

THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

VERANO 2023

HEMOPHILIA B NEWS

ORGANIZACIÓN NACIONAL SIN FINES DE LUCRO



EL MUNDO DEL
TRABAJO

PRODUCTOS ACTUALES
PARA LA HEMOFILIA B

EL OJO DEL HURACÁN

CONOCE AL TÍO STEVE, EL
TIPO MÁS AFORTUNADO
DEL LUGAR

ENCIAS SALUDABLES -
HILO DENTAL Y
COMUNICACIÓN

CONTENIDO

ARTÍCULO PRINCIPAL: TÍO STEVE: EL TIPO MÁS AFORTUNADO DEL LUGAR - PÁGINA 3

SALUD Y BIENESTAR

- DENTADURAS SALUDABLES: HILO DENTAL Y COMUNICACIÓN - PÁGINA 15
- NOTICIAS SOBRE HEMOFILIA - PÁGINA 17
- PRODUCTOS ACTUALES PARA EL TRATAMIENTO DE LA HEMOFILIA B - PÁGINA 19
- TERAPIAS EMERGENTES - PÁGINA 24

ABOGACÍA

- EL MUNDO DEL TRABAJO - PÁGINA 28
- LO QUE MUESTRAN LOS DATOS SOBRE LOS PROGRAMAS DE AJUSTE DEL ACUMULADOR DE COPAGOS - PÁGINA 29

MUJERES CON TRANSTORNOS HEMORRÁGICOS

- MENSAJES DESDE EL OJO DEL HURACÁN - PÁGINA 32

PRÓXIMOS EVENTOS

- SIMPOSIO DE LA COALICIÓN 2024 - PÁGINA 27
- EL PANORAMA DE LOS PRODUCTOS DE HEMOFILIA B - PÁGINA 34

RESUMEN DE EVENTOS

- PROYECTO ADOLESCENTE/MENTOR DE LA GENERACIÓN X - PÁGINA 5
- THE BEATS 2023 - PÁGINA 7
- LA GALA DEL PREMIO ETERNAL SPIRIT - PÁGINA 11
- CONFERENCIA SOBRE TRASTORNOS HEMORRÁGICOS DE TEXAS 2023 - PÁGINA 31
- CONFERENCIA DE LA FUNDACIÓN NACIONAL DE TRASTORNOS HEMORRÁGICOS 2023 - PÁGINA 31

B INSPIRED SECCIÓN PARA ADOLESCENTES

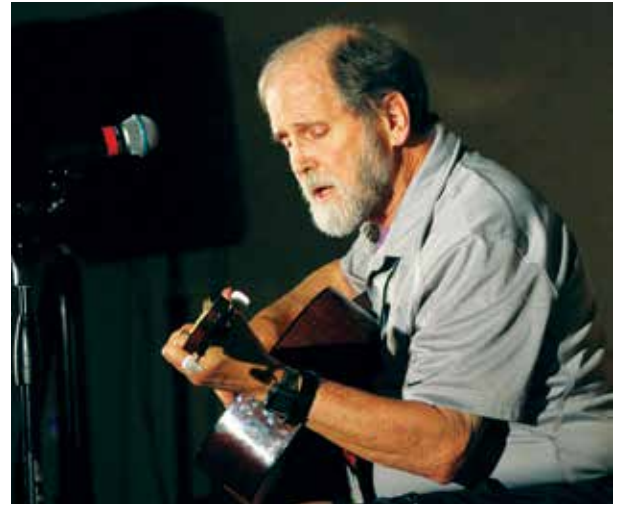
- LANDON: UN ADOLESCENTE CON MUCHOS TALENTOS - PAGE 35
- EL CIBERACOSO Y LAS REDES SOCIALES: UNA TENDENCIA PREOCUPANTE - PÁGINA 36
- VOLANDO ALTO CON CHASE - PÁGINA 38



MISIÓN

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

Tío Steve: EL TIPO MÁS AFORTUNADO DEL LUGAR



POR RENAE BAKER

Si alguna vez tienes algo de tiempo libre en un evento de la Coalición, busca a Steve Long (también conocido como "Tío Steve") y hazle una pregunta. Te mantendrá fascinado, entretenido e impresionado, y te dejará siendo un poco más inteligente. Steve me habla de su abuela paterna, Lita Lillian Larkin Long, una actriz irlandesa en la década de 1880, se casó con un graduado de la Facultad de Derecho de Harvard que juzgó un caso y dijo: "Si eso es lo que es la ley, entonces olvídalo", y se convirtió en caricaturista de la publicación *New York World*. También habla de su tatarabuelo materno, John Henry Belter de *Belter Furniture*. "¿Has oído hablar del dormitorio de Lincoln? Él hizo esos muebles".

La vida de Steve está en línea con un impresionante linaje de carreras interesantes, pero quizás lo más importante para él es esto: "El voluntariado es una larga tradición familiar que se remonta a mis padres. Cuando éramos niños, nos decían: 'Si quieres quejarte de algo, adelante, quejate, pero luego haz algo al respecto'".

"Algo que aprendí de mi educación jesuita es la expresión francesa '*noblesse oblige*', que significa que si tienes un talento, debes desarrollarlo para ayudar a la gente. Steve llevó esa actitud con él a la Fuerza Aérea de los Estados Unidos. Un dato curioso sobre Steve: él es la única persona con hemofilia B que también tiene una pensión militar.

En 1972, siete años después de su servicio en la Fuerza Aérea, a Steve le extrajeron una muela del juicio. El cirujano desgarró ligeramente la encía de Steve durante el procedimiento. Sangró durante tres semanas, condujo

desde la Base de la Fuerza Aérea de Langley en Virginia hasta Omaha, Nebraska, para una clase de tres meses. Había dejado de sangrar, pero cuando llegó y se acercó a la puerta e hizo una pregunta, comenzó a sangrar de nuevo durante otra semana.

"Me dijeron: 'Cuando vuelvas, deberías hacerte un análisis de sangre'. Regresé a Langley en septiembre y me enviaron al Hospital Naval de Portsmouth, porque, en ese momento, el hospital de veteranos no tenía espacio. El Hospital Naval estropeó la muestra y se volvió a tomar en febrero del 73. El médico del Hospital Naval le dijo: 'Usted tiene hemofilia B. ¿Quiere quedarse o salir?'. Le dije: '¡Prefiero quedarme en casa!'. Él le dijo: '¡Bien! ¡No le daremos mucha importancia!'. Steve no discutió. "Si hubiera sido un médico de la Fuerza Aérea, probablemente habría dicho: 'Tienes que ser dado de alta por razones médicas'".

Cuando le agradezco a Steve por su servicio a nuestro país, dice: "¡Fue divertido!" Esa "diversión" incluía servir como informante de inteligencia de un prisionero de guerra que regresaba de Vietnam cuya historia sería una película asombrosa ahora que (la mayor parte) es información desclasificada.

"Fue derribado en el 67 y liberado en el 73. Era muy callado. Me dijo: 'Solo te voy a contar lo que vi personalmente'. Terminé grabando 23,5 horas con él. Steve ha vivido una vida extraordinaria. Él lo sabe y le encanta compartir sus experiencias, sabiduría y espíritu. Adhiriéndose a la larga tradición, Steve vio la necesidad

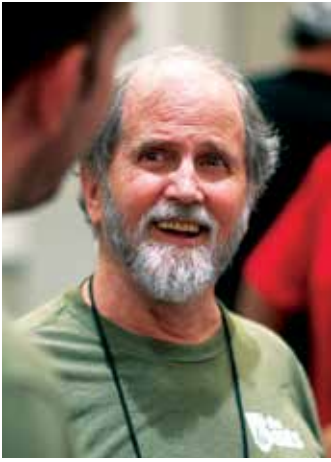


Steve Long strains to overtake his Fordham opponent.



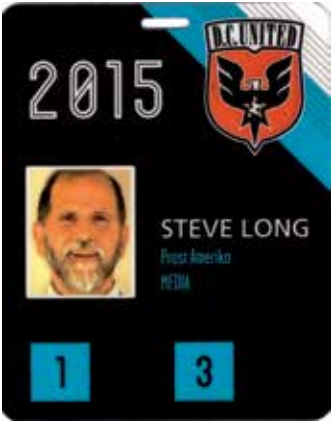
**DEPORTISTAS
DESTACADOS
EN EL '62**





de un cambio, creó el nuevo puesto de director de Inteligencia de la USAF y lo ocupó durante más de 27 años. ¿Quieres escuchar historias de desgarradores intentos de fuga y heroísmo frente a la tortura? Habla con Steve.

El servicio de Steve en la Fuerza Aérea de los Estados Unidos abarcó nueve años como "activo" y 18+ en las reservas. Comenzó como subteniente, fue a la escuela de inteligencia en Denver, estuvo estacionado en la Zona del Canal durante un año y medio, y pasó un tiempo en Duluth, Minnesota, al final del invierno. De allí, se fue a Tailandia, donde retomó su amado deporte de fútbol, se sentó frente a la pantalla de una computadora contando hombres en la Ruta Ho Chi Minh y grabando sonidos que a veces eran útiles,



y otros, humorísticos. Se abrió camino hasta llegar a mayor y podría haber continuado hasta tercer coronel si hubiera tomado el camino de "ampliación de carrera" de innumerables y aburridas horas trabajando en un MBA en silos para misiles.

"Siempre soy el tipo más afortunado de la sala". Empieza a explicar. "Fui entrenador de fútbol base en 1974, un año después de ser diagnosticado. No tengo articulaciones afectadas", explica. "Tengo cuádriceps afectados. Entonces, después de ser golpeado en el muslo con una pelota de fútbol, estuve en el hospital durante tres semanas con una hemorragia en el cuádriceps. En 1974, no sabían mucho sobre la hemofilia, especialmente en el servicio, así que dijeron: 'Vamos a probar este factor de coagulación en usted. Se llama Konyne y tiene un riesgo del 2% de padecer hepatitis. ¡Incorrecto! En ese momento, había un 50% de riesgo de hepatitis, y me dio hepatitis C'".

Steve explica que la hepatitis C es una enfermedad que se mueve extremadamente lenta y debilitante. "Tenía una discapacidad de VA porque la Fuerza Aérea me dio una discapacidad. A lo largo de los años 80, recibí atención médica gratuita a través del VA".

"En aquel entonces, si tenías hemofilia, era muy difícil conseguir un seguro. Entonces, tenía el VA para cubrirme. No solo eso, sino que había ido al hospital de veteranos aquí en DC cada vez que tenía una hemorragia. O eran muy baratos, o tenía un muy buen hematólogo. No me dieron el factor de coagulación peligroso en ese momento. Me dieron plasma fresco congelado".

Steve hizo los cálculos de la cantidad de unidades que estaba tomando y determinó que su riesgo de contraer el VIH era de 1/1,000. "La hepatitis C fue una bendición para mí", relata Steve con seriedad. "Me dieron atención médica gratuita." Mi hígado solo tuvo cirrosis en mayo de 2014. En junio de 2014, participé en un ensayo clínico especial que me curó. Mi hígado ha vuelto a la normalidad".

"En mi familia, hay casi tantas mujeres con hemofilia como hombres". Proclama Steve. Está orgulloso de que su sobrina, Lori Long, lo llame "Tío Steve", quien es muy activa y querida en la comunidad.

"Soy uno de los firmes defensores de las mujeres que sangran", afirma. Con ese fin, se ha desempeñado como vicepresidente, secretario y Miembro General del Comité Ejecutivo de la HFA. Se desempeñó como presidenta de la Asociación de Hemofilia del Área del Capitolio, actualmente es miembro de la Junta Directiva de HACA y forma parte de la Junta Asesora de FAIR Time for Women. Entre muchos de sus talentos, tiene una pasión por el canto, tocar la guitarra y la poesía.

Hace unos diez años, comenzó a tocar música con gente del género de bluegrass que le enseñaron que los ritmos folks no pertenecen al bluegrass. A partir de esa experiencia, conoció a un grupo llamado *King Street Bluegrass* que tocaba en obras benéficas una vez al mes. Comenzaron a tocar para HACA cada mes de marzo, recaudando \$500 cada vez y aumentando la concientización sobre la hemofilia. ¡Le di a cada miembro una corbata roja para recompensar su generosidad!

También ha actuado varias veces en el programa anual *Beats* de la Coalición para la Hemofilia B. Kim Phelan dijo: "Steve tiene una gran pasión por todo lo que hace y lo da todo. Tenía muchas buenas ideas para el programa, así que le pedimos que se uniera al Comité de Beats. Él dijo: "¡Sí!" ÉL es una bendición para nosotros y para todos los que lo conocemos".

A pesar de los desafíos físicos de la hemofilia B y el simple envejecimiento, no solo escribe artículos para *Prost Amerika Soccer*, sino que continúa arbitrando partidos de fútbol femenino en el área de DC.

Gracias por compartir con nosotros, Steve. ¡Somos los afortunados!





PROYECTO ADOLESCENTE / MENTOR DE LA GENERATION IX

POR BELLE GARDNER

El Proyecto Generación IX 2023, como muchos otros eventos de Generación IX, fue un momento para recordar...

Este año fue increíble porque hubo muchas primicias para mí y para muchos otros: la primera vez que fui mentor, la primera vez que asistí y la primera vez que me infundieron. La energía acogedora es siempre un alivio refrescante del mundo real. La Generación IX siempre ha sido un hogar lejos del hogar, una forma de escapar de la realidad y una forma de hacer amigos de todo Estados Unidos. Siempre es refrescante ir a un lugar donde no hay servicio de Internet porque te ayuda a hacer más amigos y te ayuda a conectarte realmente con la comunidad. Este evento, que se llevó a cabo del 6 al 8 de junio,

estuvo lleno de grandes actividades, que incluyeron trepar un árbol extremadamente alto, caminar a lo largo de las copas de los árboles en un “curso de cuerdas de desafío”, ser levantado 40 pies en el aire por una cuerda y descender lentamente en la “ardilla voladora”, hasta hacer rafting por un hermoso río. De hecho, tuve la oportunidad de infundir mientras subía la “ardilla voladora”. Fue increíble y me sentí muy realizada porque la gente se infunde en lugares tan locos e intrincados, así que infundir fue una experiencia nueva y emocionante para mí.



El campamento siempre me ha hecho sentir muy bienvenida y aceptada porque la única regla es dejar atrás el mundo exterior y aceptar las diferencias, abrazar a la comunidad y desarrollar relaciones. La Generación IX siempre se ha sentido como una familia, y las amistades que se han hecho en los campamentos continúan creciendo cada año.

Siempre aprecio el esfuerzo y el tiempo que el equipo de GutMonkey dedica a cada evento. La cantidad de autorreflexión con la que nos ayudaron este año fue muy aliviadora. Siempre puedo confiar en el hecho de que cuando entro en la Generación IX, no no somos juzgados por ninguno de los miembros del personal o de los asistentes. Siempre agradezco a la Coalition for Hemophilia B por organizar este evento y a Medexus por patrocinar un programa tan maravilloso. Es seguro decir que Gen IX es uno de los mejores programas de campamento en los que he estado porque es muy liberador y abierto.

Gen IX Teen/Mentorship no solo es un momento para disfrutar del aire libre, sino que también es un momento para aprender. Cada actividad y cada discusión les da a los mentores y a los adolescentes formas de trabajar juntos como equipo para desarrollar formas de alcanzar la meta final. Desde actividades como tratar de llevar agua de un balde a una piscina sin mover el balde o la piscina, hasta encontrar formas de simplemente dar un paso adelante y salir de nuestras zonas de confort y explorar cosas que ni siquiera hemos imaginado, Gen IX Teen/Mentorship es una forma para que los adolescentes sean asesorados y entrenados para convertirse en futuros mentores.

COMENTARIOS:

“Gen IX Teen/Mentorship fue una experiencia maravillosa. Es como volver a ver a la familia. Me encantan las nuevas ideas que aprendimos a llevar con nosotros en nuestra comunidad de la que formamos parte, y me encanta la interacción entre los mentores y los adolescentes”.

