

LA COALICIÓN PARA LA HEMOFILIA B

OTOÑO 2025

NOTICIAS DE HEMOFILIA B

ORGANIZACIÓN NACIONAL SIN ÁNIMO DE LUCRO

HEMOB.ORG

RETIRO DE HOMBRES



REUNIONES EN EL CAMINO



RETIRO DE EMPODERAMIENTO MASCULINO

EL PODER DE REUNIRSE: REUNIONES EN EL CAMINO

LADO A LADO: LA HISTORIA DE LOS HERMANOS STARKS

CONOCE A ELIZABETH: SANANDO A TRAVÉS DE LA MÚSICA

CONTENIDO

REPORTAJE:

HERMANDAD, EQUILIBRIO Y AVANCES: EL RETIRO DE HOMBRES QUE FORTALECE A LA COMUNIDAD DE HEMOFILIA B – PÁGINA 3

PANORAMA DE PRODUCTOS

- ACTUALIZACIONES DEL PANORAMA DE LA HEMOFILIA – PÁGINA 9
- TERAPIAS EN DESARROLLO PARA EL MANEJO DE LA HEMOFILIA A – PÁGINA 14

INTERÉS HUMANO

- LADO A LADO: LA HISTORIA DE LOS HERMANOS STARKS – PÁGINA 6

MUJERES CON TRASTORNOS DE SANGRANDO

- CONOCE A ELIZABETH: VIVIENDO CON HEMOFILIA, LIDERANDO A TRAVÉS DE LA MÚSICA – PÁGINA 18

RESUMEN DE EVENTOS

- REUNIONES DE OTOÑO EN EL CAMINO: UNA TEMPORADA DE CONEXIÓN, APRENDIZAJE Y ALEGRÍA – PÁGINA 20
- FAMILIA DE SANGRE 2025 – PÁGINA 23
- ABOGACÍA EN ACCIÓN – PÁGINA 23
- PANORAMA DE PRODUCTOS PARA LA HEMOFILIA B CON EL DR. DAVID CLARK – PÁGINA 24
- REMEDIOS HERBALES CASEROS: BIENESTAR DIARIO BASADO EN LA TRADICIÓN – PÁGINA 25
- LA COALICIÓN PARA LA HEMOFILIA B PARTICIPA EN LA TRADICIONAL REUNIÓN ANUAL DE HEMOFILIA DE INDIANA – PÁGINA 26

RESUMEN DE EVENTOS

- LA COALICIÓN PARA LA HEMOFILIA B PARTICIPA COMO EXPOSITORA EN LA CONFERENCIA NACIONAL 2025 PARA MUJERES CON HEMOFILIA – PÁGINA 26

PRÓXIMOS EVENTOS

- ¡PRÓXIMOS EVENTOS – PÁGINA 27
- GUARDA ESTA FECHA: SIMPOSIO ANUAL 2026 – PÁGINA 28

INSPIRADO CON B:

SECCION PARA ADOLESCENTES

- ¡MADDIE SE ENFRENTA AL DESAFÍO Y ESPERA CON ENTUSIASMO APOYAR A LA COMUNIDAD DE HEMOFILIA B! – PÁGINA 30
- ¡LUCES! ¡CÁMARA! ¡ACCIÓN! ¡JOSHUA TIENE UN ESCENARIO POR DELANTE Y QUIERE DESTACAR SU ATENCIÓN EN LA HEMOFILIA B! – PÁGINA 31



