

THE COALITION FOR HEMOPHILIA B

INVIERNO 2023

HEMOPHILIA B NEWS

ORGANIZACIÓN NACIONAL SIN FINES DE LUCRO



CONOCE A CHRISTIAN



RETIRO VIRTUAL DE EDUCACIÓN Y EMPODERAMIENTO DE MUJERES



RETIRO VIRTUAL DE EDUCACIÓN Y EMPODERAMIENTO PARA HOMBRES



ENCUENTROS EN EL CAMINO



GENERACIÓN IX

LA PRESIÓN ESTÁ SOBRE LOS INTERMEDIARIOS DE LA ATENCIÓN MÉDICA

CONVERTIR UN NO EN UN SÍ: EL ARTE DE LA DEFENSA

¡DANA ESTÁ VIVIENDO SU VIDA SIN REMORDIMIENTOS!

CHRISTIAN: ADAPTANDO SU VIDA PARA SERVIR A LOS DEMÁS

CONTENIDO

ARTÍCULO PRINCIPAL: ¡COSIENDO CONECTADO! – PÁGINA 3

PANORAMA DE PRODUCTOS

- ACTUALIZACIONES DEL PANORAMA DE LA HEMOFILIA – PÁGINA 18
- PANORAMA DE LA HEMOFILIA: TERAPIAS EMERGENTES – PÁGINA 21

MUJERES CON HEMOFILIA

- ¡DANA ESTÁ VIVIENDO SU VIDA SIN REMORDIMIENTOS! – PÁGINA 28

ABOGACÍA

- CONVERTIR UN NO EN UN SÍ: EL ARTE DE LA DEFENSA – PÁGINA 30
- NORD IMPULSA LA CREACIÓN DE CONSEJOS ASESORES DE ENFERMEDADES RARAS A NIVEL ESTATAL – PÁGINA 31
- ADMINISTRADORES DE BENEFICIOS DE FARMACIA: LA PRESIÓN ESTÁ LOS INTERMEDIARIOS DE ATENCIÓN MÉDICA – PÁGINA 32

RESUMEN DE EVENTOS

- DE ORIENTE A OCCIDENTE, LA FAMILIA B ES LA MEJOR: RESUMEN DE LAS REUNIONES EN EL CAMINO DE 2023 – PÁGINA 6
- RETIRO DE OTOÑO PARA HOMBRES: LOS HOMBRES TAMBIÉN LLORAN – PÁGINA 10
- RETIRO VIRTUAL DE INVIERNO PARA MUJERES: UN FIN DE SEMANA DE CONEXIÓN, APRENDIZAJE Y EMPODERAMIENTO – PÁGINA 12
- EXPERIENCIA DE OTOÑO DE LA GENERACIÓN IX: CONSTRUYENDO CONEXIONES A TRAVÉS DE LA AVENTURA Y LA EDUCACIÓN – PÁGINA 14
- DECORACIÓN DE CASAS DE JENGIBRE: ¡UNA NOCHE DE DIVERSIÓN, TRIVIA Y DULCES CREACIONES! – PÁGINA 16
- SOBREVIVIR Y PROSPERAR: UN RESUMEN DE LAS REUNIONES DE EMPODERAMIENTO – PÁGINA 23
- REUNIONES COMUNITARIAS SOBRE EL PANORAMA DE PRODUCTOS PARA LA HEMOFILIA B – PÁGINA 24

RESUMEN DE EVENTOS continuación...

- ¡UNA CELEBRACIÓN MULTILINGÜE DE DIVERSIÓN Y APRENDIZAJE! – PÁGINA 26
- LET'S PLAY NINE: ACTUALIZACIÓN DE LOS GALARDONADOS 2022 – PÁGINA 36

PRÓXIMOS EVENTOS

- APOYO PARA LA CRIANZA: RECIÉN NACIDO A NIDO VACÍO – PÁGINA 37
- FUERZA EN LA CONEXIÓN – PÁGINA 37
- SU CUIDADO, SU ELECCIÓN – PÁGINA 37
- THE BEATS – PÁGINA 37
- SU CUIDADO, SU ELECCIÓN – PÁGINA 38

B INSPIRED SECCIÓN PARA ADOLESCENTES – Voltear...

- SUPERHÉROES DE LA HEMOFILIA: UN EVENTO VIRTUAL PARA ADOLESCENTES PARA RECORDAR – PÁGINA 39
- ¡IZZY ESTÁ ENCONTRANDO SU VOZ TANTO DENTRO COMO FUERA DEL ESCENARIO! – PÁGINA 40
- ANDREW TIENE EL TRUCO PARA LA VIDA: ¡PERSIGUE TUS METAS, MANTENTE ACTIVO Y MANTÉN A TUS AMIGOS CERCA! – PÁGINA 42

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA 

MISIÓN

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



¡COSIENDO CONECTADO!

POR RENAE BAKER Y SHELLY FISHER

Algunas personas recurren a la música, la meditación u otras formas de controlar su dolor. Christian Harris elabora prendas. “Pasar por el proceso de confección de prendas me permite concentrarme. Es una forma de meditación para mí”. La sala de estar de Christian no tiene sofá, ¡pero tiene seis máquinas de coser! Esto puede parecer extraño para algunas personas, pero es un ajuste natural para Harris.

“Una de las personas más geniales de mi familia, que es talentosa, carismática y encantadora, es mi tío”, dice Harris. Al crecer, Christian admiraba la creatividad y la habilidad de su tío John para dibujar. “Dibujaba diseños (de ropa), los hacía y luego tenía desfiles de moda. Siempre fue un gran evento”. Christian sonríe cuando recuerda haber visto las cintas VHS de su madre y otros parientes modelando los diseños del tío John.

Hoy en día, Christian Harris es un profesional de la industria de la moda, que ha trabajado con nombres y marcas de vanguardia a nivel internacional, y cuyo trabajo ha sido presentado por WWD, Elle y Esquire. Pero el objetivo de Christian no es arrojar luz sobre sí mismo y su trabajo, sino ayudar a otros a alcanzar sus objetivos creativos, reconectándolos con su amor por esta industria glamorosa y a menudo decepcionante.

Christian creció en el área de Baltimore, Maryland. Sus intereses más intensos eran la historia, la geometría y el arte. Para alguien con hemofilia B, esos intereses le sirvieron bien. Su diagnóstico llegó después de un procedimiento de rutina cuando nació. No había antecedentes familiares de este trastorno hemorrágico. De niño, faltaba con frecuencia a la escuela y pasaba mucho tiempo en la sala de emergencias del Hospital John Hopkins en Baltimore. Maryland no tenía su propio campamento para niños con trastornos hemorrágicos, pero Harris le da crédito a Emma Miller, directora ejecutiva de la Fundación de Hemofilia de Maryland, quien llevó a Christian y a varios otros niños al Campamento Freedom en Tennessee. Fue en Camp Freedom donde Christian

comenzó a aprender sobre liderazgo y donde asumiría la responsabilidad de dirigir un programa de arte durante años.

Como miembro activo de la Coalición para la Hemofilia B, Christian ha participado en todos los módulos de liderazgo de la Generación IX y se ha desempeñado como modelo a seguir y mentor en el Simposio de CHB. La directora de operaciones, Kim Phelan, considera a Harris un tesoro de la Coalición. “Christian emana una calidez adorable”, bromea. “Es accesible y muy talentoso. ¡Es un maravilloso modelo a seguir para los adolescentes y una inspiración para todos nosotros!”

Cuando se le preguntó qué dirían sus amigos que es una fortaleza de él, dijo que pensaba que podrían decir que él es “confiable y fácil de abordar”, y a quien podrían llamar primero para hacer las cosas. Christian sonrió ampliamente cuando le pregunté si alguien había sido especialmente comprensivo y significativo para él. “Mamá es definitivamente la número uno, pero además de ella, hay todo un mundo y un universo de personas”.

Cuando se le preguntó qué consejo le daría a alguien que acababa de ser diagnosticado, dijo: “Paso uno, respira; Estarás bien. No es fácil vivir con la hemofilia. Al mismo tiempo, no es algo que deba detenerte. Viene con la carga adicional de la responsabilidad, pero si eres capaz de llegar al punto en el que puedes estar a la altura de esa responsabilidad, o eres capaz de ayudar a tu hijo a estar a la altura de esa responsabilidad, estás expuesto a situaciones que de otro modo no hubieras estado

consciente". Continuó dando ejemplos como comprender la importancia de la atención médica y ser un recurso para otras personas que atraviesan un problema médico. Christian agregó: "Si estás dispuesto a caminar por ese camino, puede ayudarte a crear una vida que tú, primero, no planeaste, pero segundo, que puedes disfrutar. Estoy agradecido por la forma en que ha evolucionado mi vida, y la hemofilia es una parte muy importante de eso".

Después de obtener una licenciatura de la Universidad Intercontinental Americana, Christian recibió una maestría en Diseño de Moda. Aunque el Savannah College of Art and Design (SCAD) preparó a Christian para tener éxito, sus primeros meses allí le hicieron preguntarse si alguna vez encontraría su rumbo. "Fue duro", revela. "Cuando empecé en SCAD, no tenía seguro médico, porque era estúpido y quería terminar mi educación en lugar de priorizar el seguro. Así que terminé haciendo un ensayo clínico. Así es como conseguí mi medicación a través de la escuela de posgrado. El problema era que no tenía coche en ese momento, así que estaba en el autobús transportando noventa días de factor, mientras trabajaba y trataba de ponerme al día en SCAD".

Christian pudo ver que sus profesores, al no conocer su situación, pensaban que no estaba comprometido. "No se dieron cuenta de que me estaban extrayendo trece frascos de sangre mientras también estaba tratando de pasar toda la noche en vela haciendo las cosas". Pero a la mitad de este programa, las nubes se levantaron y "Christian L. Harris, diseñador de modas", ¡comenzó a emerger! Aunque su hemofilia impidió su progreso al principio, le sirvió de inspiración para su mayor logro en la SCAD, y su colección de tesis de maestría "God Save the Prince" llegó a la pasarela.

Ese príncipe es el príncipe Alexei de la Casa de los Romanov. El amor de Christian por la historia, el arte y la geometría, respaldado por su conocimiento y experiencia de primera mano de las necesidades y molestias que la hemofilia impone en el cuerpo, se entrelazaron para crear este lugar de recreo artístico y dramático para la ropa. Para verlo y leer la historia que lo acompaña detrás de la inspiración de Harris, vaya a christianlharris.com/godsavetheprince.

Sobre la importancia de la moda, Christian reflexiona: "Un fotógrafo del *New York Times*, Bill Cunningham, dice que la moda es la armadura que nos ponemos para sobrevivir en la vida cotidiana. A mí, personalmente, que soy un hombre grande y negro en el mundo de la moda, me interesa explorar y usar la forma en que me visto como una herramienta para desarmar a la gente; para cambiar su percepción de quién podría ser yo".

"Me veo a mí mismo como un gran lienzo que puedo pintar como yo quiera". Le gusta robarle a la gente la oportunidad de asignarle sus ideas. "Es difícil para los demás proyectar sus ideas en alguien que lleva algo que parece medio inspirado en las prendas japonesas, pero luego es un estampado africano, y el tipo que lo lleva se parece a John Coffee de *The Green Mile*", sonríe como el gato de Cheshire, y añade: "¡Nadie me mira y



automáticamente piensa que puedo crear hermosos vestidos de noche!".

"(La moda) me arma y me protege, porque a veces de lo que tengo que protegerme es de lo que la gente espera de mí".

Actualmente, Christian es un líder 3D de los estándares de desarrollo global en Nike, lo que significa que es un diseñador técnico principal. Ayuda a la empresa a realizar diseños impulsados por el mercado trabajando con diseñadores, creando los patrones de las prendas, determinando las especificaciones que la fábrica necesitará para coserlas y gestionando el proceso de





aprobación, a veces laboriosamente repetitivo, antes de ponerlas en manos de la fábrica. Su trabajo es asegurarse de que la prenda cumpla con las intenciones de los diseñadores y gerentes de producto, que la fábrica pueda coserla y que salga como algo sólido.

Una de las formas en que

“acortan” ese proceso es usando tecnología 3D. “Hacemos un patrón, lo ponemos en una computadora 3D y lo aprobamos allí primero”. De esa manera, la fábrica no tiene que cortarlo y coserlo y enviarlo de un lado a otro. Podemos hacerlo digitalmente”.

Christian relata que esta tecnología ha existido durante diez o quince años, pero que las computadoras aún no son capaces de capturar el concepto fundamentalmente sorprendente de la tela.

“Hemos estado tejiendo telas durante miles y miles de años. Hay una razón por la que una tecnología como la tela todavía está en nuestras vidas hoy en día. Es dinámica y sorprendente y va más allá de lo que las computadoras son capaces de capturar. Incluso los mejores sistemas informáticos de hoy en día todavía no pueden replicar una estructura con una precisión del cien por ciento. Por lo tanto, la tecnología continúa expandiéndose y tratando de ponerse al día con la complejidad de la confección de prendas de vestir y la ciencia textil”.

Christian compara a los textiles con la ciencia de la cocina. “Es algo que seguimos usando y evolucionando, pero no va a ninguna parte”.

“En este momento, estoy penetrando cada vez más en la industria de la confección, y mi objetivo no es necesariamente que yo sea una fuerza creativa, también quiero ayudar a otros que están en esta industria a mantenerse conectados con lo que aman. Es muy fácil, cuando quieres hacer algo creativo, y que el lado corporativo te quite una gran parte del por qué te gusta hacerlo en primer lugar.

“El uso de herramientas digitales me emociona, porque me brinda nuevas oportunidades para ayudar a las personas a mantenerse conectadas con lo que se enamoraron dentro de la industria de la moda en primer lugar. Para ello, participo en conferencias, paneles, talleres y debates para ayudar a agilizar el desarrollo 3D y llevarlo un paso más allá.

“Me gusta trabajar con los ingenieros de software quienes

codifican el software para ayudarles a entenderlo, porque suelen asumir que no es necesario que sepan mucho de moda. Una vez que se lo explicas y se les explica cómo se diseñan las prendas, se enciende un tipo diferente de fuego en ellos para descubrirlo”.

Christian cuenta una anécdota que le hace cosquillas: “Hice que mis ingenieros jugaran con diferentes faldas que había hecho en forma de muñeca a media escala para que pudieran entender cómo caería la tela y cómo cambiar la construcción de algo cambia la forma en que cuelga. Esa fue una herramienta eficaz para ayudarles a comprender la complejidad de las prendas de vestir en la ingeniería. Me encanta poder conectar a las personas con información que les ayudará a hacer mejor su trabajo, disfrutar de su trabajo y mejorar la industria de la confección”.

En cuanto a su propia expresión creativa, trata de inyectarla en todos sus proyectos. Es un paciente embajador de Medexus y Xinity. “En este momento, estamos haciendo este proyecto con la comunidad (de trastornos hemorrágicos) en el que hemos preguntado a las personas qué significa ser ellos mismos. Decoran una “B” para reflejar eso. Luego escaneamos las páginas de “B” en colores y hacemos una impresión”.

“Siempre estoy emocionado por lo que podría ver y quién podría estar al otro lado de la creación de algo nuevo. Ser yo mismo es poder hacer nuevos descubrimientos cada día”.

Para él, los destinos de viaje de Christian siempre giran en torno a la moda, el arte y la historia. Durante su visita a Shanghái, se aseguró de comprar sedas e incluyó museos de arte e historia en sus itinerarios. También compartió que una de sus formas favoritas de recordar un lugar que ha visitado es comprando telas en el lugar de destino y crear ropa para sí mismo como recuerdo. El lugar que más le gustaría visitar es el Museo Balenciaga en España. Cuando se le preguntó por qué, compartió: “Balenciaga es el mejor diseñador que jamás haya existido, y su trabajo es tan de otro nivel que me emociono”.

Christian compartió: “Si me hubieras dicho que estaría donde estoy ahora hace cinco años, no lo habría creído, así que espero sentirme de la misma manera dentro de cinco años”. Menos preocupado por un camino definido, Christian estaba más interesado en el “próximo descubrimiento” y en seguir creciendo como persona. Casi puedo escuchar el tema que eligió, “I Will Get There”, de Boyz to Men sonando de fondo, y le creo con todo mi corazón.



DE ORIENTE A OCCIDENTE, LA FAMILIA B ES LA MEJOR: RESUMEN DE LAS REUNIONES EN EL CAMINO DE 2023

POR KATIE COLÓN

Entre junio y noviembre de 2023, el equipo de CHB se embarcó en un emocionante viaje, visitando 12 ciudades para organizar nuestras apreciadas Reuniones Familiares en el Camino. Estos eventos de un día, que fueron posibles gracias al increíble apoyo de los patrocinadores CSL Behring y Novo Nordisk, tenían como objetivo ofrecer educación, apoyo y empoderamiento a los miembros de nuestra familia B. Las reuniones contaron con sesiones interesantes con oradores distinguidos de la comunidad de hemofilia B, que se centraron en la salud y el bienestar, la planificación futura, la navegación por los sistemas de atención médica y la exploración de nuevos tratamientos terapéuticos. Con más de 200 asistentes, nuestros eventos crearon un espacio para el intercambio de información íntima, familiar y específica.

Nuestro más sincero agradecimiento a CSL Behring por patrocinar reuniones en Indianápolis, IN, Filadelfia, PA, Boston, MA, Miami, FL, Concord, CA, Nueva Orleans, LA, y Phoenix, AZ, y a Novo Nordisk por apoyar las reuniones en Milwaukee, WI, Albuquerque, NM, Salt Lake City, UT, Austin, TX y Cleveland, OH.