“Gen IX Teen/Mentorship es, como siempre, absolutamente increíble. Siempre espero ir cada año y ver lo que GutMonkey ha planeado para nosotros. La Generación IX es importante para mí porque me ayuda a conocer a personas que entienden lo que es ser una persona con trastornos hemorrágicos, y es aún más sorprendente poder conocer a mujeres que también padecen esta condición. Generation IX significa mucho para mí debido a las amistades y relaciones que he construido y sigo creciendo cada vez que asisto a los eventos. Me encanta ser una defensora de las mujeres con problemas de sangrado, y la Generation IX es el lugar perfecto para hacerlo. Te ayuda a desarrollar tu sentido de liderazgo y, con eso, te permite convertirte en el mentor que sabes que puedes ser”.

“Realmente disfruté de la Generation IX. Fue genial conectarme con personas que han pasado por algunas de las mismas dificultades que yo. También pensé que era genial ver lo lejos que había llegado cada uno. Hice grandes conexiones y me lo pasó increíble. ¡Gracias!”

Estamos muy agradecidos a nuestro generoso patrocinador, Medexus Pharma.



THE BEATS 2023

¡MÁS EMOCIONANTE MUSICALMENTE QUE NUNCA!

POR RENAE BAKER



“¡Qué corazón, qué talento, qué determinación, qué coraje, qué explosión!”

¿A qué se refiere el músico, cantante y compositor de clase mundial Joe Turley? A la 5ª reunión anual de la Coalition for Hemophilia B de ¡El Programa de Música Beats! Turley no solo es un fanático del programa, sino también uno de sus instructores. Es el pianista, armonicista y saxofonista en el escenario de los conciertos del grupo de música *The Beats*.



El programa de este año se llevó a cabo del martes 4 al viernes 7 de julio en el Sheraton Music City Hotel en Nashville, y fue más grande y mejor que nunca! “*El programa Beats* ha crecido cada año”, señaló Rick como recurrente participante y orador. “Verlo crecer y ganar tanto impulso es, en sí mismo, un tributo a la Coalition. Hoy en día, muchos jóvenes buscan orientación, pero los deportes suelen ser la única salida popular. Los *Beats* les dan una oportunidad diferente”. Rick cuenta cómo ha visto a personas jóvenes y tímidas salir de los cascarones y aprender a escuchar, trabajar y crecer con la comunidad a través de la música. “¡Sin duda ha sido uno de mis mayores placeres! Personalmente, estoy feliz de tener la oportunidad de subirme al escenario con mis hermanos y compartir el amor por la música. ¿Qué más se puede pedir?”

La instrucción musical ofrecida este año se ha ampliado con respecto a años anteriores. Además de los talleres de canto (Baker y Turley), batería (Adams y Cook), guitarra (Fitzhugh) y piano (Blizzard), el programa de este año ofreció instrucción en instrumentos de viento metal (Mohnke), cuerdas (Hamby) y viento madera (Biermann). Los participantes iban desde adolescentes que llegaron con los ojos muy abiertos y sin saber qué esperar, hasta septuagenarios que estaban listos, dispuestos y capaces de mostrar a los novatos las cuerdas. Los participantes adolescentes que regresaban también estuvieron presentes y se sentían muy entusiasmados.

Bryant, participante anterior, se maravilló: “Una de las mejores cosas que vi durante el programa fue la forma en que los artistas más jóvenes se unieron para apoyarse mutuamente. Cada vez que veía a los adolescentes y adultos jóvenes practicando en el escenario, siempre tenía la sensación de que realmente

estaban siendo serviciales y amables entre sí cuando trabajaban en sus canciones. ¡El resultado fueron unas actuaciones fantásticas y una comunidad fortalecida!”

Rocky Williams, director de Relaciones Comunitarias de la Coalition, mantuvo las cosas en marcha. Rocky, sabiendo que habría muchos más jóvenes que se unirían a nosotros este año, planeó estratégicamente actividades para romper el hielo para adolescentes y una serie de reuniones periódicas de *Soundwaves* y *Vibes* para garantizar que todos pasaran un rato seguro, amistoso y musicalmente óptimo. A juzgar por las conexiones hechas y las colaboraciones musicales, ¡diría que fue un éxito!

Creo que uno no puede dar una actuación conmovedora sin permitirse ser vulnerable frente a su público. Para hacer eso, se necesita confianza. No es fácil, pero los conciertos de estos adolescentes y de muchos de los adultos son un testimonio de la fuerte comunidad que se ha formado aquí, donde los pacientes con hemofilia B desangran sus emociones y coagulan con la música.

Además de las clínicas musicales, The Beats organizó un popurrí de interesantes presentaciones de una lista de oradores invitados compuesta por miembros de la Coalición, profesionales externos y oradores patrocinados. El favorito que regresa, Elec Simon, nos puso a todos, literalmente, en el mismo ritmo en su *Bucket Drum Jam*, y Yours Truly presentó *Harness the Power of Stage Fright*.

Se presentará Jeffrey Leblanc con *Terapia física para músicos*, *Aprendiendo a contar* con Wayne, *Deja de esperar para prosperar* con Dan Bull, *Ritmo y partes del cuerpo* con Rocky, *Cuenta tu historia* con Anna Moss y Ashley Smith, y *El camino a la resiliencia: Encontrando confianza en ti mismo y manejando tu condición* con Chad Mitchell y Rick Starks. Max Feinstein nos desafió en su taller de *Escucha críticamente*, y luego se le unió Wayne Cook, presidente de la Coalition, que nos guio en un magnífico juego de *Nombra la canción*.

Max Feinstein siente el poder del programa. Max, un músico y paciente con hemofilia que usa su música para abogar, afirma: “En ningún otro lugar de la comunidad me he sentido más vital y eficaz como colaborador que en el programa *The Beats*. He tenido el privilegio de crecer con el programa como educador, mentor y amigo de los participantes a lo largo de los años, y por eso, estoy agradecido”.

El cantante y compositor de Nashville, estrella en ascenso de la música country y hermano de sangre, Trevor Martin, se unió a nosotros nuevamente este año y compartió su música y las historias detrás de sus canciones. Se escuchó entre la multitud: ¡Es muy bueno!”

Felizmente, pudimos continuar con un par de tradiciones del grupo *The Beats* este año. En la segunda noche, no podíamos creer nuestra buena suerte en el Grand Ole Opry de ver a las leyendas Crystal Gayle, Lee Greenwood y Lorrie Morgan en el escenario frente a nosotros. En





el tercer día, nosotros nos dividimos en dos grupos y realizamos la gira *Hands-On Home Recording Studio Experience* de los productores discográficos de Nashville Jeremy Bose y Adam B. Smith.

Adam Smith es miembro de la Coalition y es muy generoso con su tiempo y talento. No solo abre el estudio de grabación de su casa a *The Beats*, sino que él y su esposa, Tara, instalan su sistema de audio y vídeo en la sala de eventos principal de *The Beats*. Adán nos hace a todos sonar y vernos bien.

A lo largo del programa, el objetivo era dar a todos la oportunidad de salir de su zona de confort y presentar lo que habían estado perfeccionando durante sus talleres musicales. La culminación de la sangre, el sudor y las lágrimas fue un concierto alegre en el que los músicos ofrecieron actuaciones conmovedoras que destacaron su crecimiento, talento y arduo trabajo. El concierto se transmitió en vivo, por lo que los asistentes a la sala y los miembros de la comunidad de todo el mundo pudieron presenciar el poder transformador de la música a través de este evento que alimenta el alma.

Traté de escribir un artículo que incluyera todos los actos porque cada acto era conmovedor y hermoso, pero se necesitan demasiadas palabras, así que tendré que elegir algunos hilos del tapiz. Como MC, reuní a todos cantando *I Believe in Music* para abrir el espectáculo. El dúo de padre e hijo Stuart y Matt tocaron y cantaron la hermosa canción *Until I Found You*. La clase de instrumentos de viento de madera de Kristy Kiermann interpretó un *Minueto* y una *Canción de cuna*.

La primeriza Mallory, que ya toca dos instrumentos, decidió probar su voz en la clase de canto. La adolescente nos dejó boquiabiertos con *There's a Song For Everything*. Muhammad y su hermano Ishmael tocaron con Owen en un trío de metales que versionaba clásicos del jazz. Shardonnay le dio verdadero significado a su solo, *Let It Go*. Se entregó a la canción tan completamente que nos llevó con ella, y fue un momento emocionante. Bryant cantó y tocó la guitarra en su triste *Bucketful of Stone*, que fue muy conmovedor.

La recién llegada Megan eligió su momento de *Beats* para perfeccionar una canción que pronto cantará en la boda de su hermana, *Me encanta la forma en que me amas*. El director musical de Beats, Bill Gati, la entrenó, ¡y



estoy muy contento de que estuviera en este programa para darle la confianza para bendecir a su hermana de esta manera! No es ajena a la Coalition, pero es la primera vez que participa en The Beats, Lori cantó la hermosa canción *Blue Besides* con su esposo, Bryant, y su banda. Diferentes configuraciones de bandas subieron al escenario a lo largo de la noche.

El primer acto más cerca fue Izzy cantando *Beautiful*. En su primer año en The Beats, la adolescente dio saltos de fe en la clase y confió en su fuego interior y en su cada vez más unida familia hemo, y lo dio todo con esta canción que nos dice que somos hermosas, "no importa lo que digan". Fue impresionante y poderoso. Más tarde en el concierto, ella se unió a Nathan en *Creep* y subió las notas hasta el techo. ¡Prometió que cuando gane su Grammy, nos recordará en The Beats!

El segundo acto comenzó con Wayne y Rich liderando un círculo de tambores, ¡lo cual es una excelente manera de hacer que la gente vuelva a sus asientos y se emocione! Teníamos violonchelos, dúos, violines, más baterías, más bandas, más solos, un original de Max, y terminamos, cogidos del brazo, cantando *Count on Me*.

Estamos tremendamente agradecidos a nuestros patrocinadores: *Nivel Director* - CSL Behring; *Nivel de Productor* - Novo Nordisk; *Nivel de Conductor* - Sanofi; y *Nivel de Intérprete* - CVS Specialty y Medexus Pharma. Un agradecimiento especial a los voluntarios patrocinadores que se unieron a nosotros y a nuestros voluntarios y equipo de la Coalición: *director Musical* - William Gati; *Comité*: Wayne Cook, Adam Smith, Renae Baker, Shelby Smoak, Kim Phelan, Rick Starks; *Equipo y voluntarios*: Tara Smith, Farrah Muratovic y Rocky Williams.



the Beats
THANK YOU, SPONSORS!
 For your generous support of The Coalition for Hemophilia B and the 5th Annual The Beats Program!

Director Level
CSL Behring
 Biotherapies for Life™

Producer Level

 novo nordisk®

Conductor Level
sanofi

Performer Level
 

THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

LA GALA DEL PREMIO *ETERNAL SPIRIT* RINDE HOMENAJE A

DONALD D. AKERS JR, JD Y MARK W. SKINNER JD

POR RENAE BAKER

El 10 de agosto de 2023, los miembros de la comunidad y los socios de la Coalition for Hemophilia B se reunieron en la Mansión de Oyster Bay para honrar a dos extraordinarios aliados de la comunidad de trastornos hemorrágicos con el Premio *Eternal Spirit*. El ambiente era festivo, divertido y conmovedor. La hora del cóctel se vio realzada por el hermoso canto y la guitarra de Emma Jude y los deliciosos entremeses. En el escenario del comedor, el trío a capella Vocalsoul estableció un ritmo de Motown mientras los invitados se mezclaban antes de sentarse a disfrutar de deliciosos platos principales.

El tema de la cena de gala de este año fue: "Nos elevamos levantando a los demás", ¡y nuestros dos homenajeados han ejemplificado este principio en múltiples niveles! Mark W. Skinner, JD y Donald Akers, Jr., JD, ambos abogados, han aprovechado su conocimiento legal y su profundo compromiso con la comunidad para lograr un cambio a escala nacional e internacional. Su profundo impacto en el mundo de la hemofilia ha influido inconmensurablemente en la vida de innumerables personas y familias.

El Premio *Eternal Spirit* no es un prestigioso reconocimiento otorgado a personas reconocidas por la Coalition por su espíritu generoso hacia la comunidad de trastornos hemorrágicos y sus esfuerzos constantes para mejorar el bienestar de esta comunidad. Los currículos de los homenajeados de este año

tomarán un ¡Pequeño bosque para imprimir en papel!
Donald D. Akers, Jr. JD, conocido cariñosamente como "Donnie", se ha convertido en una parte integral de la comunidad a través de su compromiso inquebrantable. Como socio legal y ex fiscal de distrito en Louisiana, Donnie dedicó su tiempo y talento a la comunidad de hemofilia brindando asesoramiento legal y representaciones gratuitas. También desempeñó un papel fundamental en el establecimiento de la Fundación de la Alianza para la Hemofilia, impulsando avances en la investigación, la concientización y los recursos cruciales para las personas afectadas por esta afección. A través de su incansable defensa, ha dado voz a los que no la tienen, defendiendo las necesidades de los pacientes y empoderándolos para llevar una vida más plena e independiente. A pesar de no tener



hemofilia, la participación de Donnie en la comunidad comenzó a través de su amistad con aquellos que sí la tienen, e incluso se ganó un “Big Stick Award” al pinchar su propia vena.

Un viejo amigo cercano y miembro de la Coalition [1], Carl Weixler, rindió homenaje a Donnie a través de un video en la cena de premiación. Sentado en su sillón, se refirió a su amistad con Donnie como un “viaje divertido”.

“Donnie, sé que no te gusta recibir premios, pero...” Carl se rió, “¡Este que recibes te lo mereces!” Refiriéndose a la introducción de Donnie a la comunidad de trastornos hemorrágicos, Carl continuó: “¡Poco sabías, cuando conociste a Chuck en la universidad, que tendrías un giro tan grande en tu vida y dedicarías tanto tiempo a ayudar a las personas con hemofilia!”

Kimberly Haugstad también compartió palabras sinceras, destacando el profundo impacto de Donnie en la comunidad de hemofilia, su capacidad para escuchar y comprender de verdad, y su compromiso inquebrantable de ayudar a los demás. Señaló que sigue “regresando” y que ha ayudado a muchas personas de la comunidad, incluidas muchas que estaban en la audiencia esa noche. “Donnie es un ejemplo perfecto de lo que es la Coalition for Hemophilia B”. Kimberly dijo: “Corazón, compasión, deseo de enseñar y amar”.

Luego, Donnie recibió el hermoso premio *Eternal Spirit*, de manos del presidente de la Coalición, Wayne Cook, y una colcha muy especial y única con un diseño de un pez creado por el miembro de la Coalición, Alma Jewel.

El siguiente homenajeado fue Mark

W. Skinner, JD. A Mark le fascinan los pingüinos y ha viajado por el mundo para verlos. ¡Al final del recuento, había visto trece de las dieciocho especies de ellos! Quería empezar con ese aspecto humanizador, incluso “lindo” de él, porque sus logros, su liderazgo incondicional y su ejemplo inspirador son suficientes para intimidar a cualquiera.

Mark es el presidente y director ejecutivo del *Institute for Policy Advancement Ltd* en Washington, DC. Nació con hemofilia y es receptor de hígado. Mark ha hecho de la investigación de resultados, centrada en el paciente, el trabajo de su vida y ha dirigido la Federación Mundial de Hemofilia y la Fundación Nacional de Hemofilia. Forma parte del Consejo Asesor Científico de MASAC, de la Junta Directiva de NORD y es miembro de ICER, por nombrar solo algunas de las áreas en las que Mark es muy activo para mejorar la calidad de vida de los pacientes con trastornos hemorrágicos y trastornos raros.

La historia de Mark es una historia sobre el poder de la perseverancia a través de la adversidad, y hoy es un brillante ejemplo de cómo el espíritu humano puede encontrar una manera no solo de lograr sueños y metas, sino también de mejorar la vida de los demás en el camino. Hoy en día, está viviendo su sueño de trabajar a nivel internacional.

El Dr. Glenn Pierce, vicepresidente médico de la Federación Mundial de Hemofilia, rindió homenaje a Mark a través de un video. “Conocí a Mark Skinner hace veintiocho años, poco después de que se uniera a la junta directiva de la NHF y yo terminara mi segundo mandato como presidente”, comenzó el Dr. Pierce. “Yo estuve inmediatamente impresionado por su comprensión de los problemas





de seguridad de la sangre. Durante su tiempo en NHF, ha seguido desempeñando un papel importante en la defensa de un suministro seguro de productos en todo el mundo”.