MISIÓN

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



HERMANDAD, EQUILIBRIO Y AVANCES: EL RETIRO DE HOMBRES REFUERZA LA COMUNIDAD DE HEMOFILIA B

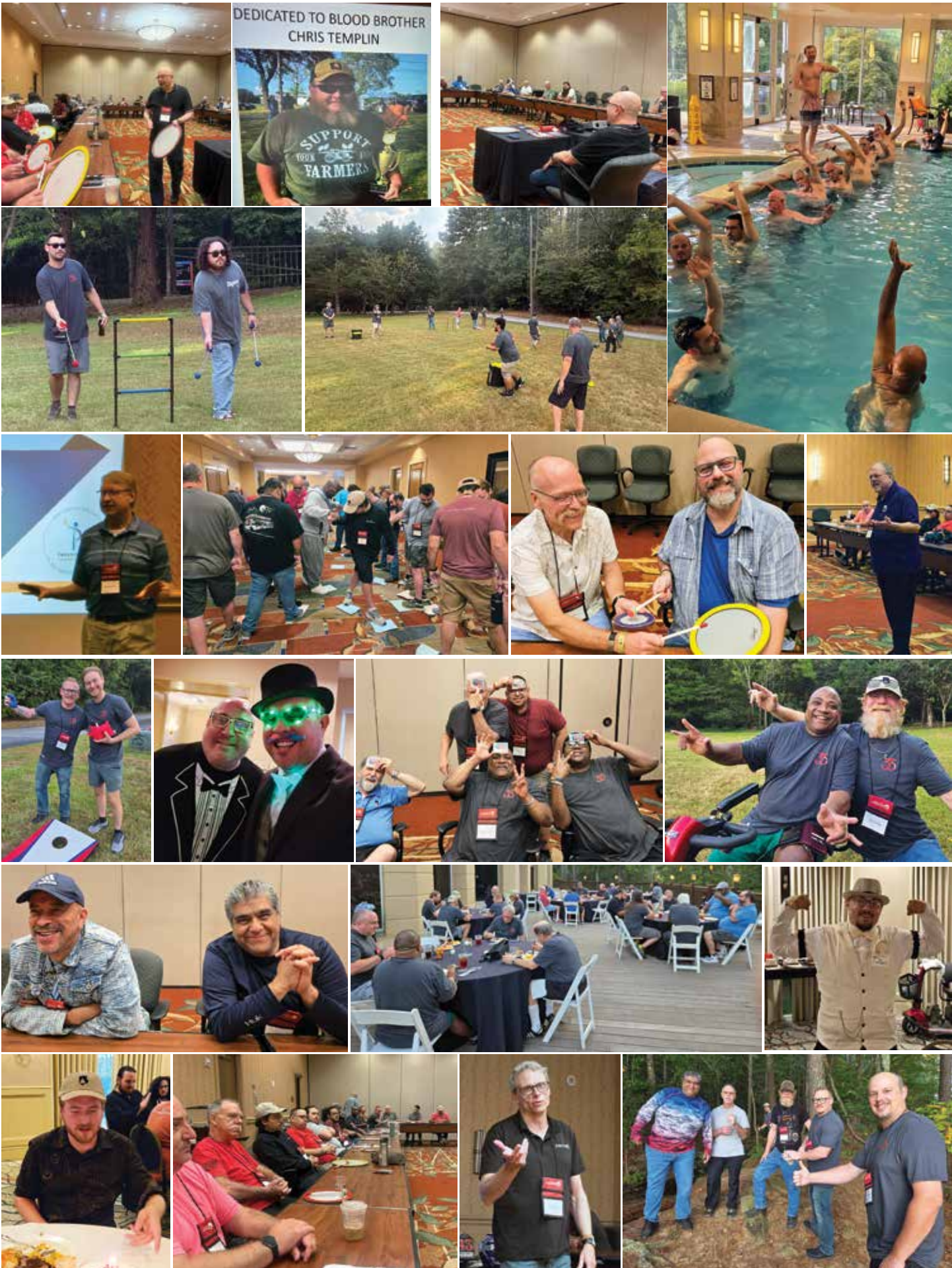
POR JACOB POPE

Celebrado del 18 al 20 de septiembre de 2025 en el Resort de Atlanta Evergreen en Stone Mountain, el Retiro de hombres de La Coalición para la Hemofilia B reunió hombres con hemofilia B y padres de quienes tienen hemofilia B de todo el país. El retiro de tres días, generosamente patrocinado por Sanofi, creó un espacio para la reflexión, el aprendizaje y la conexión a través de una mezcla reflexiva de talleres, actividades al aire libre y comidas compartidas que fomentaron conversaciones profundas y lazos duraderos. .

Rocky Williams abrió el retiro con una sesión de bienvenida y el rompehielos interactivo de B Connected. Se realizaron discusiones en grupos, centrados en experiencias de vida de los participantes. Otra sesión, *Transiciones a través de las Eras*, ofreció a los participantes espacio para debatir sobre los cambios en los roles, la salud mental y las etapas de la vida. Charlas de Comprensión dirigido por Fel Echandi, ofreció una conversación sincera para padres y parejas que navegan la dinámica familiar y el bienestar emocional. La velada concluyó con una *sesión de rap* donde se compartió abiertamente, hubo risas y el inicio de nuevas amistades. Como lo expresó un participante, Tyler, conocer a otros le ayudó a darse cuenta de que no estaba solo.

El viernes comenzó con una caminata a primera hora de la mañana, fomentando la presencia plena y la actividad física. Las sesiones a lo largo del día combinaban creatividad, educación y autocuidado. *La poesía en acción* invitaba a la







expresión a través del humor y la verso. La Actividad de Balance Hemostático con Shelby Smoak ofreció una visión práctica de la cascada de coagulación y destacó las opciones emergentes de tratamiento subcutáneo.

Manny López organizó una sesión celebrando una década de compromiso de Sanofi con la comunidad de hemofilia B. Mark Cleary compartió su carrera como socorrista y su pasión por las carreras de autos. Matt Barkdull presentó *La Alquimia del Duelo, transformando el dolor en propósito*, una sesión profundamente personal que ayudó a los asistentes a replantear la pérdida como un catalizador para el crecimiento. Kevin Harris cerró la tarde con *Sal and Piedra*, combinando educación nutricional con un taller práctico para preparar mezclas de condimentos o especias. La velada contó con una competición amistosa durante los *Juegos Olímpicos de Bleeder*, seguida de una actividad bajo techo en Stone Mountain Park con un espectáculo de drones y luces láser.

El sábado comenzó con *la sesión De Pie Juntos*, un ejercicio creativo en equipo liderado por Rocky que simbolizaba

la unidad y la adaptabilidad. El Dr. Robert Friedman guió *a Hermandad en Ritmo*, utilizando tambores y movimiento para generar seguridad y conexión no verbal. Donnie Akers, Esq., lideró *Sé un Defensor en tu empleo y Atención Medica*, empoderando a los participantes con herramientas relacionadas con los derechos de las personas con discapacidades y la abogacía en entornos médicos y laborales. La tarde incluyó el Recorrido Panorámico *Summit*, la exploración del parque Stone Mountain y la rehabilitación y fitness acuático dirigida por Douglas Stringham, que combinaba movimiento con bienestar. El retiro concluyó con una cena teatral de misterio y crimen que cerró el fin de semana con risas, trabajo en equipo y recuerdos compartidos.

