8 a 80,3%) que el grupo no infectado, 32,8% (8,6 a 55,5%), pero la diferencia probablemente no sea significativa dados los amplios rangos. La conclusión es que Hemgenix parece seguro y eficaz en pacientes con infecciones crónicas por el VHB o el VHC. [von Drygalski A et al., ASH abstract 2258]

Del mismo modo, los estudios también admitieron a sujetos con infecciones por VIH siempre y cuando la infección estuviera bajo control. De los 57 participantes en los estudios de fase IIb y fase III, cinco estaban infectados con el VIH. Cuatro de los cinco también tenían antecedentes de infección por VHC tratada. Al igual que con los sujetos con VHB/VHC informados anteriormente, el tratamiento pareció ser seguro y eficaz con una mediana del nivel del factor IX del 32,3% (rango de 31,5 a 58%) tres años después del tratamiento. Sin embargo, debido al pequeño número de sujetos con VIH, CSL recomienda continuar el estudio de los pacientes con VIH que reciben Hemgenix. [Pipe S et al., ASH abstract 2256]

CSL también presentó una actualización de los estudios clínicos de Fase III tres años después del tratamiento. Encontraron un ABR promedio de 1,52 en comparación con el nivel previo al tratamiento de 4,17. Los niveles promedio del factor IX en los sujetos estudiados fueron del 41,5% (rango 5,9 a 113%) después del primer año, del 36,7% (4,7 a 99,2%) después del año 2 y del 38,6% (4,8 a 80,3%) después del año 3. Después de tres años, 51 sujetos (94%) no necesitaron profilaxis. [Pipe S et al., resumen de ASH 1055]

9/9/23 En la conferencia anterior de BIC en Italia, CSL presentó datos sobre la tasa de éxito de Hemgenix a partir de los estudios clínicos. Uno de los principios fundamentales del desarrollo farmacéutico es que se quiere un producto que tenga un efecto predecible y reproducible. Uno de los principales problemas con los productos actuales de terapia génica para la hemofilia B es que su efecto no es predecible ni reproducible. Los pacientes alcanzan varios niveles de factor después del tratamiento.

Del total de 54 sujetos, dos (3,7% del total) no expresaron el factor IX. Uno de ellos tenía un nivel extremadamente alto de anti-AAV antes del tratamiento y otro abandonó la infusión a mitad de camino debido a reacciones relacionadas con la infusión. Los 52 sujetos restantes



podieron abandonar la profilaxis. De ellos, un sujeto (2% del total) tenía un nivel factorial <5% de normal; El 62% de los sujetos tenía un nivel entre el 5 y el 40%; y el 36% tenía niveles superiores al 40% después de dos años. Nueve de los sujetos (11%) recibieron corticosteroides orales debido a la inflamación del hígado. [Pipe SW et al., resumen de BIC OC-10]

SYNCONA PRIVATIZA FREELINE

22/11/23 Freeline Therapeutics ha estado desarrollando verbrinacogene setparvovec (FLT-180a), una terapia génica para la hemofilia B que es administrada por un vector de virus adenoasociado (AAV) y utiliza el gen del factor IX de alta actividad de Padua. El tratamiento parece prometedor, ya que es capaz de aumentar los niveles de factor IX en el rango normal. Desafortunadamente, tuvieron problemas de dinero y a mediados de 2022 decidieron detener su trabajo con FLT180a hasta que pudieran encontrar un socio de desarrollo. Ahora Syncona, una firma de inversión británica, está trabajando en un acuerdo para privatizar Freeline. Se espera que el acuerdo se cierre en el primer trimestre de 2024. Los planes de la compañía para un mayor desarrollo de FLT-180a no han sido anunciados. [Artículo de Biopharma Dive, 22/11/23]



Pfizer ofrece actualizaciones sobre la terapia génica

9-10/12/23 Pfizer está desarrollando fidanacogene elaparvovec, una terapia génica para la hemofilia B que se administra mediante un vector de virus adenoasociado (AAV) y utiliza el gen del factor IX de alta actividad de Padua. Presentaron dos actualizaciones en ASH sobre los resultados de sus estudios clínicos.



El primer artículo analizó a seis (de un total de 45) sujetos del estudio clínico de fase III que habían regresado a la profilaxis con factor IX (RTP) después de obtener buenos resultados iniciales del tratamiento. Los seis pacientes con RTP volvieron a la profilaxis porque sus niveles de factor IX (FIX) cayeron por debajo del 2% porque tuvieron episodios hemorrágicos. Los seis habían respondido inicialmente bien, con niveles de FIX que oscilaban entre el 7 y el 22% de lo normal. Sin embargo, en el momento en que volvieron a la profilaxis, sus niveles habían caído a un rango de 0,5 a 5,8%. El tiempo de cambio osciló entre 155 y 623 días después del tratamiento. A todos los sujetos se les habían administrado corticosteroides para reducir la inflamación hepática y, con suerte, estabilizar su producción de FIX. Pfizer todavía está investigando la causa de su RTP. [Frenzel L et al., ASH abstract 2257]

El otro artículo de Pfizer informó sobre la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) de 14 sujetos en su estudio de fase I/IIa utilizando cuestionarios. En la semana 156 después del tratamiento, los resultados del cuestionario Haem-a-QoI cayeron en un promedio de 15,2 puntos, lo que representa una mejora significativa en la CVRS. Las puntuaciones de EQ-VAS habían aumentado entre 7 y 8 puntos dos años después del tratamiento, lo que indicaba una mejora en la salud general. Una mayor proporción de los sujetos también informaron haber aumentado su

actividad física durante la semana 156 en comparación con su línea de base antes del tratamiento. [von Mackensen S et al., ASH abstract 3628]

Factor X activado almacenado en las plaquetas para promover la coagulación

1/10/23 Un grupo de investigadores chinos está desarrollando un método de tratamiento de la hemofilia B que involucra el factor X activado (FXa) almacenado en las plaquetas. El factor X es una molécula fundamental en la cascada de coagulación. Puede ser activado por el factor IX activado (FIXa) o por el factor VII activado (FVIIa). Luego, el FXa recluta otros factores de coagulación y otras moléculas para formar un complejo que reacciona con la protrombina (factor II) para formar trombina (factor IIa). Luego, la trombina convierte el fibrinógeno (factor I) en fibrina, que es una molécula "pegajosa" que se une a otras moléculas de fibrina para formar el coágulo.

Las plaquetas son pequeñas células sanguíneas que también forman parte del sistema de coagulación. Se activan cuando la cascada de coagulación comienza a producir factores de coagulación activados. Las plaquetas activadas también son "pegajosas" y se unen a otras plaquetas activadas, así como a la fibrina. La combinación de las plaquetas agrupadas cubiertas por una red de hebras de fibrina, así como otras células sanguíneas que quedan atrapadas y enredadas en ella, formando el coágulo real que sella un agujero en el vaso sanguíneo.

Los investigadores chinos descubrieron que pueden modificar genéticamente las células madre hematopoyéticas de la médula ósea para producir plaquetas que contienen FXa. Cuando esas plaquetas se activan para formar un coágulo, liberan el FXa, lo que aumenta la cantidad de coagulación que se produce. Demostraron que estas plaquetas modificadas podían producir una coagulación significativa en ratones hemofílicos, incluso en ratones con inhibidores. Inicialmente, el grupo estaba estudiando el tratamiento de pacientes con inhibidores con las plaquetas FXa-, pero ahora ha ampliado su objetivo para incluir a pacientes con hemofilia sin inhibidores. Queda por ver si esta será una alternativa viable a la terapia génica con factor IX. [Han W et al., Nature Sci. Rep., 13(1), 16488, 2023]

Un grupo japonés informa sobre la terapia génica

14/09/23 El interés en la terapia génica parece estar en auge. Un grupo de investigadores de Japón está desarrollando una técnica mejorada de administración y vectores AAV para la terapia génica del factor IX. Están tratando de resolver los problemas de las altas dosis de vectores necesarias debido a la transferencia ineficiente de genes a las células y los problemas inmunológicos causados por el vector viral. Han desarrollado un vector llamado AAV.GT5 que es aproximadamente 100 veces más eficiente en la introducción de genes en las células hepáticas. También han demostrado que la inyección de AAV.GT5 directamente en el hígado, en lugar de en la circulación general, mejora la transferencia de genes. AAV.GT5 también parece ser menos inmunogénico que los vectores actuales de AAV. Su reciente informe sobre

experimentos en cerdos y macacos muestra resultados prometedores. [Kashiwakura Y et al., Mol. Ther. Methods: Clin. Dev., 30, 502, 2023]

ST. JUDE/UCL INFORMA SOBRE TERAPIA GÉNICA ORIGINAL DESPUÉS DE DIEZ AÑOS

9-11/12/23 Hace unos diez años, un gran grupo de investigadores del St. Jude Children's Research Hospital, el University College London (UCL) y otras instituciones realizaron los primeros ensayos clínicos exitosos de terapia génica para la hemofilia. En ASH, el grupo dio una actualización sobre esos primeros pacientes. A finales de 2022, la mediana del periodo de seguimiento fue de 10,7 años (rango de 4 a 12) para los diez sujetos del estudio. Los sujetos recibieron varias dosis, con seis sujetos en la cohorte de dosis alta.