El Dr. Pierce continuó hablando sobre el hecho de que Mark asumió el papel de presidente de la FMH y fue fundamental para brindar una mejor atención a las comunidades con hemorragias en todo el mundo, así como para lograr avances aquí en los Estados Unidos. “Ha sido el mejor socio de pensamiento estratégico, y su impacto perdura hasta el día de hoy a través del teletrabajo”. A continuación, el Dr. Pierce citó la continua y enérgica defensa de Mark por las mujeres y las niñas, las medidas de resultados relevantes para las pacientes y la toma de decisiones compartida en materia de equidad en salud dentro de la comunidad de trastornos hemorrágicos. Durante una cirugía reciente, el Dr. Pierce recordó el mantra de Mark “nada sobre mí sin mí” y se dio cuenta de que, aunque el trabajo está lejos de terminar, Mark ha ayudado a crear las herramientas que pueden facilitar las conversaciones sobre la toma de decisiones compartida.

Wayne Cook siguió el poderoso video con algunas palabras propias, anunciando algunos de los muchos logros de Mark y recordando su tiempo sirviendo con él en la junta directiva de la NHF. “Mark fue un gran recurso al que pude llegar y me ayudó a comprender mejor a nuestra comunidad. Recuerdo una parte de una conversación en particular en la que me dio un consejo que siempre se me ha quedado grabado a lo largo de los años. Eso era mantenerse siempre fuerte y hablar desde el corazón, y si siempre recordaba esto, me convertiría en un líder más fuerte”. Luego, Wayne le entregó a Mark el premio *Eternal Spirit*, diciendo: “Mark siempre ha sido una de las personas más admiradas que he conocido. Todo lo que ha hecho por esta comunidad, a nivel nacional y mundial, es un testimonio notable de su pasión por nuestra comunidad y por mejorar nuestras vidas”.

A Mark también se le dio una manta, también hecha a mano por Alma Jewel. ¡Estaba encantado de saber que tenía pingüinos! El público agradecido volvió a sentarse, después de su ovación de pie para ambos galardonados, y Craig Drohan subió al escenario para estrechar la mano de los estudiantes galardonados con la Beca Dr. William N. Drohan, que se fundó en honor a su difunto padre. Los galardonados de este año fueron:

James Hensley: James asistirá a Virginia Tech en el otoño, especializándose en Sociología pre-médica con una especialización en Psicología en el programa de honores. Su objetivo es convertirse en un médico especializado en enfermedades raras y disparidades en la atención médica.

Emily Marlatt: Emily es una estudiante de enfermería que asiste a la Universidad de Towson.

Seth Pastakos: Seth es un estudiante de último año en la Universidad de St. John's, donde estudia Finanzas Comerciales y Médicas. Ha estado en la Lista del Decano y es voluntario activo en la comunidad de hemofilia B. La pasión de Seth radica en ayudar a las personas a alcanzar

su potencial y honrar a su país.

Steven Sclafani: Steven asiste a Utica College, donde estudia Fisioterapia con asignaturas secundarias en Emprendimiento y Estudios de Envejecimiento.

Ella Wood: Ella se está especializando en Psicología en la Universidad de Iowa, aspirando a convertirse en trabajadora social y tener un impacto positivo en la vida de los demás.

Es alentador pensar que estos jóvenes académicos con aspiraciones de aliviar el dolor en diversos campos de la salud, se han inspirado en las personas excepcionales que han visto a su alrededor. Honrar corazones y mentes extraordinarias como Donald D. Akers, Jr. JD, y Mark W. Skinner, JD, es un doble placer, ya que sin duda sirven como modelos a seguir que dan forma al futuro de estos jóvenes aspirantes.

Después de estos momentos inspiradores, una madre y su hijo adulto joven que tiene hemofilia B compartieron un testimonio conmovedor. Destacaron el papel vital desempeñado por la Coalition for Hemophilia B en la rectificación de una situación grave y elogiaron la incansable dedicación de Kim Phelan para resolverla, compartiendo que “nunca se da por vencida hasta que se resuelve. Por eso, estamos agradecidos”.

Extendemos nuestra gratitud a todos los que se unieron a nosotros para celebrar a nuestros homenajeados y contribuyeron al Fondo de Becas William N. Drohan y a nuestro Fondo de Asistencia al Paciente. Su afirmación en nuestro trabajo, que tiene un impacto positivo en tantas personas, es profundamente apreciada.

También agradecemos especialmente a nuestros patrocinadores, cuyo apoyo marca una diferencia significativa.



Dentaduras saludables.

hilo dental y comunicación

ENTREVISTA CON ALICIA UNGER Y DOUG HUTCHINSON POR RENAE BAKER

¿Alguna vez le has preguntado a tu dentista o higienista si usas hilo dental correctamente? ¡Yo tampoco! Sin embargo, Doug Hutchinson, DDS, miembro de la Coalición para la Hemofilia B, dice que puede ser una pregunta perspicaz y extremadamente útil. “¡Es un gran tema de conversación!” Para la comunidad de hemofilia, la comunicación es muy importante. Y no solo con sus proveedores de salud.



Kismet llevó a Doug al salón de belleza de Alicia hace nueve años. Se hicieron amigos al instante cuando ella le cortó el pelo y hablaron. Una de las cosas que tenían en común era la conciencia del valor de la comunicación. Alicia se habría beneficiado de una mayor comunicación por parte de su familia sobre sus antecedentes de hemofilia B. De niña, vivía en el campo y pasaba mucho tiempo al aire libre. “Corríamos por todo lado todo el tiempo. No puedo decirte cuántas veces me rompí la cabeza con algo, pero simplemente me levantaba, y me sacudía el polvo...”, se ríe. “Desafortunadamente, no sabía que podía tener hemofilia”.

Ella dice: “El hermano de mi madre fue el primero de la familia en tener hemofilia. Lo perdimos por la sangre contaminada de los años ochenta”. Cita la historia de Ryan White, el niño con hemofilia que contrajo el SIDA a través de una infusión de sangre contaminada, fue sometido a un odio inmenso y luchó durante un año y medio para que se le permitiera ir a la escuela a mediados de la década de 1980. “Debido a eso, mi familia adoptó el enfoque de no hablar de eso”. Alicia se hizo la prueba para ver si era portadora.

“Una vez más, desafortunadamente, debido a que no hablamos de ello, no había mucha educación al respecto y me hicieron la prueba de la hemofilia equivocada”. Solo se le hizo la prueba de hemofilia A y posteriormente se



le dijo que no era portadora. Años más tarde, cuando Alicia estaba en el parto de su primer bebé, Landon, tuvo problemas para avanzar y terminó teniendo una cesárea de emergencia.

“Era enero, la

temporada del VRS, por lo que querían mantenerlo durante cinco días con antibióticos como preventivo por cualquier posible problema pulmonar”. Alicia estaba ansiosa por traer a su bebé a casa con ella el sexto día. “Le hicieron la circuncisión y nunca dejó de sangrar. Así fue como nos dimos cuenta de que tenía hemofilia”.

Fueron transportados de inmediato al Hospital de Niños, donde Landon fue tratado con factor. Landon, que ahora tiene 12 años, fue diagnosticado con hemofilia B grave. ¿Y Alicia? “Todavía les gusta clasificarme como ‘portadora sintomática’, pero necesito factor para cualquier trauma quirúrgico porque mi sangrado es prolongado”. También describe sus moretones como mucho más grandes, más frecuentes y más duraderos que los de Landon. “¡Dios mío!” Ella exclama: “¡Perduran para siempre!” Agradecida por las mejoras en los medicamentos, Alicia se complace en informar que, en estos días, Landon está haciendo un trabajo “increíble” y se trata cada dos semanas de forma profiláctica.

El nacimiento de Landon tuvo lugar antes de que Alicia conociera a Doug. Ese fatídico día, cuando se sentó en la silla de su salón, la conversación giró en torno a Landon, que tenía unos tres años en ese momento. Alicia se sorprendió al enterarse de que Doug sabía sobre la hemofilia y otros trastornos hemorrágicos. Doug había estudiado en la Facultad de Medicina Dental de la Universidad de Pittsburgh y ya ejercía como dentista en un consultorio privado que compartía con un socio. Eventualmente, se casaron y ampliaron su familia de tres a cuatro con el nacimiento de Kylie, que ahora tiene siete años.

“Si tiene un trastorno hemorrágico, la comunicación con su dentista es primordial”, enfatiza Doug. Dado que los grupos dentales (DSO) son tan comunes hoy en día, algunas personas se cansan de completar formularios para lo que parece ser cada visita y, en algunos casos, el paciente retiene información. Doug encuentra esto desalentador y nos asegura que sus dentistas quieren

saber sobre su trastorno hemorrágico.

“Su dentista quiere saber la gravedad del diagnóstico, su riesgo de inflamación y sangrado, y asegurarse de que las cosas se coordinen adecuadamente con su hematólogo”. Para su comodidad y la comodidad del médico, es posible que desee considerar no solo completar los formularios, sino solicitar una consulta con el dentista, ya sea a través de telemedicina (Zoom) o cara a cara. Cuando vea a su dentista e higienista, no tenga miedo de hacer preguntas. “¿Estoy usando hilo dental correctamente?” es una buena pregunta. Los profesionales de la odontología estarán encantados de ver cómo lo hace y demostrar los métodos correctos. “Decir-mostrar-hacer” es un método que se utiliza para demostrar a niños y adultos por igual.

Doug y su socio han sido copropietarios de su consultorio en el noroeste de Pensilvania desde 2011. Su modelo de negocio es “Si vienes a mi oficina, me verás”. A sus pacientes les da consuelo tener esa relación personal con él, pero no todo el mundo puede ver a un dentista en una consulta individual. Doug aconseja:

“Ya sea que se trate de la práctica individual o grupal, lo más importante es que el paciente y el médico tengan un nivel de comodidad. Necesita encontrar un proveedor que se sienta cómodo tratando y comprendiendo sus afecciones. Si tiene necesidades especiales físicas o mentales, debe asegurarse de ir a un médico que se sienta cómodo con su conjunto de necesidades. El paciente debe sentir que está en un entorno bueno y cómodo y que está con un médico que está bien informado y comprende su condición”. Doug señala que no se siente cómodo extrayendo muelas del juicio afectadas, por lo que remite a los pacientes que necesitan extracciones a un cirujano oral. Del mismo modo, si un médico no está bien informado sobre sus necesidades especiales y se siente incómodo tratándolo, es mejor que los interesados busquen a otro. Los dentistas no siempre invitan a consultas para determinar estos niveles de comodidad.

“Es una buena idea buscar eso”, señala Doug. “De esa manera, la relación puede comenzar con la nota correcta. Tienes que ser tu propio defensor. Las citas de Zoom están más disponibles que nunca desde la pandemia, y hay muchos dentistas que han adoptado ese modelo de telesalud”.

Doug se sintió motivado a dedicarse a la odontología general en gran parte debido a las relaciones generacionales y familiares que se cultivan a través de la profesión. Le resulta gratificante que los pacientes cuyos dientes de leche cuidó crezcan y a la vez también traigan a sus hijos. “A veces tienes cuatro o cinco generaciones de una familia. La relación que puedes tener es muy gratificante. Eso se extiende a cuidar de mi propia familia: padres, tías, tíos, y sí, él es el dentista de Alicia, Landon y Kylie.

“Si queremos ayudar nuestra situación en general”, dice Doug con sabiduría paternal, “la higiene bucal es clave. Limite los alimentos blandos y pegajosos, los téis dulces y las bebidas energéticas”. Explica que no queremos

mantener nuestra boca constantemente en un estado ácido. Agregue azúcares fermentables al ácido y, “¡ahí es cuando las cosas se vuelven interesantes!” El café con nata y azúcar es un ejemplo.

“Mucha gente no se da cuenta de lo extremadamente ácido que es Gatorade”. Añade Alicia. “Y no se trata tanto del consumo total como de la frecuencia”, continúa Doug. “Es mejor beber bebidas ácidas de una sola vez que consumirlas todo el día, manteniendo la boca en un estado de acidez”. En resumen, “manténgase al tanto de su higiene bucal para que no sean necesarios procedimientos más grandes”. Lo que nos lleva de nuevo al uso del hilo dental. “No hay que rehuir esas zonas. El sangrado ocurre donde hay una acumulación de bacterias”. Doug explica. El uso regular del hilo dental ayudará a prevenirlo.

“El mejor consejo que puedo dar es que se tome en serio su atención preventiva para que no necesite los procedimientos más serios. Hay que seguir tratando de promover una buena salud bucal”.

Alicia admite que tiene encías sangrantes. “No sé exactamente qué diría Doug sobre esto”, confiesa Alicia, “pero he adoptado el Water Pik en lugar del hilo dental. Lo encuentro menos invasivo y tengo menos hemorragias”.

A lo que Doug responde: “Yo diría que el Water Pik es un complemento. Me han preguntado muchas veces, ¿qué es mejor, el hilo dental tradicional, el hilo dental en un palo o Water Pik? El hilo dental regular funciona mejor porque puedes contornearlo, envolverlo alrededor del diente, meterlo debajo de las encías y conseguir fricción. Pero si sé que alguien no va a usar hilo dental tradicional, pero usará hilo dental en un palito, ¡entonces el hilo dental en un palo es lo mejor!” Doug cree que usar hilo dental y agregar Water Pik a la rutina es la mejor manera de hacerlo. “Es un gran complemento. Un complemento saludable”.

Alicia también tiene un consejo para compartir: “Mantén una línea de comunicación abierta y no tengas miedo de hacer preguntas. Es una buena regla para la vida en general, ¡pero definitivamente se aplica a la salud dental!”



NOTICIAS SOBRE HEMOFILIA

POR EL DR. DAVID CLARK

NHF AHORA ES NBDF

17/08/23 En su Conferencia sobre Trastornos de la Coagulación 2023, la Fundación Nacional de Hemofilia anunció que cambiarán su nombre a Fundación Nacional de Trastornos Hemorrágicos. La NHF se fundó hace 75 años para ayudar a las personas que viven con hemofilia. Con el tiempo, ha evolucionado para trabajar con otros trastornos hemorrágicos como la enfermedad de von Willebrand, las deficiencias de factores raros y los trastornos plaquetarios. Por lo tanto, no se trata de una nueva misión, sino de un cambio de nombre para reflejar lo que la organización está haciendo realmente. Como dijo el Dr. Len Valentino, el actual director ejecutivo: "No importa qué trastorno [hemorrágico] tenga, encontrará un hogar en la Fundación Nacional de Trastornos Hemorrágicos". También tienen un nuevo logotipo y un nuevo lema: Innovar | Educar | Abogar. [Comunicado de prensa de NBDF 17/08/23]

CURSO CLÍNICO DEL CÁNCER DE HÍGADO EN LA HEMOFILIA

14/08/23 Se sabe que los pacientes con hemofilia desarrollan cáncer de hígado (carcinoma hepatocelular) a una edad más temprana de lo que es típico para aquellos sin hemofilia. Sin embargo, no se sabe mucho más sobre el curso clínico del cáncer de hígado en personas con hemofilia. La mayoría de los cánceres de hígado en la hemofilia son el resultado de infecciones de hepatitis que se contrajeron a partir de productos de factor derivados del plasma antes de que se volvieran virológicamente seguros a fines de la década de 1980.

Un nuevo estudio realizado por un grupo en Japón sugiere que el curso clínico del cáncer y su pronóstico no difieren mucho de los de los pacientes sin hemofilia. Observaron a 22 pacientes (todos hombres; 20 A, 2 B) con hemofilia y cáncer de hígado que fueron diagnosticados entre 2003 y 2021. En comparación con los datos de una encuesta nacional de pacientes con cáncer de hígado, las personas con hemofilia fueron diagnosticadas a una edad promedio más temprana, 63 años frente a 72 años para las que no tenían hemofilia. Todos los pacientes recibieron tratamientos estándar. La mediana de supervivencia después del tratamiento para los pacientes con hemofilia fue de 6,4 años (rango de 0,9 a 18,7), en comparación con una mediana de supervivencia de 5,8 años para los pacientes sin hemofilia. [Matsuda N et al., Eur. J. Gastroenterol. Hepatol., en línea antes de la impresión 14/8/23]

FRACTURAS POR FRAGILIDAD EN LA HEMOFILIA

28/05/23 Ahora que las personas con hemofilia viven más tiempo, experimentan más enfermedades de la vejez,

como la osteoporosis y las fracturas por fragilidad. La osteoporosis es la disminución de densidad del mineral óseo. El hueso pierde calcio y, de hecho, puede volverse poroso. Una fractura por fragilidad es exactamente lo que parece, se rompe un hueso porque es demasiado débil. Las personas con hemofilia tienen un mayor riesgo de tener baja densidad mineral ósea (DMO), por razones desconocidas. Al igual que el cuerpo está constantemente produciendo nuevas proteínas y eliminando las viejas, constantemente se está produciendo hueso nuevo y el hueso viejo se está descomponiendo. Las células involucradas son los osteoblastos, que producen hueso, y los osteoclastos, que descomponen el hueso.