En el centro de estos eventos estuvieron las diversas voces de nuestros distinguidos oradores, quienes, con conexiones personales

con la hemofilia B, compartieron su experiencia y conocimientos. Desde profesionales de la salud e investigadores hasta defensores de pacientes y artistas, cada orador aportó una perspectiva única, enriqueciendo a la comunidad con sus valiosas contribuciones.

Esta distinguida lista de oradores destaca la diversa experiencia y resiliencia dentro de la comunidad de hemofilia B.

AUSTIN, TEXAS



CLEVELAND, OHIO



CONCORD, CALIFORNIA



Corbett Reinbold, RN, BSN, CCRC, una enfermera que jugó un papel decisivo en el establecimiento del primer campamento de hemofilia de Wisconsin, y el Dr. David Clark, miembro de la junta directiva de la Coalition for Hemophilia B, con experiencia en el desarrollo de productos de plasma y tejidos, encabezaron el programa.

Dezarae N. Morales, RN, Coordinadora de enfermería de la hemofilia, colaboró estrechamente en las pautas de tratamiento, mientras que Donnie Akers, Jr., ESQ., un abogado experimentado, se ofreció ampliamente como voluntario. La Dra. Doris Quon, la directora médica que enfatiza la atención interdisciplinaria, y Ellen Kachalsky, LMSW, ACSW, CCM, que se enfoca en el empoderamiento, agregaron perspectivas únicas.

INDIANAPOLIS, INDIANA



La lista también contó con Fernando Reyes, M.ED. PSY, un consejero holístico de universidades, y Gha'il Rhodes Benjamin, una galardonada artista de la palabra hablada. Judy Doyle, enlace de Novo Nordisk, la Dra. Lisa Hensley, viróloga, y Lisa Littner, MPH, MSW, CHES, contribuyeron con diversas experiencias. Lucy Ramírez, MSW, LCSW, trabajadora social clínica, y Martha Boria Negrón, ex maestra, destacaron la participación de la comunidad. Matthew D. Barkdull, MS, MBA, LMFT, abogó por la atención médica nacional, y Michelle Leona Cecil, enlace de Novo Nordisk, apoyó a la comunidad. La Dra. Mina Nguyen-Driver, especialista en salud mental, y Mosi Williams,

Psy.D, trabajadora social clínica, ofrecieron valiosas ideas. Patricia Amerson, MSN, RN, CNP, FNP-C, enfermera pediátrica, el Dr. Richard Lemons, oncólogo pediátrico, y Rick Starks, un entusiasta del tai chi, enriquecieron el diverso panel. Stacy Hilburn, enlace de Novo Nordisk, Timothy W., embajador de pacientes, y Wendy Wollner, directora ejecutiva, aportaron perspectivas únicas, junto con el Dr. William Patsakos, Pharm.D, ejecutivo de CVS/Specialty y capitán retirado del Ejército.

Los diversos antecedentes y experiencia de estos oradores contribuyeron al apoyo, la educación y la defensa holísticos dentro de la comunidad de trastornos hemorrágicos. Cada orador impartió sesiones basadas en su experiencia y adaptadas a la misión de las Reuniones de familias en el camino de la Coalition for Hemophilia B para brindar educación, defensa, empoderamiento y comunidad. Su compromiso y pasión desempeñan un papel crucial en la mejora de las vidas de las personas y familias afectadas por la hemofilia B.

Cada evento fue único y memorable debido a nuestros increíbles miembros de CHB que asistieron y se apoyaron a sí mismos con sus experiencias y su amor. En la sesión de Family B Rap, los miembros de la comunidad discutieron brevemente varios aspectos de sus vidas y compartieron ideas sobre asuntos que afectan a la comunidad. El foro fue un espacio vibrante lleno de ideas, preguntas y la calidez de la amistad, fomentando un sentido de

MIAMI, FLORIDA



ALBUQUERQUE, NEW MEXICO



unidad y conexión entre los participantes.

Los eventos también contaron con la oportunidad de participar en un programa de juegos. Los participantes se dividieron en dos equipos, agregando un toque fresco y divertido a los juegos infantiles que provocaron risas, competencia amistosa y datos sobre la hemofilia B que pusieron un final encantador a las festividades.

Los rompehielos también fueron una parte integral de la reunión, sirviendo como actividades atractivas para

BOSTON, MASSACHUSETTS



NEW ORLEANS, LOUISIANA



SALT LAKE CITY, UTAH



crear un ambiente acogedor. Estas sesiones interactivas permitieron con éxito a los participantes vincularse y fortalecer el sentido de comunidad dentro de la Familia B.

En general, el evento pasado fue un éxito rotundo, reuniendo a los miembros de la comunidad en un espíritu de unidad, diversión y apoyo mutuo. La familia B sigue siendo una comunidad muy unida, y estos eventos desempeñan un papel crucial en la mejora de los lazos entre sus miembros.

CSL Behring



COMENTARIOS:

“Las Reuniones en el Camino son uno de mis eventos favoritos de CHB porque te dan la oportunidad de tener una interacción más íntima no solo con los miembros de la comunidad local, sino también con la gente de tu región”.

“No hay nada mejor que saber que ‘Alguien te respalda’. Durante los momentos más difíciles de nuestras vidas y lidiando con un niño/niños/familia que tiene una cantidad increíble de dolor, ansiedad, problemas de movilidad,

PHILADELPHIA, PENNSYLVANIA



MILWAUKEE, WISCONSIN



depresión, estrés emocional, físico y mental, es una bendición saber que no estás haciendo todo esto solo. Tenemos el respaldo de la Coalición. Una comunidad de apoyo familiar es lo que somos. Hay muchos de nosotros que estamos lidiando con los mismos problemas y nos entienden. Lo entendemos. Todos lo entendemos. La educación que recibimos de la CHB, el apoyo de los miembros de nuestra comunidad que ahora son familia, definitivamente se debe a que la CHB ha cambiado la calidad de nuestras vidas para mejor a través de toda la programación y la divulgación”.

“Las Reuniones en el camino que la Coalición ofrece a la comunidad están repletas de información invaluable y conexiones familiares. Si usted y su familia nunca han asistido a una reunión, se están perdiendo una oportunidad increíble. ¡Espero que aprovechen estos programas este año!”

“Las Reuniones en el camino nos brindaron a mí y a mis seres queridos la oportunidad de conocer a otros miembros de la comunidad en mi estado. Pude conectarme con una familia que está pasando por obstáculos similares a los que están atravesando mi hermana y su familia. Fue invaluable aprender de ellos sobre cómo superar los desafíos de criar a un hijo sano y seguro de sí mismo con hemofilia B”.

“Asistir a una reunión de la Coalition for Hemophilia B

siempre es especial, una reunión familiar especial. Las Reuniones en el camino lo son aún más porque vienen a nosotros, haciéndonos saber que no importa en qué parte del país estemos, la Coalición siempre está ahí para nosotros”.

“Las Reuniones en el Camino simbolizan una oportunidad para conectarse con otras familias con hemofilia B para compartir experiencias y lecciones importantes”.

“Disfruté mucho de la Reunión en el camino para la hemofilia B en Albuquerque, NM en septiembre de 2023. A menudo siento que no me queda mucho por aprender sobre el manejo de los trastornos hemorrágicos, y luego asisto a un evento de la Coalición como este, y me demuestra que estoy equivocado. ¡Aprendí mucho ese día! En particular, la sesión del Dr. Nguyen fue muy reveladora y atractiva para mí. ¡Pero todos fueron maravillosos! Además, la oportunidad de estar cerca de mi familia “B” era algo que realmente necesitaba en ese momento de mi vida. Me encantó conocer a nuevos miembros de la familia y pasar tiempo con mis seres queridos. Muchas gracias por ofrecer estos eventos y las excelentes oportunidades educativas que siempre ofrecen. ¡Has cambiado mi vida y la de mi familia para mejor en más niveles de los que puedo describir!”

***Para más fotos, por favor visítenos en nuestro sitio web, Facebook, y en CHB Educational Hub.**

PHOENIX, ARIZONA



RETIRO DE OTOÑO PARA HOMBRES: LOS HOMBRES TAMBIÉN LLORAN

BY SHELBY SMOAK

Déjame ser honesto y decir que si me hubieras dicho hace 20 años que un fin de semana en Nashville sin chicas, pero con otros 30 chicos sería divertido y exactamente lo que necesitaba, no te habría creído. Y, sin embargo, ese es exactamente el caso. He regresado del retiro para hombres de la Coalition for Hemophilia B en Nashville, que se llevó a cabo del jueves 19 al domingo 22 de octubre de 2023, y me siento mejor por ello. Si Nashville es realmente la ciudad de la música, entonces nuestro lugar cercano podría haber sido el hotel de la armonía.

Las mañanas comenzaban con el relajante zen del Tai Chi de Rick Stark. Pensé que podría venir con un delicioso café con leche Tai-Chai, del tipo que hace Starbucks que es tan suave como la leche y dulce, pero Rick tenía otros planes. ¡Se trataba de equilibrio y aplomo y era todo el Sr. Miyagi con el grupo! Después de un tiempo, ya no extrañaba el café con leche. Y esto marcó la pauta para el evento del fin de semana: ser reflexivos, encontrar el equilibrio, mejorar nuestro bienestar, compartir y ser simplemente niños tontos tratando de olvidar las dificultades de la hemofilia.

Muchas sesiones abordaron nuestro bienestar emocional. El hermano Mark Zatyryka en "Bienestar mental al estar juntos" abordó las muchas formas en que los padres, las parejas y las personas con hemofilia B podrían encontrar apoyo para los impactos mentales de la hemofilia B, mientras que Mosi Williams, de gran corazón y fácil de llevar, siguió en una sesión posterior con "Lidiando con el cambio". Pensé que podría tratarse de todos esos centavos que tengo por ahí, pero no fue así. Mosi inició la conversación sobre las infinitas interrupciones y adaptaciones no planificadas que fuerzan la hemofilia B. Una cosa que las personas con hemofilia B han aprendido es que nada es estático y que el cambio va a llegar. Aprendimos las herramientas necesarias para navegar el viaje.

Agregué a esta conversación la sesión: "Cantando para sanar", donde impartí mi amor por la música y básicamente le

expliqué al grupo que mi brillantez es el resultado de la música y las numerosas formas en que la interpreta y reescribe el cerebro. También ayuda con el dolor. Luego, los participantes reescribieron e interpretaron karaoke con canciones exitosas, dándonos grandes risas de "I Wanna Clot", "Bleed It" y "Achy Breaky Arm". Fue una lástima que Weird Al o Sony Records no estuvieran disponibles para hacerse con este talento.

El presidente de la Coalición el adorable Wayne Cook hizo una demostración de su mejor receta de ensalada. ¡Así es! ¡Nosotros, los chicos, estábamos en Nashville, haciendo ensalada! Algunos aprendieron exactamente cómo se ve un rábano, mientras que algunos más aprendieron que no todos los pimientos (como los verdes y rojos) son picantes.

El patrocinador Pfizer contribuyó con dos sesiones independientes: una que facilitó una discusión grupal sobre el tirón que una enfermedad crónica tiene en nuestro bienestar emocional, y otra que transmitió terapias nuevas y novedosas para la hemofilia B. Las cosas se pusieron un poco serias cuando el simpático de Wall Street, Matt Barkdull, comenzó a hablar sobre el dinero.

Ningún retiro de hombres estaría completo sin 2 cosas: la sesión de rap de Wayne y los Juegos Olímpicos de Bleeder. Creo que Wayne puede haber alcanzado un récord este año. No, no en los Juegos Olímpicos de Bleeder. ¡En la sesión de rap porque nos hizo llorar en menos de 5 minutos! Esta vida es dura. Tenemos 99 problemas (y más), ya sabes. También acabábamos de perder a un increíble y querido amigo Fonzy (Alfonso Jaramillo). Le pusimos un lugar en nuestra mesa, lloramos su pérdida, lo recordamos. En cuanto a los Olímpicos de Bleeder, yo iba a por la mejor cojera, o la menos flexible, pero esas no eran categorías. Nos juntamos, jugamos un poco de cornhole y lo disfrutamos.

Una noche fuimos al Grand Ole Opry, pero me pareció bastante nuevo, así que puse una nota en su buzón de sugerencias de





que deberían cambiarle el nombre. Era marketing engañoso, dije, con el nuevo edificio y todo. Estaba muy emocionado porque se suponía que iba a tocar uno de mis actos favoritos de heavy metal. ¡Era un gran fan de Mötley Crüe y me encantaba Vince Neil! No podía creer lo que oía cuando me dijeron que estaba tocando el Grand Ole Opry. Bueno, no lo era. Resulta que era Vince Gill. Entonces, eso sí fue una decepción para mí. Pero a todos los demás les encantó, y me di cuenta de que ponía



todo su corazón en esas melodías suyas. Y, por supuesto, me lo pasé bien, como todos.

Las tardes eran realmente donde estaba la diversión: teníamos 2 palos de golf y algunas bolas de wiffle. ¡el golf de altura estaba en marcha! Algunos que no estaban reviviendo su herencia familiar y los clubes de intercambio de parejas compartieron historias o canciones para los pocos que viajaron con guitarras. ¡Era un verdadero Hootenanny! Bailábamos -el medio paso, por supuesto- y cantábamos -no bien, naturalmente-, pero no importaba. Estábamos juntos.

A lo largo del fin de semana se nos recordó la cercanía del grupo, la necesidad que tenemos cada uno de ser apoyados por el otro. Incluso para los principiantes, el espíritu acogedor y el corazón generoso eran palpables. ¿Volvería a hacer esto? ¡Claro que sí! ¿Deberías ir? Bueno, si eres un hombre, ¡SÍ! Y tal vez en el próximo viaje a Nashville, vea a Vince Neil. También aceptaría a Bret Michaels si alguien me está escuchando.

Gracias a Pfizer por hacer posible este increíble evento. Es una experiencia muy poderosa para nosotros el poder reunirnos. El tiempo que pasamos conectándonos entre nosotros y aprendiendo juntos no tiene precio, ¡y significa mucho para cada uno de nosotros!



COMENTARIOS:

“Para mí, los retiros para hombres significan familia y comunidad”.

“Fue genial conocer a tantos hermanos que están lidiando con la hemofilia B, ya sea que tengan hemofilia o alguien en su familia tenga hemofilia. Es agradable saber que todos estamos allí para apoyar a los nuevos miembros de nuestra familia”.

“Es difícil de explicar cuando hay una paz interior y una conexión muy emocional que nos ayuda mentalmente”.
“Significa mucho para mí. Se siente como uno de los pocos lugares a los que puedo venir y ser realmente yo mismo y ser abierto con los otros muchachos sobre lo que está pasando en mi vida y cómo me va”.

“Este evento significa desaparecer en los brazos de los amigos y salir con un abrazo gigante de amor y apoyo”.

“A través de esto, tengo un nuevo sistema de apoyo”.

“¡Programa muy gratificante! Siempre me sorprende cada vez, ya que nos ayuda mucho a entendernos y nos ayuda mentalmente. ¡Tan empoderador!”.

“Este programa es esencial para brindar apoyo emocional a las personas con hemofilia B y a aquellos padres que desean comprender a sus hijos e hijas”.

*** Para ver más fotos, visítenos en nuestro sitio web, Facebook y en el CHB Educational Hub.**



RETIRO VIRTUAL DE INVIERNO PARA MUJERES: UN FIN DE SEMANA DE CONEXIÓN, APRENDIZAJE Y EMPODERAMIENTO

POR KATIE COLÓN

Estamos encantados de celebrar un hito importante en la evolución de *The B Hub*, ya que organizamos nuestro primer evento virtual en este espacio: el Retiro Virtual de Invierno de Educación y Empoderamiento para Mujeres 2023. El evento, que tuvo lugar virtualmente durante el fin de semana del 1 al 3 de diciembre de 2023, fue un profundo viaje de autodescubrimiento, conexión y empoderamiento que trascendió la experiencia convencional del evento. Su tapiz único de sesiones informativas, talleres atractivos y momentos llenos de alegría y risas, dejaron a los participantes sintiéndose empoderados, rejuvenecidos y conectados con su familia B. Este notable evento reunió a mujeres de diferentes partes del país para conectarse, aprender e inspirarse mutuamente.

Este evento marcó un momento histórico para la Coalition for Hemophilia B, mostrando su capacidad para organizar eventos virtuales sin problemas en un espacio seguro, privado y accesible solo para nuestra comunidad. Ya sea en una ciudad bulliciosa o en una zona rural tranquila, los miembros pudieron conectarse de formas nuevas y emocionantes a través de este centro de recursos en línea y plataforma comunitaria sin precedentes.

El viernes por la noche comenzó el retiro con sesiones perspicaces y actividades interesantes. La autora Susan Salenger dirigió una sesión que invitaba a la reflexión titulada *"Marginadas: cómo las mujeres navegan por un sistema de atención médica roto"*, en la que compartió los resultados de su investigación sobre los desafíos únicos que enfrentan las mujeres al administrar su atención médica.

La noche concluyó con la tan esperada *"Fiesta de pijamas de la noche de apertura"*, una reunión virtual que incluyó bingo, conversaciones conmovedoras, música y risas. El viaje comenzó con este alegre

evento, donde las risas y las historias fluyeron libremente, creando un refugio virtual que salvó distancias y unió a la comunidad en un espíritu de unión. Este cálido inicio preparó el escenario para un fin de semana dedicado a la conexión y el empoderamiento.