El retiro fue un recordatorio poderoso de que la vida con hemofilia B no necesita ser afrontada sola. Los participantes se marcharon con nuevas amistades, herramientas prácticas y energías renovadas. ¡Un agradecimiento especial a Sanofi por su continua colaboración y apoyo a la comunidad de hemofilia B!



LADO A LADO: LA HISTORIA DE LOS HERMANOS STARKS

POR RENAE BAKER

Aunque he trabajado con La Coalición para la Hemofilia B durante años, mi inmersión en la comunidad realmente tuvo lugar en el primer programa Beats Music en 2019. Me encontré compartiendo un almuerzo con un par de hermanos muy simpáticos. Me abrieron los ojos sobre cómo era vivir con hemofilia B.

Ahora, una de mis mayores alegrías cada año es hacer música con Rick y Ramon Starks. Es como si estos chicos hubieran descubierto la clave de la felicidad y estuvieran dispuestos a ser mentores de cualquiera. Comparten un diagnóstico de hemofilia B grave y un amor por la música, las artes marciales y sus queridas familias.

Nos reunimos para una sesión por Zoom. Esta charla era solo la punta del iceberg de los hermanos Starks. Búscalos en un evento en directo de la Coalición; predigo que saldrás de esta charla sonriendo. Para este artículo, me alejo de mi formato habitual para intentar captar su química.

Rick nació en 1954; Ramón en 1959. Los sangrados eran comunes, ¡pero vaya si se lo pasaban bien! Viviendo en Grand Forks, Dakota del Norte, salían en trineo en invierno.

De repente, son chicos otra vez:

Ramón: Te lanzabas en los trineos y te deslizabas por el hielo. Bajábamos cuevas y empezábamos a sangrar



por los riñones y acabábamos en el hospital.

Rick: Lo que más recuerdo es golpearme los codos contra el hielo. Eso causaba hemorragias.

Ramón: Hacíamos nuestras propias colinas de nieve y cavábamos túneles.

Rick: Grandes arados bajaban por las calles y dejaban montones enormes. Excavamos cuevas, casi como un iglú, y pasamos el día dentro. ¡Mete una vela ahí dentro y calentaría todo el ambiente!

Renae: ¿Alguna vez tuvieron una pelea?

Ambos: ¡OH SÍ!

Ramon: No hemos tenido peleas reales en más de 30 años.

Renae: ¿Hubo algún momento en que se miraron y se dieron cuenta: “¿Vaya, realmente valoro a mi hermano?”

Ramón: Me infecté con el virus del VIH desde 1982, así que en 1995 me puse muy enfermo por un virus CMV que ataca la columna. Pasé de 165 libras a 115 libras en 6 semanas. Estaba al borde de la muerte, y entonces empiezas a apreciar a tus hermanos. A partir de ese momento, fuimos muy cercanos.

Rick: Recuerdo que estaba enfermo y no quería que le pasara nada. Quería pasar todo el tiempo posible con él.

Ramon: Siempre estuvimos juntos. Desde que éramos niños, siempre estábamos heridos juntos en el sofá o en



el hospital al mismo tiempo.

Renae: Tienes otros hermanos.

Ramón: Sí. En nuestra familia hay tres niños y tres niñas.

Rick: Soy el primero.

Ramon: Y yo soy el cuarto en la lista.

Renae: ¿Alguno de los otros tiene hemofilia?

Ambos: No.

Ramón: Teníamos un tío. Murió siendo un bebé. Tenía un quiste en el cuello. Así que nuestra abuela lo llevó al médico. Le cortaron ese quiste y él murió desangrado en sus brazos. Así que pensamos que probablemente tenía hemofilia.

Rick: A nuestra madre le diagnosticaron más tarde en la vida, al igual que tres de nuestras tías. También tenemos tres primos que tenían hemofilia. Dos fallecieron de VIH/SIDA. Mi hija y mi nieto también están afectados. Tenemos un primo que ahora tiene más de 80 años; De hecho, ya no es hemofílico desde que le hicieron un trasplante de hígado.

Renae: Sé que les encanta la música. ¿Hay otros intereses que comparten?

Rick: Me inscribí a clases de artes marciales cuando tenía 18 años.

Ramón: Yo también me inscribí (ya intentan no reírse). Nuestro padre estuvo en la Fuerza Aérea en los años 60. Más tarde se convirtió en subdirector de la Asociación Judo de los Estados Unidos. Mi padre obtuvo su cinturón marrón en Judo en Kodakon. Así que fuimos expuestos a las artes marciales desde pequeños. Empezamos a tomar Kung Fu en Dacasco's en Denver. El hijo de nuestro profesor, Mark Dacascos, se convirtió en una famosa

estrella de cine y artista marcial.

Rick: Es el presentador de Iron Chef.

Renae: Así que ya estaban haciendo esto antes de que hubiera factor disponible, ¿verdad?

Ramón: (risas) ¡Sí, mamá y papá casi se divorcian por eso!

Renae: ¿Tuvo sangrados por eso?

Ramon: Bueno, sí, pero uno se entrenó tanto en ese colegio que se pone en muy buena forma. No sé cómo lo superamos. ¡Lo pagamos después!

Rick: ¡Íbamos al hospital por la noche y nos trataban, nos daban el alta por la mañana y volvíamos directamente al entrenamiento! Una de las condiciones era que nunca debíamos competir en torneos [la clásica sonrisa de Rick], ¡pero lo hicimos! ¡Mucho! (Risas.)

Renae: ¿Cuáles son tus mayores preocupaciones para la comunidad de trastornos hemorrágicos?