Cuatro de los seis sujetos que recibieron dosis altas desarrollaron inflamación hepática y fueron tratados con corticosteroides orales, lo que resolvió el problema sin recurrencia. Otros dos eventos adversos graves ocurrieron en dos de los pacientes. Un paciente desarrolló cáncer de pulmón cinco años después del tratamiento, pero se demostró que esto no estaba asociado con el tratamiento. Otro sujeto de 72 años desarrolló cáncer de próstata doce años después del tratamiento. Ese caso aún está siendo investigado. Los sujetos desarrollaron niveles bajos pero persistentes del factor IX del 1,7%, 2,3% y 4,9% en las cohortes de dosis baja, media y alta, respectivamente. Su mediana de ABR durante el período de 10 años fue de 1,6 en comparación con una ABR de 14 antes del tratamiento. En la cohorte de dosis alta, la mediana de ABR fue de 1,0. [Reiss UM et al., ASH abstract 1056]

El grupo de St. Jude/UCL también informó sobre la persistencia de anticuerpos anti-AAV después del tratamiento. Los anticuerpos contra los vectores AAV podrían complicar futuros tratamientos con vectores AAV. En primer lugar, encontraron que los niveles de anticuerpos anti-AAV en los sujetos del estudio eran mucho más altos de lo que normalmente se obtendría de una infección real por AAV. También encontraron que los anticuerpos tienen cierta reactividad cruzada a otros tipos de AAV. Los niveles de anticuerpos disminuyeron gradualmente durante el período de diez años, pero aún seguían siendo demasiado altos para que los sujetos recibieran otra dosis de terapia génica. Curiosamente, descubrieron que AAV5, que se usa en Hemgenix, causa las respuestas de anticuerpos más leves, lo que puede permitir repetir el tratamiento. [McIntosh JH et al., ASH abstract 2255]

GLÓBULOS ROJOS CARGADOS CON FACTOR IX

11/12/23 Un grupo de la Universidad de Pensilvania y la Universidad de Temple ha estado explorando la posibilidad de unir moléculas de factor IX (FIX) a la superficie de los glóbulos rojos (RBC). Los glóbulos rojos tienen una vida útil en circulación de unos 120 días, por

lo que esto le daría al FIX una vida media extra larga. El FIX se une a un anticuerpo de glicoforina A (GPA) de ratón y luego se incubaba con glóbulos rojos. Los glóbulos rojos tienen moléculas de glicoforina A en sus superficies, por lo que los anticuerpos GPA se unen a esas moléculas llevando consigo el factor IX. El grupo también descubrió que si inyectaban solo la molécula FIX-GPA en ratones, encontrarían los glóbulos rojos del ratón y se uniría a ellos. Por lo tanto, la molécula FIX-GPA podría utilizarse por sí sola sin necesidad de unirla primero a los glóbulos rojos. Los investigadores demostraron que el complejo FIX-GPA-RBC conserva la capacidad de coagulación de la molécula FIX. [Peshkova AD et al., ASH abstract 5006]

EL SENADOR BILL CASSIDY QUIERE MEJORAR EL ACCESO A LAS TERAPIAS GÉNICAS

6/12/23 El senador Bill Cassidy (R-Louisiana) está buscando observaciones de las partes interesadas (partes involucradas) con la idea de elaborar una legislación que haga que las terapias celulares y genéticas sean más accesibles para los pacientes. Cassidy señala que el pequeño número de tratamientos actuales de terapia génica y celular se puede manejar adecuadamente, pero a medida que el número de aprobaciones se dispare en los próximos años, el mercado no es sostenible. Se trata de un acto de equilibrio porque los precios deben ser lo suficientemente bajos como para permitir que todos los pacientes tengan acceso, pero aun así deben ser lo suficientemente altos como para ofrecer incentivos para futuras investigaciones y mejoras de productos. [Artículo bioespacial 6/12/23]



UN ESTUDIO FRANCÉS MUESTRA LAS PERSPECTIVAS DE LOS PACIENTES SOBRE LA TERAPIA GÉNICA

6/12/23 Un estudio francés analizó las perspectivas de los pacientes sobre la terapia génica para la hemofilia. Recibieron 137 respuestas a un cuestionario (alrededor del 3,5% de los franceses mayores de 16 años con hemofilia grave o moderada), con un 80,3% de pacientes con hemofilia A y un 19,7% de pacientes con hemofilia B. Alrededor del 64,2% de los encuestados sentían curiosidad por la terapia génica, el 33,6% del total estaba listo y el 38,7% quería esperar hasta que se haya tratado a más pacientes. Solo el 3,6% de los pacientes declararon que nunca estarían interesados en la terapia génica. Alrededor del 39,5 por ciento de los pacientes dijeron que no tenían suficiente conocimiento sobre los tratamientos, y más del 60 por ciento no habían hablado sobre la terapia génica con su médico o centro de tratamiento. [Pietu G et al., Hemofilia, en línea antes de la impresión del 6/12/23]

¡ENVEJECER CON HEMOFILIA B NO PUEDE DETENER A ESTA COMUNIDAD!

POR KATIE CROMBE

¡Los miembros de la comunidad se unieron a la programación virtual de Envejeciendo con Hemofilia B para personas de 50 años o más desde el verano hasta el otoño! Esta nueva serie en línea consistió en seis reuniones mensuales para los miembros de nuestra comunidad de hemofilia de edad avanzada, se reunieron del 22 de junio al 9 de noviembre, en compañerismo y educación.

Gracias al patrocinio de Sanofi, la Coalition for Hemophilia B pudo invitar a un orador experto a cada evento. La serie comenzó con consejos sobre cómo navegar por el panorama legal del envejecimiento con Donnie Akers, Jr., partidario de la comunidad desde hace mucho tiempo. Donnie empoderó a los asistentes con conocimientos sobre testamentos, poderes notariales, fideicomisos y herramientas para protegerse contra una posible explotación financiera.

Dos de las sesiones se centraron en la salud mental y en encontrar compañía más adelante en la vida. Matt Barkdull dirigió una discusión sobre cómo reavivar el amor y la conexión en las relaciones maduras, de citas, platónicas y a largo plazo, seguida de una discusión entre los miembros de la comunidad sobre sus propios éxitos, fracasos, preguntas y consejos.

La Dra. Mina D. Nguyen-Driver también dirigió una sesión sobre cómo nutrir las relaciones en la vejez, junto con la oradora invitada y enfermera, Robi Ingram-Rich. La Dra. Mina y Robi compartieron consejos sobre el cuidado personal, la intimidad emocional y cómo mantener una conexión vibrante dentro de la comunidad de hemofilia B.

Además de las presentaciones, se animó a los miembros de nuestra comunidad a mantenerse activos con la sesión de Michael Zolotnisky, esté en forma y fabulosa, donde enseñó al grupo diez ejercicios sencillos para fortalecer el equilibrio y evitar resbalones y caídas.

Continuando con el énfasis en la vida saludable, el Dr. Robert Lawrence Friedman compartió información en El estilo de vida en la zona azul y lo que podemos aprender de las personas mayores y sus secretos para vivir una vida larga y plena. Finalmente, el Dr. William Patsakos, farmacéutico clínico y miembro de la comunidad de hemofilia, habló sobre cómo equilibrar y manejar los medicamentos, lo cual es especialmente importante para las personas que envejecen con hemofilia.

Si bien cada experto aportó valiosas ideas y conocimientos, la fortaleza de la serie fue el compañerismo entre los propios miembros de la comunidad. Cada sesión terminaba con conversaciones,

apoyo, consejos y risas que debían durar 30 minutos y, a veces, se prolongaban mucho más allá de la “hora de acostarse” para muchos.

La calidad de nuestra comunidad de hemofilia se refuerza a medida que los miembros regresan mes tras mes para compartir actualizaciones sobre sus vidas con amigos, nuevos y antiguos, ¡incluso encontrando momentos para conectarse fuera de la serie de eventos virtuales!



COMENTARIOS:

“Creo que, por primera vez, nos sentimos relajados y libres de tensión después de reunirnos con amigos y familiares en esta reunión. Lo que más valoramos es cómo todos fueron muy abiertos, y todos apreciaron cuando discutimos nuestros antecedentes familiares, cómo nos mudamos de la India a los EE. UU. para recibir tratamiento y nuestras preocupaciones futuras. Definitivamente, preferimos tener el grupo de ancianos donde podamos comunicarnos fácilmente como familia”.

“Escuchar a los que tenían mi edad y mayores que también asistieron a la reunión se sumó a la satisfacción diaria que tengo al demostrar que las Nellys negativas en mi vida estaban equivocadas. Su reunión le dio una mayor afirmación a mi lema: ‘La mejor venganza es una vida bien vivida’. Tales reuniones y oportunidades que ustedes proporcionan para interactuar con aquellos que pueden haber enfrentado las mismas dificultades y reveses que yo he tenido en la vida son muy apreciadas. Ya no me siento aislada, ni excluida, ni como si me hubiera perdido la vida. Gracias por ser una parte positiva y auto afirmativa de las vidas de aquellos que luchan con las complicaciones continuas de vivir con hemofilia”.