La osteoporosis es multifactorial, es decir, tiene varias causas. Algunos estudios sugieren que tanto el factor VIII como el IX pueden ser esenciales para la salud ósea, probablemente a través de la activación de la trombina durante la coagulación. La trombina puede activar la osteopontina, una proteína que es importante para los osteoblastos que forman hueso. Otros estudios han demostrado que el complejo proteico factor VIII-von Willebrand es importante en la inhibición de una proteína llamada RANK, que inhibe una vía que los osteoclastos utilizan para descomponer el hueso. También se ha demostrado que las personas con hemofilia tienen niveles más bajos de esclerostina, una proteína que promueve la formación de huesos. El sangrado y el daño en las articulaciones también pueden influir.

Los investigadores encontraron que el riesgo de fractura en la hemofilia aumentaba con la gravedad de la enfermedad y la edad (y el riesgo se duplicaba después de los 31 años), con un aumento de alrededor del 1.3 por ciento por año de edad. También encontraron que la incidencia de fracturas por fragilidad en pacientes con hemofilia era significativamente mayor que en la población general. La pérdida ósea en pacientes con hemofilia comienza en la infancia. Esta es una de las razones por las que las personas enfatizan la importancia de la actividad física y el ejercicio, que pueden ayudar a desarrollar los huesos. El hueso crece en respuesta al estrés.

Otro aspecto es que la mayoría de los pacientes con hemofilia no conocen el estado de sus huesos. Las pruebas de osteoporosis generalmente ocurren solo en el momento de la primera fractura por fragilidad. Los estudios también sugieren que las infusiones de factor pueden ayudar a reducir la osteoporosis. Entonces, si usted es una persona mayor que no está en profilaxis porque no sangra mucho, es posible que desee reconsiderarlo. Es posible que no necesites tanto factor para la coagulación como para mantener tus huesos sanos.

Los autores proveen este consejo: "El manejo de la

enfermedad ósea en las personas con hemofilia debe comenzar en la infancia para lograr el mejor PBM [pico de masa ósea] posible, fomentando el entrenamiento de resistencia de bajo impacto a lo largo de la vida, la evaluación regular de la DMO [densidad mineral ósea] y el riesgo de fracturas, y evitar el tabaquismo, el consumo de alcohol y la obesidad. Por lo tanto, es importante recordar que las PCH tienen un mayor riesgo de caídas debido a los efectos combinados de artropatía, reducción de la fuerza muscular y problemas de equilibrio, por lo tanto, se debe fomentar un programa de ejercicios centrado en la fuerza, el equilibrio y la coordinación motora en todas las edades". [Alito A et al., Int. J. Mol. Sci., 24:9395, 2023]

EFFECTO DEL MOVIMIENTO SOBRE LOS NIVELES DE FACTOR EN LAS ARTICULACIONES

27/6/23 La hemofilia A, una deficiencia del factor VIII, y la hemofilia B, una deficiencia del factor IX, tienen síntomas similares porque los factores VIII y IX trabajan juntos para activar el factor X en el sistema de coagulación. Si tiene una deficiencia de cualquiera de los dos factores, el factor X no se activa tanto y su sangre no se puede coagular bien. El sangrado en las articulaciones es una consecuencia de ambas afecciones, pero todavía no entendemos por qué eso conduce a daños en las articulaciones. Un grupo de investigadores israelíes ha explorado recientemente el destino de los factores VIII y IX en las articulaciones.

Cuando se mueve una articulación, tiene tendencia a sangrar. En una persona sin hemofilia, el sistema de coagulación responde inmediatamente para detener el sangrado, por lo que solo se forma un microcoágulo. En las personas con hemofilia, el sangrado ocurre durante un período de tiempo más largo, lo que introduce sangre en la articulación. Es probable que las sustancias en la sangre provoquen reacciones que provoquen daños en las articulaciones. Nos gustaría saber por qué hay sangrado, especialmente en las articulaciones, y qué lo causa. Por lo

tanto, los investigadores observaron lo que sucede con los factores de coagulación en el espacio articular.

Una de las primeras cosas que encontraron es que ambos factores tienden a descomponerse en la articulación, pero los niveles altos de ambos tienden a protegerse mutuamente. Por lo tanto, si tiene niveles altos de VIII y IX en la articulación, ambos factores tienden a ser estables, pero si tiene un nivel bajo de cualquiera de ellos, ambos tienden a degradarse.

El factor VIII parece ser degradado en la articulación por la trombina, la enzima final generada en el sistema de coagulación. Una enzima es una proteína que provoca una reacción química. La trombina convierte la proteína fibrinógeno en fibrina, que se adhiere a otras moléculas de fibrina para formar un coágulo. La trombina también afecta a muchos de los otros factores de coagulación. Activa el factor VIII, pero también degrada el factor VIII activado. La trombina es probablemente la causa de la disminución de los niveles de factor VIII en la articulación. El sangrado articular desencadena la cascada de coagulación para producir trombina, luego degrada el factor VIII activado para producir niveles más bajos en el espacio articular.

El factor IX, por otro lado, se degrada en la articulación, pero no por la trombina. Podría ser degradado por otras enzimas en el espacio articular, principalmente por la pérdida del factor VIII que lo protegía. El estudio también mostró que ambos factores se degradan en los músculos esqueléticos asociados con las articulaciones.

Una de las preguntas sin respuesta en este estudio es por qué las articulaciones y los músculos que solo están en movimiento intermitente tienden a sangrar, mientras que los músculos que se someten a un movimiento constante, como el corazón, no sangran. Todo esto es para comprender mejor lo que realmente está sucediendo en las articulaciones hemofílicas. [Cohen H et al., Int. J. Mol. Sci., 24:10731, 2023]



PRODUCTOS ACTUALES PARA EL TRATAMIENTO DE LA HEMOFILIA B

POR EL DR. DAVID CLARK

La gran cantidad de productos disponibles para el tratamiento de la hemofilia B aumenta las posibilidades de que cada paciente pueda encontrar un producto que funcione bien para ellos. Seleccionar el mejor producto puede ser un proceso de prueba y error, pero trabajar con un tratante experimentado de la hemofilia puede acortar el proceso. Si cree que podría obtener mejores resultados, no dude en preguntarle a su médico.

Es posible que muchas familias nuevas no estén al tanto de la gran cantidad de productos disponibles para el tratamiento de la hemofilia B. Es posible que otros pacientes y familias también deseen una actualización sobre los muchos productos más nuevos disponibles. Esta es una breve reseña de los productos disponibles actualmente en los Estados Unidos.

Uno de los principios más importantes de la medicina es que cada paciente es diferente. Aunque todos compartimos muchas similitudes, también tenemos antecedentes genéticos y médicos únicos. Una ventaja de la gran cantidad de productos disponibles es que un paciente al que le va mal con un producto puede tener mejores resultados con otro. Se anima a los pacientes a trabajar con su médico para encontrar el mejor producto para sus necesidades.

En la actualidad, la mayoría de los pacientes con hemofilia B, excepto aquellos con inhibidores, son tratados con productos de reemplazo de factor. Estos productos contienen el factor normal

IX para reemplazar las moléculas defectuosas del factor IX producidas por sus propios cuerpos. Todos ellos requieren infusiones intravenosas periódicas para mantener la cantidad de factor IX en la sangre del paciente en un nivel requerido para una buena hemostasia (coagulación adecuada). Actualmente se están desarrollando productos mejorados de factor IX, así como una serie de productos que no son de factor.

Los productos actuales se dividen en cinco categorías generales: productos de factor IX de vida media estándar

(SHL), productos de factor IX de vida media prolongada (EHL), productos de tratamiento con inhibidores, terapia génica y productos auxiliares. Tenga en cuenta que todos estos productos solo están disponibles con receta médica.

Productos de vida media estándar (SHL)

Los productos SHL factor IX actualmente disponibles en los EE. UU. se enumeran a continuación en la Tabla 1.

Los cuatro productos SHL actuales consisten en factor IX humano normal. Todos ellos son descendientes de los concentrados originales derivados del plasma que se desarrollaron en la década de 1960. Los productos originales se llamaban Complejo de Factor IX o Complejo de Protrombina. Eran mezclas de varios factores de coagulación, incluidos los factores II, VII, IX y X, además de los anticoagulantes proteína C y proteína S. Todas estas proteínas tienen estructuras químicas similares, lo que las hace difíciles de separar entre sí.

Los complejos supusieron un gran avance en el tratamiento de las hemorragias, pero pronto se hizo evidente que no podían utilizarse en grandes cantidades ni durante periodos prolongados de tiempo porque provocarían trombosis, una peligrosa coagulación no deseada. Esto impidió su uso para profilaxis o cirugía. Los productos complejos del factor IX todavía están en el mercado, pero no deben usarse para el tratamiento de la hemofilia B debido a sus riesgos de seguridad. Actualmente se utilizan principalmente para el tratamiento de enfermedades hepáticas.

Tabla 1: Productos de factor IX de vida media estándar (SHL) actualmente disponibles en los EE. UU.

Marca	Nombre genérico	Fabricante	Tipo
AlphaNine SD	Factor IX de Coagulación (Humano)	Grifols Biologicals	Derivados del plasma
BeneFix	Factor IX de coagulación (Recombinante)	Pfizer/Wyeth	Recombinante – Células CHO
Ixinity	Factor IX de coagulación (Recombinante)	Medexus/Aptevo	Recombinante – Células CHO
RIXUBIS	Factor IX de coagulación (Recombinante)	Takeda/Baxalta	Recombinante – Células CHO

AlphaNine, el único producto derivado del plasma que quedaba, fue uno de los primeros productos en contener factor IX altamente purificado sin los otros factores. Ha demostrado ser seguro frente a las complicaciones trombóticas y sigue siendo utilizado por varios pacientes. El otro gran cambio de factor IX fue la introducción de métodos para la inactivación y eliminación viral, lo que ocurrió a mediados y finales de la década de 1980.

Antes de la introducción de esos métodos, los productos derivados del plasma a menudo estaban contaminados con agentes infecciosos como la hepatitis B y C y el VIH, el virus del SIDA. Los productos derivados del plasma ahora se consideran completamente seguros. No ha habido incidencias de transmisión viral por productos de factor de coagulación desde finales de la década de 1980, o de cualquier otro producto derivado del plasma desde principios de la década de 1990.

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

Un hecho poco apreciado es que todos los productos recombinantes también son tratados para la inactivación y eliminación viral. Aunque las células utilizadas para el cultivo celular se examinan minuciosamente para asegurarse de que son seguras, se descubrió desde el principio que algunas de estas células pueden contener genes de virus ocultos en su ADN. Estos genes virales podrían, en algunas condiciones de producción, “activarse” e introducir virus infecciosos en los productos. Ahora, además de tener pasos de fabricación para inactivar y eliminar cualquier virus, cada lote de producto, ya sea derivado del plasma o recombinante, también se prueba para asegurarse de que no haya agentes infecciosos conocidos presentes en el producto final.

La mayoría de los pacientes con hemofilia B usan productos recombinantes, pero hay algunos pacientes que todavía usan AlphaNine porque funciona mejor para ellos. Se desconoce la razón de esto, pero hay dos posibilidades importantes. Una es que los productos recombinantes

solo contienen una única versión del factor IX, la variante más común, que se considera factor IX “normal”. Sin embargo, el plasma, que se recolecta de miles de donantes, contiene una amplia gama de variantes del factor IX. Muchas personas tienen pequeñas mutaciones en sus genes y producen un factor IX que no está lo suficientemente modificado como para producir hemofilia, pero aun así tiene algunos cambios que pueden hacer que funcione mejor o peor en pacientes con hemofilia. Otra posibilidad es que las células animales utilizadas en el cultivo celular glicosilen el producto del factor IX de manera diferente a como lo hacen las células humanas. Muchos de los factores de coagulación, incluido el factor IX, se glicosilan después de que se produce la proteína. Eso significa que tienen cadenas de carbohidratos unidas a varias partes de la molécula. Las cadenas de carbohidratos son cadenas de moléculas de azúcar unidas entre sí (glyco proviene de la palabra griega para dulce o azúcar). Hay muchos tipos diferentes de azúcares más allá de lo que consideramos “azúcar de mesa”. No entendemos completamente las razones de estas cadenas de azúcar, pero sabemos que las células humanas agregan diferentes combinaciones de azúcares que las células CHO, por ejemplo. Estas diferencias pueden causar variaciones en la eficacia de los productos en algunos pacientes.

Productos de factor IX de vida media prolongada (EHL)

Los productos de factor IX de EHL disponibles actualmente en los EE. UU. se muestran a continuación en la Tabla 2. Todos los productos EHL son recombinantes.

El cuerpo elimina constantemente las copias existentes de las proteínas del torrente sanguíneo y las reemplaza con nuevas copias. Esto es parte del proceso para mantener el cuerpo en buen estado de funcionamiento. Las proteínas del factor IX introducidas por los distintos productos están sujetas al mismo proceso de eliminación. La vida media es la cantidad de tiempo que tarda la mitad de la proteína en eliminarse.

La vida media típica del factor IX normal es de 23 a 25 horas, aunque puede variar significativamente de una persona a otra. Todos los productos SHL tienen vidas medias similares a las del factor IX normal derivado del plasma. Eso significa que un paciente que usa un producto SHL tiene que infundir un nuevo factor IX cada tres días más o menos. (Tenga en cuenta que algunos de los productos SHL, como BeneFix, han desarrollado esquemas

Tabla 2: Productos de factor IX de vida media estándar (SHL) actualmente disponibles en los EE. UU.

Marca	Nombre genérico	Fabricante	Tipo
Alprolix	Factor IX de Coagulación (Recombinante), Proteína de Fusión Fc	Sanofi	Recombinante – Células HEK
Idelvion	Factor IX de Coagulación (Recombinante), Proteína de Fusión de Albúmina	CSL Behring	Recombinante – Células CHO
Rebinyl	Factor IX de coagulación (recombinante), Glico-pegilado	Novo Nordisk	Recombinante – Células CHO

de dosificación alternativos que utilizan dosis más altas para mantener los niveles de factor IX en el rango necesario durante una semana o más).

Los productos EHL utilizan varios métodos para mantener su factor IX en circulación durante períodos de tiempo más largos. Estos productos pueden dosificarse a intervalos de una a dos semanas, dependiendo de la respuesta individual del paciente.

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

Otro aspecto de Alprolix es que se fabrica en cultivo celular en células de riñón embrionario humano (HEK). El uso de células humanas para producir el producto produce potencialmente un factor IX que está glicosilado (tiene cadenas de carbohidratos unidas) de manera más similar a las moléculas de factor IX producidas naturalmente en el cuerpo humano. Se desconoce si eso realmente mejora el rendimiento de **Alprolix**.

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

Rebinyn utiliza un método diferente para mantener su factor IX en circulación por más tiempo. El polietilenglicol (PEG) es un polímero largo soluble en agua que ha encontrado muchos usos en medicina, incluida la mejora de la vida media de los medicamentos.

Rebinyn utiliza el factor IX con cadenas PEG unidas a los extremos de las cadenas de carbohidratos descritas anteriormente en la sección SHL. Estas largas cadenas PEG se agitan y se enrollan aleatoriamente alrededor de la molécula de factor IX. Forman una capa suelta que tiende a ocultar las moléculas de factor IX de las células hepáticas que normalmente eliminan el factor IX de la circulación.