Rick: [De repente serio.] Mi mayor preocupación es que, debido a los tratamientos avanzados, la gente se está volviendo despreocupada y piensa que no necesita involucrarse. No se dan cuenta de lo lejos que hemos llegado ni de lo que ha costado llegar hasta aquí. Me temo que no verán la necesidad hasta que sea demasiado tarde.

Renae: ¿Y cómo sería eso?

Rick: La abogacía no estará cuando realmente la necesitemos. Por ejemplo: copagos a terceros, el gobierno había estado demandando para eliminar esos. Ahora lo han eliminado. Eso ocurrió gracias a la abogacía que existía. Si ya no tenemos esa abogacía, pueden pasarnos por encima y cobrarnos lo que quieran.

Hay personas que nunca han tenido una hemorragia porque han estado en profilaxis toda su vida. Imagínese que, de repente sangra y no sabe cómo manejar el dolor. En nuestro caso, no recibimos nada para el dolor cuando éramos pequeños. Así que el dolor no es gran cosa para nosotros. Sabemos cómo manejarlo. Los narcóticos no son la solución.

Probablemente ambos vivimos en un estado constante

de dolor, pero es como ruido blanco de fondo. Simplemente no le prestas atención.

Renae: ¿Crees que estos niños que están creciendo ahora, que nunca han tenido una hemorragia, se están perdiendo la oportunidad de aprender a manejar el dolor?

Ramón: Probablemente. El dolor que pasamos, y el dolor que sufren los niños ahora, es totalmente diferente. Sin querer restar importancia a lo que pasan, recuerdo que me hice mucho daño en la rodilla cuando tenía tres años. En aquel entonces, pedían a cuatro hombres que te sujetaran, te tiraban de la pierna hacia abajo, y tu rodilla era del tamaño de una pelota blanda, te estiraban la rodilla y luego te ponían un yeso. Ese era su trato.

Renae: ¿Grito?

Ramon: Básicamente, me dieron un palo para morder y Tylenol. Eso fue todo.

Rick: Muchas veces ocultábamos hemorragias porque no queríamos ir al hospital.

Ramón: ¿Y si tenemos un desastre nacional y no pudiéramos conseguir factor? ¿Qué va a hacer la gente? Volvería a nuestros días de "vieja escuela". Volveremos rápidamente a envolver las cosas en bolsas con hielo.

Renae: No se esperaban vivir hasta ser adultos.

Ramón: Cuando éramos jóvenes, si se vivía hasta los 20 años, se tenía suerte.

Rick: Nunca hubo preparación para que fuéramos a la universidad. Era: "¡Bueno, has llegado hasta aquí! No sé qué va a hacer, ¡pero suerte!"

Ramón: Tengo que darle mucho crédito a mi madre. Tuvo que estar aterrorizada, pero no lo demostraba. Nos permitió aprender a montar en bici y vivir nuestra vida. Seguro que pensaba: "No sé cuánto tiempo van a vivir, pero nos dejó que disfrutáramos la vida lo mejor que



puedan." Se quedaba despierta con nosotros, hasta tarde por la noche, frotándonos las rodillas o poniéndoles hielo. No sé cómo ella dormía. Seis hijos. Dos de ellos hemofílicos...

Rick: Quizá por eso tuvo seis hijos. ¡Ya tenía a sus sustitutos preparados para nosotros! [Risas.]

Renae: ¿Hay algo que le gustaría que hiciera la

comunidad de trastornos hemorrágicos?

Ramón: Bueno, ya sabe lo que voy a decir, Renae. ¡Solo necesitamos más de esa música!

Rick: Mi llamado a la acción sería no dar por sentada a la Coalición. Sea voluntario. El año pasado, hice voluntariado 200 horas en persona. Necesitamos que los jóvenes den un paso adelante. ¡No vamos a estar aquí para siempre!

Renae: ¿No ve a muchos jóvenes tomando el liderazgo?

Ambos: Hay algunos...

Rick: No puede convencer a alguien para que quiera tomar el liderazgo. Tienen que inspirarse por sí mismos para hacerlo.

Renae: Vale, ¿cuáles han sido los mejores momentos que han vivido juntos?

Rick: Cuando podemos tocar la guitarra y el bajo juntos. Como somos hermanos, sabemos hacia dónde nos transporta la música.

Ramon: En junio, nos reuniremos con toda la familia, alquilaremos cabañas junto al lago y vamos a tocar música durante cinco días.

Rick: ¡Oh, tengo mi cabaña RESERVADA!

Renae: ¡Pues resérvenme una cabaña, chicos! ¡No puedo imaginar nada más divertido que crear música y reír con los hermanos Starks!



ACTUALIZACIONES DEL PANORAMA DE LA HEMOFILIA

POR EL DR. DAVID CLARK

Asuntos leves: Encuesta a hematólogos estadounidenses en Tratamiento de Pacientes Leves

30/10/25 Las personas con hemofilia leve (niveles de factor IX entre el 5% y el 50%) han recibido históricamente poca atención en comparación con aquellas con hemofilia moderada (1 – 5%) o grave (<1%). Esto interacciona con la poca atención o negligencia de las mujeres con hemofilia, ya que suelen tener la forma más leve del trastorno. Un grupo de investigadores estadounidenses publicó recientemente los resultados de una encuesta a personas que practican la hemofilia como parte de la iniciativa de Asuntos Leves de la Federación de Hemofilia de América (HFA).