“Me encanta el grupo de 50 años o más. La información es realmente útil, y actualmente es mi reunión favorita. Pensé que tener a los hombres y mujeres juntos podría ser incómodo, ¡pero en realidad ha sido realmente maravilloso!”

“Disfruté de las reuniones mensuales con nuestro grupo de “mayores de 50 años”.

“Tener reuniones con otras personas de la misma edad, experimentar algunas de las mismas preocupaciones físicas y emocionales fue útil. Los oradores fueron increíbles y atractivos. Este es un grupo de personas en el que mi nivel de comodidad estaba al 100% en términos de poder ‘desnudar mi alma’ y hablar desde el corazón: ningún tema estaba fuera de lugar y podíamos hablar de cualquier cosa. ¡Esperamos con ansias nuevas reuniones en el nuevo año!”

ENCONTRANDO UNA COMUNIDAD A TRAVÉS DE LA CRIANZA DE LOS HIJOS

POR KATIE CROMBE

La crianza de los hijos en sí misma puede ser todo un reto; Sin embargo, criar a un niño con hemofilia presenta aún más complejidades. Para los padres primerizos de niños con hemofilia, la experiencia a menudo puede sentirse como navegar por la vida un día a la vez. Afortunadamente, la Coalition for Hemophilia B ha lanzado una nueva serie virtual de apoyo para la crianza de los hijos y darnos una mano.

Presentada por los miembros de la comunidad Cassandra Starks y Megan King McCormick, la serie titulada *New Parents and Hemophilia* (Padres primerizos y la hemofilia) consistió de cuatro sesiones que se llevaron a cabo de junio a noviembre. Cada sesión comenzó con actividades para romper el hielo y discusiones guiadas por Cassandra y Megan. A continuación, hubo una presentación que culminó con más conversaciones, compañerismo y apoyo.

Gracias al generoso patrocinio de Sanofi, estas sesiones contaron con presentaciones expertas de la Dra. Mina D. Nguyen-Driver, profesora del Departamento de Pediatría de la Universidad de Arkansas para Ciencias Médicas. Basándose en su experiencia en la atención de la hemofilia y la salud mental dentro de la comunidad, la Dra. Mina elaboró una serie integral de cuatro partes que cubre varios aspectos de la crianza de un niño con hemofilia B. Desde hacer frente a un diagnóstico hasta abogar por su hijo, la gestión de citas médicas e infusiones, y el establecimiento de una red de apoyo entre otros padres de niños con hemofilia, los asistentes obtuvieron valiosas

ideas y estrategias de la Dra. Mina a lo largo de la serie. Cada sesión concluyó con un segmento de preguntas y respuestas donde los padres pudieron compartir sus historias y buscar consejos relacionados con el tema.

Después de las presentaciones de los expertos, los miembros de la comunidad participaron en una reunión de compañerismo facilitada por los anfitriones. Cassandra y Megan, con ocho hijos entre ellas y una amplia experiencia en el tratamiento de la hemofilia, compartieron su sabiduría y experiencias durante estas sesiones. Sus conversaciones, llenas de historias de luchas y éxitos, provocaron risas y lágrimas, creando un espacio seguro e inclusivo donde cada miembro de la comunidad se sintió reconocido, comprendido y apoyado, a pesar del entorno virtual. A través de su orientación, los asistentes no solo obtuvieron información sobre la crianza de un niño con hemofilia, sino que también forjaron nuevas amistades dentro de la comunidad.

Los comentarios de los participantes lo dicen todo:

“¡Realmente valoré los eventos de Crianza virtual! Fue una manera fantástica de conectarse con otros padres que son nuevos en la comunidad de hemofilia B. Si bien las conversaciones con las familias que tienen hijos mayores brindan esperanza y una visión del futuro, conectarse con compañeros en una etapa similar resultó increíblemente beneficioso. Las sesiones temáticas nos permitieron centrar nuestras discusiones, ¡y la facilitación de la Dra. Mina fue excepcional!”

“Empoderar. Como madre con algo de experiencia, conocer a otros padres ha sido increíble”.

“Pasar tiempo con otros padres primerizos era exactamente lo que necesitaba. ¡Saber que otros están pasando por luchas similares me da la fuerza para enfrentar este desafiante trastorno!”

“¡Asistir a las reuniones de padres primerizos y hemofilia me ha hecho sentir menos sola y más comprendida que nunca! Conversar y conectarnos con padres que realmente entienden ha facilitado nuestro viaje hacia esta nueva fase. Estas reuniones me enseñaron a ser la mayor defensora de mis hijos. Estoy inmensamente agradecida con la Coalición por organizar estos eventos y por el conocimiento invaluable que he adquirido dentro de nuestra familia de hemofilia B”.

Virtual LOS PADRES PRIMERIZOS & LA HEMOFILIA B
SERIE DE REUNIONES DE APOYO A LOS PADRES

Como padre de un niño pequeño, recién nacido hasta los 4 años, lo invitamos a tomar una taza de té o café y unirse a los nuevos padres, conectarse con padres experimentados que han estado allí y construir su sólida aldea de apoyo.

Colaboración con propósito

¡Katy Haigood Está Llegando a la Cima y Elevándose a Nuevas Alturas!

POR SHELLY FISHER

Katy Haigood es una persona única, y no solo porque es una mujer con hemofilia. También es esposa, madre y empresaria con un próspero negocio. Lo único más contagioso que su sonrisa es su risa. Ella es el tipo de persona que quieres tener contigo en el hospital cuando tienes programada una cirugía, y eso es justo lo que estaba haciendo cuando la visitamos. Cuando le pregunté si necesitábamos reprogramar, escuché una voz alegre fuera de la pantalla que decía: “¡Estoy bien!”. En ese momento, Katy y su mejor amiga preoperatoria estallaron en risas de colegiala, y si no hubiera sido por el médico y las enfermeras que entraban y salían de la habitación, habría pensado que se había acercado directamente desde una fiesta de pijamas. No es ajena a los hospitales. Su actitud tranquila y su humor comprensivo desmienten el hecho de que ha estado en el lado mutuo de algunas cirugías difíciles y largas recuperaciones.

Cuando le pregunté a Katy sobre su diagnóstico, su rostro adquirió la mirada decidida de alguien que había peleado unas cuantas rondas y ha salido triunfante. Antecedentes familiares, años de hemorragias no diagnosticadas que requirieron operaciones de emergencia, incluida una hemorragia después del nacimiento de su hija, y hematomas internos después de cirugías necesarias para reducir el riesgo debido a resultados positivos en las pruebas del gen BRCA1, llevaron a Katy a presionar para

obtener un diagnóstico. No se sorprendió cuando su hematólogo le dijo que estaba “bien”. Después de todo, “los médicos realmente no toman en serio a las mujeres en temas de hemofilia”. La joven madre y dueña de un negocio perseveró, fue oficialmente diagnosticada y recibió infusiones



antes y después de su cirugía final. Esto resultó en menos dolor y tiempos de recuperación sustancialmente más cortos. Finalmente, tenía una respuesta a todas sus preguntas y la confirmación de lo que instintivamente sabía que era el problema desde el principio.

Katy atribuyó gran parte de su capacidad para “superarlo todo” a su sistema de apoyo compuesto por su padre, su madrastra, su esposo, sus hijos y comunidades como la Coalition for Hemophilia B. Su padre y muchos de sus muchos primos varones fueron diagnosticados con hemofilia B y es gracias a ellos reconoció sus síntomas desde el principio y pudo resolver sus problemas de salud. Su padre ha sido miembro de la Coalition for Hemophilia B durante años y Katy estaba emocionada de asistir al Simposio con él el pasado mes de marzo. De hecho, ella y su familia, junto con su madrastra y su padre, fueron a Orlando unos días antes. “Pescamos en alta mar y fuimos a Universal Studios: mi hija finalmente era lo suficientemente alta como para subirse a algunas de las atracciones para niños grandes”.

Su devoción por Lisa, de ocho años, fue evidente cuando



habló sobre el impacto que el Simposio tuvo en toda su familia. “A Lisa le encantó estar allí”, y la Coalición les dio la oportunidad de conocer a familias que enfrentan problemas similares, la confirmación de que Katy era más que un diagnóstico y la garantía de que no estaba sola en su camino. “Fue agradable no sentir que era la única que pasaba por estas cosas. Estaban enseñando a los niños a infundir; Estaban inyectando a sus padres y fue genial”.

Como empresaria, ha llegado a “elevarse por encima de todo” a un nivel completamente nuevo, y cuando le pregunté sobre su negocio familiar, Tower M&L Services, LLC., la cara de Katy se iluminó. Su orgullo por las habilidades de su esposo Aaron era obvio. “Mi esposo ha estado escalando durante 15 años y tenía sentido para nosotros comenzar nuestro propio negocio brindando servicios de iluminación a compañías celulares. Es muy bueno con los sistemas eléctricos de las torres, todas las operaciones y la gestión de nuestro equipo”. Katy compartió que ella maneja todos los aspectos contables y de recursos humanos, y luego quedó muy claro que es realmente una empresa familiar cuando explicó el nombre que eligieron. “Para nuestros clientes, M & L significa mantenimiento e iluminación, pero para nosotros, representa a nuestros hijos Max y Lisa”. Sus clientes los han llevado por todo el país, y recientemente visitaron Washington y California con planes de viajar a Maine y New Hampshire en las próximas semanas.