La mañana del sábado comenzó temprano con una sesión rejuvenecedora dirigida por Catherine Canadeo, entrenadora de salud holística, certificada por la Asociación Estadounidense de Profesionales Sin Drogas y nutricionista integrativa. Los participantes participaron en ejercicios suaves de atención plena, comenzando su día con un enfoque en el autodescubrimiento y la energía positiva. Catherine incluyó consejos y trucos para ayudar a los participantes a no preocuparse por las cosas pequeñas.

Después, la propia Erica Garber de CHB dirigió al grupo en un *"Fiesta de té artística"* en la que los participantes pudieron tomarse un momento de sus ocupadas vidas para reducir la velocidad intencionalmente. Se invitó a los participantes a descubrir el placer de la autoexpresión a través de técnicas de dibujo fáciles y divertidas. Mientras bebían té, entablaban animadas conversaciones y embellecían cajas de madera con toques únicos, los asistentes no solo elaboraron hermosos recuerdos, sino que también forjaron conexiones destinadas a durar más allá del retiro. El evento resumió la esencia de la camaradería, la creatividad y los recuerdos duraderos.

Por la tarde, dos sesiones de trabajo ofrecieron información valiosa. *"De la clínica a la mesa de la cocina: Infundir a los niños en casa"* con Carrie Koenig celebró la diversidad de experiencias de infusión en el hogar y proporcionó estrategias para las familias que recién están comenzando este proceso. Al mismo tiempo, *"El movimiento de las articulaciones: consolidarlo"* con Alexis Akins se centró en la importancia



de la salud de las articulaciones para las personas que viven con hemofilia. Estas sesiones de trabajo permitieron a los participantes elegir lo que más les interesaba y lo que proporcionaría el mayor valor a sus vidas y a las vidas de sus familias.

En un cautivador discurso de apertura, la Dra. Jill Johnson, MD, experta en hematología clásica, ofreció una visión general educativa e impactante sobre el diagnóstico de hemofilia B. Como investigadora en el Instituto Bloodworks Research Institute y profesora asociada de medicina en la Universidad de Washington, la Dra. Johnson compartió conocimientos de vanguardia sobre la genética de los factores de coagulación, con un enfoque en los factores VIII, IX y la enfermedad de von Willebrand. Su experiencia en genética de grupos sanguíneos, en particular los sistemas ABO y Rh contribuyeron a una comprensión integral. El compromiso de la Dra. Johnson de desentrañar el impacto único de los trastornos hemorrágicos en las mujeres, especialmente en la hemofilia y la enfermedad de von Willebrand, hizo de la presentación un viaje esclarecedor, fomentando el compromiso colectivo con los avances en la investigación y la atención al paciente.

El domingo por la mañana comenzó con otra sesión de *"Rejuvenecimiento matutino"*, dirigida por Catherine Canadeo. El énfasis en el bienestar holístico y el autocuidado estableció un tono positivo para el día. Siguiendo el mismo viaje de bienestar, se continuó con una sesión sobre *"Ayurveda para una vida saludable y equilibrada"*, con Aura H. Bermúdez, psicóloga licenciada y consejera de salud ayurvédica. Los participantes se llevaron una variedad de herramientas para priorizar el cuidado personal y el bienestar mientras navegan por la vida con hemofilia B.

El día continuó con una sesión única titulada *"Hoja de ruta para momentos difíciles"*, dirigida por Gha'il Rhodes Benjamin. Los participantes co-crearon una hoja de ruta para encontrar consuelo a través de los desafíos de la vida, complacer sus sentidos y nutrir sus almas.

La sesión de clausura, *"Chit Chat & Chocolate"*, contó con historias personales de los miembros de la comunidad, Aamina y Debbie. Esta conmovedora sesión brindó un espacio para la unión, la risa y las experiencias compartidas, fortaleciendo aún más las conexiones

forjadas durante el fin de semana. El retiro terminó con una nota de celebración con una rifa, ofreciendo premios sorpresa a los participantes.

En general, el Retiro Virtual de Educación y Empoderamiento de Invierno para las Mujeres fue un viaje de autodescubrimiento, conexión y empoderamiento. Fue un tapiz único y enriquecedor de sesiones informativas, talleres atractivos y momentos llenos de alegría y risas. Expresamos nuestro sincero agradecimiento a Sanofi, el amable patrocinador del Retiro Virtual de Invierno de Educación y Empoderamiento para la Mujer, por su apoyo inquebrantable y su compromiso con el bienestar de las mujeres afectadas por la hemofilia.

COMENTARIOS:

"Fue genial reunirme con todos. Siempre espero conectarme con todas en este grupo. Me encanta escuchar todas sus increíbles historias".

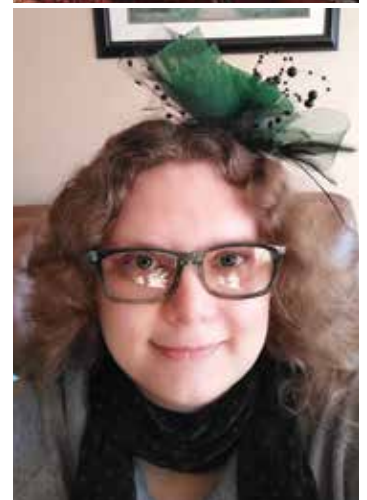
"Todos ustedes son un grupo increíble de guerreras. ¡Estoy tan contenta de haberlos encontrado a todos!"

"Significó mucho para mí porque ahora siento que tengo el apoyo que siempre quise de alguien que está pasando por lo mismo que yo estoy pasando y con lo que estoy lidiando todos los días".

"Siempre disfruto de mi tiempo con mis hermanas de sangre. Son una fuente increíble de amor y apoyo. Me inspiran a seguir abogando por las luchas de las mujeres para obtener un tratamiento adecuado. ¡Disfruté de nuestra fiesta de té con nuestras increíbles tazas de té y nuestros hermosos accesorios para el cabello!"

"Me encanta reunirme con la Coalición para las mamás de Hemo B porque siempre salgo del retiro sintiéndome animada, apreciada y comprendida. Somos un grupo increíble que nos apoyamos unos a otros. La Coalición siempre encuentra oradores sobresalientes para energizarnos, revivirnos y motivarnos a ser una versión aún mejor de nosotros mismos. ¡Cuento este retiro como un tiempo de autocuidado!"

*** Para ver más fotos, visítenos en nuestro sitio web, Facebook y en CHB Educational Hub.**





EXPERIENCIA DE OTOÑO DE LA GENERACIÓN IX: CONSTRUYENDO CONEXIONES A TRAVÉS DE LA AVENTURA Y LA EDUCACIÓN

POR ERICA GARBER

La Experiencia de Otoño de la Generación IX, celebrada en la pintoresca Imperial Beach, California, del 26 al 29 de octubre de 2023, se desarrolló como un viaje transformador inmerso en los cautivadores temas de la comunidad, la defensa y el capital social. Los miembros de nuestra comunidad de hemofilia B participaron en actividades que exploraron la dinámica matizada de los ecosistemas saludables, destacando la conexión entre el bienestar individual y la salud general de la comunidad. Al aventurarse al aire libre y disfrutar de nuestro espacioso campamento de surf, el programa brindó una experiencia

curativa mientras se sumergía en la luz del sol y la brisa costera de San Diego.

Para agregar un toque de aventura, los participantes tuvieron la oportunidad de enfrentarse a las olas en Mission Beach. ¡Nos pusimos nuestros trajes de neopreno y cascos y salimos a surfear! A lo largo de este viaje, el personal de GutMonkey guió a los participantes a través de experiencias que superaron los límites y facilitaron el crecimiento personal. El agradecimiento extendido al equipo de GutMonkey fue un testimonio de su papel



en la creación de un entorno que combinaba la aventura, el aprendizaje y la construcción de la comunidad a la perfección. Gracias a su aliento, conquistamos las olas, muchos de nosotros por primera vez, solidificando los lazos formados durante esta experiencia.

Un gran punto culminante fue nuestra excursión de un día al zoológico de San Diego, que ofreció una oportunidad única para aplicar los nuevos conocimientos sobre las estructuras sociales y los sistemas comunitarios mediante la observación de la fascinante dinámica del reino animal. En el zoológico, los participantes se maravillaron con la diversa variedad de vida silvestre. ¡Conocimos jirafas, rinocerontes y muchos más animales, de cerca y en persona en un paseo de safari! Nos maravillamos con la belleza del cóndor de California y nos reímos junto con el cucaburra risueño en los sistemas de aviarios inmersivos del parque. Las intrincadas interacciones sociales y los comportamientos únicos de cada especie proporcionaron no solo recuerdos alegres, sino también valiosas perspectivas sobre la interconexión de las comunidades, reforzando los temas del programa.

Se expresó una gratitud especial a Medexus; Sin su generoso apoyo durante muchos años, este programa no sería posible. Nuestros amigos de Medexus son un maravilloso ejemplo de lo que la asociación con propósito puede hacer al llevar a buen término iniciativas comunitarias significativas.

La Experiencia de Otoño de la Generación IX fue una mezcla armoniosa de aventura y educación, con el telón de fondo de la belleza natural de Imperial Beach. Desde el clima impredecible hasta la escapada oceánica y la cautivadora visita al Zoológico de San Diego, cada detalle contribuyó a un viaje inolvidable, fomentando conexiones, promoviendo la defensa y mostrando el papel vital del capital social en el bienestar de la comunidad.



COMENTARIOS:

“Obtengo mucho valor de este tipo de programa. Las conexiones que hago son increíbles. Aprendo mejor haciendo y experimentando”.

“La experiencia de la Generación IX fue una de emociones fuertes y mucho amor y empoderamiento. Me lo pasé muy bien y fue divertido volver a ver a toda la familia”.

“Estoy muy agradecido con Medexus por patrocinar, CHB por su asociación y GutMonkey por construir un programa atractivo y de ritmo rápido en el que aprendimos mucho sobre cómo podemos ayudarnos unos a otros y ayudar a la comunidad”.

* Para ver más fotos, visítenos en nuestro sitio web, Facebook y en CHB Educational Hub..



DECORACIÓN DE CASAS DE JENGIBRE: ¡UNA NOCHE DE DIVERSIÓN, TRIVIA Y DULCES CREACIONES!

POR KATIE COLÓN

Estamos emocionados de volver a visitar un evento memorable que tuvo lugar el sábado 16 de diciembre de 2023: nuestra Noche de Decoración y Trivia de la Casa de Jengibre. Esta reunión festiva fue una deliciosa celebración de la creatividad, la camaradería y la alegría de la temporada.

Uno de los aspectos más destacados del evento fue la oportunidad para que los participantes se reunieran en el espíritu de la temporada. Los primeros 50 inscritos recibieron un kit de pan de jengibre, los asistentes fueron equipados con todos los elementos esenciales para crear sus obras maestras azucaradas. El evento tuvo como objetivo no solo entretener, sino también fomentar las conexiones dentro de nuestra comunidad, trayendo sonrisas y risas a todos los involucrados.

A medida que avanzaba la noche, los asistentes disfrutaron de una versión festiva de "Esto o aquello", agregando una capa adicional de alegría a las festividades. Las risas resonaron a medida que los participantes compartían sus preferencias y descubrían puntos en común, creando una atmósfera de alegría y unión.

Si bien el evento brindó mucha diversión, también abarcó el lado educativo de las cosas. Nuestra Noche de Trivia contó con un giro educativo: preguntas centradas en datos informativos relacionados con



la hemofilia B. Los participantes participaron en un animado intercambio de conocimientos, aprendiendo más sobre la hemofilia mientras disfrutaban de la emoción de la competencia.

Para aquellos que se sintieran un poco competitivos, se llevó a cabo un concurso opcional de decoración de casas de jengibre que convirtió el evento en una competencia festiva con recompensas para los

participantes que demostraron un conocimiento y creatividad excepcionales. Los participantes mostraron sus habilidades culinarias enviando fotos de sus deliciosas creaciones. Felicitaciones a nuestros ganadores: 1er Lugar: La Familia Gardner; 2º Lugar: La Familia Duray; y 3er Lugar: La Familia Gregory.

El corazón de nuestra comunidad late más fuerte cuando nos unimos. A lo largo de la noche, el sentido de comunidad fue palpable, con los participantes compartiendo sus progresos, intercambiando consejos y celebrando los logros de los demás. El espacio virtual se transformó en un centro de energía positiva y apoyo.

Esta encantadora experiencia fue posible gracias al apoyo de nuestros maravillosos patrocinadores: Medexus Pharma y Paragon Hemophilia. Su compromiso con el bienestar y la felicidad de nuestra comunidad fue evidente durante todo el evento.





MEDEXUS
PHARMA



participando. Ya estamos haciendo una lluvia de ideas para la casa de pan de jengibre para el próximo año”.

“Construir una casa de pan de jengibre junto con la Coalición en zoom, se ha convertido en una divertida tradición familiar que esperamos con ansias cada año. ¡Gracias por reunirnos antes de las fiestas!”

“¡A nuestra familia le ENCANTA el evento de pan de jengibre! Los niños siempre están muy emocionados cuando les hago saber que está sucediendo y no pueden esperar a que sus mentes creativas trabajen. Poder ver a nuestros amigos en la computadora hace que mi hijo se sienta muy feliz de saber que no es la única persona con hemofilia”.

* Para ver más fotos, visítenos en nuestro sitio web, Facebook y en CHB Educational Hub

COMENTARIOS:

“Este evento festivo fue una alegría para toda la familia y nos acercó a nuestra comunidad”.

“Estoy muy agradecida de que la Coalition for Hemophilia B reúna a las familias en sesiones como la Decoración de la Casa de Jengibre. ¡Es algo que esperamos con ansias todos los años!”

“¡Nos divertimos mucho! Este fue nuestro segundo año

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA

EL CENTRO DE EDUCACIÓN B

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

ACTUALIZACIONES DEL PANORAMA DE LA HEMOFILIA

POR DR. DAVID CLARK

Pruebas de detección de portadores de hemofilia

9/12/23 Un grupo de médicos e investigadores de Bélgica señaló que “a pesar de las múltiples iniciativas de sensibilización, y a diferencia de las personas masculinas con hemofilia (PwH), un número considerable de portadoras y mujeres con Hp siguen sin ser diagnosticadas”. En la reunión de la Sociedad Americana de Hematología (ASH, por sus siglas en inglés) presentaron los primeros hallazgos de un proyecto de portadores.

Comenzaron actualizando los árboles genealógicos de todos los pacientes de su centro y ofreciendo realizar pruebas genéticas a todas las mujeres que aún no habían sido examinadas. En 228 familias (180 A; 48 B), encontraron 900 mujeres, de las cuales 454 eran portadoras obligadas. Una portadora obligada es una mujer cuyo padre tiene o tuvo hemofilia. Será portadora del gen mutado de su padre, pero puede o no tener hemofilia. También encontraron 118 mujeres que no eran portadoras, alrededor del 13%. Esto sugiere que, si usted es una mujer en una familia con hemofilia, solo tiene alrededor de un 13% de probabilidades de no ser portadora. También encontraron a ocho mujeres que deberían haber sido portadoras según los árboles genealógicos, pero que no portaban el gen mutado de su “padre” y en realidad no eran portadoras. Con tantos sujetos, las pruebas genéticas aún están en curso, por lo que este es un informe provisional, pero aún muestra algunos resultados preocupantes.

Entre los portadores de hemofilia B, el 29,5 % tenía niveles del factor IX por debajo del 40 % de lo normal (considerado el límite inferior de lo normal a nivel internacional) y el 41,0 % tenía un nivel de factor por debajo del 50 % (el límite inferior de lo normal en los EE. UU.). Tenga en cuenta que se ha informado que las mujeres sangran incluso con niveles en el rango del 60%. En el grupo B de hemofilia, el 1,3 % de los portadores tenían niveles del factor IX de 6 a 15 %, el 26,9 % tenían niveles de 16 a 39 %, el 24,4 % tenían niveles en el rango de 40 a 60 % y el resto (alrededor del 47 %) tenían niveles superiores al 60 %. Las proporciones de hemofilia A fueron similares, además de que no parecía haber una diferencia significativa entre las familias con hemofilia leve, moderada o grave. La única diferencia significativa es que los B tuvieron más casos de sangrado del tracto reproductivo con un 38,9% que los A con un 5,7%.

El hallazgo importante aquí es que el tiempo promedio hasta el diagnóstico para las mujeres fue siete años más tarde que para los hombres incluidos en el estudio como sujetos de control (miembros de las mismas familias). Incluso para las mujeres con niveles de factor por debajo del 40 o 50%, que realmente tienen hemofilia, la edad promedio en el momento del diagnóstico fue de 31,8 años para las B (25,8 para las A). (Nótese que Bélgica tiene atención médica universal. Las cifras en Estados

Unidos pueden ser peores). El informe concluye con la siguiente declaración: “Los esfuerzos de detección de portadores que se han iniciado en nuestro centro, y que idealmente deberían replicarse en toda la comunidad de hemofilia a nivel mundial, parecen ser un paso crítico para proporcionar un acceso equitativo al diagnóstico y la atención de la hemofilia a todas las personas potencialmente afectadas, independientemente de su género”. [Krumb E et al., resumen de ASH 288]

¿El desarrollo de inhibidores se ve afectado por el producto utilizado?

20/11/23 El desarrollo de inhibidores en la hemofilia sigue siendo un misterio. Hay muchas cosas que no sabemos. Una pregunta que ha surgido a lo largo de los años es si el producto utilizado para tratar al paciente con hemofilia afecta el desarrollo de inhibidores. La respuesta nunca ha sido clara. Recientemente, un gran grupo de investigadores europeos y canadienses decidió volver a abordar esa cuestión. Observaron a pacientes con hemofilia A o B que no habían recibido tratamiento previo en 56 centros de tratamiento europeos y 23 centros canadienses. Encontraron que 312 sujetos de un total de 1219 PUP con hemofilia A grave desarrollaron inhibidores, alrededor del 26%. Para el grupo A, el desarrollo de inhibidores fue menor en los productos de factor VIII derivados del plasma; más alto en productos de vida media estándar (SHL) e intermedio en productos de vida media extendida (EHL). Las tasas de desarrollo de inhibidores también variaron entre los diversos productos SHL y EHL.