Los productos SHL tienen pequeñas diferencias entre sí, pero incluso esas pequeñas diferencias pueden hacer que un producto se comporte de manera diferente a otro en un paciente determinado. A algunos pacientes incluso les va mejor con productos derivados del plasma que con productos recombinantes. Mientras tanto, los productos EHL utilizan métodos muy diferentes para prolongar su vida media, además de tener pequeñas diferencias en la molécula subyacente del factor IX, como los productos SHL. Los pacientes deben tener acceso a todos los productos disponibles para que puedan encontrar el que mejor se adapte a sus necesidades. No hay una talla única para todos. Cada paciente es único.

PRODUCTOS PARA EL TRATAMIENTO CON INHIBIDORES

Los productos utilizados para el tratamiento de pacientes con inhibidores se enumeran a continuación en la Tabla 3.

Los inhibidores son anticuerpos que el sistema inmunitario produce porque cree que un producto del factor IX infundido es una proteína extraña que podría ser peligrosa. Algunos de estos, conocidos como anticuerpos no neutralizantes, se unen al factor IX, pero no interfieren con su función. Los inhibidores son anticuerpos neutralizantes que se unen al factor IX en lugares de la molécula que evitan que funcione. Los inhibidores también se producen contra el factor VIII en la hemofilia A, donde son un problema importante. Los inhibidores ocurren con mucha menos frecuencia en la hemofilia B. Solo alrededor del 3 al 5% (las cifras son difíciles de precisar) de los pacientes con hemofilia B desarrollan inhibidores, pero cuando lo hacen, puede ser un problema muy grave.

Los inhibidores del factor VIII a menudo se pueden eliminar mediante un proceso llamado inducción de tolerancia inmunitaria (ITI). Sin embargo, la ITI funciona mal en muchos pacientes con hemofilia B con inhibidores. Además, muchos pacientes con inhibidores de la hemofilia B también desarrollan reacciones alérgicas al factor IX, incluida la anafilaxia, una reacción grave que puede poner

Tabla 3: Productos para el tratamiento de inhibidores actualmente disponibles en los EE. UU.

Marca	Nombre genérico	Fabricante	Tipo
FEIBA	Complejo coagulante anti-inhibidor	Takeda/Baxalta	Derivados del plasma
NovoSeven RT	Factor de coagulación VIIa (recombinante)	Novo Nordisk	Recombinante – BHK cells
Sevenfact	Factor de coagulación VIIa (recombinante)-jncw	HEMA Biologics	Conejos recombinantes – transgénicos

en peligro la vida. Los pacientes con inhibidores de la hemofilia B también son propensos a un trastorno renal llamado síndrome nefrótico. La mayoría de los pacientes con inhibidores de la hemofilia B terminan viviendo con su inhibidor y usando agentes de derivación para tratar las hemorragias.

Los productos de tratamiento con inhibidores se denominan agentes de derivación porque activan otras partes del sistema de coagulación, evitando el paso del factor VIII/factor IX. Funcionan tanto para pacientes con inhibidores de hemofilia A como B, pero no funcionan tan bien como lo haría un producto de factor regular en un paciente con hemofilia sin inhibidores. Tienen vidas medias bastante cortas, requieren infusiones frecuentes para tratar las hemorragias y son caras. Se pueden usar de forma profiláctica, pero la mayoría de los pacientes solo los usan para el tratamiento a demanda de las hemorragias.

FEIBA es una versión derivada del plasma del complejo del factor IX en el que los factores de coagulación se han activado mediante un método patentado. Es utilizado por algunos pacientes con inhibidores de la hemofilia B, pero debido a que contiene factor IX, conlleva un riesgo de reacciones alérgicas/anafilácticas. La forma en que funciona FEIBA no se comprende completamente, pero contiene factor VII activado como los otros dos agentes de derivación. Es probable que los otros factores activados en FEIBA también desencadenen otras partes del sistema de coagulación.

NovoSevenes un producto recombinante de factor VII activado. El sistema general de coagulación consta de dos vías, una que depende de los factores VIII y IX, y la otra que depende del factor VII. La adición del factor VII activado desencadena esa vía alternativa para que finalmente se forme un coágulo. Tenga en cuenta que NovoSeven se produce en cultivo celular utilizando un microorganismo diferente, células de riñón de hámster bebé (BHK). La elección del tipo de célula suele estar determinada por el tipo que funciona mejor para producir un producto en particular.

Sevenfact es un nuevo producto de factor VII activado recombinante. Es similar a NovoSeven pero fabricado mediante un proceso completamente diferente. Para Sevenfact, los conejos han sido modificados genéticamente para producir factor VII en su leche. Los conejos se ordeñan y la leche se purifica para capturar el factor VII, que luego se activa para producir el producto final. La producción de una proteína en un animal modificado genéticamente se denomina producción transgénica. También se ha utilizado para otros productos farmacéuticos aprobados por la FDA. Su ventaja es que se pueden producir grandes cantidades de proteína a un costo relativamente bajo. Originalmente se consideró como una forma de producir productos de alta calidad, pero de menor costo para los países en desarrollo, pero ese aspecto aún no se ha materializado.

TERAPIA GÉNICA

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

El producto de terapia génica única actualmente disponible en los EE. UU. para el tratamiento de la hemofilia B se enumera a continuación en la Tabla 4.

Hemgenix utiliza un virus adenoasociado, tipo 5 (AAV5) para administrar el gen del factor IX de Padua de alta actividad a las células del hígado. Los genes virales AAV5 se reemplazan con el gen del factor IX, por lo que no hay riesgo de infección. AAV5 se dirige al hígado para introducir el nuevo gen del factor IX en las células hepáticas, donde normalmente se produce el factor IX. Los resultados son algo variables. La mayoría de los pacientes obtendrán niveles de factor IX en el rango de hemofilia leve (5 a 50% de lo normal), pero algunos verán niveles más altos en el rango normal (50 a 150%). Actualmente se desconoce la duración del efecto, el tiempo que durará la producción del factor IX, pero una versión experimental anterior ha persistido hasta cinco años sin signos de disminución de la producción.

Tabla 4: Productos de terapia genética actualmente disponibles en los EE. UU.

Marca	Nombre genérico	Fabricante	Tipo
Hemgenix	Etranocogene dezaparvec	CLS Behring	Vector AAVS con gen Padua FIX

Tabla 5: Productos auxiliares actualmente disponibles en los EE. UU.

Marca	Nombre genérico	Fabricante	Tipo
Amicar	Aminocaproic acid	Akorn	Fibrinolítico
Cyclokapron	Tranexamic acid	Pfizer	Fibrinolítico
Lysteda	Tranexamic acid	Ferring	Fibrinolítico

Este tratamiento tiene una serie de limitaciones. El producto no está indicado para pacientes menores de 18 años ni para mujeres con hemofilia. No se excluyen los pacientes con anticuerpos preexistentes contra AAV5, pero es posible que el tratamiento no funcione para aquellos con niveles extremadamente altos de anti-AAV5. También existe el riesgo de inflamación del hígado después de recibir la infusión, y los pacientes con daño hepático preexistente solo deben ser tratados bajo la supervisión de un hepatólogo (médico del hígado). Si se produce inflamación, los pacientes son tratados con corticosteroides. La inflamación no tratada puede provocar una disminución de la producción de factor IX, así como otros efectos sobre la salud.

Tratamientos auxiliares

Los productos auxiliares actualmente disponibles en los EE. UU. para el tratamiento de pacientes con hemofilia B se enumeran a continuación en la Tabla 5.

Estos tres productos se pueden utilizar para tratar hemorragias leves en pacientes con hemofilia leve (nivel

de factor 5 - 50% de lo normal) o moderada (1 - 5%). Los tres son fibrinolíticos, que inhiben la descomposición de los coágulos. Tan pronto como se activa el sistema de coagulación, el sistema fibrinolítico, que es parte del proceso de curación, también se activa para comenzar a descomponer el coágulo. En un paciente sin hemofilia, el proceso de coagulación es muy rápido en comparación con el proceso fibrinolítico, por lo que se produce un buen coágulo que solo se descompone gradualmente con el tiempo. Sin embargo, en un paciente con hemofilia, el proceso de coagulación es mucho más lento, por lo que la inhibición del proceso fibrinolítico puede marcar la diferencia en la formación o no de un coágulo estable.

La gran cantidad de productos disponibles para el tratamiento de la hemofilia B aumenta las posibilidades de que cada paciente pueda encontrar un producto que funcione bien para ellos. Seleccionar el mejor producto puede ser un proceso de prueba y error, pero trabajar con un tratante experimentado de la hemofilia puede acortar el proceso. Si cree que podría obtener mejores resultados, no dude en preguntarle a su médico.

¿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?

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 factores mejorados, 2) agentes reequilibrantes 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.

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. Las mejoras incluyen vidas medias más largas y la administración por inyección subcutánea. Esta sección también contiene noticias sobre algunos productos más nuevos que ya están en el mercado.

Idelvion puede permitir intervalos de dosificación de 21 días

CSL Behring

23/5 CSL Behring comercializa Idelvion, un concentrado de factor IX recombinante de vida media prolongada. En un informe sobre su estudio de extensión (a largo plazo) de los pacientes en su estudio clínico original de fase III, exploraron la posibilidad de cambiar a un intervalo de dosificación más largo (el tiempo entre infusiones). A los adultos, de 18 años o más, en el estudio original se les permitió aumentar su intervalo de dosificación del intervalo inicial de 7 días a un intervalo de 14 días si les estaba yendo bien y no habían tenido hemorragias en los últimos seis meses. En el estudio de extensión, a los que estaban en un intervalo de 14 días se les permitió de manera similar cambiar a un intervalo de 21 días después de seis meses si no tenían hemorragias.

Once de los 59 pacientes del estudio de extensión pudieron cambiar a una dosis de 21 días y una dosis de 100 UI/kg. Tenían una mediana de la tasa anual de sangrado (ABR por sus siglas en inglés) de cero (rango de 0 a 4,7), y su nivel medio del factor IX era superior al 5% hasta el día 21. El estudio muestra que los pacientes que están bien controlados con una dosis semanal de Idelvion podrían extender su intervalo de dosificación a cada dos semanas, o en adultos, posiblemente cada tres semanas. [Pabinger I et al., Res. Pract. Trombo. Haemost., 7(4), 100195, 2023]

Nuevos estudios sobre Alprolix

Sanofi comercializa Alprolix, un producto de factor IX recombinante que se fusiona con la región Fc de una molécula de anticuerpo para darle una vida media más larga en circulación. Recientemente se han

sanofi

publicado varios estudios nuevos sobre Alprolix.

29/05/23 Un análisis a largo plazo de los datos de los tres estudios de fase III de Alprolix mostró una reducción del dolor, un aumento de la actividad física y mejoras en la calidad de vida en pacientes de fase III a los que se les ha hecho un seguimiento durante 4 a 5 años. El estudio siguió a 92 adultos y adolescentes de 12 años o más, así como a 30 niños menores de 12 años. [Astermark J et al., Ther. Adv. Hematol., 14:1-13, 2023]

18/07/23 Sanofi realizó un estudio de imagen de biodistribución de Alprolix para ver qué tejidos absorben la proteína. Los resultados se compararon con los del factor IX recombinante normal y el Rebinyn de Novo. Como era de esperar, encontraron que Rebinyn permanece principalmente en el torrente sanguíneo, mientras que el factor IX normal y Alprolix se encontraron en varios tejidos diferentes, incluido el tejido articular y muscular. La conclusión es que la fusión a un fragmento Fc no afecta a la distribución tisular. No se llegó a la conclusión de si la diferencia en la biodistribución entre Alprolix y Rebinyn afecta a la eficacia en los pacientes. [van der Flier A et al., Blood Coagul. Fibrinolysis, en línea antes de la impresión 18/07/23]

27/07/23 Otro estudio analizó las diferencias en la eficacia entre Alprolix e Idelvion utilizando los datos de los estudios de fase III de ambos productos. No encontraron diferencias significativas entre los productos. [Mancuso ME et al., J. Blood Med., 14:427-434, 2023]

11/8/23 El estudio final analizó la farmacocinética (PK) de Alprolix. PK mide la vida útil (vida media) y el aclaramiento (eliminación del cuerpo) de un producto. En este estudio, un modelo de farmacocinética previamente publicado para Alprolix en adultos se amplió para cubrir a niños menores de 12 años. Encontraron que el modelo PK anterior había predicho significativamente los niveles de factor IX en los niños, es decir, sus niveles después de una infusión eran más altos de lo predicho por el modelo. El nuevo modelo ofrece predicciones mucho mejores para los niños que reciben Alprolix. [Koopman SF et al., Hno. J. Clin. Pharmacol., en línea antes de su impresión 8/11/23]

Takeda detiene el estudio GO de FEIBA para inhibidores



23/08/23 Takeda comercializa FEIBA, un concentrado de complejo de protrombina activada para el tratamiento de pacientes con hemofilia A y B con inhibidores. Algunos pacientes con inhibidores de la hemofilia B usan FEIBA, pero muchos no pueden porque contiene el factor IX al que han desarrollado alergias. El estudio clínico GO de Takeda fue un estudio de eficacia y seguridad a largo plazo en el mundo real. El estudio comenzó en 2014, pero después de que Hemlibra fuera aprobado para el tratamiento de pacientes con inhibidores de la hemofilia A en 2018, muchos de los sujetos del estudio cambiaron a Hemlibra, lo que dificultó completar el estudio. Hemlibra no es eficaz en la hemofilia B. [Hagen T, artículo de Managed Healthcare Executive 23/08/23]

24/07/23 Takeda ha publicado los resultados de su estudio interrumpido de GO. [Ettingshausen CE et al., Ther. Adv. Hematol., 14:1-17, 2023]

Administración intranasal del factor IX

24/08/23 Un grupo de investigadores franceses está explorando la posibilidad de tratar a pacientes con hemofilia B con administración intranasal (gotas nasales o aerosoles) del factor IX. En estudios realizados en ratones, tanto el factor IX recombinante normal como el Alprolix se tomaron después de la administración intranasal y se administraron al torrente sanguíneo. Este estudio de "prueba de concepto" demostró que la vía nasal podría ser una posible alternativa a la infusión intravenosa. [Fieux M et al., J. Thromb. Haemost., en línea antes de la impresión del 24/08/23]

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 algunos factores 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 administra el primer paciente en el estudio de fase IIB de SerpinPC



10/7/23 Centessa Pharmaceuticals está desarrollando SerpinPC, un inhibidor de la proteína C activada por anticoagulante (APC) para controlar el sangrado en

pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. SerpinPC es una inyección subcutánea, una vez cada dos semanas. Ahora han administrado la dosis al primer sujeto sin inhibidores en su estudio de fase IIB. Planean comenzar a tratar a los pacientes con inhibidores a finales de este año. [Comunicado de prensa de Centessa 10/7/23]

Actualizaciones sobre Concizumab de Novo



Novo Nordisk está desarrollando concizumab, un inhibidor del inhibidor de la vía del factor tisular anticoagulante (TFPI, por sus siglas en inglés) para controlar la hemorragia en pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. El concizumab es una inyección subcutánea que se administra una vez al día.

9/8/23 El 10/3/23 se aprobó en Canadá el concizumab, nombre comercial Alhemo, para pacientes con hemofilia B con inhibidores mayores de 12 años de edad. Ahora, Canadá también ha aprobado el producto para el tratamiento de pacientes con hemofilia A con inhibidores. La aprobación en los EE. UU. se ha retrasado después de que la FDA solicitara información adicional a Novo. [Comunicado de prensa de Novo Nordisk del 9/8/23]

31/08/23 Los datos del estudio clínico de fase III para concizumab en pacientes con inhibidores se han publicado en el New England Journal of Medicine. [Matsushita T et al., N. Engl. J. Med., 389:783-794, 2023]

TERAPIA GÉNICA

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

AstraZeneca compra programas de terapia génica en fase inicial de Pfizer

28/07/23 AstraZeneca, una compañía farmacéutica británica, ha estado aumentando lentamente sus inversiones en terapia génica. En los últimos años han adquirido Alexion, una empresa de enfermedades raras, y LogicBio, pionera en terapia génica. Ahora han adquirido los programas de terapia génica en fase inicial (preclínica) de Pfizer. Pfizer había anunciado anteriormente que quería vender esos activos. Pfizer continuará con sus esfuerzos actuales para licenciar sus terapias génicas en etapa avanzada para la hemofilia A y B. No se sabe si AstraZeneca funcionará en la hemofilia. [Artículo de Biopharma Dive del 28/07/23]

Lilly adquirirá Sigilon Therapeutics

29/06/23 Sigilon ha estado desarrollando un tratamiento de terapia celular para la hemofilia. A diferencia de la terapia génica, en la que se introduce un nuevo gen en las células existentes en el cuerpo, la terapia celular introduce células



completamente nuevas en el cuerpo. El reto es evitar que el sistema inmunitario rechace las nuevas células. El producto de Sigilon consiste en células modificadas genéticamente que expresan una proteína de interés. En el caso de la hemofilia, las células producirían factores de coagulación.