Después de superar tantos años de problemas inexplicables, a Katy nada le gustaría más que construir un legado para sus hijos y seguir empujando hacia nuevas alturas en todas las áreas de su vida. “Me gustaría que mi hijo estudiara la universidad con mi dinero y dejar un negocio próspero”. Después de perder a su madre a los 45 años, entiende lo importante que es hacer de la familia una prioridad, pero también advierte a las madres que cuiden su salud. “No te sientas culpable. Tómate el tiempo que necesites para ti”.

Incluso en su tiempo libre, Katy se las arregla para elevarse a nuevas alturas como aficionada de las montañas rusas. Su objetivo es visitar todos los parques temáticos de Six Flags en los EE. UU., Canadá y México. Pero, ¿cuántos hay? Hay 27, y tengo plena confianza en que Katy y su familia visitarán cada uno. “Incluso con todos los problemas que tengo, sigo saliendo victoriosa y viviendo la vida”. Gracias a su determinación y a un corazón tan grande como el estado que alberga el Six Flags Over Texas original, el cielo es el límite para Katy Haigood y su familia.





SEGUROS DE SALUD

POR ELLEN KACHALSKY, LMSW, ACSW, CCM

Si está trabajando, es posible que tenga un seguro comercial a través de su empleador. Si es así, es probable que tenga un deducible anual antes de la cobertura, con copagos, inicios y un desembolso máximo. Si cumple con eso, debe pagar \$ 0 después de alcanzar ese máximo.

Si no tiene seguro a través de su empleador, puede comunicarse con www.healthcare.gov para ver si puede obtener un plan de salud de la "Ley de Cuidado de Salud a Bajo Precio" (también conocido como Marketplace Plan). La inscripción abierta para cada año es del 1 de noviembre al 15 de diciembre, para que los planes entren en vigencia el 1 de enero. También puede haber otros momentos en los que pueda inscribirse. Para obtener información adicional, puede llamarlos al 1-800-318-2596.

MEDICARE es el seguro de salud del gobierno federal porque usted trabajó al menos 10 años y pagó los impuestos de Medicare y FICA. Se inscribe a los 65 años de edad o si ha estado discapacitado y ha recibido Seguro Social por Discapacidad (SSDI) durante 24 meses. Aquí hay algunas cosas que necesita saber:

Medicare tiene varias partes:

Medicare Parte A = Atención hospitalaria para pacientes hospitalizados

- Prima mensual de \$0
- Deducible de \$1,600 para 2023, antes de que Medicare comience a pagar cuando esté hospitalizado

Medicare Parte B = Atención ambulatoria (cubre médicos, laboratorios, pruebas, terapia, etc. ¡Y FACTOR!)

- Prima mensual de \$154.90/mes en 2023 (el mínimo basado en los ingresos)
- Deducible anual \$226/año para 2023

Medicare Parte D = Plan de medicamentos recetados

- La prima mensual depende del plan que elijas - Deducible anual \$505/año
- Después de alcanzar el deducible, usted paga copagos por los medicamentos. Los copagos dependen del nivel en el que el proveedor del plan de medicamentos recetados coloque el medicamento. Es posible que algunas clases de medicamentos no estén cubiertos.

Dado que Medicare paga alrededor del 80% de los cargos, necesita cobertura adicional. Puede elegir ENTRE:

1.) UN PLAN SUPLEMENTARIO DE MEDICARE (MEDIGAP)

- La prima mensual depende del plan que elija. Los suplementos de Medicare se clasifican con letras de la A a la N, y cada plan designado con letras tiene características estándar mínimas que deben ser proporcionadas por la aseguradora. Por lo tanto, si tiene un plan G, todas las compañías, como Blue Cross, Aetna, United Healthcare, etc., deben proporcionar los mismos beneficios. Estos planes pueden ayudar a pagar algunos o todos los deducibles mencionados anteriormente.

Consulte la tabla en la página siguiente a continuación para obtener más información sobre las características de cobertura que deben tener estos planes.

2.) UN PLAN MEDICARE ADVANTAGE

(también llamada Parte C de Medicare). Hay una prima mensual para estos, pero se acumulan las partes A, B y D junto con un suplemento.

La prima mensual depende del plan que elijas. Estos planes incluyen Medicare Plus Blue, Aetna Medicare Advantage o cualquier plan que esté disponible en su estado. Es posible que ya haya comenzado a recibir correo de muchos de estos planes. Estos planes pueden ofrecer algunos servicios adicionales y pueden limitar sus gastos de bolsillo, pero pueden limitar su elección de proveedores de atención médica a ciertas redes y hospitales, específicos de su estado, aunque hay algunos planes nacionales.

También es posible que le exijan que utilice una farmacia especializada específica para obtener su factor y los medicamentos de mantenimiento. Asegúrate de que tu HTC esté conectado a la red. Si tiene Medicare y otro seguro, tal vez a través de un cónyuge que todavía esté trabajando, o si todavía está trabajando, o si tiene un seguro de atención médica como parte de un beneficio para jubilados, existen reglas sobre qué plan paga primero. En ese caso, si su otro seguro tiene una cobertura de medicamentos recetados que es mejor que la de la Parte D de Medicare, puede optar por no inscribirse en la Parte D.

Si está trabajando, su seguro médico a través de su empleador paga primero. Para determinar qué cobertura viene primero y cómo el seguro puede trabajar en conjunto en su situación, llame al Centro de Coordinación y Recuperación de Beneficios al 1-855-798-2627.

Una vez que esté en Medicare, hay un período de

inscripción abierta cada 15 de octubre hasta el 7 de diciembre para el próximo año. Puede comparar planes y luego decidir permanecer con el mismo plan complementario y plan de medicamentos recetados o cambiar sus planes.

Para obtener ayuda, comuníquese con su trabajador social o asesor financiero de HTC, capítulos y organizaciones de trastornos hemorrágicos. También puede llamar al Programa de Asistencia de Medicaid de Medicare (MMAP, por sus siglas en inglés) a su Agencia de Área para el Envejecimiento local, al teléfono 800-803-7174; Ellos pueden a guiarle. Otro recurso es www.eHealthInsurance.com, un servicio gratuito para ayudar a buscar, comparar y comprar cobertura. El número de teléfono es 855-809-6114.

Algunas cosas para recordar:

Presupueste los costos de Medicare y el suplemento, incluidos los deducibles y copagos anuales. Averigüe si sus ingresos más bajos pueden calificar para recibir ayuda con algunas o todas las primas, deducibles, coseguros y copagos de las Partes A y B bajo los Programas de Ahorro de Medicare (segmentos SLMB, QMB o QI).

Comuníquese con su oficina local de Medicaid o con el programa estatal de asistencia de seguro de salud (SHIP, por sus siglas en inglés) en el sitio de Internet www.shiptacenter.org. También puede calificar para “Ayuda adicional con medicamentos recetados” para los planes de medicamentos recetados de la Parte D, según los ingresos y los activos.


Para obtener más información, llame al 1-800-772-1213 o presente su solicitud en línea en: Solicite el programa de Ayuda Adicional de la Parte D de Medicare | SSA

Para obtener más información, llame al 1-800-772-1213 o presente su solicitud en línea en: Solicite el programa de Ayuda Adicional de la Parte D de Medicare | SSA:

[Apply for Medicare Part D Extra Help program | SSA](#)

(Véanse los gráficos en las dos páginas siguientes).

If your income is very low, you may qualify for Medicaid through your state, and this will be your secondary/ supplemental insurance. Again, check if your HTC and doctors are in network if you are told to choose a Medicare Managed Care Plan for dual enrollment.

 PLANES ESTANDARIZADOS DE MEDICARE SUPPLEMENT (MEDI GAP), VIGENTES DESPUÉS DE ENE. 1, 2023												
★ = LA PÓLIZA CUBRE EL 100% DEL BENEFICIO % = LA PÓLIZA CUBRE ESE PORCENTAJE EN BLANCO = LA PÓLIZA NO CUBRE ESE BENEFICIO												
BENEFICIOS	PLANES SUPLEMENTARIOS DE MEDICARE (MEDI GAP)											
	A	B	C ¹	D	F ²	HD-F ³	G	HD-G ¹	K	L	M	N ³
El coseguro de la Parte A de Medicare cuesta hospitalariamente hasta 365 días adicionales después de que se agoten los beneficios de Medicare.	★	★	★	★	★	★	★	★	★	★	★	★
Coseguro o copago de la Parte B de Medicare	★	★	★	★	★	★	★	★	50%	75%	★	★
Sangre (Primeras 3 pintas)	★	★	★	★	★	★	★	★	50%	75%	★	★
Coseguro o copago de cuidados paliativos de la Parte A	★	★	★	★	★	★	★	★	50%	75%	★	★
Coseguro de atención en centros de enfermería especializada			★	★	★	★	★	★	50%	75%	★	★
Deducible de la Parte A de Medicare: \$1,600		★	★	★	★	★	★	★	50%	75%	50%	★
Deducible de la Parte B de Medicare: \$226			★		★	★						
Cargos en exceso de la Parte B de Medicare					★	★	★	★				
Emergencia de viaje al extranjero (hasta el límite del plan)			★	★	★	★	★	★			★	★
Coseguro de la Parte B de Medicare Preventive Care	★	★	★	★	★	★	★	★	★	★	★	★
LÍMITE DE GASTOS DE BOLSILLO⁴												
\$6,940 \$3,470												

ANOTACIONES:

- 1) Plans F & G ofrece un plan con deducible alto. Si elige esta opción, esto significa que debe pagar los costos de cobertura de Medicare hasta el deducible de \$2,700 (2023) antes de que su plan Medigap pague algo.
- 2) Después de que alcance su límite de gastos de bolsillo y su deducible anual de la Parte B (\$226 en 2023), el plan 3Medigap paga el 100% de los servicios cubiertos durante el resto del año calendario.
- 3) El Plan N paga el 100% del coseguro de la Parte B, excepto un copago de hasta \$20 para algunas visitas al consultorio y un copago de hasta \$50 para las visitas a la sala de emergencias que no resultan en una admisión como paciente hospitalizado.
- 4) El plan F, el plan F con deducible alto y el plan C SOLO están disponibles para aquellos que se consideraban elegibles para Medicare antes de 2020.