El grupo señala que “Gran parte del manejo clínico de la hemofilia leve se ha estimado de las investigaciones centradas en la hemofilia grave”, lo que ha provocado disparidades significativas en el diagnóstico y manejo de personas con hemofilia leve, incluso en centros de tratamiento de hemofilia (HTC). Varios estudios recientes han demostrado que la hemofilia leve no es solo una forma más leve de hemofilia grave; Las personas con hemofilia leve y moderada tienen diferentes problemas y necesidades.

La encuesta fue completada por 51 hematólogos en todo Estados Unidos, incluyendo 18 que solo trabajan con pacientes pediátricos, 13 que solo atienden adultos y 20 que tratan ambos. El 86,3% de los encuestados trabajaba en una HTC. A partir del diagnóstico, alrededor del 55% de los médicos recomienda realizar pruebas a bebés varones que están en riesgo de hemofilia al nacer. En comparación, solo el 20% recomendó hacer pruebas a bebés femeninos en riesgo al nacer, aunque provengan de familias hemofílicas.

No solo la tasa de pruebas al nacer es baja en las mujeres, sino que también es baja en los hombres. La Federación Mundial de Hemofilia (WFH) recomienda que todos los bebés varones nacidos de portadores de hemofilia se sometieran a pruebas. Un problema es que tanto los niveles de factor VIII como de factor IX suelen aumentar durante los primeros seis meses de vida, por lo que los resultados pueden cambiar. Las pruebas genéticas podrían solucionar ese problema, pero son caras y no están disponibles en ningún HTC.

Una vez hecho el diagnóstico, la mayoría de los encuestados no tenían claro cuándo iniciar el tratamiento, ya que hay poca investigación que los guíe. La mayoría de los encuestados dijo que iniciaría el tratamiento (profilaxis) en función de los síntomas clínicos del paciente, no solo en los niveles de factores. Esto probablemente se deba a la creciente conciencia de que algunos pacientes leves pueden sangrar más de lo esperado. Los autores señalan que esto es tranquilizador y resalta la necesidad de una atención individualizada.

En general, la encuesta sugiere que hay mucho que no se sabe sobre el tratamiento de pacientes leves, incluidos los hombres con hemofilia leve. Esta es una situación que debe ser solucionada. [Lim MY et al., Hemofilia, online antes de la publicación impresa el 30/10/25]

Características del Sangrado en Hemofilia

8/1/25 Las tendencias de sangrado de los portadores de hemofilia no se han explorado bien y se comprenden poco. La mayoría de los estudios solo han analizado a mujeres en edad reproductiva. Un grupo de investigadores estadounidenses utilizó el conjunto de datos estadounidense de Trombosis y Hemostasis (ATHN) para analizar la caracterización de portadores a lo largo de sus vidas.

El conjunto de datos ATHN incluye información sobre 3.663 portadores de hemofilia, 2.728 A y 935 Bs. De las B, el 0,8% eran graves, el 1,4% moderadas, el 49,1% leves y el 48,2% tenían niveles normales de factor IX. Se dividían en tres grupos de edad: 0 a 12 años, 13 a 49 años y mayores de 50 años. Curiosamente, de los 2.958 episodios de sangrado registrados, el 82% fueron portadores de hemofilia y solo el 18% de Bs. Entre los 139 Bs con hemorragias, las hemorragias fueron más frecuentes en el grupo de edad de 13 a 49 años, con el 58% del total de sangrados, seguido por el grupo de >50 años con un 27% y el 15% para el grupo de 0 a 12 años.

En el grupo 0 a 12, las hemorragias más frecuentes fueron orales y nasales. El grupo de 13 a 49 años estaba mezclado con una variedad de localizaciones de sangrado. La zona de sangrado más frecuente para el grupo >50 fue la de sangrado articular. El trauma fue la causa más frecuente de hemorragia en todos los grupos de edad. En el grupo

de 13 a 49 años, el 38% de las hemorragias se trataron con factor, en comparación con el 21-27% en los otros dos grupos de edad.

En el grupo de hemofilia B, 673 portadores tuvieron niveles basales de factor IX registrados. La edad mediana para el primer nivel medido fue de 17 años, con un amplio rango de cero a 82 años. Aunque los niveles de factor VIII de la A aumentaron con el tiempo, los niveles de factor IX de la B se mantuvieron relativamente constantes. La mayoría de los portadores de hemofilia A tenían niveles normales de factor VIII en el rango del 40 al 60%, y así, los que tienen episodios de sangrado serían clasificados como “portadores sintomáticos” según los criterios ISTH. En comparación, la mayoría de los portadores de hemofilia B presentaron hemofilia leve con niveles de factor IX en el rango del 5 al 25%.

Desafortunadamente, el conjunto de datos ATHN no contiene suficiente información para determinar si existe una correlación entre el sangrado y los niveles de factor para los portadores. Los resultados de otros estudios sugieren que el sangrado en mujeres no se correlaciona con el nivel de factor. [Swaminathan N et al., Res. Pract Thromb Haemost, online antes de la impresión el 1/8/25]

Tasas de Sangrado en Niños en Profilaxis

8/28/25 La mayor parte de la información que tenemos sobre las tasas de sangrado proviene de estudios clínicos con productos individuales. Estos estudios suelen monitorizar la eficacia del tratamiento previo del sujeto durante un corto periodo de tiempo, y también pueden estar sujetos a sesgos debido a criterios de selección del paciente. Generalmente faltan datos reales sobre hemorragias durante la profilaxis. El Registro PedNet, que recopila datos de 33 HTC's en 19 países, se utilizó para obtener una imagen de las tasas anualizadas de sangrado (RAM) en niños con hemofilia grave sin inhibidores, para servir de comparación con otros estudios.