En el caso de Lilly serían células beta que producen insulina. Las células están encapsuladas en un material polimérico llamado afibromer que evita que el sistema inmunitario las vea como un cuerpo extraño. La idea es colocar las células encapsuladas en el saco menor (bursa omental), que es una pequeña cavidad entre el estómago y el hígado donde generarán factor.

Aunque comenzaron con un interés en el factor IX para la hemofilia B, su primer estudio clínico en 2020 eligió el factor VIII y la hemofilia A como su objetivo. Desgraciadamente, la prueba fue un fracaso. Uno de los tres sujetos desarrolló un inhibidor del factor VIII, y los tres experimentaron disminuciones significativas en la producción de factor. Después de la cirugía para extirpar las células encapsuladas, se descubrió que se habían fibrosado, es decir, que el cuerpo las había cubierto con tejido fibroso para aislarlas del resto del cuerpo. Las celdas del interior estaban muertas.

Aunque Sigilon ha estado trabajando para resolver el problema de la fibrosis de las células encapsuladas, no está claro si seguirán centrándose en la hemofilia. Con la adquisición por parte de Lilly, su programa principal es ahora la producción de insulina por parte de las células implantadas. Sin embargo, si son capaces de resolver el problema del rechazo celular de la insulina, no debería ser difícil sustituir las células que producen otras proteínas. [Comunicado de prensa de Sigilon 29/06/23]

Mejora de la salud de las articulaciones con la terapia génica

25/06/23 Una de las consideraciones sobre si la terapia génica podría llamarse una "cura" para la hemofilia es si puede mejorar la salud de las articulaciones de los pacientes que ya tienen daño articular. En el pasado, generalmente hemos considerado que el daño articular es irreversible, pero un informe reciente de Roche/Spark para su terapia génica de hemofilia A, SPK-8011, sugiere que esa idea podría ser errónea.

En un pequeño subconjunto de sujetos en su estudio de fase I/II, observaron mejoras significativas en la salud de las articulaciones durante un período de tres años. Curiosamente, las rodillas mostraron la mayor mejoría, seguidas por los tobillos, que mostraron una modesta mejoría. Los codos mostraron una mejoría modesta o nula. [Congreso ISTH 2023, resumen OC 20.3]

Hidrodinámica, entrega de genes, no viral

23/6 Aunque funciona, la administración de terapia génica utilizando virus no es óptima, y muchos investigadores están trabajando en mejores formas de administrar

nuevos genes al cuerpo. Una colaboración entre científicos de Japón y de la Universidad de Georgia está estudiando la inyección hidrodinámica en el hígado.

Básicamente, se utilizó un catéter para inyectar una solución de alta presión de genes del factor IX en el hígado. En experimentos con ratones, perros, cerdos y babuinos, demostraron que las células hepáticas absorben los nuevos genes. Un babuino mostró un nivel de factor IX del 53% de lo normal que persistió durante los 210 días del estudio. Con las inyecciones producidas no hay problemas de seguridad, excepto un ligero aumento de las enzimas hepáticas, lo cual es de esperar. Esta podría ser otra forma de realizar terapia génica en el futuro. [Kamimura K et al., Mol. Ther. Nucleic Acids, 32:903-913, 2023]

Cáncer de hígado que no es causado por la terapia génica

23/06/23 Un sujeto en los estudios clínicos de Hemgenix desarrolló carcinoma hepatocelular (cáncer de hígado) después del tratamiento. Un grupo de científicos de Europa, así como de CSL y uniQure investigaron ese desarrollo a fondo y encontraron que no había evidencia de que el cáncer de hígado del paciente fuera causado por el tratamiento de terapia génica. Muchos pacientes mayores con hemofilia han estado expuestos previamente a varios virus a través de concentrados de factores derivados del plasma y, por lo tanto, tienen factores de riesgo significativos para la hepatitis, que a menudo conduce a la cirrosis y el cáncer. Se trataba de un varón de 69 años que había padecido hepatitis B y C. Los científicos no encontraron ninguna relación entre su tratamiento de terapia génica AAV y su cáncer. [Schmidt M et al., Blood Adv., en línea antes de la impresión del 23/06/23]

CSL Behring
uniQure

Terapia basada en los resultados ("No cura; no pago") para la terapia génica

17/08/23 El alto costo de la terapia génica es un gran problema para los pacientes y los pagadores. Solo los pacientes con hemofilia más ricos podrían pagar 3,5 millones de dólares por Hemgenix, e incluso ellos podrían ser reacios. Por lo tanto, solo nos quedan los pagadores, principalmente las compañías de seguros y los gobiernos, para pagar la cuenta. Como era de esperar, están muy nerviosos por desembolsar estas grandes sumas por un producto que podría no funcionar en todos los pacientes y/o podría tener una durabilidad limitada (el tiempo que funciona el producto).

Tanto CSL Behring (Hemgenix para la hemofilia B) como BioMarin (Roctavian para la hemofilia A) ofrecen "garantías" para sus productos. Estas garantías ofrecen un reembolso total o parcial a los pagadores si los pacientes no responden a las terapias. [Artículo de Managed Healthcare Executive, entrevista con Joe Pugliese de Hemophilia Alliance, 17/08/23]

CSL Behring
BioMARIN

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA



SIMPOSIO ANUAL

DALLAS, TX: 25-28 DE ABRIL DE 2024

**LAS SOLICITUDES PARA
BECAS DE VIAJE Y HOTEL YA
ESTÁN ABIERTAS:
HEMOB.ORG**





NOTICIAS DE ABOGACÍA

EL MUNDO DEL TRABAJO

POR ELLEN KACHALSKY, LMSW, ACSW, CCM

Si ha estado trabajando, pero le resulta cada vez más difícil hacer su trabajo, especialmente si su condición física cambia, es posible que desee considerar una serie de herramientas que pueden ayudar.

Adaptaciones de la ADA en virtud de la Ley de Estadounidenses con Discapacidades: Si está trabajando, pero tiene dificultades debido a problemas con las articulaciones, el dolor y la movilidad, es posible que desee considerar solicitar una adaptación en el trabajo. Piense en esto si tiene una discapacidad visible, es decir, tiene problemas para caminar y usa un bastón o un andador. Pedir ayuda con tareas específicas puede incluir que alguien le traiga suministros o que se los lleve a otra persona. Puede incluir colocarlo más cerca de un ascensor y estacionarse más cerca de una entrada (asegúrese de tener un cartel o licencia de estacionamiento para discapacitados. Su proveedor de atención médica deberá completar un formulario). También podría significar que tiene acceso a una habitación privada en caso de que necesite infundir su medicamento de factor. Una adaptación de la ADA proporciona algunas protecciones cuando usted hace esa solicitud.

FMLA: Si las adaptaciones de la ADA no son suficientes para ayudar con su situación, es posible que desee solicitar tiempo libre de la FMLA (Ley de Licencia Familiar y Médica). La FMLA le permite hasta 12 semanas de licencia en un período de 12 meses, que se puede usar de forma intermitente o continua, y también le brinda algunas protecciones. Podría usar este tiempo para regresar periódicamente a casa para recibir tratamiento y para la recuperación después de un episodio de sangrado, o acudir a su proveedor de atención médica para exámenes, pruebas, procedimientos y tratamiento. Podría usar esto continuamente si se sometiera a una cirugía o a un procedimiento que requiriera recuperación. Si necesita que un miembro de su familia lo ayude durante estos momentos, también puede solicitar una FMLA a su empleador para que pueda tener tiempo libre para ayudarlo.

Quizás te preguntes: “¿Qué pasa si ya no puedo hacer mi trabajo?” Si esto puede ser temporal porque se está sometiendo a una cirugía y se está recuperando, considere lo siguiente:

Discapacidad a corto plazo (ETS):

Si se vuelve extremadamente difícil continuar haciendo su trabajo, deberá averiguar si puede solicitar una discapacidad a corto plazo (si la tiene como un beneficio a través de su empleador o si compró su propia póliza). Por lo general, las ETS están cubiertas hasta seis meses y proporcionan un reemplazo de ingresos limitado.

Discapacidad a Largo Plazo (LTD):

Si su condición justifica estar fuera por más de seis meses, la discapacidad a largo plazo comenzará siempre y cuando tenga ese beneficio a través de un empleador o haya comprado su propia póliza. La mayoría de las compañías de seguros LTD, que continúan proporcionando reemplazo de ingresos, ahora requieren que usted también solicite el Seguro Social por Discapacidad (ver más abajo).

Si ha estado fuera del trabajo y con una discapacidad a corto plazo y tiene una discapacidad a largo plazo, se requerirá documentación para que sus médicos completen y justifiquen la continuación de esa licencia por razones médicas. Incluso si no tiene LTD, y su condición es a) se espera que dure un año o más O b) le impide hacer su trabajo, puede solicitar SSDI. La Administración del Seguro Social tiene algunos otros criterios que deberá cumplir, incluida la imposibilidad de adaptarse a otro trabajo debido a su afección. En el caso de los trastornos hemorrágicos, revisarán si ha tenido al menos tres hospitalizaciones por su afección o complicaciones de esa afección en el año anterior a la solicitud. También analizará otras complicaciones, incluida la limitación del movimiento de las articulaciones.

Por lo tanto, pida consejo a su trabajador social del personal de HTC o a un abogado especializado en discapacidad (por lo general, la consulta inicial es gratuita) antes de llamar al 1-800-772-1213 para iniciar una solicitud por teléfono para que presente su solicitud en la categoría correcta. También debe haber trabajado cinco de los últimos diez años y haber pagado sus impuestos FICA y Medicare de su salario. Si no tiene ninguna fuente de ingresos, entonces al mismo tiempo, dígalos que desea solicitar SSI (Seguridad de Ingreso Suplementario).

En cualquier caso, si se le aprueba el SSI, los pagos

comenzarán a partir del mes en que presentó la solicitud y le permitirán tener Medicaid a través de su estado hasta que comience su SSDI. Incluso si no tiene suficientes créditos para recibir el Seguro Social por Discapacidad (SSDI), por lo general puede recibir SSI a través de su estado. **IMPORTANTE:** Tenga en cuenta que la cantidad que recibe de SSI suele ser una cantidad establecida por cada estado, y cuando comienza su SSDI, esa cantidad puede descalificarlo para la SSI y Medicaid estatales, porque el SSDI suele ser una cantidad más alta.

Si se le aprueba, los pagos de SSDI comienzan después de cinco meses del "inicio" de la discapacidad. Después de haber estado recibiendo SSDI durante 24 meses, será elegible para Medicare (lo que la mayoría de las personas reciben a los 65 años al jubilarse).

Debido a que la cobertura de seguro, así como la cobertura de Medicare, es tan complicada, obtenga asesoramiento de su trabajador social de HTC, asesor financiero y otras organizaciones que pueden ayudarlo a revisar sus necesidades de cobertura.

LO QUE MUESTRAN LOS DATOS SOBRE LOS PROGRAMAS DE AJUSTE DEL ACUMULADOR DE COPAGOS

POR KOLLET KOULIANOS, MBA,
CONSULTOR DE PAGADORES DE LA ALIANZA DE HEMOFILIA



A estas alturas, no hay duda de que nuestros HTC no solo están bien versados en lo que son los Programas de Ajuste del Acumulador de Copagos (CAAP), sino que es probable que la mayoría, si no todos, de ustedes hayan tenido pacientes que se han comunicado en busca de ayuda, dado que los datos más recientes publicados por Avalereⁱ¹ sugieren que el 83% de los afiliados comerciales están en un plan que tiene lenguaje de acumulador de copagos. Si se tiene en cuenta que el primer CAAP fue implementado por un empleador autofinanciado en enero de 2017, la aceptación no tiene precedentes.

Desde el principio, hemos expresado nuestra preocupación por las consecuencias no deseadas que podrían resultar para aproximadamente el 55% de los pacientes con enfermedades crónicas en un plan de salud con deducible alto (HDHP, por sus siglas en inglés)ⁱⁱ, dado que los afiliados deben satisfacer su deducible completo antes de que el plan contribuya con el primer centavo; y el hecho de que los deducibles pueden ser tan altos como \$9,100 individuales / \$18,200 familiares en 2023. Los fabricantes afirman que ofrecen programas de asistencia de copago al paciente a pacientes con seguro comercial para reducir la carga de los costos de bolsillo del paciente, porque, francamente, son insostenibles.

La investigación realizada por el Consejo Nacional de Farmacéuticos y Xcendaⁱⁱⁱ encontró que el aumento de los costos compartidos por parte de los pacientes se asoció con una peor adherencia a la medicación (84% de los estudios), persistencia^{iv} (79%) y suspensión del uso de medicamentos (58%). Además, seis de nueve (67%) estudios encontraron que el aumento de los costos compartidos se asoció con una disminución del inicio de la medicación.

Cuanto mayor sea la magnitud de los costos compartidos

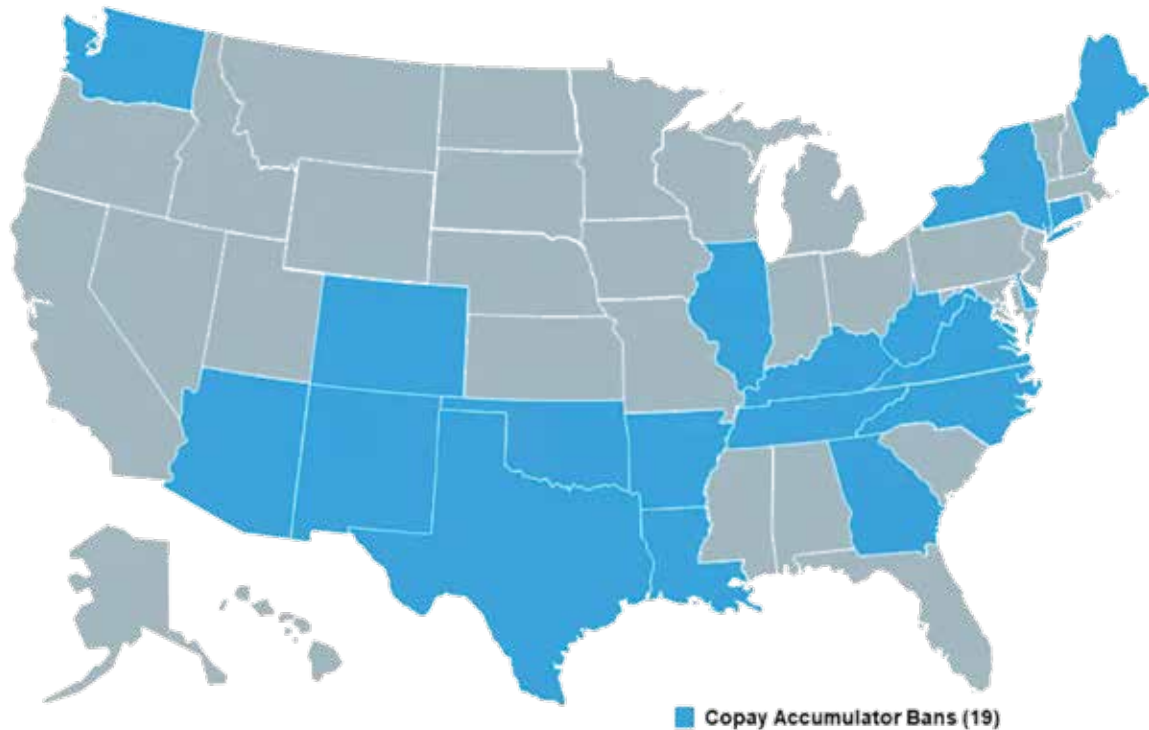
por los pacientes, peores serán los resultados de adherencia, independientemente de la afección, la población de pacientes o el tipo de costo compartido. Esta evidencia indica que los pacientes no logran comenzar y continuar con los medicamentos necesarios debido a la carga de costos.