Pautas de elegibilidad financiera del Programa de Ahorros de Medicare

Para calificar para un Programa de Ahorros de Medicare (MSP, por sus siglas en inglés), debe cumplir con los límites de ingresos y activos de su estado. A continuación, se enumeran los límites federales de ingresos y activos de referencia para cada MSP. La mayoría de los estados usan estos límites, pero algunos estados tienen pautas diferentes. Por ejemplo, Alaska, Connecticut, el Distrito de Columbia (DC), Hawái y Maine tienen límites de ingresos más altos. Alabama, Arizona, Connecticut, Delaware, DC, Mississippi, Nueva York y Vermont no aplican límites de activos.

Estándares de elegibilidad de MSP 2023*

Beneficiario calificado de Medicare (QMB)

Límites de ingresos brutos mensuales: 100% del Nivel Federal de Pobreza, o FPL, + \$20**

La mayoría de los estados:

\$1,235 - Individual \$ 1,663 - Pareja

Límites de activos:

\$9,090 - Individual \$13,630 - Pareja

Beneficiario Específico de Medicare de Bajos Ingresos (SLMB, por sus siglas en inglés)

Límites de ingresos brutos mensuales: 120% FPL + \$20

La mayoría de los estados:

\$1,478 - Individual \$ 1,992 - Pareja

Límites de activos:

\$9,090 - Individual \$13,630 - Pareja

Individuo Calificado (QI)

Límites de ingresos brutos mensuales: 135% FPL + \$20

La mayoría de los estados:

\$1,660 - Individual \$ 2,239 - Pareja

Límites de activos:

\$9,090 - Individual \$13,630 - Pareja

*Los límites de ingresos, que se basan en el FPL, cambian cada año. Por lo general, los nuevos límites se publican en enero o febrero y entran en vigencia el 1 de enero.

**Los montos enumerados anteriormente incluyen una exención de ingresos estándar de \$20. Su estado también puede ignorar otros ingresos. Comuníquese con su oficina local de Medicaid o con el Programa Estatal de Asistencia de Seguro de Salud (SHIP, por sus siglas en inglés) para obtener pautas e información específicas del estado. Visite www.shiptacenter.org o llame al 877-839-2675 para localizar su SHIP.

Consulte la página siguiente para obtener información sobre los ingresos y las exenciones de activos aplicables en todos los estados.

Ingresos y activos que no se tienen en cuenta

Si sus ingresos parecen estar por encima de las pautas de ingresos y activos del Programa de Ahorros de Medicare en su estado, aún debe presentar una solicitud. Esto se debe a que aún puede calificar para un MSP porque es posible que ciertos ingresos y activos no se cuenten al determinar su elegibilidad.

En todos los estados, no se cuentan los siguientes ingresos:

- Los primeros \$20 de sus ingresos mensuales
- Los primeros \$65 de su salario mensual
- La mitad de su salario mensual (después de deducir los \$65)
- Cupones de alimentos (apoyo del Programa de Asistencia Nutricional Suplementaria (SNAP))

Algunos estados excluyen una mayor parte de sus ingresos mensuales que los ejemplos enumerados anteriormente.

En todos los estados, los siguientes activos no se cuentan:

- Su casa principal
- Un automóvil
- Artículos para el hogar y anillos de boda/ compromiso
- Espacios de entierro
- Fondos de entierro de hasta \$1,500 por persona
- Seguro de vida con un valor en efectivo de menos de \$1,500

Recuerde que la forma en que se cuentan sus ingresos y activos para determinar la elegibilidad varía de un estado a otro. Llame a su oficina local de Medicaid o a SHIP ([visite www.shiptacenter.org](http://www.shiptacenter.org)) para averiguar si es elegible para un MSP en su estado.

EL SEGURO DE SALUD FAMILIAR YA NO ES ASEQUIBLE A TRAVÉS DE PEQUEÑOS EMPLEADORES

POR GLENN MONES

En un artículo sobre su 25ª encuesta anual de beneficios de salud para empleadores, Drew Altman de KFF-Kaiser Family Foundation sugiere que “los pequeños empleadores ya no ofrecen cobertura asequible para los trabajadores con familias”. Altman apoya esta afirmación haciendo referencia a una amplia gama de datos de la encuesta. Por ejemplo, los empleados que trabajan en pequeñas empresas, definidas como aquellas con menos de doscientos empleados, tendrían que pagar un promedio de \$8,334 al año por primas de cobertura familiar.

Además, una cuarta parte de los trabajadores cubiertos en pequeñas empresas deben desembolsar \$12,000 o más cada año para inscribirse en la cobertura familiar. Altman ilustra además que “lo que los trabajadores pagan por los deducibles u otros gastos de bolsillo” tiende a ser

notablemente más altos en las pequeñas empresas. La conclusión de Altman es clara: “Para muchos de los casi 50 millones de personas empleadas por los 3,2 millones de empresas más pequeñas de Estados Unidos, la cobertura familiar ya no está al alcance de la mano”.

Para leer el artículo completo de Altman, véalo en el sitio web de KFF en <https://www.kff.org/health-costs/perspective/family-health-insurance-is-no-longer-affordable-through-small-employers/>



THE COALITION FOR
HEMOPHILIA 

EL CENTRO DE EDUCACIÓN B

El Centro Comunitario y Biblioteca de Recursos

A través de una amplia gama de recursos y apoyo, CHB se compromete a mejorar la alfabetización en salud, promover el bienestar mental y físico, y garantizar un enfoque holístico para la atención de la comunidad de hemofilia B. La educación es nuestra mejor herramienta y juntos podemos hacer una gran diferencia en la vida de las personas de los miembros de nuestra comunidad.



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



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



SHANNON L. ALDER

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

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

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



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

VISITE NUESTROS SITIOS DE INTERNET:

Sitio oficial: www.hemob.org

Facebook: www.facebook.com/HemophiliaB/

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

Instagram: www.instagram.com/coalitionforhemophiliab

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



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

CIBERACOSO Y REDES SOCIALES PARTE II: HERRAMIENTAS DE EMPODERAMIENTO PARA PADRES

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

“Tuve la oportunidad de escribir un artículo para el boletín de verano de 2023 de la Coalition titulado *“Ciberacoso y redes sociales: una tendencia preocupante”*. En ese artículo, describí las estadísticas actuales que pintan un panorama impactante con respecto a los problemas relacionados con el acoso cibernético, las repercusiones de estos problemas y consejos, así como los recursos que se pueden implementar de inmediato para proteger mejor a nuestros jóvenes contra esta creciente epidemia. Después de su publicación, los líderes de la Coalition recomendaron que se escribiera un artículo de seguimiento como complemento y extensión del primero para explorar más a fondo lo que los padres pueden hacer para empoderar a sus jóvenes CUANDO se encuentran con el acoso cibernético. Padres y tutores, exploremos dos principios empoderadores que pueden brindarnos las herramientas necesarias para combatir mejor el acoso cibernético.

Idea Empoderadora #1 – Seguir el Principio de “Profilación”

Para explorar cómo aprender la mejor manera de vencer cualquier fuerza opuesta, aprendamos de una práctica que es muy familiar en la comunidad de trastornos hemorrágicos: la profilaxis o “profilaxia”. Prophy tiene que ver con la prevención de episodios de sangrado para que se puedan evitar daños a largo plazo en nuestras preciosas articulaciones y otras áreas vulnerables. Sí, tiene el costo de los pinchazos de aguja regulares, pero los beneficios de una mejor salud y protección a menudo siempre superan las cargas.