En el caso de la hemofilia B, la situación parece ser diferente. En primer lugar, los B en general tenían tasas de desarrollo de inhibidores mucho más bajas, un promedio del 8% (14 de 173 sujetos del estudio). Y, debido a que había muchos menos sujetos, las estadísticas no pudieron mostrar ninguna diferencia significativa entre los productos. Los resultados fueron que el 11% (IC: 3-25%) desarrolló un inhibidor en productos derivados del plasma, el 8% (IC: 3-15%) en productos SHL y el 7% (IC: 1-22%) en productos EHL.

Ahora, es posible que pienses que esa es la respuesta: el derivado del plasma es peor que el SHL, que a su vez es peor que el EHL. Estarías equivocado, y es por eso que incluí los intervalos de confianza (IC) con los números. De hecho, este estudio no muestra ninguna diferencia entre los productos.

Los intervalos de confianza (IC) muestran los rangos estadísticos en los que creemos que se encuentra el resultado. Por ejemplo, con los productos derivados del plasma el resultado es del 11%, pero solo podemos decir con confianza que el número real, si incluimos todos los sujetos posibles, está entre el 3% y el 25%. Para reducir el tamaño del intervalo de confianza se necesitarían más

sujetos, pero los sujetos con hemofilia B y un inhibidor son más difíciles de encontrar. Dado que todos los intervalos de confianza se superponen, no podemos decir que los resultados sean diferentes.

Las estadísticas son extremadamente importantes en la ciencia y la medicina. Aunque los medios de comunicación casi nunca publican las estadísticas para que el público las vea, las publicaciones científicas suelen hacerlo. De lo contrario, podríamos ser fácilmente engañados. Usando el ejemplo anterior, por ejemplo, podría decir que el 11% de los PUP con hemofilia B desarrollan inhibidores de productos derivados del plasma. Sin embargo, mi amistoso competidor en el laboratorio de al lado podía decirme con toda precisión que estaba equivocado: solo demostré que la tasa de inhibidores está entre el 3% y el 25%. Esa es una gran diferencia, y debo tener cuidado al basar mi argumento en el hecho de que creo que el resultado es exactamente el 11%. Las estadísticas muestran que el 3%, el 11%, el 25% o cualquier otro resultado son resultados igualmente válidos a partir de mis datos. (¡Ahí va mi premio Nobel!)

Normalmente, no te mostramos los resultados estadísticos, pero te los muestro aquí, para que puedas tener una mejor idea de cómo funciona realmente la ciencia. Siempre miramos las estadísticas antes de informar los hallazgos en este boletín, incluso si no los mostramos.

No solo haces un experimento y obtienes un resultado y eso es todo. Por lo general, haces una serie de experimentos para que puedas tener una idea estadística de qué tan buena es tu respuesta. Especialmente en medicina, tenemos que tener buena confianza en nuestros resultados. No solo evaluamos a un sujeto y asumimos que eso se aplica a todos los demás pacientes. Tenemos que evaluar a varios sujetos y promediar los resultados para tener una buena idea de lo que realmente está pasando. Cuantos más sujetos examinemos; mejor es nuestra respuesta.

Entonces, la próxima vez que su vecino se jacte de que está obteniendo 50 mpg de su nuevo automóvil, pregúntele cuáles son los límites de confianza en ese número, ¿tal vez tenía viento de cola? [Fischer K et al., Res Pract Thromb Haemost, en línea antes de la impresión del 20/11/23]

La inyección intradérmica puede causar el desarrollo de inhibidores

4/11/23 El desarrollo de inhibidores en la hemofilia A a menudo se puede revertir mediante un método llamado inducción de tolerancia inmunitaria (ITI, por sus siglas en inglés) en el que se administran dosis altas de factor VIII repetidamente durante un período de tiempo. Sin embargo, la ITI no funciona muy bien para la hemofilia B, por razones desconocidas. Un grupo de investigadores estadounidenses se preguntó si administrar a los pacientes con inhibidores de la hemofilia B inyecciones de factor IX en la piel (inyecciones intradérmicas, DI) podría funcionar mejor. No fue así, pero su método puede haberles dado una visión importante sobre el desarrollo de inhibidores de la hemofilia B.

Descubrieron que la inyección de factor IX en la piel es en realidad una excelente manera de administrar un inhibidor a alguien. Tu piel no es solo una simple cubierta para tu cuerpo, es un tejido mucho más complejo que realmente te protege de muchos peligros externos. Contiene enzimas que pueden descomponer cualquier proteína extraña que intente ingresar a su cuerpo a través de la piel, además de una serie de componentes del sistema inmunológico, incluidos los anticuerpos, que pueden combatir bacterias y virus.

En ratones con hemofilia B, los investigadores encontraron que la inyección en la piel desencadena la formación de inhibidores a una dosis aproximadamente 100 veces más baja de lo que normalmente se necesita para producir la formación de inhibidores mediante inyección intravenosa (IV). Curiosamente, sin embargo, también encontraron que las inyecciones de factor de identificación parecían evitar que los ratones desarrollaran las reacciones anafilácticas que a menudo se observan en los pacientes con inhibidores de B. Una reacción anafiláctica es una reacción alérgica importante que puede poner en peligro la vida.

Entonces, ¿qué significa esto para los pacientes con inhibidores y también para los productos que se están desarrollando para la inyección subcutánea (SC)? Es probable que la mayoría de los pacientes con inhibidores B no adquirieran sus inhibidores por contacto de identificación, pero es posible y necesita más estudios. Para los productos SC que se están desarrollando, ¿podría ser una preocupación? Los productos SC se inyectan debajo de la piel, no dentro de ella, pero aún muy cerca.

Como señalan los autores, ya hemos visto casos en los que los fabricantes de productos EHL actualmente licenciados han intentado desarrollar una versión SC. El desarrollo de dos posibles productos EHL-SC se interrumpió debido al aumento en el desarrollo de inhibidores. Este ha sido el caso incluso con productos que no producen la formación de inhibidores cuando se inyectan por vía intravenosa. Esto podría ser una caja de pandora que necesita ser explorada más a fondo. [Sherman A et al., Res Pract Thromb Haemost, en línea antes de la impresión del 4/11/23]

Sobrecarga de hierro en el daño articular de la hemofilia

6/12/23 No sabemos exactamente qué, a nivel molecular, causa el daño articular hemofílico. Sabemos que es causada por el sangrado en las articulaciones y hay evidencia de que el hierro de la hemoglobina en la sangre está involucrado. En el último número, vimos que una proteína llamada YKL-40 probablemente está involucrada. Ahora otra pieza del rompecabezas se está aclarando.

Un grupo de China ha demostrado que el exceso de hierro de la sangre puede hacer que los macrófagos se transformen en una forma inflamatoria. Los macrófagos son un tipo de glóbulo blanco, que forma parte del sistema inmunitario.

Cuando se sangra en una articulación, los macrófagos son uno de los tipos de células inmunitarias que llegan al lugar de la hemorragia para limpiar el desorden. La

inflamación crónica de las hemorragias repetidas provoca daños en el tejido sinovial que rodea la articulación, lo que se denomina sinovitis. [Pang N et al., Haemophilia, en línea antes de la impresión del 6/12/23]

Scramblasas?

25/08/23 Muchos de ustedes han visto diagramas de la cascada de coagulación (sistema de coagulación de la sangre) y han asumido que, por lo tanto, sabemos todo sobre cómo funciona la coagulación de la sangre. ¡No tan rápido! Los diagramas que ves son solo una aproximación. Hay muchas otras moléculas involucradas, probablemente muchas que aún no han sido identificadas, y muchos otros procesos. Los diagramas nos dan un marco para pensar en la coagulación, pero no son la respuesta final, ni mucho menos. Todavía estamos tratando de entender el complejo sistema que es la coagulación de la sangre y todavía estamos encontrando nuevos componentes. Otro grupo relativamente nuevo de compuestos implicados es la familia de escramblasas TMEM16.

Uno de los principales hallazgos sobre la coagulación ocurrió en la década de 1980, cuando se descubrió que las reacciones de coagulación en realidad tienen lugar en las superficies, no en la solución del torrente sanguíneo. Las superficies son las paredes celulares rotas en el sitio de la lesión y las paredes celulares (membranas) de las plaquetas activadas. Esto tiene sentido porque desea que las reacciones de coagulación estén en el sitio de la lesión, no flotando en el torrente sanguíneo. Ahora estamos descubriendo que esas superficies no solo son pasivas, sino que también participan en el proceso de coagulación. Para explicar esto, necesitamos aprender un poco sobre las membranas celulares.

La pared celular o membrana celular es la cubierta de la célula. Está formado por moléculas llamadas fosfolípidos. Se trata de moléculas grasas (lípidos) que también contienen grupos fósforo. Son moléculas largas que se alinean una al lado de la otra en una doble capa para encerrar completamente el contenido de la célula, como se muestra en el siguiente diagrama.

En este diagrama, la imagen de la izquierda muestra una vista en el corte de una célula rodeada por la membrana celular. Intracelular se refiere al interior de la célula y extracelular se refiere al exterior de la célula. La imagen ampliada en la parte superior muestra la estructura de la membrana celular, que está hecha de una bicapa de fosfolípidos.

La bicapa consiste en dos capas de moléculas de fosfolípidos alineadas con sus cabezas (círculos redondos) mirando hacia el exterior de la membrana y las colas (secciones largas) en el interior de la membrana. Debido a la forma en que las diferentes partes de las moléculas de fosfolípidos se atraen entre sí, esto forma una cubierta fuerte pero flexible para la célula. La membrana celular también regula qué materiales pueden entrar o salir de la célula.

Hay varios tipos diferentes de moléculas de fosfolípidos

que componen la membrana celular. Una de las más prevalentes (alrededor del 15% del total) es la llamada fosfatidilserina (PS). Es procoagulante (promueve la coagulación) porque es la molécula a la que se unen muchos de los factores de coagulación durante la coagulación. En las células endoteliales (CE) que recubren el interior de los vasos sanguíneos, las moléculas de PS se encuentran en la pared interior de la membrana celular, donde la sangre no puede verlas. La pared de los CE que están en contacto con la sangre no tiene PS y, por lo tanto, es anticoagulante, es decir, impide la coagulación.

Cuando se produce una lesión, las paredes de la CE se rompen, lo que expone la sangre a las moléculas de PS en el interior de la pared celular. Eso proporciona una superficie que contiene PS en la que pueden producirse las reacciones de coagulación. El factor tisular, que es una proteína que también se encuentra en la pared interna de las AE, también está expuesto e inicia el proceso de coagulación activando el factor VII, que se une a la superficie que contiene PS.

El factor tisular y el factor VII inician el proceso de coagulación, pero para que realmente haya suficiente actividad de coagulación se requiere activar la otra vía de coagulación, la vía que incluye los factores VIII y IX. Esa vía amplifica la señal de coagulación para producir suficiente fibrina para sellar el vaso sanguíneo. Eso requiere más superficie que contenga PS para las reacciones de coagulación. Ahí es donde entran en juego las scramblasas.

Las escramblasas recientemente descubiertas mezclan la disposición de las moléculas de fosfolípidos en las paredes celulares, llevando el PS a la superficie externa de la célula lesionada y sus células intactas vecinas. Eso proporciona más sitios para que los factores de coagulación se unan mientras forman el coágulo. También continúa localizando las reacciones de coagulación en el área de la lesión.

¿Es realmente importante el reordenamiento de scramblasas? Aparentemente sí, porque cuando observaron ratones en los que se habían inhibido las escramblasas, vieron que el 50% de la actividad de coagulación también se había inhibido. También vieron que la fibrina (la proteína que forma el coágulo) no se adhería a la superficie de la CE. Eso significa que el coágulo no se adhiere al sitio de la lesión. Por lo tanto, este reordenamiento que lleva la PS a la superficie de las células endoteliales parece ser muy importante.

¿Qué significa esto para el paciente promedio con hemofilia? Probablemente no mucho, al menos no en este momento, pero a medida que sigamos aprendiendo más sobre el sistema de coagulación, potencialmente podremos encontrar mejores tratamientos para los trastornos de coagulación y hemorragia. [Prouse T y Majumder R, J Thromb Haemost, en línea antes de la impresión del 25/08/23]

Referencia

i. De la Universidad Estatal de Oregón en <https://open.oregonstate.edu/education/aandp/chapter/3-1-the-cell-membrane/>, consultado el 22/01/24.

PANORAMA DE LA HEMOFILIA TERAPIAS EMERGENTES

POR DR. DAVID CLARK

Invierno 2023

Hay una gran cantidad de desarrollo de nuevos productos en 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, incluyendo también productos para el tratamiento con inhibidores. Las mejoras incluyen vidas medias más largas y la administración por inyección subcutánea. Esta sección también incluye actualizaciones sobre algunos de los productos actuales en el mercado

Opinión de expertos sobre Sevenfact de HEMA Biologics para el tratamiento con inhibidores



21/08/23 Un grupo de investigadores estadounidenses publicó recientemente una opinión experta sobre el uso del producto Sevenfact de HEMA Biologics para el tratamiento de pacientes con hemofilia A y B con inhibidores. Sevenfact, autorizado en 2020, es un producto recombinante de factor VII activado (FVIIa) que se une a otros dos agentes de derivación, NovoSeven y FEIBA, actualmente disponibles para el tratamiento con inhibidores. Los agentes de derivación inducen la coagulación en pacientes inhibidores al omitir el paso factor VIII/factor IX en la cascada de coagulación. FEIBA es una mezcla derivada del plasma de factores de coagulación activados (incluido el FVIIa), mientras que Sevenfact y NovoSeven son versiones recombinantes del FVIIa.

Sevenfact se produce en la leche de conejos transgénicos, lo que le da un patrón de glicosilación diferente al de NovoSeven, que se produce en cultivo celular a partir de células de riñón de hámster bebé (BHK). La glicosilación se refiere a cadenas de moléculas de carbohidratos (azúcar) que están unidas a muchas proteínas de mamíferos. Sevenfact y NovoSeven tienen estructuras de esqueleto proteico idénticas, pero con diferentes cadenas de carbohidratos unidas. Esa pequeña diferencia parece marcar la diferencia en el rendimiento de los productos. Por ejemplo, Sevenfact parece exhibir una mayor unión en las plaquetas activadas, lo que puede ayudar a mejorar la coagulación. También parece inhibir la activación de la proteína C, lo que reduce la cantidad de actividad anticoagulante en el sitio del coágulo.

Entonces, ¿significa esto que Sevenfact es mejor que NovoSeven? ¡Para nada! Recuerde que cada paciente es diferente. A algunos pacientes con inhibidores les irá mejor con NovoSeven y a otros les irá mejor con Sevenfact. Algunos no verán ninguna diferencia real. Tenga en cuenta que FEIBA no se usa con tanta frecuencia para los pacientes con inhibidores de la hemofilia B porque contiene factor IX, al cual muchos pacientes con inhibidores B desarrollan una alergia.

Una de las cuestiones importantes que señala este artículo es que la investigación sobre el tratamiento con inhibidores para pacientes con hemofilia está disminuyendo. La mayoría de los pacientes con inhibidores tienen hemofilia A y ahora están siendo tratados con Hemlibra. Hay tan pocos pacientes con hemofilia B que se está volviendo difícil reclutar suficientes sujetos para un estudio clínico significativo. Afortunadamente, la mayoría de los agentes reequilibrantes (ver más abajo) que se están desarrollando también funcionan para los pacientes con inhibidores, por lo que el método estándar de tratamiento de los pacientes con inhibidores puede estar cambiando (y mejorando). [Pipe SW et al., Revisión de expertos en hematología, 16(10), 715-729, 2023]

AGENTES REEQUILIBRANTES

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

La licencia de Marstacimab de Pfizer se espera para fines de 2024 en Estados Unidos.



11/12/23 Pfizer está desarrollando marstacimab, un agente reequilibrante que inhibe el inhibidor de la vía del factor tisular para restaurar la coagulación. Marstacimab es un tratamiento subcutáneo que se administra una vez a la semana a través de una pluma autoinyectora para el tratamiento de pacientes con hemofilia A y B, con o sin inhibidores. Han completado sus estudios clínicos (descritos en el número anterior) y han presentado sus solicitudes de licencia a la FDA en los EE. UU. y a la EMA en Europa. La FDA ha fijado una fecha de acción para su respuesta en el último trimestre de 2024. La respuesta de la EMA se espera para el primer trimestre de 2025. [Artículo de Docwirenews del 11/1/24]

TERAPIA GÉNICA Y CELULAR

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

La FDA desarrolla un programa piloto para la revisión colaborativa de productos de terapia génica

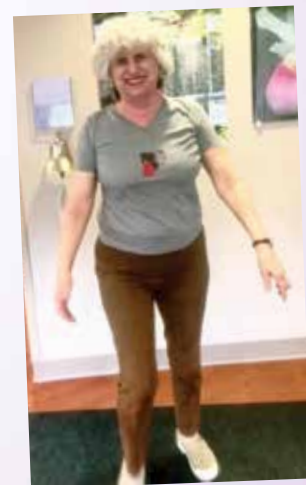


12/1/24 La FDA de EE. UU. está trabajando en un proyecto piloto para explorar la posibilidad de una revisión colaborativa simultánea de los productos de terapia génica con otros reguladores globales. El objetivo será que varios organismos reguladores de todo el mundo compartan la revisión de los nuevos productos de terapia génica, en lugar de que cada país revise las solicitudes por separado. Un campo que debería verse afectado positivamente por el proyecto es el de las enfermedades raras. Cuando solo hay unos pocos pacientes con una enfermedad rara en un país, puede ser difícil para una empresa obtener la licencia. Se espera que la puesta en común de los datos y las revisiones regulatorias faciliten a los países la aprobación de productos para enfermedades raras. [Artículo RAPS 12/1/24]

La terapia génica Beqvez de Pfizer es aprobada en Canadá

3/1/24 Pfizer está desarrollando Beqvez (fidanacogene elaparvovec), una terapia génica para la hemofilia B que es administrada por un vector de virus adenoasociado (AAV) y utiliza el gen del factor IX de alta actividad de Padua. Anunciaron que Canadá ha aprobado el producto. La licencia también está pendiente en los EE. UU. y Europa. La FDA ha fijado una fecha de decisión en el segundo trimestre de 2024. [Artículo de Biospace 4/1/24]

¡Felicitaciones a Rosie, miembro de la comunidad!
Ella tocó el timbre, está libre
de cáncer de mama, ¡y con
nuestra camiseta!