Analizaron las ABRs (Tasa anualizada de sangrados) en 876 pacientes con hemofilia grave (160 Bs) con profilaxis completa. Los sujetos se dividieron en tres grupos de edad según la edad: desde el inicio de la profilaxis hasta los 5 años, de 6 a 11 años y de 12 a 18 años. La edad mediana al inicio de la profilaxis era de 1,31 años para hemofilia A y 1,46 años para hemofilia B. Para el grupo completo de sujetos con hemofilia B, el ABR total fue de 1,25 sangrados al año (0,37 para sangrados articulares y 0,77 para sangrados no articulares).

Los resultados para los grupos de edad individuales no fueron estadísticamente significativos respecto a los resultados generales, y tampoco lo fueron las diferencias entre los grupos A y B. La única excepción fue que los B en el grupo de 12 a 18 años tenían un ABR significativamente mayor para sangrados articulares (0,45) que los A (0,27).

Los autores afirman que esta no es una diferencia clínicamente significativa.

Los autores también analizaron un subgrupo de pacientes con productos de vida media extendida (EHL). Curiosamente, las tasas de sangrado en pacientes con hemofilia A con productos EHL eran más bajas, pero las tasas de sangrado en pacientes con hemofilia B no diferían mucho de las que tenían productos estándar de vida media, salvo en el grupo de 12 a 18 años. Otros estudios han mostrado resultados dispares. Algunos muestran tasas de purga más bajas con productos EHL, mientras que otros muestran poca diferencia.

La profilaxis no prevenía todas las hemorragias potencialmente mortales: diez niños (7 As; 3 B) sufrían hemorragias potencialmente mortales bajo un régimen completo de profilaxis; 4 tuvieron hemorragias intracraneales, 5 hemorragias iliopsoas y una hemorragia faríngea (garganta).

Las tasas de sangrado del estudio son bastante bajas, pero probablemente representan las tasas que pueden obtener los pacientes siguiendo un buen régimen profiláctico. Si las tasas de sangrado de tu hijo son significativamente más altas, esto puede ser una señal para hablar con tu médico sobre la mejora de su tratamiento. [Ranta S et al., Hematológica, online antes de la publicación impresa el 8/28/25]

Tratamiento y Carga de Enfermedades en Adultos Estadounidenses con Hemofilia B

6/27/25 Como se mencionó antes, salvo en estudios clínicos, hay poca información disponible sobre las experiencias reales de pacientes adultos con hemofilia. La carga del tratamiento se refiere a los diversos problemas que rodean utilizando productos, desde mantener condiciones adecuadas de almacenamiento hasta la dificultad y frecuencia de las infusiones. Incluye dolor, ansiedad, estrés, problemas de acceso venoso, etc., asociados con la realización de infusiones intravenosas. La carga de la enfermedad se refiere a problemas derivados del trastorno en sí, incluyendo problemas articulares, dolor, bienestar psicosocial, etc., todos ellos afectando a la calidad de vida relacionada con la salud.

Un grupo de investigadores estadounidenses realizó un estudio sobre el tratamiento y la carga de la enfermedad en pacientes adultos con hemofilia. Se trató de un estudio no intervencionista que examinó historiales médicos y respuestas a encuestas en 446 pacientes (334 As; 112 B) sin inhibidores. El estudio incluyó a 41 mujeres (16 Bs). La demografía del grupo es un estudio en sí mismo. Los sujetos provenían de todo Estados Unidos, representando a 40 estados. Alrededor del 80% fueron tratados en los HTC. El grupo de hemofilia B se dividió casi exactamente

entre aquellos con hemofilia grave (48%) y aquellos con gravedad leve o moderada (52%). De las 41 mujeres, 39 tenían condiciones leves o moderadas y cinco estaban en profilaxis. Las dos mujeres con hemofilia grave tenían hemofilia A. La mayoría (86%) de los B graves estaban en profilaxis, al igual que el 38% de los moderados y el 39% de los leves. De los B en profilaxis, la mayoría (84%) de los graves estaban en productos EHL y la mayoría (86%) de los leves en productos SHL.

El grupo se redujo a 230 A y 66 Bsby, incluyendo solo a personas para las que había datos suficientes para calcular los ABRs y que habían respondido a cuestionarios adicionales. La demografía del grupo más pequeño era muy similar a la del grupo inicial. Curiosamente, los pacientes con B con SHL factor IX (mayoritariamente leves) tenían el mismo ABR que los pacientes con productos EHL (mayormente graves), un ABR de 1,9. Aproximadamente un tercio de cada grupo informó de ansiedad sobre si el tratamiento actual les protegería adecuadamente de las hemorragias.

Los autores afirman: "A pesar de los avances recientes en el tratamiento de la hemofilia, los datos demuestran que para esta cohorte predominantemente de jóvenes a mediana edad, en adultos, existe un tratamiento continuo y una carga de enfermedades. La carga parece no estar relacionada con la gravedad de la enfermedad, ya que las personas con enfermedad leve informaron de cargas similares a las que padecen enfermedad grave. Esto podría sugerir que el propio tratamiento profiláctico y la frecuencia o modo de administración contribuyen a la carga del tratamiento, en consonancia con otros estudios."