Comparemos este principio con una guerra. En las batallas, la victoria no solo se consigue resistiendo los golpes o adoptando continuamente una postura defensiva. También se necesita una estrategia ofensiva. Infligir golpes críticos contra el enemigo promueve debilitar y desmoralizar a las tropas hasta que se asegure la rendición. La siguiente cita del general George Washington es instructiva: *“Haga creer [a las tropas] que las operaciones ofensivas son a menudo el medio de defensa más seguro, si no el único”*. En otras palabras, como se repite a menudo en el deporte, *“La mejor defensa es un buen ataque”*. Por lo tanto, la profilaxis es una estrategia ofensiva que podemos usar para mantener nuestros cuerpos sanos y protegidos.

Ahora, usemos este principio de profilaxis basada en la ofensiva en relación con la protección de nuestros jóvenes del acoso cibernético. Los siguientes puntos abarcan algunas de las estrategias más poderosas y ofensivas que infligen los golpes críticos necesarios para proteger a nuestra juventud:

- Antes de que nuestros hijos tengan la edad suficiente para descubrir o utilizar las redes sociales, crear una cultura basada en el hogar donde su bondad se refuerce continuamente al notar y dar cumplidos genuinos, acentuar lo positivo y desarrollar su sentido de confianza reforzando continuamente con una actitud positiva. La *pièce de résistance* de los padres en la crianza de los hijos es colmar a sus hijos de una confianza genuina para que, cuando se encuentren con el ciberacoso, tengan una base más firme de la que extraer y aumentar su resiliencia cuando ocurran tales ataques. No se preocupe si un niño es mayor o ya está expuesto al lado



oscuro de las redes sociales. Si bien ayer es el mejor momento para plantar un árbol, el segundo mejor momento es ahora. La creación de una cultura de este tipo requiere que los padres ejerzan un mayor grado de paciencia y conciencia de las actividades de sus hijos, lo que puede resultar difícil al principio, pero las recompensas pueden ser impresionantes. Si aún no lo ha practicado, comienza ahora a aprender las alegrías de plantar las semillas mágicas que se convierten en una mayor autoestima y confianza en sí mismos para los niños.

- Proteger a nuestros jóvenes a través de la educación es otra forma poderosa de promover una estrategia ofensiva contra el acoso cibernético. Exponer los peligros de la actividad en línea abre la puerta a establecer confianza con los niños. Sin embargo, la educación no siempre se presenta en forma de delineación de peligros. Y lo que es más importante, la educación también ayuda a empoderar a los niños para que sepan qué hacer cuando se enfrentan al ciberacoso, como hablar con los padres o con un adulto de confianza sobre lo que han experimentado. Nuestros hijos tienen más confianza en sí mismos y es más probable que confíen en nosotros debido a la cultura afirmativa establecida y a las palabras y acciones empoderadoras del pasado que hemos depositado en sus mentes fértiles.
- Si los niños vienen a discutir los problemas que han encontrado en línea, sepa que hacerlo puede ser muy difícil para ellos, ya que pueden estar experimentando vergüenza en función de lo que han experimentado.

Los padres que refuerzan su amor, reiteran el orgullo de haber dado a conocer el problema y promueven el mensaje de que se mantendrán a salvo son momentos de crianza poderosos que a menudo fortalecen el vínculo soldado entre padres e hijos. Enfatizar regularmente la bondad del niño que construye la autoestima y la confianza en sí mismo envía un mensaje hermoso y afirmativo; preservando y alimentando así sus poderosas identidades.

Idea Empoderadora #2 – Defender la Fortaleza

Aunque sigue habiendo mucho bien a nuestro alrededor, no es ni mucho menos un principio extraño que el mundo en el que vivimos ahora también esté lleno de peligros. Tales peligros a menudo se presentan en muchas formas y usan diferentes disfraces, lo que a menudo dificulta el discernimiento de sus verdaderos deseos e intenciones. Lo que puede parecer inofensivo e incluso común, puede actuar como el proverbial lobo con piel de cordero. Todo parece ir bien hasta que el lobo muestra los dientes. Como advierte el poeta Alexander Pope:

El vicio es un monstruo de tan espantoso semblante que para ser odiado no hay más que verlo;

Sin embargo, visto con demasiada frecuencia, familiarizando con su rostro,

Primero lo soportamos, luego nos compadecemos y luego lo acogemos.

Con tales peligros acechando para atrapar a nuestros hijos, se deben erigir áreas de defensa y seguridad para contrarrestar estas influencias. Desgraciadamente, incluso el más reforzado de esos lugares todavía tiene sus grietas y fisuras. La solución no es asfixiar, distraer o impedir que nuestros hijos experimenten la vida; de hecho, estas acciones tienen lo que yo llamo el efecto Rapunzel, donde nuestros hijos comienzan a rebelarse, se estancan en su desarrollo y, finalmente, se resienten con sus “captosres”. La protección no es blanco o negro, es adoptar un enfoque equilibrado en el que se permiten los errores, pero se aprende de ellos, existe contención, pero se resuelve, y la vergüenza se experimenta, pero se consuela con ella.

Si bien el enfoque equilibrado es el más saludable, los padres siguen siendo los centinelas de lo que debería ser el lugar más seguro que un niño puede experimentar: el hogar. Incluso cuando los niños se aventuran fuera de casa, la influencia de sus padres se puede sentir mientras se enfrentan a un aluvión de mensajes y estímulos que a menudo van en contra de lo que se les ha enseñado. Cuando se trata de adoptar esta postura defensiva, tenga en cuenta estas estrategias para proteger a los niños del ciberacoso:

- Sea un ejemplo. El mayor aprendizaje que experimentan nuestros hijos a menudo proviene de sus padres. Están poderosamente formados y moldeados a partir de lo que ven y experimentan rutinariamente a una edad muy temprana y eso se deriva en gran medida de una fuente de observación de los padres. Sea el que lidere estableciendo el estándar. Esto significa tener cuidado de limitar las redes sociales y el tiempo frente a la pantalla. Como padres, podemos ajustar el termostato

en cuanto a lo que se debe esperar.

- Despida a la niñera electrónica. El tiempo frente a la pantalla ha reemplazado con demasiada frecuencia la conexión



humana; por lo tanto, disminuya la experiencia crítica y hermosa de la interacción, la vinculación y la obtención de vínculos saludables. Si bien un poco de tiempo frente a la pantalla puede ser apropiado, cualquier cosa que promueva comportamientos excesivos e indulgentes se volverá problemática. Encontrar oportunidades para investigar, planificar y ejecutar actividades que no involucren la pantalla es equivalente a comer saludablemente, hacer ejercicio y dormir lo suficiente. A medida que los padres construyen una cultura de equilibrio entre las actividades frente a la pantalla y las que no lo son, los niños no se sentirán tan tentados a depender del Internet para llenar su vacío social y de entretenimiento; limitando así el impacto potencial del ciberacoso.

- Seguir la línea de las redes sociales. Es interesante observar cómo muchas áreas potencialmente peligrosas casi siempre están equipadas con barreras de entrada. Las barreras incluyen cerraduras, portones, cercas, alarmas, contraseñas, personal de seguridad, alambre de púas, entre muchos otros medios comunes para bloquear y proteger el acceso. Sin embargo, cuando se trata de redes sociales, la mayoría de los sitios permiten que niños de tan solo 13 años (y a menudo mucho más pequeños) accedan a un mundo lleno de peligros donde no todo es siempre lo que parece. Los padres deben asumir el papel de centinelas para protegerse contra estos peligros siguiendo la línea de las redes sociales. No asuma que estos sitios protegerán al usuario. Los padres deben asumir la responsabilidad de decidir qué tan poco y cuánto se usan las redes sociales, cuándo se debe dar dicho acceso, el grado de control parental que se implementa y otras tareas y decisiones importantes.

Este artículo puede ser visto como una postura dura contra las redes sociales y que el autor puede incluso tener un fuerte sesgo y prejuicio contra dichos sitios. Como científico social, también se han descubierto pruebas que muestran que las redes sociales, cuando se utilizan correctamente, también son un medio positivo para hacer y mantener conexiones importantes y difundir la bondad en todo el mundo. Desafortunadamente, con cada cosa buena viene su vicio y uno de estos vicios viene en forma de acoso cibernético. Espero que este artículo haya ayudado a educar a los padres sobre el problema y que las soluciones presentadas en este documento hayan proporcionado elementos para la reflexión. Cuando todo esté dicho y hecho al final, espero que colectivamente hagamos todo lo que esté a nuestro alcance para preservar y proteger el mayor de todos los recursos: nuestros preciosos hijos”.

¡ERA KAHOOT!

POR ROCKY WILLIAMS

¡Iluminamos la escena virtual con dos espectaculares noches de juegos familiares el 10 de octubre y el 14 de noviembre! Estos emocionantes eventos, hechos a medida para nuestros preadolescentes de 6 a 12 años, nos dejaron boquiabiertos con momentos inolvidables.

Cada evento comenzó con una explosión de energía mientras nos sumergíamos en el mundo de Kahoot. Nuestros preadolescentes se enfrentaron en batallas de trivia divertidos que abarcaban dibujos animados, citas de películas, superhéroes y toda una mezcla de trivialidades para niños. ¡Pero eso fue solo el comienzo! La edición de emojis de "Which Movie Is It" hizo que todos decodificaran los títulos de las películas con emojis, creando un torbellino de risas y bromas amistosas.