SOBREVIVIR Y PROSPERAR: UN RESUMEN DE LAS REUNIONES DE EMPODERAMIENTO

POR KATIE COLÓN

Al reflexionar sobre el año pasado, nos llena de gratitud por todos los increíbles viajes en los que nos hemos embarcado juntos, incluida la serie de reuniones virtuales “Sobrevivir y prosperar”. Estas reuniones no solo contenían momentos de conexión y diversión, sino también oportunidades invaluable para el autodescubrimiento, el bienestar holístico y la exploración de prácticas ancestrales. Cada sesión fue única, cada una contribuyó a nuestro viaje colectivo no solo para sobrevivir, sino también para prosperar en nuestra vida diaria.

Nuestra primera reunión de la serie, el 20 de septiembre, se centró en el Ikigai. Dirigida por la estimada Catherine Canadeo, directora ejecutiva de Catherine Canadeo Health and Wellness Corp, esta sesión nos introdujo en el profundo concepto japonés de Ikigai. Catherine profundizó con maestría en los componentes del Ikigai, enfatizando el delicado equilibrio entre pasión, misión, vocación y profesión. A través de sus conocimientos y experiencia en coaching de bienestar ejecutivo, obtuvimos valiosas herramientas para redefinir nuestro Ikigai personal, sentando las bases no solo para la supervivencia, sino también para la verdadera prosperidad.

La siguiente vez que nos reunimos para esta serie el 18 de octubre, Vanessa Harris, nutricionista holística, nos guió en un viaje transformador para revitalizar nuestros niveles de energía. Con un gran enfoque en los hábitos diarios, Vanessa alentó la autorreflexión para distinguir entre las prácticas que elevan y las que agotan. Su experiencia en el desequilibrio hormonal y la salud digestiva nos permitió abrazar una vida llena de renovado vigor y vitalidad. Esta sesión fue un testimonio del poder de los enfoques holísticos para el bienestar.

El 29 de noviembre, nos enfocamos en priorizar el cuidado personal y navegar la temporada navideña con facilidad. En preparación para la temporada festiva, Debbie de la Riva, LPC, compartió consejos prácticos sobre cómo priorizar el autocuidado con calma y resiliencia. Como terapeuta de salud mental licenciada con amplia experiencia en la comunidad de trastornos hemorrágicos, los enfoques personalizados de Debbie se aseguraron de



que la temporada navideña fuera algo para lo que los miembros se sintieran preparados. Sus ideas fueron un faro de apoyo durante una época a menudo llena de alegría y estrés.

Por último, tuvimos el placer de compartir una introducción al Ayurveda el 7 de diciembre. Aura H. Bermúdez, LP, nos iluminó sobre la antigua práctica ayurvédica de las rutinas estacionales. Explorando la conexión entre nuestros cuerpos, los sentidos y los cambios de estación, la sesión de Aura proporcionó una visión profunda sobre cómo alinear nuestras vidas con la sabiduría del Ayurveda. Los consejos dietéticos complementarios mejoraron nuestra comprensión del mantenimiento de la salud

estacionalmente, creando un enfoque holístico del bienestar.

Cada reunión no solo fue una oportunidad para adquirir conocimientos valiosos, sino también una oportunidad para fortalecer las conexiones dentro de nuestra comunidad. La diversa experiencia de nuestros ponentes, desde el coaching de salud holístico hasta las prácticas ayurvédicas, contribuyó a una comprensión rica y holística del bienestar. Un cálido y sincero agradecimiento a Novo Nordisk por su apoyo detrás de esta serie de eventos virtuales. Su patrocinio ha sido fundamental para crear un espacio para que nuestra comunidad se reúna, aprenda y crezca.



COMENTARIOS

“Me gustó tener estas sesiones útiles durante el otoño, entrando en los fríos meses del invierno con algunas ideas positivas para prosperar”.

“Esta fue una manera maravillosa de conectarse y desestresarse. Recordar que somos una comunidad conectada lo es todo”.

REUNIONES COMUNITARIAS SOBRE EL PANORAMA DE PRODUCTOS PARA HEMOFILIA B

POR DR. DAVID CLARK

El 8 de noviembre de 2023 y el 25 de enero de 2024, la Coalición celebró reuniones comunitarias virtuales sobre "El panorama de los productos para la hemofilia B" y tuve la oportunidad de organizarlas.

Soy el Dr. David Clark, Miembro de la junta directiva de la Coalición, y di charlas sobre los tratamientos actuales para la hemofilia B, así como sobre los nuevos tratamientos que se están desarrollando. Siempre empiezo mis presentaciones con una diapositiva que dice: "Cada paciente es diferente". Cada paciente, incluso los más cercanos, responde de manera diferente a diferentes productos.

Comenzamos las reuniones con algunos antecedentes. Alrededor de 1990, en realidad solo había dos productos de factor IX derivados del plasma para la hemofilia B, la alanina y la mononina. También había productos del Complejo del Factor IX, pero tienden a causar trombosis cuando se usan para profilaxis o cirugía. Por lo tanto, las opciones eran limitadas.

Si estos productos funcionaban para ti, genial, pero si no lo hacían, solo tenías que arreglártelas lo mejor que pudieras. A principios de la década de 1990, obtuvimos el primer producto recombinante, BeneFIX, pero las opciones aún eran limitadas. Luego, no tuvimos nada nuevo por mucho tiempo. Pero ahora, parece que estamos en una era dorada para el desarrollo de productos para la hemofilia B, con muchos productos disponibles y muchos más en desarrollo.

Hoy en día, hay siete productos de factor IX disponibles. La alanina, el único producto derivado del plasma, todavía está disponible, y hay pacientes a los que les va mejor que con productos recombinantes. No sabemos por qué, pero recuerda que cada paciente es diferente.

Hay tres productos recombinantes, que son versiones modificadas genéticamente del factor IX en el plasma.

THE HEMOPHILIA B PRODUCT LANDSCAPE

Let's talk!

History in the making!
New therapies, what now?
What's the latest info from ASH?

LET'S GET CASUAL AND HAVE A DISCUSSION ABOUT EMERGING THERAPIES WITH DR. DAVE. THERE'S A LOT GOING ON IN OUR HEMOPHILIA B WORLD AND A WHOLE NEW VOCABULARY!

Partnership with Purpose

THE COALITION FOR HEMOPHILIA

CSL Behring
Biotherapies for Life™

Tienen ligeras diferencias, y algunos pueden funcionar mejor en algunos pacientes que en otros. Estos cuatro son productos de vida media estándar (SHL), es decir, todos tienen aproximadamente la vida media del factor IX en el plasma, alrededor de 21 a 25 horas.

A continuación, exploramos el panorama actual. Más recientemente, hemos visto la aprobación de productos de vida media extendida (EHL) con vidas medias en el rango de 83 a 104 horas. Estos productos permanecen más tiempo en la circulación, por lo que requieren menos infusiones. También tienen el beneficio adicional

de que mantienen los niveles de factor IX más altos del paciente y, por lo tanto, brindan más protección contra las hemorragias. Los tres productos actuales de EHL son bastante diferentes entre sí y también pueden funcionar de manera diferente para diferentes pacientes.

Los pacientes con inhibidores también tienen tres opciones de agentes de derivación, uno derivado del plasma y dos que contienen factor VII activado recombinante (FVIIa). Estos dan a los pacientes con inhibidores algunas opciones, pero el tratamiento con inhibidores sigue siendo una propuesta difícil. Esperemos que eso esté a punto de cambiar.

Hay tres categorías generales de nuevos productos en desarrollo: productos de factores mejorados, agentes reequilibrantes y terapia génica. Los productos de factor mejorado que se están desarrollando incluyen un factor IX de EHL y varios productos nuevos de FVIIa para el tratamiento con inhibidores.

Las mejoras incluyen la inyección subcutánea y una vida media más larga. La inyección subcutánea (SC) es una inyección debajo de la piel, que es un proceso mucho más fácil que la infusión intravenosa. Utiliza una aguja corta, que se puede introducir en la piel, sin necesidad de encontrar una vena, muy similar a la forma en que un diabético inyecta insulina.

Los agentes reequilibrantes son un nuevo método único para ajustar el sistema de coagulación para evitar hemorragias. En lugar de reemplazar el factor IX defectuoso, evitan la necesidad del factor IX al facilitar que el sistema produzca coágulos.

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, y también pueden funcionar para algunos otros trastornos hemorrágicos. Estos productos deberían ser muy beneficiosos para los pacientes con inhibidores. Muchos de ellos también están diseñados para la inyección SC.

Por último, pero no menos importante, está la 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. Hay una terapia génica para la hemofilia B ya aprobada por la FDA y varias más en el horizonte.

La terapia génica o tratamientos similares podrían algún día proporcionar una cura real para la hemofilia B. En este

momento, generalmente lleva a las personas de grave (<1% del nivel normal de factor IX) o moderadamente grave (<2%) al rango de hemofilia leve (5 a 50%). Algunos pacientes incluso llegan al rango normal (50 – 150%).

La hemofilia leve tiene sus propios problemas, pero generalmente es mucho más fácil de tratar que la hemofilia moderada o grave.

Después de nuestra charla y una sesión de preguntas y respuestas, el grupo disfrutó de un divertido concurso y una rifa con premios. Fue agradable reunirnos a través de Zoom para ver a personas que no vemos tan a menudo. ¡Todos lo pasamos bien! ¡Estamos muy agradecidos con nuestro patrocinador CSL Behring por hacer posible estas reuniones!

CSL Behring

COMENTARIOS:

“Fue genial conectarme con otros en la comunidad y escuchar directamente al Dr. Clark”.

“Esta sesión de CHB fue justo lo que nuestra familia necesitaba para actualizarnos sobre las opciones de tratamiento que existen para nuestro hijo. El Dr. Clark convierte lo confuso en comprensible”.

“¡El Dr. Clark siempre me enseña algo nuevo! Estas reuniones son muy importantes para mí y mi familia. ¡Gracias por todo lo que hacen!”

“Agradecido por la experiencia. ¡Es genial poder aprender del increíble Dr. Clark!”

“Agradezco esta sesión educativa. ¡Obtuve tantos conocimientos nuevos! ¡Gracias!”

“¡Gracias por traer todas las nuevas y emocionantes actualizaciones a nuestra comunidad!”

“Esta sesión fue muy útil. Disfruté aprendiendo sobre el panorama de lo que está por venir para la hemofilia B”.

“¡Me encantó la sesión y ver a todos en Zoom fue increíble! ¡GRACIAS!”

“La presentación fue muy completa y útil y se compartió de una manera que es muy comprensible. Me siento empoderada y más educada que antes de esta reunión. ¡Gracias!”

¡UNA CELEBRACIÓN MULTILINGÜE DE DIVERSIÓN Y APRENDIZAJE!

POR KATIE COLÓN

En la Coalición, todavía estamos llenos de emoción por el nuevo año y estamos encantados de volver a visitar nuestra primera serie de eventos de 2024: ¡Noche de juegos virtuales!

Esta serie marcó nuestra primera incursión en la organización de eventos en español. Nuestra sesión del 18 de enero se llevó a cabo íntegramente en español, proporcionando una experiencia enriquecedora para los miembros de nuestra comunidad de habla hispana. Este enfoque multilingüe nos permitió llegar a un público más amplio y crear un espacio inclusivo. Nuestra Noche de Juegos Virtuales en inglés tuvo lugar el 11 de enero.

Cada noche fue un evento inolvidable lleno de risas, conexiones y valiosas ideas. Estas reuniones fueron un testimonio del poder de los juegos para fomentar tanto la diversión como la educación dentro de nuestra comunidad.

Los eventos comenzaron con una cálida bienvenida a todos los participantes, marcando el tono de una noche de camaradería y alegría compartida. Nuestras preguntas para romper el hielo brindaron la oportunidad perfecta para que los asistentes se conectaran a nivel personal, compartiendo sus propósitos de Año Nuevo, discutiendo sus orígenes e incluso comentando sobre el clima local. Estas indicaciones simples pero atractivas facilitaron la creación de vínculos dentro de nuestra comunidad diversa.

Lo siguiente fueron los Juegos Kahoot. Los juegos se adaptaron para atender a participantes de todas las edades, creando un entorno en el que tanto las familias como las personas pudieran reunirse para disfrutar de una noche de disfrute compartido. La diversa gama de actividades garantizó que todos pudieran encontrar algo que resonara con ellos, ya sea la emoción de un desafío de Kahoot o la emoción de ganar un premio de la rifa.

Este segmento fue una combinación única de entretenimiento y aprendizaje, con juegos centrados en la hemofilia y varias comunidades. Los participantes no solo pusieron a prueba sus habilidades de trivia, sino que también ampliaron sus conocimientos sobre la hemofilia B. Para agregar una capa adicional de emoción, el segmento de la rifa tuvo a los asistentes al borde

de sus asientos. La rifa no se trataba solo de ganar; Fue un momento para celebrar y apreciar el sentido de comunidad que hizo que el evento fuera realmente especial.

La Noche de Juegos Extravaganza fue más que una serie de juegos: fue una celebración de la unidad, la diversidad y la alegría compartida de aprender juntos. El éxito de esta Noche de Juegos sirvió como testimonio del entusiasmo y el compromiso de nuestra comunidad, y estamos ansiosos por aprovechar este momento.

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA

FOR PEOPLE OF
ALL AGES



mujeres y niñas con hemofilia



ESTAMOS *juntos* EN ESTO

ARTÍCULOS PARA APOYAR, EDUCAR,
Y EMPODERAR

¡Dana está viviendo su vida sin remordimientos!

POR SHELLY FISHER



Cuando la visitamos, Dana acababa de celebrar su cumpleaños número 35 y su tercer aniversario de bodas con su esposo y su hijo pequeño en California en Disneyland antes de dirigirse a Londres para ver a su hermana y sobrina. Sin lugar a dudas, las partes favoritas de su hijo de Disneyland eran las atracciones, el tren y la presentación de Mickey Mouse. Uno de los momentos más destacados de su viaje a Londres fue tomarse una foto en el Big Ben con su hijo, Benjamin, cuyas iniciales también se deletrean B-I-G. “Hay una canción sobre el reloj que siempre le cantamos a Ben, ¡así que fue súper divertido!”

Después de participar en el Día de la Educación en su capítulo local de hemofilia en Colorado este año, estaba emocionada de conocer gente nueva en la comunidad de Colorado y buscar oportunidades de voluntariado después de regresar a Denver desde Virginia. “Todavía estoy encontrando mi camino en este momento, pero estoy ansiosa por hacer más”.

Trabajando desde casa para una firma de asesoría financiera, Dana me dijo que divide su papel entre gerente de servicios al cliente y desarrollo comercial, y disfruta ser una “experta en todos los oficios”. Compartió que dedica su tiempo a diversas actividades, desde la creación de

cuentas hasta cumplimento, y “le gusta que cada día sea diferente”. Dana me dijo que pasar tiempo con su familia es una de las cosas más importantes para ella, y que salen lo más posible llevando al Capitán Maverick Velociraptor, una mezcla de Beagle también conocida como “Mavie”, a todos los parques para perros de Denver, en kayak, en bicicleta, nadando y “dondequiera que podamos disfrutar de nuestro tiempo al aire libre y pasar tiempo con nuestra familia”.

Una de dos hermanas, confesó que a pesar de que había experimentado síntomas de sangrado a lo largo de su vida, su hermano fue el único diagnosticado inicialmente con hemofilia B. Los problemas que experimentó eran normales para las mujeres de su familia y ella “simplemente lidiaba con ellos”. Dado que las mujeres no solían ser diagnosticadas con trastornos hemorrágicos en ese momento, a Dana nunca se le ocurrió que la hemofilia podría ser la causa de sus síntomas.

Después de que un procedimiento médico a la edad de 23 años resultó en un episodio de sangrado incontrolable, fue su hermano quien le aconsejó que se hiciera la prueba y, como resultado, le diagnosticaron hemofilia B leve. Dana pronto comenzó la búsqueda de médicos capaces



de controlar los síntomas que había estado experimentando toda su vida, y descubrió, para su consternación, que muchos médicos todavía no creían que las mujeres tuvieran trastornos hemorrágicos.

Fue solo después de encontrar el Centro de Hemofilia y Trombosis de Colorado que descubrió un personal médico familiarizado con las mujeres y los trastornos hemorrágicos. Más tarde, cuando Dana quedó embarazada, pudo tener un parto natural sin mayores complicaciones después de una cuidadosa preparación y colaboración con los médicos antes del nacimiento de su hijo.