Como se ha indicado anteriormente para los niños, si tus tasas de sangrado son significativamente superiores a un ABR de 1,9, esto puede indicar que hables con tu médico para mejorar tu régimen de tratamiento. [Wheeler AP et al., Hemofilia, online antes de la publicación impresa el 6/27/25]

Cambio de Productos SHL a Productos EHL factor IX

En contraste con las dos piezas anteriores, que sugerían que no hubo beneficio en las tasas de sangrado entre los productos estándar de vida media (SHL) y vida media extendida (EHL) factor IX, otros dos estudios recientes muestran un beneficio con los productos EHL. No es raro en la ciencia y la medicina que los estudios muestren resultados contradictorios. Analizar las pequeñas diferencias entre estudios puede a veces revelar una variable importante que uno o ambos autores han pasado por alto. Sin embargo, más a menudo no hay diferencia identificable, y solo tenemos que aprender a convivir con las discrepancias hasta obtener más información.

6/21/25 Un grupo de Finlandia estudió pacientes que cambiaban de productos SHL a productos EHL. Para

hemofilia, los productos EHL requirieron una tasa media de infusión de 0,9 infusiones por semana frente a 1,6 para los productos SHL. El consumo medio total del factor IX disminuyó un 28%, pasando de 221.685 UI/año con SHL a 160.209 UI/año con EHL. Sin embargo, el coste de los productos aumentó de 180.930 € (unos 209.900 dólares estadounidenses) a 236.208 € (274.000 dólares). (Ten en cuenta que los precios de los factores son más bajos en la UE.) Los ABR bajaron de 1,6 sangrados anuales en productos SHL a 0,8 en EHL. La adherencia también mejoró. [Koivusalo M et al., Hemofilia, online antes de la publicación impresa el 21/6/25]

10/25/25 Un grupo alemán realizó un estudio similar, solo que sobre la hemofilia B. Los productos EHL requerían una tasa media de infusión de 1,06 infusiones por semana, frente a 2,79 para los productos SHL. El consumo medio total del factor IX disminuyó un 37%, pasando de 159.578 UI/año con SHL a 100.248 UI/año con EHL. Los ABR bajaron de 6,01 sangrados anuales en productos SHL a 2,58 en EHL. La calidad de vida relacionada con la salud también mejoró y no se observaron eventos adversos graves. [Lonardi J et al., Hemofilia, online antes de la publicación impresa el 25/10/25]

Cabe señalar que los resultados, incluso en estos estudios similares, son bastante diferentes. ¿Por qué un paciente con hemofilia B que usa productos SHL en Finlandia tiene un ABR de 1,6, mientras que otro paciente alemán similar tiene un ABR de 6,01? ¿Finlandia usar un mejor régimen de profilaxis? Ten en cuenta que Finlandia aparentemente usan dosis más altas de factor IX, lo que puede ser una diferencia importante. En cualquier caso, estos dos estudios muestran un beneficio real para los productos EHL, salvo en el coste.

¡DOLOR!

El dolor es un tema importante en la hemofilia. Muchas personas con hemofilia experimentan dolor crónico, a menudo debido a daños en las articulaciones. Una cita del primer estudio a continuación resume el problema: "El dolor ha sido durante mucho tiempo un síntoma asociado a vivir con hemofilia. Aunque los avances en el tratamiento han demostrado un éxito fenomenal.

En la reducción tanto de la frecuencia de sangrado como de la carga del tratamiento, el manejo del dolor crónico asociado a la hemofilia ha experimentado poca mejora en el mismo periodo." Tres estudios recientes han abordado el manejo del dolor en pacientes con hemofilia.

8/25/25 "El dolor crónico ahora se reconoce no solo como un síntoma de lesión o enfermedad, sino como una entidad patológica en sí misma." Esa cita y la anterior provienen de un estudio de un grupo del Reino Unido que analizó las habilidades y conocimientos de los profesionales sanitarios de hemofilia en manejo del dolor. El estudio se centró en países europeos, por lo que los resultados no son necesariamente relevantes para Estados

Unidos. Encontraron varios problemas, como que no estaba claro de quién era la responsabilidad de tratar el dolor agudo frente al dolor crónico. También descubrieron que la mayoría de los tratantes de hemofilia no habían recibido una educación adecuada sobre el tratamiento del dolor y carecían de confianza en sus capacidades.

Un HTC había establecido un centro dedicado al manejo del dolor dentro del HTC, con excelentes resultados, pero eso era inusual. Aparentemente, muchas personas con hemofilia también se sienten más seguras cuando el manejo del dolor se gestiona dentro del HTC, pero la mayoría de los HTC consideran que el tratamiento del dolor crónico a largo plazo es mejor dejarlo en manos del médico de cabecera local del paciente. Curiosamente, sus experiencias con clínicas especializadas en dolor fueron casi universalmente negativas, principalmente debido a los largos tiempos de espera para las citas, la negativa del paciente a ser tratado fuera de su HTC habitual y la falta de voluntad de las clínicas para aceptar a muchos pacientes. [McLaughlin P et al., Hemofilia, online antes de la publicación impresa el 8/25/25]

9/12/25 Un grupo de Italia está llevando a cabo un estudio en curso para ver si nuevos enfoques terapéuticos y fármacos han logrado reducir el dolor crónico en pacientes con hemofilia. Recientemente presentaron un análisis provisional que abarcó a 48 sujetos (31 hombres; 17 mujeres) con dolor crónico. De los hombres, el 62% reportó dolor crónico, especialmente en los tobillos. En el caso de las mujeres, el 71% reportó dolor crónico, especialmente en la espalda.