Creamos segmentos especiales para los entusiastas de Marvel y Star Wars, preparando el escenario para animadas discusiones sobre personajes y películas favoritas. ¡El personaje favorito de mi hija es Baby Yoda! ¿Cuál es el tuyo? También ama a Spiderman, o debería decir, ¡Spidey! ¿Cuántos de ustedes han visto Spidey y sus increíbles amigos?

Las noches de juegos para preadolescentes fueron una excelente manera para que los niños se vieran y se conectaran. Cada noche se transforma en un espacio inmersivo para pasiones compartidas, destacadas por caprichosas charlas familiares, como el eterno debate de elegir entre un dragón o un unicornio como mascota, o



decidir si vivir en Disney World o tener un parque acuático en su patio trasero.

A medida que se desarrollaba cada evento, nuestras conversaciones evolucionaban y cada noche se volvía más y más divertida. ¿Qué harías con mil millones de dólares? Si trabajaras en el zoológico, ¿cuál sería tu vocación? Estas preguntas que invitan a la reflexión provocaron respuestas creativas, agregando una capa adicional de magia a nuestras reuniones virtuales.

Pero espera, ¡hay más emoción en el horizonte! Llevaremos nuestras noches de juegos a toda la familia en enero. Únase a nosotros el jueves 11 de enero para nuestra próxima noche de juegos. También organizaremos una noche de juegos en español el jueves 18 de enero. ¡Va a ser una maravilla! ¡No puedo esperar a verlos a todos allí!

¿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?

AIDEN – ¡UN VENCEDOR Y UN VERDADERO LÍDER DENTRO Y FUERA DEL CAMPO!

POR SHELLY FISHER

Me reuní con Aiden en medio de una temporada de fútbol americano de interés periodístico, y después de una entrevista con Danny Chinos de *"Nobody Cares Sports"*. Como capitán de un equipo de fútbol juvenil, este estudiante de último año no solo tenía las jugadas en el campo, sino que también tiene la sabiduría de alguien mucho mayor de 17 años. Cuando vi el clip de su conversión de 2 puntos que le dio la victoria a su equipo, me impresionó aún más su entrevista después del partido. Hablaba con gracia, humildad y sentido del humor.

Era igual de modesto en persona mientras hablaba conmigo sobre la importancia de pasar tiempo con la familia y los amigos, el fútbol, obtener su licencia de conducir y las dos cosas que más valoraba: la lealtad y el amor. Aunque llevaba la sudadera con capucha habitual típica de alguien de su edad, Aiden era cualquier cosa menos una persona típica.

No es de extrañar que la mayor parte de nuestro tiempo lo pasáramos hablando de amigos y familiares. Aiden me dijo que "mantiene su círculo pequeño" y que realmente valora a los que están en él. Habló con cariño de las dos semanas que pasó en Florida el verano pasado con unos primos a los que no ve mucho, y aunque fueron a la playa y a

algunos parques de trampolines, también disfrutó del tiempo que pasaron en la casa. El estudiante de último año le dio crédito a su familia por enseñarle a hacer "cosas difíciles y grandes", y dijo que sus padres lo criaron para ser quien es hoy.



El fútbol parecía traer mucho propósito y pasión a la vida de Aiden. Después de unirse al equipo universitario como estudiante de segundo año, me dijo que ahora era uno de los ocho estudiantes de último año. En la entrevista con *Nobody Cares Sports*, dio crédito a sus entrenadores por "dirigir las jugadas" y alentar al equipo durante toda la semana. Consideró que "llegarán lejos" esta temporada debido a la pasión que muestran por el juego.

La iglesia es una parte importante de la vida de Aiden y él y su familia van a la comunión todos los domingos por la mañana. Compartió que también disfruta del campamento para adolescentes en el verano.

¿Qué espera la estrella del equipo en este momento? ¡Conducir! Aunque aún no había tomado su examen de manejo, ya tenía los ojos puestos en el nuevo Nissan Altima de su madre, y pensaba que probablemente





podrían compartirlo. Parecía que a Aiden no le gustaba mucho tener que ir en transporte público a la escuela y a los partidos, pero compartió que montar en bicicleta con amigos lo hacía más divertido.

Diagnosticado al nacer, Aiden siempre supo que tenía hemofilia B. Después de sufrir múltiples lesiones, como una muñeca rota, esguinces, huesos fracturados y una lesión en la cabeza mientras jugaba al *laser tag* cuando era un niño pequeño, no es ajeno a las infusiones. Consideraba que su afección era un obstáculo a superar y tenía este consejo para cualquier persona recién diagnosticada con hemofilia B:

“No dejes que te limite en cuanto a lo que puedes hacer. Se pueden hacer muchas cosas. Tengo hemofilia. Juego al fútbol. Juego béisbol. Juego al fútbol americano. Es solo un obstáculo a superar”. La lealtad y el amor son dos de las cosas que más valora este deportista. Sentía que la lealtad era especialmente importante, “porque para ser leal necesitas confiar en algo, o necesitas confiar en los demás. Para confiar se necesita lealtad, y con lealtad, se necesita amor”. También agregó: “La lealtad es más fuerte que el amor porque el amor solo dura un tiempo.

La lealtad es para siempre en una relación porque es fuerte, como un lazo o una cadena”.

Aunque sus cursos de secundaria lo están preparando para un título técnico en electricidad, Aiden confió que últimamente ha estado pensando en entrenar como su padre. Basado en lo que está haciendo como capitán de su equipo, sus habilidades de comunicación y su empuje, parece una elección natural para su carrera.

Además de ser entrenador, el padre de Aiden también recibió el premio *Stanley Lifetime Achievement Award* por su extraordinario servicio de por vida, incluido su trabajo como voluntario en todo el país, su profesionalismo y su liderazgo en la comunidad de trastornos hemorrágicos. La Coalition for Hemophilia B está extremadamente agradecida por sus incansables esfuerzos y dedicación.

Está claro que Aiden tiene un alma vieja con altos estándares para su juego y la vida en general. Aunque estaba decidido a poner su escuela en el mapa, no estaba claro si esto se logrará, pero una cosa es segura... El impacto de Aiden en este mundo es seguro.



JAYDEN – ¡MONTANDO LA MONTAÑA RUSA DE LA VIDA Y AMANDO CADA MINUTO DE ELLA!

POR SHELLY FISHER

Jayden, un estudiante de 8° grado con una inclinación por la química, se tomó el tiempo para visitarme y hablar sobre la escuela, sus pasatiempos favoritos y su pasión por el trabajo voluntario. El dedicado “Swiftie”, también habló sobre su amor por la música y le dio un saludo especial a su madre y a alguien de la Coalition for Hemophilia B.



De la escuela, Jayden nos compartió que es un poco competitivo. Después de competir en todas las materias, su equipo académico llegó hasta el nivel del estado. Esto no es de extrañar para un aficionado a la química, cuyo elemento favorito es el magnesio porque le gustan los imanes.

Él es un “Swiftie” de corazón, este fanático de la música confesó que también ama a la artista Melanie Martínez y colecciona discos. Cuando no está escuchando sus canciones favoritas, sus pasatiempos también incluyen construir juegos de Lego. Una de sus construcciones más grandes hasta la fecha fue una réplica de la Estatua de la Libertad en celebración de su viaje a Nueva York para la Gala Anual de Premios de la Coalition.

Jayden siguió los pasos de su madre y disfruta del voluntariado, algo que es muy cercano y querido en su corazón. Estaba orgulloso de celebrar a su madre durante nuestra visita y me dijo que ella había recibido un premio por su voluntariado y que había hablado en un simposio.

Como miembro de la Wild Horse Gang, Jayden sirvió recogiendo basura en la carretera y llenó diecisiete cubos de 5 galones con tapas para la Casa Ronald McDonald el pasado mes de junio. También le gusta trabajar en el mostrador de



registro y ayudar con un stand de patrocinadores en el simposio.

Las montañas rusas ocupan un lugar especial en el corazón de Jayden, pero solo fueron el broche de oro de sus muchos viajes a Florida para asistir al Simposio de la Coalition for Hemophilia B.

Además de conocer gente nueva cada año, Jayden dijo: "Tienes la oportunidad de aprender sobre cosas que no mucha gente te enseñaría". Una persona en particular impresionó a Jayden: el propio Rocky Williams de la coalición. "Es muy simpático y divertido. Nos llevamos bien después de conocernos en el simposio", dijo Jayden con una sonrisa.

Cuando se le preguntó qué dirían sus amigos sobre él, Jayden pensó que podrían decir que era gracioso. Su madre agregó: "Apoya mucho a sus amigos y familiares", y Jayden estuvo de acuerdo al llamarse a sí mismo el "amigo terapeuta".

No fue hasta que tuvo alrededor de cuatro años de edad que tuvo un problema después de que le extirparan las amígdalas. Después de que su pediatra le aconsejara que comiera pedacitos de pollo para eliminar una costra en la parte posterior de la garganta, comenzó a sangrar profusamente.

Después de tres días de hospital y un nivel de hemoglobina muy preocupante, se determinó que tenía hemofilia B y enfermedad de von Willebrand. Aunque su pediatra le aseguró a su madre que esto había sido un "encuentro casual", un otorrinolaringólogo afortunadamente remitió a Jayden al Centro Jimmy Everest en Oklahoma.