Cuando se le preguntó qué consejo le daría a alguien que acaba de ser diagnosticado, dijo: “Encuentra una amiga en la comunidad. Es útil tener a alguien que esté pasando por lo mismo, o alguien en quien puedas confiar y de quien puedas obtener consejos”.

Dana también dijo: “Tener familiares y amigos en la comunidad de trastornos hemorrágicos con quienes hablar ha marcado la diferencia. Mi mamá le enseñó a mi hermano a ser un gran defensor de sí mismo y él me enseñó lo mismo”. Ella le da crédito a su hermano por reconocer sus síntomas y alentarla a recibir un diagnóstico. “Gracias a Dios mi hermano estuvo ahí para mí. No sé dónde habría estado sin él”.

¿Cuál dirían sus amigos que es su superpoder? “Tengo empatía. Trato de entender cómo las personas lidian con lo que están lidiando, y trato de relacionarme con eso”.

Dana confió que vive según una regla simple: “Solo tienes una vida. No te arrepientas”.



ESTAMOS TODOS JUNTOS EN ESTO

La abogacía es la forma en que esta comunidad expresa nuestra "Voz B" al preguntar a nuestros funcionarios electos y otros líderes por las cosas que necesitamos para vivir vidas felices y saludables. ¡Hay varias maneras en las que puedes involucrarte y expresar TU voz B! Nuestro blog de defensa B Voice hace un seguimiento de los desarrollos relacionados con la Ley del Cuidado de Salud a Bajo Precio y habla sobre temas como el Programa de Seguro Médico para Niños (CHIP, por sus siglas en inglés) y la asistencia caritativa para las primas. También puedes registrarte como defensor y unirte a nuestros esfuerzos de defensa.

MÁS INFORMACIÓN EN: HEMOB.ORG/B-VOICE-ADVOCACY

CONVERTIR UN NO EN UN SÍ: EL ARTE DE LA DEFENSA

POR JAMES ROMANO

Cuando éramos jóvenes, todos desarrollamos estrategias sobre cómo convencer a nuestros padres de que dijeran “No” al “Sí” para algo que deseábamos mucho: un toque de queda más tarde, ir a una fiesta o algo sin lo que no pudiéramos vivir. A medida que pasa el tiempo, el deseo de pasar del “No” al “Sí” no cambia, sin embargo, nuestras necesidades se hacen más grandes. La situación se vuelve más grave, especialmente para aquellos que viven con una enfermedad rara o crónica. La denegación de tratamientos o servicios de los proveedores de seguros de salud es una práctica frecuente en las enfermedades raras y las comunidades de enfermedades crónicas. La clave es determinar qué motivación necesita el tomador de decisiones para progresar de “No” a un “Sí”. Cuando tratamos con una compañía de seguros o un administrador de beneficios de farmacia (PBM, por sus siglas en inglés), debemos abogar por nuestro propio interés. Sin embargo, la compañía de seguros cuenta con que usted y los pacientes como usted acepten un “No” como respuesta.

Este artículo proporcionará una serie de recomendaciones a seguir para llegar al “Sí”. Esas recomendaciones incluyen:

- Documente todas las conversaciones que tenga con un proveedor de seguros de PBM.
- Documente todos los problemas de cobertura y acceso con su organización de defensa del paciente.
- Pasar por el Proceso de Apelaciones de Seguro Médico.
- Apelar al interés propio monetario del proveedor de seguros.
- Ponerse en contacto con las organizaciones de asistencia al paciente.
- Ponerse en contacto con sus representantes electos.

La primera recomendación es documentar todas las conversaciones que tenga con el proveedor de seguro médico o PBM. El paciente o cuidador debe documentar nombres, fechas y números de teléfono. El paciente debe obtener el nombre de la persona con la que está tratando



y anotar si está con la compañía de seguros o PBM. Si el miembro del personal no proporciona un apellido, solicite un número de identificación. Muchas veces he hablado con pacientes que me cuentan lo que le dijeron a la compañía y transmiten la conversación. Sin embargo, si no puede proporcionar detalles sobre con quién habló, entonces es como si la llamada nunca hubiera sucedido: se convierte en una situación de él dijo/ella dijo. Muchos proveedores de seguros graban las llamadas por razones de control de calidad y, si puede compartir detalles, la compañía volverá y escuchará la grabación.

La segunda recomendación es discutir la situación con su comunidad de defensa del paciente. Si se le niega un tratamiento o un procedimiento, el paciente debe comunicarse inmediatamente con las organizaciones de defensa del paciente en su estado de enfermedad para documentar el problema. Si usted es miembro de la comunidad de trastornos hemorrágicos, debe comunicarse con la Coalition for Hemophilia B, la Fundación Nacional de Trastornos Hemorrágicos (NBDF, por sus siglas en inglés) o la Federación de Hemofilia de Estados Unidos (HFA, por sus siglas en inglés). Estas organizaciones trabajan en estrecha colaboración en temas de cobertura y acceso al tratamiento y querrán trabajar con usted para documentar su situación y ver si se ajusta a otras tendencias que las organizaciones están siguiendo.

La tercera recomendación es seguir adelante con la apelación. Una apelación se solicita a un nivel superior en el proveedor de seguros para que se revoque la denegación. Cada compañía de seguros tiene un proceso de apelación. La Ley del Cuidado de Salud a Bajo Precio (Ley Pública 111-148) garantiza un proceso de apelación de seguros. Como se indicó anteriormente, los proveedores de seguros de salud cuentan con que las personas no soliciten ni presenten una apelación. Según múltiples fuentes, entre el 49% y el 53% de las denegaciones de seguros de salud se anulan en la apelación. Este es un proceso, y las personas deben trabajar con su médico, el personal del centro de tratamiento y el grupo de

defensa del paciente para proporcionar con precisión la información incluida en el formulario de apelación.

La cuarta recomendación para llegar al “Sí” es apelar a su propio interés. Los pacientes deben apelar al interés propio del proveedor de seguro médico. Los proveedores de seguros de salud son compañías con fines de lucro, el objetivo número uno de estas compañías es maximizar las ganancias y reducir las reclamaciones. Sin embargo, si al negar su reclamo o negar su tratamiento o procedimiento a corto plazo, el proveedor de seguros está aumentando los costos a largo plazo, ese es un argumento persuasivo para llegar al “Sí”. El paciente debe proporcionar los datos para probar esa hipótesis con información del médico o de los centros de tratamiento. La recopilación de datos es muy importante para probar su reclamo.

Para influir en los proveedores de seguros de su estado, influya en los reguladores de seguros, como el Comisionado de Seguros. En ciertos estados, los comisionados de seguros son nombrados por el gobernador, en otros estados son elegidos. Ponerse en contacto con su organización de defensa del paciente puede ayudar con este proceso para informar un problema que tenga con su proveedor de seguro médico. Recientemente, la Coalition for Hemophilia B ayudó en un esfuerzo más amplio lanzado por un capítulo estatal en el que una compañía de seguros cortó las negociaciones con la red de proveedores, con el resultado de que el centro de tratamiento de la hemofilia ya no se consideraba dentro de la red. CHB firmó una carta de apoyo para los pacientes que se enviaban al Departamento de Seguros en la que se discutía cómo los pacientes no estaban recibiendo la atención que necesitaban. Los pacientes pueden presentar quejas ante el Departamento de Seguros de su estado, sin embargo, la información precisa es esencial.

La quinta recomendación es ponerse en contacto con organizaciones de asistencia al paciente u otros abogados de atención médica. Los pacientes pueden ponerse en

contacto con diferentes organizaciones de asistencia al paciente en el ámbito de los trastornos hemorrágicos o con el equipo legal de atención médica. El Programa de Defensa de las Enfermedades Crónicas, los Derechos y los Servicios Sociales (ACCESS, por sus siglas en inglés) de Accessia Health podría ser una vía para que los pacientes reciban asesoramiento sobre los próximos pasos ante las denegaciones de seguros de salud. El programa también ayuda a los pacientes con trastornos hemorrágicos a obtener un programa gratuito de asistencia legal por discapacidad. Asistencia Legal | Accessia Health.

La recomendación final es ponerse en contacto con su representante electo, si estas otras vías están cerradas para usted, le recomiendo que se reúna con su oficina del Congreso. Cada representante tiene una oficina local con trabajadores sociales para ayudar a los electores con los problemas que enfrentan. Las personas pueden hacer una cita con un trabajador social y reunirse con él para discutir la denegación o el problema que enfrentan. Una carta de una oficina del Congreso puede ser de gran ayuda en estos asuntos. También pueden proporcionar consejos para los próximos pasos. Conozco a un paciente que trabajó en el personal de un gobernador de un estado grande. El proveedor de seguros no cubriría su tratamiento para su trastorno. El gobernador envió una carta y la compañía de seguros revirtió su posición. Una carta de preocupación de un legislador puede marcar la diferencia.

En conclusión, documente todos los tratos con su proveedor de seguros o PBM. Póngase en contacto con sus organizaciones de defensa del paciente para explicar la situación y obtener su asesoramiento sobre cómo seguir adelante. Trabaje para presentar una apelación con la ayuda de su médico o del personal del centro de tratamiento. La Coalition for Hemophilia B está lista para trabajar con usted para convertirse en el mejor defensor de usted y su familia.

NORD IMPULSA LA CREACIÓN DE CONSEJOS ASESORES DE ENFERMEDADES RARAS A NIVEL ESTATAL

POR GLENN MONES

La Organización Nacional de Enfermedades Raras (NORD, por sus siglas en inglés) ha logrado avances significativos en sus esfuerzos por fomentar el establecimiento de Consejos Asesores de Enfermedades Raras (RDAC, por sus siglas en inglés) en todo el país. Los RDAC son organismos asesores a nivel estatal que proporcionan una plataforma para que la comunidad de enfermedades raras tenga una voz más fuerte en el gobierno estatal. Desde proporcionar información sobre el proceso de diagnóstico hasta hacer recomendaciones sobre políticas estatales que mejoren el acceso a la cobertura y el tratamiento de atención médica asequibles, estos consejos sirven como una gran oportunidad para que los legisladores y otros tomadores

de decisiones comprendan mejor las necesidades de sus electores con enfermedades raras. Hay 27 RDAC en todo el país, concentrados principalmente en la costa este, pero el equipo de políticas de NORD está trabajando para establecer un RDAC en cada estado.



Para saber si su estado ya tiene un RDAC o para unirse a una coalición que trabaja para crear uno en su estado, visite NORD en línea. Esta información se puede encontrar en la siguiente página web. <https://rarediseases.org/rare-disease-advisory-councils/map/>



ADMINISTRADORES DE BENEFICIOS DE FARMACIA: LA PRESIÓN ESTÁ EN LOS INTERMEDIARIOS DE ATENCIÓN MÉDICA

POR SHELBY SMOAK, PhD

Publicado originalmente en BioMatrix News, otoño de 2023, volumen 18, número 4. Reimpreso con permiso.

Si ha estado viendo las noticias, es probable que haya escuchado algunas conversaciones sobre el Congreso que investiga a los Administradores de Beneficios de Farmacia (PBM, por sus siglas en inglés) y crea proyectos de ley legislativos para abordar las preocupaciones con los PBM. Es posible que también haya visto un comercial frecuente contra el PBM en el que una paciente intenta recoger su medicamento aprobado por el médico en una farmacia. Un hombre salta y se lo quita, diciendo que no puede tomar ese medicamento en particular; que tendrá que usar otro. Ella responde: “Pero usted no es mi médico”. Pero, él es su PBM...

¿Qué son los PBM? ¿Qué hacen? ¿Y por qué los investiga el Congreso? Empecemos.

¿Qué es un PBM?

Un administrador de beneficios de farmacia, o PBM para abreviar, es un socio externo con un plan de seguro de salud que brinda beneficios de medicamentos recetados a los miembros del plan. Los PBM funcionan como intermediarios entre las entidades involucradas en la obtención de medicamentos recetados del fabricante y los planes de seguro individuales del paciente.

Los PBM crean formularios de medicamentos, establecen inclusiones y exclusiones de medicamentos e instituyen niveles de costos de medicamentos especializados; Negocian reembolsos de medicamentos, crean redes de farmacias y se encargan de la facturación de reclamos, el procesamiento y el pago de los beneficios de medicamentos.

¿Cuándo comenzaron los PBM?

Los PBM comenzaron a operar en la década de 1960 cuando ayudaron a las aseguradoras a controlar el gasto en medicamentos mediante el uso de formularios y la administración de reclamos de medicamentos. Su papel se amplió ligeramente en las décadas de 1970 y 1980.

No fue hasta la década de 1990 que los PBM comenzaron a cambiar y expandirse más ampliamente. Inicialmente, fueron adquiridos por compañías farmacéuticas, pero la Comisión Federal de Comercio (FTC, por sus siglas en inglés) puso fin a la práctica, citando preocupaciones sobre conflictos de intereses.

Hoy en día, hay más de 66 PBM; sin embargo, los tres primeros controlan casi el 89% del mercado. Muchos PBM también son propiedad de un proveedor de seguros, una posición que se hace eco de las preocupaciones expresadas por la FTC hace varias décadas'

¿Qué hace un PBM?

Los PBM trabajan en segundo plano con los medicamentos recetados. No desempeñan ningún papel en la distribución física de los medicamentos, pero se encargan de las negociaciones de pago y reembolso entre los fabricantes, los mayoristas, las farmacias y los planes de seguro.



¿Tengo un PBM?

Sí. Si tiene un plan de seguro médico, tiene un PBM. En los planes comerciales, el PBM puede ser más controlador y restrictivo, pero incluso los planes gubernamentales como Medicare utilizan un PBM de terceros para ayudar a administrar los medicamentos recetados de sus miembros.

¿Mi medicamento para trastornos hemorrágicos se ve afectado por un PBM?

Quizás. Históricamente, los PBM no han estado involucrados en inyectables como los medicamentos para trastornos hemorrágicos porque estos medicamentos caían casi exclusivamente en el lado de los beneficios médicos de los beneficios del seguro y, por lo tanto, eran inmunes a las reclamaciones de farmacia. Pero recientemente, la cobertura de los productos para tratar los trastornos hemorrágicos ha caído dentro de los medicamentos recetados y, por lo tanto, de los PBM.

Con eso, los PBM han hecho inclusiones y exclusiones de ciertos productos para la hemofilia y la EVW en su formulario de medicamentos. Si su PBM excluye un producto de la EVW, la hemofilia A o la hemofilia B, es posible que no pague por ese producto en particular y es probable que tenga la intención de que use otro medicamento.

Esto significa que si usted es un paciente suscrito y su PBM no es compatible con el medicamento para trastornos hemorrágicos que está usando actualmente o tiene la intención de comenzar a usar, es posible que no esté cubierto. Consulte con su plan de seguro médico y PBM para obtener más información.

¿Qué pasa con los ajustadores acumuladores de copagos y los maximizadores de copagos? ¿Son parte de los PBM?

¡Sí! Los ajustadores de acumuladores de copagos y los maximizadores de copagos son operados por PBM. Cuando el PBM instituye un acumulador de copagos, el dinero pagado por las tarjetas de copago del fabricante por su producto de marca de infusión no cuenta para su deducible y gastos de bolsillo, sino que es absorbido por el PBM. Usted sigue siendo responsable de esos montos de gastos compartidos de bolsillo.

LA INVESTIGACIÓN DE PBM Y LA LEY

¿Por qué el Congreso está investigando los PBM?

Para responder a esa pregunta, primero debe comprender cómo ganan dinero los PBM.

¿Cómo ganan dinero los PBM?

Los PBM ganan su dinero de tres maneras principales:

1. A través de una tasa administrativa por sus servicios
2. A través de “precios diferenciados”, que es la diferencia entre lo que se paga a las farmacias y el pago negociado a los planes de salud.
3. A través de ahorros compartidos, que es la cantidad que un PBM se queda con un precio con descuento o rebajado de los fabricantes de medicamentos.

Los PBM también obtienen ingresos al llevar a los pacientes a farmacias internas o farmacias especializadas propiedad de los PBM.

Entonces, ¿por qué el Congreso está investigando los PBM?

De acuerdo con el testimonio de una investigadora principal de economía, Karen Van Nuys, PhD, proporcionado al Comité de Finanzas del Senado este año, la evidencia muestra que los PBM “aprovechan su posición para extraer ganancias de manera que son perjudiciales para los pacientes, los pagadores y el sistema de innovación de medicamentos en general”.

En otras palabras, los PBM negocian los precios de los medicamentos que a menudo son más favorables (rentables) para ellos mismos que más asequibles para los pacientes, y los PBM toman dinero del ecosistema de atención médica que podría estar mejor servido en el desarrollo de medicamentos. Van Nuys también afirma que los PBM aumentan los costos de los medicamentos y, como ejemplo, afirma que Medicare paga casi un 21% más por los mismos medicamentos que se pueden comprar en Costco.

Volviendo a la forma en que los PBM ganan dinero, algunos economistas argumentan que la estructura favorece inherentemente a los PBM que buscan un precio más alto de un medicamento de un fabricante porque entonces podrían aumentar el monto del reembolso y, por

lo tanto, aumentar las ganancias del PBM. Además, como dijo otro testigo ante el Congreso, “los PBM obligan a los fabricantes a aumentar su precio de lista, a cambio de la colocación en el formulario”.

Recuerde que los PBM incluyen y excluyen medicamentos de sus formularios. Si un PBM excluye el medicamento de un fabricante, no solo los pacientes perderán el acceso a ese medicamento, sino que los fabricantes, necesariamente, perderán ingresos de esas posibles ventas de medicamentos.