Algunas pruebas también sugieren que un mayor costo compartido de los medicamentos por parte de los pacientes se asoció con un aumento de las hospitalizaciones y una disminución del uso de los servicios ambulatorios. Cuatro de los seis estudios mostraron un aumento significativo en la utilización hospitalaria de pacientes hospitalizados asociado con una mayor participación en los costos.

Al día de hoy, 19 estados (mapa a continuación) han prohibido los programas de acumulación de copagos para pagadores y administradores de beneficios de farmacia (PBM, por sus siglas en inglés).^v Estas leyes se aplican a los planes de salud regulados por el estado, incluidos los mercados individuales, de grupos grandes totalmente asegurados y de grupos pequeños. Es posible que otros estados se unan al creciente número de estados para aprobar leyes de acumulación, ya que varios estados aún no han concluido sus sesiones legislativas de 2023. Un póster presentado a finales de junio de 2023 en la conferencia Academy Health ARM2023 sugiere que los estados que han prohibido el uso de acumuladores de copagos vieron una disminución en la responsabilidad de bolsillo del paciente y un aumento en la adherencia al tratamiento y persistencia.^{vi} Para aquellos de ustedes que todavía están trabajando para aprobar una legislación en su estado, estos hallazgos deberían ser beneficiosos para compartir con los legisladores estatales que buscan destacarse en los debates de PBM.

Un póster presentado a finales de junio de 2023 en la conferencia Academy Health ARM2023 sugiere que los estados que han prohibido el uso de acumuladores de copagos vieron una disminución en la responsabilidad de bolsillo del paciente y un aumento en la adherencia al tratamiento y persistencia.^{*vi} Para aquellos de ustedes que todavía están trabajando para aprobar una legislación en su estado, estos hallazgos deberían ser beneficiosos para compartir con los legisladores estatales que buscan destacarse en los debates de PBM.

ESTADOS ACTUALES CON PROHIBICIONES DE ACUMULADORES



Debido a que los estados no tienen autoridad sobre los planes de ERISA, el trabajo federal también se está realizando en paralelo a los esfuerzos estatales. H.R. 830 La Ley de Copagos HELP ha sido presentada por el representante Buddy Carter (R-GA) y actualmente cuenta con 61 copatrocinadores bipartidistas; y el proyecto de ley complementario del Senado S.1375, liderado por el senador Roger Marshall, MD (R-KS) también ha sido presentado y actualmente tiene 13 copatrocinadores bipartidistas.

Este artículo se centra en los acumuladores de copagos, no en los maximizadores de copagos. En los próximos meses nos sumergiremos en los maximizadores de copagos. Cualquier pregunta puede dirigirse al equipo de pagadores de la Alianza de Hemofilia y, para obtener recursos adicionales centrados tanto en los acumuladores como en los maximizadores, visite www.allcopayscount.org

REFERENCIAS

- i. ¡Acumuladores y maximizadores de copagos: Evolución del panorama de políticas | Salud de Avalere
- ii. Encuesta Nacional de Pacientes y Cuidadores dirigida por la Fundación Nacional de Hemofilia e incluyó a la Fundación de Artritis, el Fondo del Riñón, la Sociedad de Esclerosis Múltiple, el Apoyo al Cáncer y el Instituto del Sida con resultados que se encuentran aquí: COVID-19 exacerba los desafíos de asequibilidad del tratamiento y las desigualdades en salud | Fundación Nacional de Hemofilia
- iii. Los altos costos de bolsillo de los pacientes conducen a una peor adherencia a la medicación sin ahorros generales en atención médica | Consejo Nacional de Farmacéuticos (npcnow.org)
- iv. La persistencia se refiere al período de tiempo que transcurre desde el inicio del tratamiento hasta su interrupción, mientras que la adherencia se refiere a la medida en que el paciente actúa de acuerdo con el intervalo prescrito y la dosis de régimen.
- v. Las prohibiciones estatales de los acumuladores de copagos afectarán al 19% de las vidas comerciales de EE. UU. | Salud de Avalere
- vi. https://www.linkedin.com/posts/drjmob_academy-actividad-póster-salud-7080319268872966145-_9mH/?utm_source=compartir&utm_medium=member_escritorio&lipi=urna%3Ali%3Apage%3Ad_flagship3_messaging_conversation_detail%3Bvcd1c9FYSxythnRaROzFAQ%3D%3D

CONFERENCIA SOBRE TRASTORNOS HEMORRÁGICOS DE TEXAS 2023

Jibin y Farrah se divertieron mucho en la Conferencia de Trastornos Hemorrágicos de Texas en The Woodlands, Texas, del 16 al 18 de junio.

¡Fue genial trabajar con el Capítulo Lone Star y el Centro de Trastornos Hemorrágicos de Texas en un evento tan increíble! Gracias a todos los que pasaron por nuestro puesto de atención. ¡Fue genial verlos!



CONFERENCIA DE LA FUNDACIÓN NACIONAL DE TRASTORNOS HEMORRÁGICOS 2023

La Conferencia sobre Trastornos Hemorrágicos de este año, organizada por la Fundación Nacional de Trastornos Hemorrágicos, se llevó a cabo del 17 al 19 de agosto de 2023 en Washington, DC.

Wayne, Rocky, Erica, Farrah, April y Fel se lo pasaron genial representando a The Coalition For Hemophilia B en la 75ª Conferencia Anual. Gracias a todos los que visitaron nuestro puesto de atención. ¡Fue genial ver a todos y participar en este increíble evento!



Mensajes desde el ojo del huracán

ENTREVISTA CON JENNIFER LYNNE POR RENAE BAKER

Dicen que la calma se encuentra en el ojo de un huracán. Es posible que incluso puedas ver la luz del sol desde su interior. Sin embargo, los expertos en meteorología aconsejan encarecidamente que uno continúe refugiándose en un lugar seguro y preparándose para lo peor porque, lo que rodea ese ojo es la parte más fuerte del huracán, y en cuestión de segundos esos vientos devastadores pueden estar sobre uno.

¡Jennifer Lynn vive en un condominio que ha estado en el ojo de dos huracanes! El último fue Ian, la destrucción masiva de la que la región aún se está recuperando. Originaria de Brookfield, Wisconsin, Jennifer ha vivido durante muchos años en la hermosa Punta Gorda, de Florida. Graduada con una licenciatura en marketing y periodismo de la Universidad de Wisconsin, Madison, se describe a sí misma como una nerd de la informática. “Me gano la vida siendo desarrollando espacios virtuales. Llevo toda la vida trabajando por cuenta propia”, afirma. “Mis clientes están en todo el mundo y van desde organizaciones sin fines de lucro hasta bufetes de abogados”.

Jennifer, que tiene hemofilia B leve y enfermedad de von Willebrand, también es columnista en boletines de salud. Cada semana escribe sobre las luchas de las mujeres con trastornos hemorrágicos. Sabía que estaba marcando una diferencia en la vida de las mujeres que habían sido diagnosticadas y estaban siendo tratadas como resultado de sus artículos, pero estaba decidida a ir más allá.

“Como mujer afectada por la hemofilia B y la enfermedad de von Willebrand, me doy cuenta de que aumentar la conciencia sobre los trastornos hemorrágicos en mujeres no diagnosticadas y las niñas es esencial. Todas las mujeres deben ser conscientes de los síntomas de un trastorno hemorrágico y hacerse la prueba si se justifica. Los trastornos hemorrágicos, incluso los leves, pueden causar problemas potencialmente mortales en todas las etapas de la vida”.

Jennifer compartió que tiene curiosidad por saber cómo corremos la voz sobre las mujeres y los trastornos hemorrágicos a personas fuera de la comunidad de trastornos hemorrágicos. “Hacemos un buen trabajo con las personas que han sido identificadas y que ya saben que son parte de la comunidad, pero ¿qué pasa con las personas que viven con deficiencias de hierro, anemia y menstruaciones abundantes que no tienen ni idea de lo que les pasa? ¿Cómo llegamos a esas personas antes de que tengan un evento que ponga en peligro su vida?”



Con ese fin, Jennifer ha creado su propio sitio web y es la investigadora principal de contenido y autora del mismo: www.GirlsBleedToo.com. En este sitio hermoso y fácil de navegar, encontrará enlaces a recursos que le han resultado útiles, programas de asistencia al paciente, becas disponibles para personas con trastornos hemorrágicos y los frutos de su investigación reflexiva a través de su estilo accesible de comunicación. “Estoy tratando de convertirlo en una ventanilla única para las mujeres con trastornos hemorrágicos, para que puedan aprender más y encontrar recursos útiles. No hay nada como esto en este momento”. Puede ponerse en contacto con ella a través del sitio web para sugerir un tema para su columna o un artículo para su sitio web. Te invita a que le cuentes tu historia.

Las observaciones de Jennifer la han llevado a creer que el primer lugar para comenzar a crear conciencia sobre las mujeres con hemofilia es con la capacitación médica que reciben nuestros futuros médicos. “Todavía hay muchos médicos que creen que la hemofilia solo existe en los hombres”, explica Jennifer. “Cuando eligen sus



especialidades, la parte de hematología se centra en los cánceres y las anemias, no en los trastornos hemorrágicos. Se da muy poca educación al respecto. Esa no es la especialidad en la que ganan dinero. Hay más dinero en oncología, mientras que los centros de tratamiento de trastornos hemorrágicos son financiados por el gobierno federal. Creo que un buen punto de partida es que los proveedores de atención médica tengan más conocimiento sobre qué buscar y qué hacer cuando creen que han identificado un trastorno hemorrágico en una persona”.

Los trastornos hemorrágicos de Jennifer se identificaron en 1975 cuando experimentó una hemorragia potencialmente mortal debido a una amigdalectomía cuando tenía diez años. “Me identificaron antes de tener la menstruación, pero ese es un gran síntoma para las mujeres a esa edad. Tener sangrado menstrual es una parte importante de ser diagnosticado, y si no puedes hablar de ello, no ayuda”. A Jennifer le gustaría ver la proyección de las niñas cuando comienzan a menstruar y tener discusiones abiertas al respecto.

Jennifer cree que tenemos que hacerlo mejor, como comunidad, para informar sobre los problemas cuando se trata de mujeres con hemofilia o mujeres portadoras. “Tenemos que ser más claros con nuestro mensaje. No se puede pensar de esta manera ‘Eres un portador, así que no te afecta’. Hemos recorrido un largo camino desde que yo era una niña, pero aún no hemos llegado a ese punto. Necesitamos que las mujeres afectadas por la hemofilia hablen y den un paso adelante para que las personas entiendan que no es algo que solo afecta a los hombres. Las mujeres se enfrentan a problemas diferentes a los de los hombres, y se necesitan más ensayos clínicos que incluyan a las mujeres”.

Los ensayos clínicos para la hemofilia son esenciales para avanzar en el conocimiento médico y desarrollar tratamientos. Jennifer revisa los ensayos clínicos y proporciona enlaces a ellos en “Recursos” en su sitio web. Ha notado una lamentable falta de mujeres en estos ensayos. “La mayoría de los ensayos clínicos se limitan a hombres y a personas con hemofilia moderada a grave. En consecuencia, a las mujeres con el trastorno y a la población leve se les niega la oportunidad de participar en ensayos que podrían mejorar su calidad de vida. Creo que podemos hacerlo mejor”.

Jennifer se da cuenta de que este descuido se debe a la falta de conciencia y a conceptos erróneos sobre la prevalencia y la gravedad de la hemofilia en las mujeres.



Jennifer con sus sobrinos, George y Bernard.



“Como resultado, las mujeres han tenido dificultades para acceder al tratamiento, a pesar de que se enfrentan a complicaciones hemorrágicas únicas durante la menstruación y el parto. Incluir a las mujeres con hemofilia en los ensayos clínicos permitirá a los investigadores comprender mejor el impacto específico de la hemofilia en el cuerpo de las mujeres, al tiempo que proporcionará acceso a las participantes a terapias de vanguardia en desarrollo y ayudándolas en su propia defensa de la atención médica. De esta manera, podemos garantizar que se satisfagan las necesidades únicas de las mujeres, contribuyendo a un sistema más inclusivo y equitativo.

Sin embargo, hay esperanza en el horizonte. Citando uno de los artículos de Jennifer, “Afortunadamente, la comunidad médica y los investigadores han hecho un cambio lento pero significativo en los últimos años hacia el reconocimiento y el abordaje de las necesidades de las mujeres con hemofilia, incluida la atención especializada y tratamientos más personalizados, mediante la recopilación de datos sobre ellas en los ensayos que han realizado. Incluir a las mujeres con hemofilia en los ensayos clínicos marca un paso importante para abordar la negligencia histórica que hemos enfrentado. Es hora de derribar las barreras y garantizar que nadie se quede atrás en la búsqueda de una mejor salud para todos”.

Jennifer no siempre fue tan franca. El estigma que pesaba sobre la comunidad sobre la sangre contaminada hizo que se sintiera insegura al hablar de su trastorno hemorrágico. “Crecí durante la era del factor contaminado. Fue horrible. No hablábamos del tema. No querías que la gente supiera que tenías un trastorno hemorrágico, porque eso estaba asociado con el VIH y el SIDA. Solía recibir avisos por correo de que había recibido un producto sanguíneo (comprometido). Me hacían chequeos cada seis meses para detectar SIDA y hepatitis. Los jóvenes de hoy no saben cómo era”.

“Los sacrificios de mucha de nuestra gente fueron fundamentales para que hoy tengamos un suministro de sangre limpio y productos de factor seguro. Definitivamente fue un momento diferente en la



comunidad de trastornos hemorrágicos, y no debemos olvidarlo”.

Jennifer anima a todos a mantenerse conectados con la comunidad. “Hay muchos avances en este momento dentro de la comunidad de hemofilia. Si usted es una mujer con hemofilia B,

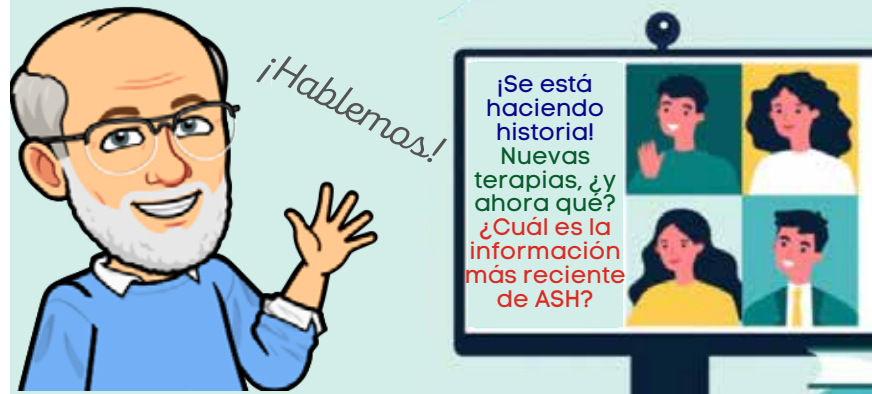
asegúrese de que la atiendan en un centro de tratamiento de hemofilia donde los hematólogos estén muy actualizados sobre la hemofilia. En mi opinión, el tratamiento que se recibe en el centro de tratamiento de la hemofilia es mejor que el que se recibe en una clínica oncológica con un hematólogo que no se especializa en trastornos hemorrágicos”.

“A veces pienso: ‘¿Cómo sería diferente mi vida si no tuviera este diagnóstico?’”, reflexiona Jennifer. “Pero debido a que lo hice, me volví muy activa en Camp Heartland, que es un campamento de verano para niños que tienen SIDA. Me convertí en madre adoptiva de algunos de los niños, ¡y aprendí mucho a través de eso! Siempre hay que tratar de ver el lado positivo y, para mí, ha habido muchos aspectos positivos”.

EL PANORAMA DE PRODUCTOS DE HEMOFILIA B

**REUNIONES VIRTUALES DE ZOOM
ENERO DE 7:00 P.M. A 8:30 P.M.**

REGÍSTRESE HOY: [HEMOB.ORG/UPCOMING-EVENTS](https://hemob.org/upcoming-events)



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

¡PREMIOS DE RIFA Y VALES DE COMIDA!