¿Qué consejo les daría a otras personas diagnosticadas con hemofilia B? "No te asustes por eso". Jayden dijo que vive de acuerdo con la canción de Taylor Swift, "Are You Ready for It?" porque "la vida es una locura, así que hay que prepararse para ella". Sabias palabras para que todos las apliquemos en nuestra vida, Jayden.



NOCHE VIRTUAL DE ADOLESCENTES – JUEGO DE GUESSPIONAGE

POR MUHAMMAD IFTIKHAR

Rocky y yo iniciamos el evento para adolescentes el jueves 2 de noviembre por la noche con música de *Misión Imposible* lo que preparó el escenario para lo que fue una noche increíble. El tema del evento fue "Adivinar". Hicimos mucho de eso desde el principio. Tuvimos un rompehielos perfecto para aprender más el uno del otro. Empezamos la noche con dos verdades y una mentira.

Hablamos de los disfraces que lucimos para Halloween. Compartimos nuestros talentos musicales y los instrumentos que tocamos. También descubrimos que algunos de nosotros tenemos muchos, muchos gatos en casa. Y nos enteramos de que uno de nosotros solía tener el pelo azul. ¡Qué genial!

Después de eso, el terapeuta familiar licenciado Matt Barkdull hizo un excelente trabajo dirigiendo una sesión de charla. Nos divertimos mucho hablando de compartir cómo celebrábamos el Halloween. Temas como lo que todos habían hecho en Halloween iniciaron la conversación y llevaron a temas más profundos entre los adolescentes, como la aversión por Twix y el cuestionamiento de qué rayos son los frijoles horneados de Boston. (El dulce favorito de Rocky).

Después, jugamos al juego de preguntas: Are You Smarter Than Your Hemophilia B. Aprendimos sobre los niveles de factores, los antecedentes de hemofilia y cómo participar en el CHB. También aprendimos sobre la abogacía, discutimos cómo todos podemos ser buenos defensores y aprendimos más formas de abogar por nosotros mismos.

Finalmente, comenzó el evento principal de la noche. Guesspionage es un juego en el que adivinas el porcentaje correcto que se correlaciona con un hecho. Por ejemplo, una de las preguntas que puedes encontrar en el juego es: "¿Qué porcentaje de personas han hecho un hoyo en uno en un juego de minigolf?" A partir de ahí, el adivinador intenta llegar al porcentaje correcto, y todos los demás pueden adivinar si piensan que el porcentaje correcto es mayor o menor. Todos aprendimos mucho sobre los demás a través de historias compartidas y, al mismo tiempo, nos divertimos mucho.

Gracias, Medexus, por patrocinar nuestro evento. Fue genial pasar tiempo con los otros adolescentes. ¡Aprendimos mucho y lo pasamos genial!

EVENTO VIRTUAL PARA
ADOLESCENTES CON MUHAMMAD

DE 13 A 19 AÑOS

GUESSPIONAGE

¡Ven a pasar el rato con otros adolescentes para disfrutar de una increíble noche de diversión!

Partnership with Purpose

THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

MEDEXUS PHARMA

COMENTARIOS:

"Creo que el evento fue divertido. Muhammad escuchó lo que teníamos que decir y se involucró mucho".

"¡El evento estuvo bien planeado! Los oradores fueron muy atractivos, y es una gran oportunidad para unir a la comunidad".

"Llegamos a conocernos mejor mientras pasábamos el rato y hablábamos de que teníamos talento".

"Mi parte favorita fue hablar con todos y compartir cosas sobre nuestras vidas".

"Fue una experiencia increíble y una gran oportunidad para jugar un juego maravilloso juntos".

MEDEXUS
PHARMA



¡TODO EL MUNDO ESTÁ EN EL MISMO EQUIPO DE GETTIN' IN THE GAME CAMPEONATO NACIONAL JUVENIL!

POR SHELLY FISHER

Participantes de todo Estados Unidos se reunieron en Henderson, Nevada, del 6 al 8 de octubre de este año para el 21° Campeonato Nacional *Juvenil Anual Gettin' in the Game* (GIG), desarrollado por CSL Behring. Creado específicamente para niños de 7 a 18 años con trastornos hemorrágicos, el programa brinda oportunidades para competir en béisbol, baloncesto, golf o natación, y

participar tanto en sesiones de educación física como en reuniones de intercambio de información para las familias asistentes.

Este año, la Coalition for Hemophilia B (CHB, por sus siglas en inglés) seleccionó a dos ganadores entre las muchas propuestas esperanzadoras. El ensayo de Ben sobre el béisbol y el ensayo de Hannah sobre el golf les valieron a ambos un lugar en el JNC de este año, y la CHB no podría haber estado más feliz de que nos representaran en el evento anual.

Ben, segunda base y jardinero derecho de corazón, dijo que le gusta el lado complicado del béisbol porque requiere que piense rápido. Aprovechó la oportunidad de ir, y tan pronto como llegaron y se instalaron en su habitación, Ben fue a las clínicas y trabajó en su bateo, fildeo y lanzamiento con entrenadores que le dieron algunos consejos sobre su juego en general. Un punto culminante para el niño de 12 años fue aprender a lanzar una "bola rápida de dos costuras" que registró alrededor de 43 millas por hora y luego pudo firmar su pelota.

Ben anima a otros niños a enviar un ensayo para asistir al GIG. Aunque su recuerdo favorito de GIG es hacer amigos, no es ajeno a las lesiones deportivas y entiende bien la importancia de la pieza educativa. Después de romperse la nariz debido a que una pelota rebotó mal en el campo,





le da crédito a su madre por alentarlos a seguir jugando. Después de una rápida recuperación, terminó el juego de campeonato con su equipo, que ocupó el segundo lugar esa temporada. ¡Así se hace, Ben! También compartió que en el JNC de GIG, “puedes hacer nuevos amigos, mejorar tus habilidades en el béisbol o en cualquier deporte que estés practicando, y aprender más sobre tu trastorno hemorrágico”.

Con un recorrido de alrededor de 100 yardas, Hannah, de 11 años me dijo que le encanta el ritmo lento del golf y el hecho de que no tienes que ser bueno para divertirse

jugando con amigos y familiares. ¿Cómo empezó? Vio jugar a su padre y pensó que podría intentarlo. Después de jugar con los palos de golf de su padre, estaba feliz por conseguir algo de su propio tamaño, y el resto es historia. Compartió que su padre le da información sobre los palos que usa, pero ella tiene la última palabra y hace su propia selección antes de cada tiro. Hannah me dijo que le gusta disfrutar de una golosina con su padre después de cada ronda.

Hannah y su familia estaban en un evento de golf para la comunidad de hemofilia cuando alguien mencionó a *Gettin' in the Game*, y ella dijo que se interesó al instante y se puso a escribir su ensayo. Cuando se enteró de que había sido seleccionada, dijo que estaba “¡tan emocionada!” Su siguiente pensamiento fue: “¿Qué tan grande es este evento y cuánta gente va a estar allí?”

Después de que su familia llegó y se registró en su hotel, los llevaron al campo, donde Hannah practicó pitcheo, putt y conducción. Su recuerdo favorito de su tiempo en GIG es recibir ayuda de la entrenadora Betsy porque “era muy amable”. Su segunda cosa favorita fue la comida. “Comí seis magdalenas en un día”. Las damas gigantes y el Jenga también entraron en su lista de favoritos antes de disparar un 59 en su torneo de 9 hoyos. Hannah compartió: “Es agradable jugar con otros niños como yo con hemofilia e ignorar que podríamos lastimarnos fácilmente y simplemente jugar”.

Cuando se le preguntó si recomendaría *Gettin' in the Game* a otras personas, rápidamente respondió: “Sí, fue súper divertido. Allí, sabes que todos están en el mismo equipo con el objetivo de vivir una vida normal”.

¡Bien dicho, Hannah! ¡Acabas de hacer un hoyo en uno!

Nos gustaría dar las gracias a CSL Behring por hacer posible un evento tan poderoso e impactante.



CSL Behring

B inspired!

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

Otoño 2023

EN ESTE NÚMERO:

- CIBERACOSO Y REDES SOCIALES
PARTE II: HERRAMIENTAS DE
EMPODERAMIENTO PARA LOS PADRES
- ¡ERA KAHOOT!
- AIDEN – ¡UN VENCEDOR Y UN
VERDADERO LÍDER DENTRO Y FUERA
DEL CAMPO!
- JAYDEN – ¡SÚBETE A LA MONTAÑA RUSA
DE LA VIDA Y DISFRUTA CADA MINUTO
DE ELLA!
- NOCHE VIRTUAL DE ADOLESCENTES –
GUESSPIONAGE
- ¡TODO EL MUNDO ESTÁ EN EL MISMO
EQUIPO DE GETTIN' IN THE GAME
CAMPEONATO NACIONAL JUVENIL!



AIDEN –
¡UN VENCEDOR Y UN
VERDADERO LÍDER DENTRO Y
FUERA DEL CAMPO!



JAYDEN –
¡SÚBETE A LA MONTAÑA RUSA
DE LA VIDA Y DISFRUTA CADA
MINUTO DE ELLA!

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!