El Congreso está investigando la veracidad de estos asuntos y tratando de responder a la pregunta: ¿Los PBM aumentan los costos de los medicamentos?

¿Hay algún proyecto de ley propuesto para abordar el tema de PBM?

Sí, hay varios proyectos de ley propuestos en el Congreso y el Senado. Aquí hay algunos:

Ley de Copagos HELP (H.R. 830 | S. 1375): “Ley de Ayuda a Garantizar Copagos Más Bajos para los Pacientes”

Busca exigir que cualquier pago de terceros, asistencia financiera, descuentos o vales de productos, asistencia de copago u otras reducciones se apliquen a los gastos de bolsillo de un paciente.^{iv,v}

Ley de Pacientes antes que Intermediarios (PBM): (S.1967)

Busca prohibir la compensación de PBM basada en el

precio del medicamento como condición para celebrar un contrato con Medicare Parte D plan.^{vi}

Ley de Fortalecimiento del Acceso a las Farmacias para las Personas Mayores (S. 2405):

Busca aumentar las medidas de transparencia en los PBM y brindar a las personas mayores opciones adicionales para surtir sus recetas. El proyecto de ley pondría fin a las limitaciones o restricciones que los PBM a menudo imponen a ciertos medicamentos sin que el PBM aclare su razonamiento.^{vii}

Ley de Transparencia para Administradores de Beneficios de Farmacia de 2023 (H.R. 2816 | Artículo 127):

Estos proyectos de ley harían que los “precios diferenciados” (cobrar al plan una cantidad diferente a la que el PBM reembolsa a la farmacia) fueran ilegales y pondrían fin a los pagos de reembolso de “clawbacking” realizados a las farmacias.^{viii, ix} Las farmacias no “pagan” al PBM, el PBM “recupera” o deduce los fondos de las reclamaciones pagadas directamente de la cuenta bancaria de la farmacia, a menudo sin previo aviso y/o con un razonamiento cuestionable a menudo semanas o meses después.

Ley de Transparencia de Precios de la Atención Médica (H.R. 4822 | S. 1130):

Su objetivo es brindar transparencia y acceso a la información sobre los precios de los medicamentos recetados. Los planes de seguro deben publicar los

PAPEL DE UN ADMINISTRADOR DE BENEFICIOS DE FARMACIA EN LA PRESTACIÓN DE SERVICIOS Y FLUJO DE FONDOS PARA MEDICAMENTOS RECETADOS



* Incluye el establecimiento de programas de adherencia al formulario y al paciente y la implementación de herramientas de gestión de la utilización, como la autorización previa, la terapia escalonada y la organización por niveles, para orientar a los pacientes hacia ciertos medicamentos en el formulario.

Fuente: Elizabeth Seeley and Aaron S. Kesselheim, *Pharmacy Benefit Managers: Practices, Controversies, and What Lies Ahead* (Commonwealth Fund, Mar. 2019). <http://doi.org/10.26099/n60j-0886>

cargos dentro y fuera de la red por los artículos y servicios cubiertos y los precios negociados de los medicamentos recetados cubiertos. Los planes deben proporcionar una herramienta para que los consumidores busquen esta información sobre costos^{x, xi}

Ley de Divulgación de Tarifas Ocultas (H.R. 4508):

Requiere que los proveedores proporcionen a los pacientes datos transparentes sobre los costos de las comparaciones de precios antes de proporcionar el tratamiento. Tiene como objetivo reforzar los requisitos para que los PBM divulguen la compensación a los patrocinadores del plan y otros fiduciarios.^{xii}

¿Qué está pasando en Florida con respecto a los PBM?

¡Me alegro mucho de que lo hayas preguntado! Florida es el primer estado en aprobar una legislación que restringe las operaciones de PBM dentro del estado. El proyecto de ley aumenta la supervisión de las operaciones de PBM y evita que un PBM exija a los pacientes que usen una farmacia interna o de pedidos por correo que también sea propiedad del PBM. Su intención es devolver el negocio a las farmacias locales.^{xiii}

¿Cómo me va a afectar esto a mí y a mi medicación?

Por el momento, nada cambiará. Los residentes de Florida con planes estatales pueden ver algunas diferencias el próximo año a través de menos restricciones y mayores opciones de farmacia para sus recetas. Los proyectos de ley del Congreso aún están en el futuro, pero pueden tener resultados positivos para los pacientes si obtienen apoyo y se convierten en ley.

¿Qué pasa con la Comisión Federal de Comercio (FTC)?

La Comisión Federal de Comercio (FTC, por sus siglas en inglés) también está investigando a los PBM por prácticas anticompetitivas, el mismo problema que los llevó a intervenir en la década de 1990 con los fabricantes de productos farmacéuticos y sus propios PBM. A los seis PBM más grandes se les han emitido “órdenes

REFERENCIAS

- i. “Pharmacy Benefit Managers.” NAIC, 1 June 2023, content.naic.org/cipr-topics/pharmacy-benefit-managers#:~:text=Background%3A%20When%20insurance%20companies%20began,formularies%20and%20administered%20drug%20claims.
- ii. Van Nuys, Karen. “Testimony on Pharmacy Benefit Managers and the Prescription Drug Supply Chain.” USC Schaeffer, 31 Mar. 2023, healthpolicy.usc.edu/research/testimony-on-pharmacy-benefit-managers-and-the-prescription-drug-supply-chain/.
- iii. Levitt, Jonathan. “Pharmacy Benefit Managers and the Prescription Drug Supply Chain: Impact on Patients and Taxpayers.” United States Senate Committee on Finance. 30 March 2023. www.finance.senate.gov/imo/media/doc/Jonathan%20Levitt%20Testimony%20US%20Senate%20Committee%20on%20Finance%20-%20Frier%20Levitt%20-%20March%202023_Redacted1.pdf.
- iv. Text of S. 1375: HELP Copays Act (Introduced version) - GovTrack.us. (n.d.). GovTrack.us. <https://www.govtrack.us/congress/bills/118/s1375/text>.
- v. Carter, Barragán, Miller-Meeks, and DeGette introduce bipartisan legislation to ensure copay assistance counts for patients. (2023, February 9). Congressman Buddy Carter. buddycarter.house.gov/news/documentsingle.aspx?DocumentID=10927.
- vi. Wyden, Crapo, Menendez, Blackburn, Tester and Marshall introduce bipartisan legislation to reform PBMs and bring down the cost of prescription drugs. (2023, June 14). www.finance.senate.gov/chairmans-news/wyden-crapo-menendez-blackburn-tester-and-marshall-introduce-bipartisan-legislation-to-reform-pbms-and-bring-down-the-cost-of-prescription-drugs#:~:text=The%20PBM%20Act%20would%3A,%2C%20rebates%2C%20or%20other%20fees.
- vii. Thune introduces bill to increase transparency of the prescription drug supply chain. (n.d.). U.S. Senator John Thune. www.thune.senate.gov/public/index.cfm/2023/7/thune-introduces-bill-to-increase-transparency-of-the-prescription-drug-supply-chain.



obligatorias”. Estos requieren que esos PBM proporcionen información y registros de sus prácticas comerciales.

La FTC ha indicado que está buscando información sobre el apalancamiento de las tarifas y las devoluciones a las farmacias no afiliadas; dirigir a los pacientes a las farmacias afiliadas; el uso de métodos de reembolso opacos; y la negociación de reembolsos con los fabricantes farmacéuticos que afectan el costo de los medicamentos para los pacientes.

La FTC también ha retirado sus cartas anteriores de defensa de los PBM y ha considerado que sus conclusiones anteriores no son confiables en este momento. Básicamente, la FTC está diciendo que lo que determinaron hace diez o más años sobre los PBM ya no es válido; quieren volver a investigar los PBM y hacer una conclusión más actual sobre el comportamiento anticompetitivo.^{xiv}

¿Qué puedo hacer?

Si desea obtener más información sobre los PBM, comuníquese con el equipo de educación de BioMatrix en education@biomatrixsprx.com. También puede ponerse en contacto con sus representantes en el Congreso para obtener apoyo y transparencia de la cadena de suministro de medicamentos recetados.

- viii. Rep. Harshbarger Introduces the PBM Sunshine and Accountability Act. (2023, April 26). Representative Diana Harshbarger. harshbarger.house.gov/media/press-releases/rep-harshbarger-introduces-pbm-sunshine-and-accountability-act#:~:text=2816%2C%20the%20PBM%20Sunshine%20and,%20value%2Dbased%20PBM%20choices.
- ix. United States, Congress, Senate. “Pharmacy Benefit Transparency Act of 2023.” Congress.gov. <https://www.congress.gov/bill/118th-congress/senate-bill/1127#>. 118th Congress. Senate Bill 127. Introduced Jan. 26, 2023.
- x. Rubin, J. (2023). Ways and Means Committee Approves Legislation Injecting Greater Transparency in Health Care Prices And Lowering Costs for Patients. House Committee on Ways and Means. waysandmeans.house.gov/ways-and-means-committee-approves-legislation-injecting-greater-transparency-in-health-care-prices-and-lowering-costs-for-patients/.
- xi. United States, Congress, Senate. “Health Care Price Transparency Act.” <https://www.congress.gov/bill/118th-congress/senate-bill/1130>. 118th Congress. Senate Bill 1130. Introduced Mar. 30, 2023.
- xii. McDermottPlus Check-Up: July 14, 2023 - McDermott+Consulting. (2023, July 14). McDermott+Consulting. www.mcdermottplus.com/blog/weekly-check-up/mcdermottplus-check-up-july-14-2023/.
- xiii. Morgan, Lewis and Eric P. Knowles. “Florida Enacts Long-Awaited PBM Transparency and Accountability Bill Into Law.” Frier Levitt Attorneys at Law. 11 May 2023. www.frierlevitt.com/articles/florida-enacts-long-awaited-pbm-transparency-and-accountability-bill-into-law/.
- xiv. FTC Deepens Inquiry into Prescription Drug Middlemen. (2023, May 17). Federal Trade Commission. www.ftc.gov/news-events/news/press-releases/2023/05/ftc-deepens-inquiry-prescription-drug-middlemen.

LET'S PLAY NINE: ACTUALIZACIÓN DE LOS GALARDONADOS 2022

POR ROCKY WILLIAMS

Entre las actividades extracurriculares que dan forma a la vida de los adolescentes y preadolescentes con hemofilia B, pocas cosas mezclan la habilidad, la precisión y la amistad como el golf. Más allá de los greens bien cuidados y el satisfactorio golpe sordo de golpear una pelota a la perfección, el golf te permite expresarte mientras aprendes habilidades importantes para la vida.

La Coalición proporciona la Beca de Golf Let's Play Nine. Está diseñada exclusivamente para jóvenes aficionados al golf que viven con hemofilia B, de 7 a 19 años. Esta beca, ofrecida por CHB, se puede utilizar para clases de golf o para clubes. No se trata solo de reconocer las habilidades de estos jóvenes golfistas; También se trata de inspirar a aquellos interesados en descubrir las alegrías del golf. ¡Echemos un vistazo a nuestros becarios de 2022 y sus últimos logros!

En el mundo de Zander, no se trata solo de golf; Se trata de cambiar el guión de los desafíos de la hemofilia. A Zander le encanta jugar al golf con su familia, especialmente cuando puede vencer a su padre (¡ja!). Ha estado jugando al golf durante unos seis años y sus palos se le quedaron pequeños. Con la beca, Zander ahora tiene nuevos palos de golf y continúa mejorando en el golf y está viviendo una vida más plena. "El hecho de que tengas hemofilia no te impide hacer deporte", dijo Zander. "O lo que te gusta, puede que tengas barreras, pero puedes superarlas. Tengo la bendición de tener padres que me apoyan y me dan voz".

Con cada golpe, la historia de Zander es un recordatorio del espíritu que mantiene vivo el amor por el juego. ¡Pero no es el único! La gratitud de Montana por la beca de golf se derrama fuera de él. "El deporte del golf brinda a las personas con diferentes habilidades físicas la oportunidad de participar y vivir un estilo de vida activo", dijo Montana.

Montana ha tenido durante mucho tiempo un aprecio por los deportes y ha descubierto que tiene una gran habilidad para el golf. Tener hemofilia no ha impedido que Montana persiga sus sueños. Aprendió a autoinfundirse a la edad de seis años, en gran parte porque su centro de tratamiento más cercano estaba a 1,200 millas de distancia. ¡También se enamoró de los deportes a una edad temprana! Aprecia

especialmente la beca de golf mientras hace la transición de la escuela secundaria a los deportes universitarios. "La beca de golf ha beneficiado mi juego de golf al permitirme mejorar mi habilidad, especialmente porque ahora tengo palos de golf que se ajustan a mi altura", dijo Montana.

Allie también comparte su historia. "El golf significa mucho para mí". Profundicemos en por qué: no se trata solo de golpear pelotas en los hoyos. Ella dice: "Puedo jugar al golf y mostrarle a la gente que se pueden hacer cosas con hemofilia. No tienes que perderte las actividades divertidas. Puedes hacer buen ejercicio y aún así estar seguro".

El golf le aporta una sensación de orgullo y logro. Con las competiciones escolares en el horizonte, tener su propio conjunto de palos es como desbloquear un tesoro de sesiones de práctica. Según Allie, "Ganar la beca de golf fue muy emocionante. Soy demasiado joven para empezar a competir en la escuela, pero tener un conjunto de palos propios me permite practicar mucho".





LET'S PLAY NINE

¡GRACIAS A NUESTROS PATROCINADORES!

NIVEL PLATINO

CSL Behring **MEDEXUS**
Biotherapies for Life™ PHARMA

NIVEL ORO

 **novo nordisk**

NIVEL PLATA

 **CVS specialty**  **WINGMEN**

Lo más importante para Allie es que el golf es tiempo en familia para ella. "Lo que más me gusta es que a mi mamá le gusta jugar al golf. Podemos tener tiempo para que yo y mamá nos pongamos al día mientras jugamos al golf y disfrutamos pasar tiempo juntas. También podría transmitir algunas de esas habilidades a mis hermanos u otras personas y mostrarles lo divertido que es el golf".

Al celebrar estas extraordinarias historias, extendemos nuestra más sincera gratitud a nuestros patrocinadores: CSL BEHRING, MEDEXUS, NOVO NORDISK, CVS HEALTH y THE WINGMAN FOUNDATION. Su apoyo resuena más allá de los greens y afirma que el espíritu del golf no tiene límites.

Virtual APOYO PARA LA CRIANZA: RECIÉN NACIDO A NIDO VACÍO

24 DE JULIO 18 DE SEPTIEMBRE 6 DE NOVIEMBRE

8 P. M. ET/5 P. M. PT



Todas las familias merecen ser escuchadas y comprendidas

Regístrese hoy: hemob.org/upcoming-events

Incluye sesiones de rap, temas candentes, rifas, vales de comida y un juego realmente genial.



FUERZA EN LA CONEXIÓN

50+ SERIE DE REUNIONES VIRTUALES *Virtual*

22 de mayo

16 de octubre

20 de noviembre

8PM ET/5PM PT

- PONENTE EXPERTO
- CURIOSIDADES con Kim y Wayne
- ¡HABLEMOS!

TRIVIA

Regístrese hoy:
hemob.org/upcoming-events



Alianza con Propósito



21 DE MARZO
12 DE JUNIO
1 DE AGOSTO

8pm ET/5pm PT

SU CUIDADO, SU ELECCIÓN

Las mujeres y la hemofilia B

¡Rifas!

¡Vales de comida para los primeros 50 en inscribirse!

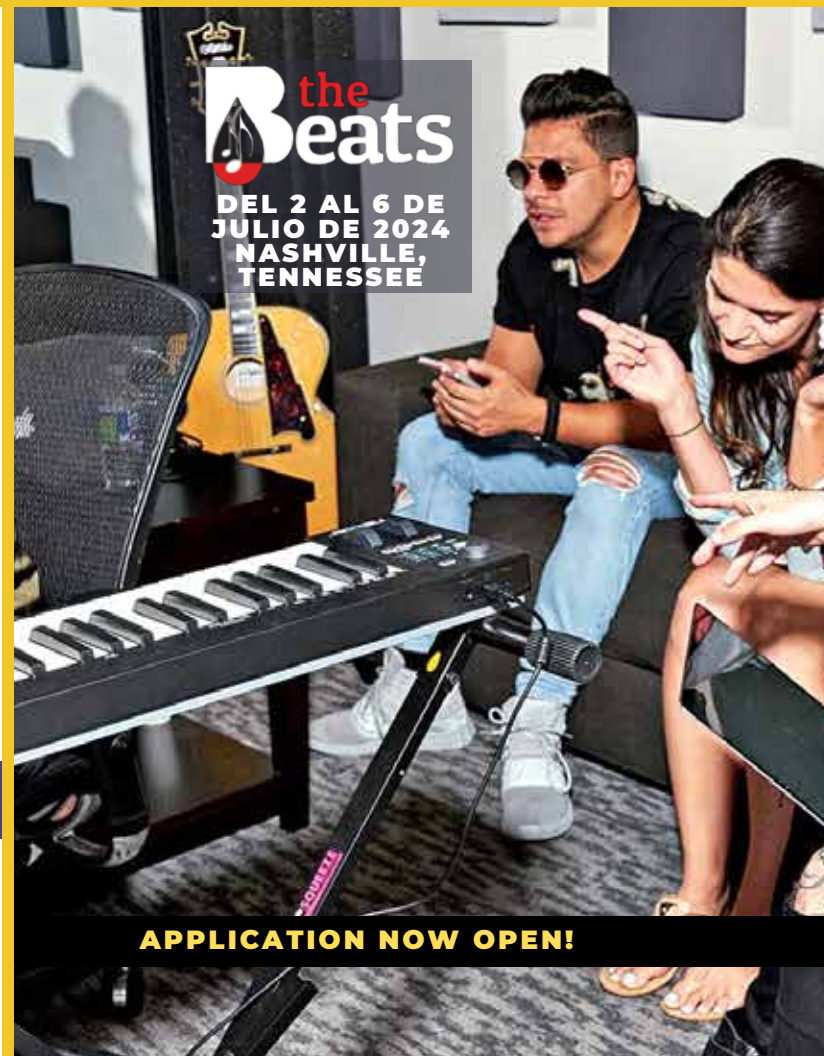
¡ÚNASE A NOSOTROS PARA AMPLIFICAR LAS VOCES DE LAS MUJERES EN LA ATENCIÓN DE LA HEMOFILIA B!