Alianza con Propósito

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA

CSL Behring
Biotherapies for Life™



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



LANDON: ¡UN ADOLESCENTE CON MUCHOS TALENTOS!

POR SHELLY FISHER

Landon tomó tiempo de empacar para su viaje al programa The Beats Music de la Coalition para la Hemofilia B en Nashville, Tennessee, para hablar conmigo sobre algunas de las cosas que él ama: la guitarra eléctrica, la cocina y las exhibiciones de autos.

A los pocos minutos de nuestra visita quedó claro que conocía las seis cuerdas de su guitarra Charvel, la cocina y una pista de carreras. Si bien este estudiante de octavo grado solo había estado tocando la guitarra eléctrica durante unos meses, ya estaba grabando canciones como "Enter Sandman", de Metallica, y "Smells Like Teen Spirit", de Nirvana. Incluso ha escrito algunas canciones y recordó una composición específica que escribió para su presentación en la clase de ciencias para promover la conciencia sobre el efecto de la espuma de poliestireno en el medio ambiente. Con una risa y una sonrisa lista, Landon compartió que había probado la trompeta, pero que simplemente no era lo suyo. Contó que su talento musical también se extiende al canto en el coro, él se unió a los contraltos el año pasado en el coro de la escuela. No fue ninguna sorpresa cuando me enteré de que tocaría en The Beats Music Program en Nashville, y tanto él como su madre esperaban ansiosamente lo que pasaría los próximos días.

¿Qué le gusta cocinar a un guitarrista eléctrico del 8º grado? Cuando la mayoría de los adolescentes preparan emparedados de queso a la parrilla y algún que otro huevo revuelto, Landon no está bromeando en la cocina. "Filet mignon medio crudo y pasta", fueron las respuestas de Landon sin dudarle cuando se le preguntó cuáles eran las especialidades de su casa el verano pasado. No es de extrañar que tuviera aspiraciones de ser chef algún día, y podría verlo fácilmente trabajando en un restaurante durante el día y tocando Rock en la casa por la noche con su banda.

Cuando hablé con Landon, estaba aprovechando al máximo su verano, pero también esperaba con ansias el nuevo año escolar. Le gusta pasar el rato con sus amigos y nadar y acababa de empezar a jugar en un equipo de fútbol de verano por primera vez, pero lo que parecía que más le entusiasmaba era conducir su kart por el barrio. Me dijo: "¡Es muy rápido!". Cuando se le preguntó si era capaz de deslizarse en su kart, su respuesta fue inmediata: "¡Definitivamente!". Luego agregó con una sonrisa: "Destruí los neumáticos". Como la mayoría de los adolescentes que se acercan al final del verano, Landon también estaba emocionado de conocer a sus nuevos maestros y comenzar nuevas clases, con un interés específico en la ciencia del consumidor.



Cuando nuestra conversación se centró en su diagnóstico de hemofilia B, la madre de Landon se unió a nosotros para ayudar con la secuencia de eventos. Después de todo, Landon tenía solo seis días de nacido cuando mantuvo un sangrado después de un procedimiento de rutina. Aunque su madre recordó a un tío lejano que había muerto después de recibir sangre contaminada, y a un primo que era conocido como un “sangrador”, nadie en su familia discutía abiertamente ninguno de los dos diagnósticos. Con siete libras, Landon recibió cuatro transfusiones de sangre y dos rondas de FFP. Debido a su experiencia, a la mamá de Landon le apasiona la comunicación y la transparencia entre las familias con antecedentes de hemofilia B. “Acéptalo y haz lo que tengas que hacer. Nadie quiere tenerlas, pero tienes que

tener conversaciones al respecto con tu familia”.



Fue el amor de Landon por las exhibiciones de autos y un horario de “profilación” ligeramente retrasado lo que lo llevó a uno de sus episodios más serios. Había estado

en casa de su tía con unos zapatos crocs y se había pasado un día de su terapia de profilaxis, caminaba por un campo de golf montañoso. Lo que podría haber resultado en una ampolla para algunos, causó una hemorragia y un gran dolor para Landon a la mañana siguiente. Una vez en el hospital, su madre se sorprendió por la falta de conocimiento que encontró en el lugar, pero al hacer una llamada rápida a su hematólogo se le dio a Landon el factor IX que necesitaba. No pudo caminar durante dos días y usó un andador durante una semana después.



Cuando le pregunté qué consejo le daría a alguien que ha sido diagnosticado recientemente, el entusiasta de los autos y chef estrella de rock sonrió ampliamente y dijo: “Asegúrate de estar a salvo, toma buenas decisiones, pero aun así diviértete”.

¡Rock en Landon!

EL CIBERACOSO Y LAS REDES SOCIALES: UNA TENDENCIA PREOCUPANTE

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

Con Internet al alcance de la mano, encontrar personas sin auriculares en los oídos y dispositivos en las manos es cada vez más difícil.

A medida que nuestra dependencia de la tecnología continúa aumentando, y el mundo virtual se arraiga más en nuestra cultura, hay una mayor oportunidad para que las personas intimiden y abusen a otros usuarios mientras permanecen en el anonimato. Puede que no haya mejor momento que el presente para protegerse más de aquellos que usan Internet para ser crueles. Cada vez que las personas se convierten en blanco de daños emocionales deliberados y repetidos por medio de dispositivos electrónicos, están experimentando lo que los científicos sociales llaman “ciberacoso”. Donde antes reinaban la intimidación y la agresión cara a cara, los acosadores están descubriendo que las redes sociales son una herramienta eficaz para lograr lo mismo.

Los adolescentes corren un riesgo especial. Un estudio del Pew Research Center de 2018 encontró que el 97% de los adolescentes de entre 13 y 17 años usan alguna plataforma de redes sociales como YouTube, Facebook, Instagram, Snapchat, etc. El cuarenta y cinco por ciento de

estos adolescentes están en línea regularmente. Un estudio de investigación de 2023 muestra ahora que el 85% de los adolescentes no solo están en línea con frecuencia, sino que utilizan ampliamente las redes sociales.



Lo preocupante es que estamos empezando a aprender que las tasas de ataques de ciberacoso aumentaron significativamente durante e incluso después de COVID.

Desafortunadamente, el ciberacoso adolescente no es una tendencia pasajera. Estadísticas recientes sugieren que este comportamiento se encuentra ahora en niveles asombrosos. Considere las siguientes estadísticas de 2023:

- Más adolescentes son acosados cibernéticamente en los Estados Unidos que en cualquier otro país del mundo.
- Alrededor del 60% de los adolescentes estadounidenses dicen que han experimentado alguna forma de

ciberacoso.

- Alrededor del 70% de los adolescentes estadounidenses informan que alguien ha difundido rumores sobre ellos en línea.
- Cuando se les pidió a los estudiantes que indicaran qué sitios de redes sociales habían experimentado ciberacoso, el 42% dijo Instagram, el 37% dijo Facebook, el 31% en Snapchat, el 12% en WhatsApp, el 10% en YouTube y el 9% en Twitter.
- Los maestros de escuela de EE. UU. informan que el acoso cibernético es su preocupación de seguridad # 1 en el aula.
- Las niñas tienen más probabilidades que los niños de ser tanto perpetradoras como víctimas de ciberacoso.
- Alrededor del 50% de los jóvenes LGBTQ+ experimentan acoso en línea, lo que es más de dos veces más alto que la tasa promedio.
- Curiosamente, solo el 7% de los padres estadounidenses están preocupados por el ciberacoso en la escuela, aunque el 65% de los padres saben que sus hijos adolescentes podrían estar experimentando ciberacoso a través de las redes sociales.

REPERCUSIONES DEL CIBERBULLYING

Como se describió anteriormente, el acoso cibernético NO es un comportamiento sin víctimas y no es una broma inofensiva. De hecho, documentales recientes, estudios, artículos de noticias y otros medios de comunicación han destacado ejemplos de vidas arruinadas causadas por el ciberacoso. Las siguientes tendencias son especialmente preocupantes:

Cuando los adolescentes experimentan ciberacoso, corren un mayor riesgo de tener pensamientos suicidas y autolesionarse. De hecho, los adolescentes tienen dos veces más probabilidades de intentar suicidarse si el ciberacoso se está llevando a cabo activamente.

- Alrededor del 64% de las víctimas de ciberacoso dicen que ha afectado su capacidad para sentirse seguras en la escuela e interfiere con el aprendizaje, lo que resulta en una baja autoestima.
- El ciberacoso afecta los hábitos de sueño y la depresión.
- Los adolescentes están empezando a evitar la escuela por completo debido al acoso cibernético.
- Consejos prácticos para proteger a nuestros jóvenes
- Dada la prevalencia del acoso cibernético, los científicos sociales han estudiado cómo podemos proteger mejor a nuestros jóvenes para que no se conviertan en un objetivo o, si son un objetivo, cómo detener el acoso cibernético y obtener la ayuda que necesitan.
- Haga que el tema de la actividad segura en línea sea un tema común de discusión. A pesar de que las investigaciones muestran que es más probable que los adolescentes NO divulguen problemas preocupantes, ser persistentes en la construcción de una cultura de confianza y apoyo tiende a revertir esta tendencia de silencio. La confianza y el apoyo son fundamentales, ya que hace que los adolescentes informen inmediatamente a un amigo, maestro, defensor, padre, familiares, etc. sobre el acoso cibernético es una de las

formas más efectivas de prevenir y/o detener el acoso.

- Recuérdeles a los adolescentes que NUNCA deben publicar información personal en línea.
- Restrinja el acceso de los adolescentes a su perfil en línea solo a amigos y familiares de confianza.
- Enseñe la importancia de NUNCA abrir mensajes de cuentas desconocidas o sospechosas.
- Practique la seguridad de las contraseñas y la habilitación de la autenticación de dos factores en todas las cuentas de redes sociales.
- Aliente a los adolescentes a cerrar la sesión de sus cuentas en línea cuando dejen su dispositivo o computadora.
- Enséñeles que los adolescentes nunca deben discutir con un acosador cibernético. Ignorar y denunciar el comportamiento de acoso a un adulto o adultos de confianza es siempre la mejor opción.
- Promueva una pausa antes de publicar un mensaje o una fotografía. Refuerce la pregunta: "¿Realmente quiero publicar esto? ¿Vale la pena?"
- Refuércelos a los jóvenes que, si sus amigos están sugiriendo el acoso cibernético, promuevan y enfatizan la abstinencia.
- También es útil que los adolescentes sugieran a sus compañeros que no solo es hiriente, sino que el acoso cibernético puede conducir a un enjuiciamiento penal. Tenga en cuenta que, en un número creciente de estados, se pueden emprender acciones legales contra los acosadores cibernéticos.
- Aliente a los adolescentes a abogar por aquellos que se enteran de que están siendo acosados cibernéticamente. Promover la valentía y la defensa de las víctimas.

Para obtener más información sobre cómo los adolescentes, los cuidadores, los equipos de tratamiento y otros pueden protegerse contra el acoso cibernético, le animo a que visite los siguientes sitios web:

<https://www.stopbullying.gov/>

<https://www.schoolsafety.gov/bullying-and-cyberbullying>

<https://staysafeonline.org/online-safety-privacy-basics/cyberbullying/>

<https://www.internetmatters.org/issues/cyberbullying/protect-your-child/>

<https://kidshealth.org/en/teens/cyberbullying.html>



VOLANDO ALTO CON CHASE

POR SHELLY FISHER

Chase está volando alto, ¡pero no le digas que el cielo es el límite! ¿Su consejo? “No dejes que nada te impida hacer lo que quieres hacer”.

Con su graduación de la escuela secundaria cerca de llevarse a cabo, Chase se tomó un tiempo de su apretada agenda de trabajo como mecánico en un aeropuerto local y un inminente tee time para visitarme. A los cinco minutos de nuestra visita, quedó claro que los aviones que describió eran algo más que el foco de su trabajo como mecánico en el verano. Chase compartió que dos o tres veces a la semana, en realidad salta en la cabina y levanta el vuelo durante las lecciones de vuelo. Como estudiante a medio camino de obtener su licencia de piloto, confesó que espera trabajar a tiempo completo el próximo año como fumigador. Al principio me pareció que el cielo “fumigador” era un límite adecuado para este estudiante de último año que se graduaba, ¡pero pronto demostró que estaba equivocado! Chase anunció que planea eventualmente conseguir una carrera como piloto en una aerolínea comercial. “Te hace sentir libre y una hora estamos aquí y dos horas después estamos en Kentucky o Tennessee”.

Con experiencia en el béisbol competitivo desde que tenía 10 años, no fue una sorpresa que este futuro piloto me dijera que le gusta ver diferentes lugares y que ha disfrutado particularmente participar en el simposio anual de la Coalición cada año. También le gusta llevar a su “princesa del pavimento”, una camioneta diésel F-250 con un elevador de 15 pulgadas y 800 caballos bajo el capó, a las exhibiciones de camiones. ¿Cuál es el destino de sus sueños? “Me gustaría aterrizar un avión en la isla Mackinac en Michigan”.

Chase contó que jugar béisbol de primer año fue uno de los mejores y más memorables momentos de su carrera en la escuela secundaria. Contribuyó al éxito de su equipo como primera y tercera base. Cuando se le preguntó si tenía algún consejo para los estudiantes de noveno grado, dijo: “Manténganse al tanto de su trabajo. Mirando hacia atrás, podría haberlo hecho más fácil para mí mismo simplemente haciendo mi trabajo cuando se me asignó”.

Chase, el más joven de su familia en tener hemofilia B, fue diagnosticado al nacer, pero eso no lo detuvo. Para compensar Durante la temporada de béisbol, optó por tomar tratamientos profilácticos tres veces por semana. Después de una lesión durante el levantamiento de pesas, tuvo que someterse a una cirugía y luego también se dislocó una rodilla, pero describió estos eventos como nada importante. Atribuye el efecto mínimo de estas lesiones a un “régimen saludable de profilología”. Cuando se le pidió un consejo para aquellos que están en una etapa temprana de su diagnóstico, los alentó a “no dejar que eso les impida hacer lo que quieren”. Y agregó: “Nunca dejé que me detuviera. Si podía hacerlo, lo iba a hacer”.



Cuando se le presionó para que dijera algo sobre él su familia y amigos, dijo: "Creo que dirían que soy una persona cariñosa". Expresó su gratitud a su mamá y a su papá por ayudarlo a superar la hemofilia B y a su tío Shad por mantenerlo bajo control. "Siempre estaba un poco pendiente de mí porque no siempre miraba lo que hacía".

Chase comentó que pasa su tiempo libre con su familia y amigos, y la mayoría de los fines de semana se le puede encontrar practicando wakeboard, esquí y tubing en el lago. También me dijo que tiene buenos recuerdos de viajar para jugar béisbol con su madre, que también fue madre de un equipo, y que disfruta restaurando un viejo pontón con su padre. El golf, uno de sus primeros deportes favoritos antes de que interfiriera con su swing de béisbol, se ha convertido en su última actividad atlética y llena los vacíos para un tiempo de inactividad muy necesario.

Cuando lo animé a que me dijera su cita o lema favorito, Chase apenas hizo una pausa antes de proporcionar algunas letras de una de las canciones occidentales del artista Paul Brandt:

"No me digas que el cielo es el límite cuando hay huellas en la luna".

El título de la canción, "*There's a World Out There*", y el primer estribillo hacen un trabajo increíble al describir a una de las personas mayores más inspiradoras que he conocido. ¡Esto es para ti, Chase, y la clase de 2023!

"Hay un mundo ahí fuera y quiero estar en él.

Tengo una vida y la voy a vivir.

No me digas que el cielo es el límite,

Hay huellas en la luna.

Quiero caminar por el camino menos transitado,

Coser mis sueños donde no se deshagan.

Si vas a lo seguro, no llegarás a ninguna parte,

No puedo quedarme aquí cuando hay un mundo ahí fuera".



B inspired!

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

Verano 2023

EN ESTE NÚMERO:

- LONDON: ¡UN ADOLESCENTE CON MUCHOS TALENTOS!
- EL CIBERACOSO Y LAS REDES SOCIALES: UNA TENDENCIA PREOCUPANTE
- VOLANDO ALTO CON CHASE



VOLANDO ALTO CON CHASE



LONDON: ¡UN ADOLESCENTE CON MUCHOS TALENTOS!

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!