Reunámonos para compartir estrategias para que las mujeres y las niñas articulen sus necesidades y aboguen por un tratamiento integral.

Además, escuche a expertos y mentores de defensa en esta serie que equipa a las mujeres con las herramientas para navegar los desafíos de la atención médica con confianza dentro de una comunidad de apoyo.

¡Investigación de vanguardia sobre el cuidado!
¡Sesiones de rap empoderadoras!

Regístrese hoy: hemob.org/upcoming-events



the Beats

DEL 2 AL 6 DE
JULIO DE 2024
NASHVILLE,
TENNESSEE

APPLICATION NOW OPEN!



3 DE OCT
8pm ET/5pm PT

SU CUIDADO, SU ELECCIÓN

Las mujeres y la hemofilia B

¡Rifas!
¡Vales de comida para los primeros 50 en inscribirse!

¡ÚNASE A NOSOTROS PARA AMPLIFICAR LAS VOCES DE LAS MUJERES EN LA ATENCIÓN DE LA HEMOFILIA B!

Reunámonos para compartir estrategias para que las mujeres y las niñas articulen sus necesidades y aboguen por un tratamiento integral.

Además, escuche a expertos y mentores de defensa en esta serie que equipa a las mujeres con las herramientas para navegar los desafíos de la atención médica con confianza dentro de una comunidad de apoyo.

¡Investigación de vanguardia sobre el cuidado!
¡Sesiones de rap empoderadoras!

Regístrese hoy: hemob.org/upcoming-events

Alianza con Propósito



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



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

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

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

APRENDE MÁS hemob.org/bcares

POR FAVOR DONA hemob.org/donate



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

SHANNON L. ALDER



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

SUPERHÉROES DE LA HEMOFILIA: UN EVENTO VIRTUAL PARA ADOLESCENTES PARA RECORDAR

POR JC

En diciembre pasado, tuve la increíble oportunidad de ser coanfitrión de un evento virtual para adolescentes con CHB, y déjame decirte que fue nada menos que estelar. Al asociarnos con Kaley, organizamos un evento realmente excepcional que estoy seguro dejó un impacto duradero.

A medida que la sala virtual se llenaba de participantes, la emoción era increíble. Comenzamos el evento con una cálida bienvenida a todos los que se unieron. Fue genial ver a tantos de nosotros reunidos de todo el país, para compartir historias, divertirnos, conectarnos y aprender unos de otros.

Tomé la iniciativa rompiendo el hielo al compartir mis propias aspiraciones para el semestre que se avecinaba, apuntando a las mejores calificaciones. Mi estrategia consiste en centrarme en mis estudios y dedicar tiempo a áreas de práctica que no son tan fáciles para mí. No sabía que esto era solo el comienzo de todas las historias que compartiríamos entre nosotros.

Los participantes intervinieron, compartiendo sus historias personales y las formas innovadoras en que abordaron sus objetivos. Desde la práctica diaria de instrumentos musicales hasta el dominio de notas complicadas, pasando por sesiones estratégicas de videojuegos destinadas a mejorar, la sala estaba llena de entusiasmo. ¡Fue genial! También fue un recordatorio de que todos tenemos luchas y victorias únicas, y juntos, compartimos e inspiramos la resiliencia.

A medida que nos dedicamos a nuestros juegos, aprendimos un montón de curiosidades con ¿Eres más inteligente que tu hemofilia B? Aprendimos tanto sobre la hemofilia como sobre la abogacía. Nos enteramos de que la reina Victoria era portadora de hemofilia B, que el primer producto de factor IX autorizado en los EE. UU. fue en la década de 1960, e incluso aprendimos lo que significa CBER: ¡el Centro de Evaluación e Investigación Biológica!

¡También jugamos a Kahoot! y Lie Swatter en Jackbox. Lie Swatter es un juego en el que compartimos hechos extravagantes y los jugadores adivinan si cada hecho es realmente cierto o simplemente inventado. Es básicamente un gigantesco juego de dos verdades y una mentira, solo que mucho más divertido. Fue genial ver lo que se les ocurrió a todos.

Ser anfitrión del evento resultó no solo ser divertido, sino también una experiencia de aprendizaje invaluable para mí. Confianza para hablar en público, conectarse con



personas de diferentes edades y participar de manera efectiva durante una presentación, fueron habilidades en las que trabajé durante todo el evento.

Quiero expresar mi gratitud a Medexus por brindarme la oportunidad de ser coanfitrión de este evento. Fue más que un evento; Fue una reunión de superhéroes: individuos que se enfrentan a desafíos de frente y salen victoriosos. Juntos, celebramos nuestra singularidad y fortalecimos los lazos que hacen que nuestra comunidad sea verdaderamente excepcional.

Brindemos por más eventos que inspiren, conecten y nos recuerden que todos somos superhéroes por derecho propio.

MEDEXUS
PHARMA

COMENTARIOS:

“La mejor parte fue conocernos más y fortalecer nuestro vínculo”.

“Siempre espero con ansias estos eventos. Gracias por darnos este espacio para reunirnos todos”.



¡IZZY ESTÁ ENCONTRANDO SU VOZ TANTO DENTRO COMO FUERA DEL ESCENARIO!

POR SHELLY FISHER

Entre las prácticas y actuaciones con su banda de rock alternativo, Izzy se tomó un tiempo para hablar sobre su pasión por la música, su amor por la ciencia y el reciente diagnóstico que sorprendió a su familia y amigos. Esta estudiante de tercer año definitivamente está encontrando su voz tanto dentro como fuera del escenario, y tiene grandes planes para usar sus dones para abogar por otros adolescentes.

Participante por primera vez en *The Beats Program* en Nashville, Tennessee, esta joven vocalista disfrutó colaborando con otros artistas y estaba muy emocionado por cantar un dúo para una de las actuaciones. Además de cantar, Izzy también escribe canciones, toca el piano, la guitarra y el ukelele, y desde junio pasado, es la cantante principal de *Total Luminosity*, una banda de rock alternativo que se formó debido a su participación en el programa

The Bach to Rock en Virginia Beach. Dirigida por la dueña del programa, su banda ya ha tocado en lugares notables como el Bunker Brew Pub, por lo que *The Beats Program* fue el evento perfecto para Izzy en muchos sentidos.

Cuando nuestra conversación se centró en su año escolar, no fue una sorpresa que la joven de 16 años se hubiera ganado un lugar en dos coros avanzados: el Coro Madrigals y el Coro Selecto de Salem, y tuviera la oportunidad de cantar acapella en varias ocasiones. Izzy parecía igualmente emocionada de hablar sobre su trabajo voluntario con el coro principiante y los campamentos de música de verano donde enseñó coro y ukelele. “Me encanta enseñar música y ver el resultado que tiene en la gente. La música siempre ha sido lo mío y me encanta enseñar a la gente. Se siente bien saber que ayudaste a alguien”.

Además de ayudar con el coro de principiantes, tiene una inclinación por las suculentas y participa en el club de jardinería, es fotógrafa en el personal del anuario y tiene un interés particular en la ciencia. Después de tomar un curso de ciencias en la escuela secundaria en el octavo grado solo para poder elegir una ciencia adicional en

la escuela secundaria, esperaba con ansias una clase avanzada. “Estoy emocionada de poder tomar química el próximo semestre”.

En la universidad, Izzy espera especializarse en música con un enfoque en la interpretación vocal y le gustaría ser instructora vocal algún día. “Cuando las palabras fallan, la música habla. Tengo una creencia genuina de que la música puede cambiar vidas. Todos los maestros de coro que he tenido me han hecho sentir que yo también quiero serlo





porque me inspiraron a hacerlo mejor y ayudar a otras personas". Cuando se le preguntó cómo la describirían sus amigos, se rió. "Probablemente me describirían como tonta. Soy introvertida, pero también extrovertida. Me convierto en una persona completamente diferente en el escenario".

Después de ser diagnosticada con hemofilia B a los 14 años de edad, Izzy comenzó a asistir a eventos en la comunidad de hemofilia. Ella comparte: "La Coalición for Hemophilia B ha sido invaluable y, aunque hay otros adolescentes con hemofilia, es fácil olvidar que no eres el único". También dice que su experiencia en la comunidad de hemofilia y particularmente en el programa *The Beats* ha sido realmente excelente. Izzy "se siente más conectada con otras personas que viven con hemofilia B" y que la Coalición realmente le ha brindado apoyo en cada paso del camino.

Ella es una firme defensora de la abogacía: "Abogar por uno mismo y por los demás es muy importante. Siempre estoy tratando de abogar por mí misma, como cuando voy a mis citas cada 6 meses, sé lo que voy a decir y lo que voy a preguntar, y sé cómo responder las preguntas que me hacen. Siempre trato de mantenerme lo más informada posible. Una cosa que realmente quiero hacer más es abogar por las mujeres y los adolescentes que tienen hemofilia, especialmente las adolescentes. En estos eventos, a veces siento que no escucho nada sobre las adolescentes". Cuando se le preguntó si le gustaría hablar sobre este tema en un evento, rápidamente respondió: "¡Me encantaría hacerlo!".

Cuando se le preguntó si había alguien que la hubiera apoyado particularmente después de recibir su diagnóstico, la respuesta llegó sin dudar. "Definitivamente diría que mi hermano. Se sorprendió mucho cuando se lo dije. Llegué a casa después de ir al médico y pensé, no vas a creer lo que me acaban de diagnosticar".

Incluso antes de ser diagnosticada, le da crédito a su hermano, Brandon, por ayudarla a comprender el trastorno en sí. Habiendo sido diagnosticado al nacer, no era ajeno a la hemofilia B y sabía exactamente lo que ella necesitaba escuchar y cómo ayudarla a manejar sus tratamientos.

¿Cuál es su consejo para alguien recién diagnosticado con hemofilia B? "No estás solo. A pesar de que se siente muy difícil en este momento, cuanto más te eduques, más fácil será. Es importante abogar por ti mismo para que puedas hablar en tu propio nombre".

La cantante principal de *Total Luminosity* acaba de empezar con su propia voz y esperamos escuchar mucho más de ella.

ANDREW TIENE EL TRUCO PARA LA VIDA: ¡PERSIGUE TUS METAS, MANTENTE ACTIVO Y MANTÉN A TUS AMIGOS CERCA!

POR SHELLY FISHER

Andrew, estudiante de tercer año en la Universidad Estatal de Northwestern en Louisiana, esperaba una carga completa de cursos en ciencias de la computación para el semestre de primavera cuando hablamos. Este ávido fanático de la tecnología y fanático de los deportes habló sobre su título, mantenerse activo y la importancia de los amigos. A un año de graduarse, parecía tener el truco perfecto para la vida.

Con un interés en las computadoras que comenzó en la escuela secundaria, Andrew estaba emocionado de compartir que recientemente había desmontado y vuelto a ensamblar una computadora completa y estaba ansioso por actualizarla para la escuela y los videojuegos. Esperaba con especial ilusión su clase de desarrollo web porque sentía que sería “diferente y desafiante”, sin embargo, estaba claro que su verdadera pasión era la seguridad informática y la protección antivirus. Describió que tuvo que “forzar una cerradura” en una computadora para una presentación grupal para demostrar cómo ocurre la piratería y para evitarla. Ya anticipando cursos para su último año, me dijo que su objetivo era “asegurar un trabajo estable” cuando se gradúe.

Cuando no está contemplando el mundo de la tecnología de la información, el estudiante de ciencias de la computación me dijo que le gusta pasar tiempo con amigos, y sintió que podrían describirlo como “un buen



jugador de baloncesto que siempre va a por el triple” y “el amigo que siempre está a tu lado”. Además del baloncesto, le gusta practicar una variedad de deportes recreativos como el golf, el fútbol y el tenis, pero con su mejor puntuación de 48 en 9 hoyos en el cercano campo de golf Northwestern Hills, el golf parecía ser su favorito.



“Empecé a jugar al golf hace unos nueve años, después de que mi abuela me iniciara, y jugué mi primer torneo cuando tenía 13 años”. Cuando se le preguntó si jugó a lo seguro en el campo de golf o fue directamente al green, compartió: “Trato de tomar los atajos y si no hay uno, ¡hago uno!”

Andrew también me dijo que le gusta leer cuando tiene tiempo y hace todo lo posible para mantenerse al día con la última edición de las revistas Time or People. Enumeró la trilogía de Hunger Games como sus libros favoritos, pero, alerta de spoiler, este fanático de la ciencia ficción no recomendó la película. “No me impresionó mucho”. Además, como fanático de la literatura clásica, me dijo que le parece interesante la frase “lo justo es malo y lo malo es justo”, y considera a MacBeth como su obra favorita de William Shakespeare.

Cuando nuestra conversación giró en torno a su diagnóstico, compartió que después de que una lesión le dejara un moretón en la cabeza que no sanaba y tuvo que ser extirpado quirúrgicamente, su médico descubrió que tenía hemofilia a la edad de 14 años. Andrew confió: “Fue un momento difícil” y le exigió que “hiciera las cosas con cuidado” para seguir adelante. Sin antecedentes familiares y resultados negativos posteriores de las pruebas de su madre y hermano menor, se determinó que su diagnóstico fue el resultado de una mutación genética.

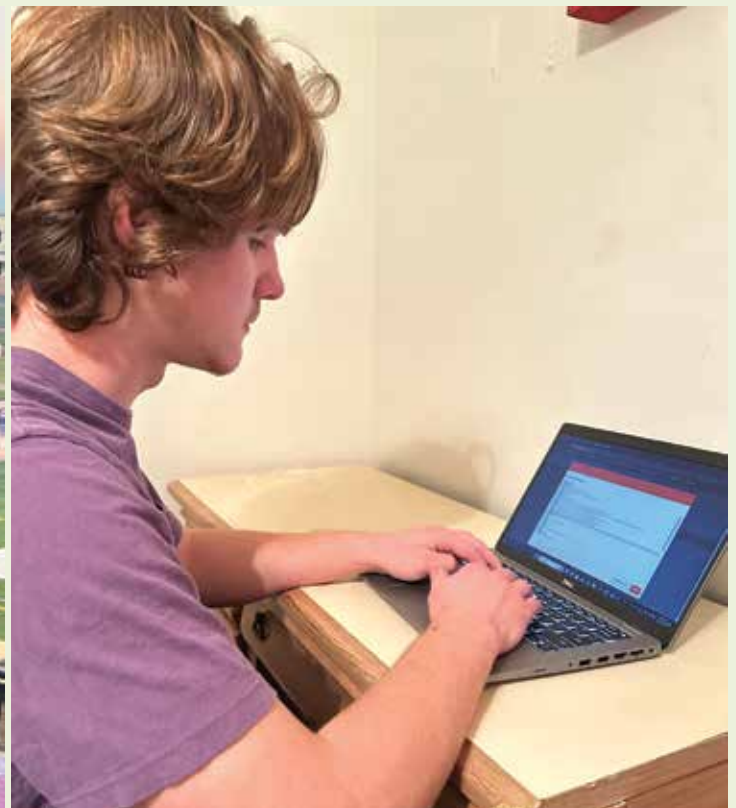
Después de que su médico de cabecera se jubiló, Andrew comenzó a ver a un hematólogo para recibir tratamiento a pedido para su hemofilia leve, pero fue su madre quien fue su mayor apoyo después de su diagnóstico. “Mi madre me ayuda y me apoya. Estudió y aprendió sobre la hemofilia. Ni siquiera habíamos oído hablar de él”. Ambos



asistieron a los eventos de su capítulo local de trastornos hemorrágicos en Alejandría y Andrew recuerda estar particularmente interesado en la terapia génica.

Hoy en día, Andrew está agradecido de seguir conociendo gente nueva y teniendo nuevas experiencias con su familia con hemofilia B. “La Coalition for Hemophilia B me cambió, ya que es bueno saber que no estoy solo en el mundo con hemofilia. Es útil saber cómo otros manejan la vida con un trastorno hemorrágico y me da confianza para manejar el mundo que tengo por delante con hemofilia B”.

Cuando se le preguntó qué consejo le daría a alguien que acaba de ser diagnosticado, ofreció que las personas con hemofilia aún pueden hacer lo que quieran, solo tienen que saber lo que pueden manejar y tener cuidado. “Toma decisiones directas, asegúrate de tener cuidado y no tomes decisiones que sean peligrosas”. ¡Suena como el truco de vida perfecto para mí!



B inspired!

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

Invierno 2023

EN ESTE NÚMERO:

- Superhéroes de la hemofilia: Un evento virtual inolvidable para adolescentes
- ¡Izzi está encontrando su voz tanto dentro como fuera del escenario!
- Andrew tiene el truco para la vida: ¡Persigue tus metas, mantente active y mantén a tus amigos cerca



¡IZZI ESTÁ ENCONTRANDO SU VOZ!



¡ANDREW TIENE EL TRUCO PARA LA VIDA!

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!