A la luz del estudio anterior, aproximadamente dos tercios de los hombres hablaron de su dolor con su HTC, pero el 43% consideró que no se abordó adecuadamente. Curiosamente, la mayoría de las mujeres no respondieron a esta pregunta porque nunca habían informado de su dolor. Los resultados intermedios sugieren que los enfoques más recientes para el manejo del dolor no han beneficiado a la mayoría de los pacientes. [Pasca S et al., resumen PO-32 de la Conferencia Internacional BIC, publicado en Haemophilia, vol. 31, suplemento 3]

8/21/25 Debido a los malos resultados en el alivio del dolor crónico con métodos tradicionales, muchas personas han recurrido a tratamientos alternativos, incluida la acupuntura. Otro grupo de Italia analizó la acupuntura como tratamiento para el dolor crónico analizando datos de estudios previos. Encontraron cuatro estudios aplicables que incluyeron a los 37 pacientes (edad media 41,4 años). Los resultados mostraron una reducción significativa del dolor, una disminución del uso de analgésicos y una mejora de la calidad de vida relacionada con la salud con acupuntura.

La acupuntura tuvo pocos efectos secundarios, incluyendo la ausencia de sangrado significativo. La reducción del dolor solo se experimentó en la articulación tratada, no en todo el cuerpo. Las limitaciones del estudio incluyen

el reducido número de sujetos y el hecho de que no hay una buena forma de cegar al sujeto ante el hecho de que ha tenido acupuntura. Por tanto, un efecto placebo es una posibilidad importante. Los autores recomiendan estudios de mayor tamaño y calidad para confirmar sus hallazgos. [Demeco A et al., Hemofilia, online antes de la publicación impresa el 8/21/25]

Supervivencia de Prótesis tras un Reemplazo de Cadera en Pacientes con Hemofilia

7/9/25 Un grupo de China realizó una revisión bibliográfica sobre la supervivencia de prótesis tras una ATM (artroplastia total de cadera) THA, (reemplazo total de cadera). Se sabe que la ATM es eficaz para aliviar el dolor y mejorar la función articular, pero los desafíos asociados a la hemofilia aumentan el riesgo de complicaciones como hemorragias, infecciones y aflojamiento de prótesis. Además del riesgo de hemorragia, la hemofilia también introduce el problema de la mala salud ósea en muchos pacientes.

Analizaron 14 estudios previos que cubrían 190 AT. Sobrevivieron un total de 175 prótesis, pero eso significa que alrededor del 8% falló, algo peor que en la población general. La causa principal del fallo fue el aflojamiento aséptico, es decir, el aflojamiento de la prótesis no causado por una infección.

La articulación de la cadera es una articulación de bola y alvéolo con una bola en la parte superior del fémur (hueso del muslo) que encaja en un hueso del hueso de la cadera. En THA, la bola en la parte superior del fémur se corta y se reemplaza por una prótesis que tiene una bola metálica unida a un tallo largo. El tallo de la prótesis se inserta en el canal de médula del fémur donde está sujeto con un "cemento óseo" acrílico. La parte de la cavidad de la prótesis suele ser un vaso de plástico que se cimenta en su lugar en el hueso de la cadera. En ambos casos, una mala condición ósea puede no soportar adecuadamente las nuevas partes, lo que provoca aflojamiento. El mal soporte también puede provocar fracturas de la prótesis metálica debido al peso significativo que soporta la articulación de la cadera.

La THA es una operación inherentemente sangrienta porque el cirujano tiene que excavar entre mucho tejido muscular para llegar a la articulación en sí. Por lo tanto, el sangrado perioperatorio es una preocupación importante. (El prefijo "peri" significa cerca, alrededor o encerrando, por lo que perioperatorio significa antes, durante y después de una operación.) Los autores enfatizan que la ATC en pacientes con hemofilia debe estar bien planificada e incluir expertos tanto en hemofilia como en cirugía ortopédica. Concluyen: "Este artículo confirma los hallazgos de estudios previos que indican que la THA es un tratamiento eficaz para la artropatía hemofílica en estadio avanzado, ofreciendo un alivio significativo

del dolor y una mejor función. Sin embargo, su alta tasa de complicaciones debe reducirse con una hemostasia perioperatoria adecuada y una buena técnica quirúrgica.” [Chen L et al., BMC Musculoskelet Disord, disponible antes de la edición impresa el 7/9/25]

El Papel de la IL-10 en la Prevención de Daños Articulares

8/25/25 El hierro es esencial para una buena salud celular, pero demasiado hierro puede causar daños y muerte celular. Eso parece ser lo que ocurre con el daño articular de la hemofilia. La hemorragia en la articulación deja glóbulos rojos que pueden “envenenar” la articulación con su hemoglobina que contiene hierro. La presencia del exceso de hierro desencadena varias vías del sistema inmunitario que finalmente conducen a la muerte celular y daños articulares. La interleucina-10 (IL-10) es una molécula pequeña que puede regular las respuestas inmunitarias, suprimir la inflamación, promover la curación y controlar el cáncer.

Estudios previos han demostrado que la IL-10 controla las respuestas inflamatorias en los condrocitos, que son








las células que se encuentran en el cartílago. Un grupo de China se ha puesto en marcha para explorar el papel de la IL-10 en el daño articular hemofílico utilizando condrocitos tanto de pacientes con artropatía hemofílica (AH, daño articular) como de pacientes con artrosis (OA). La osteoartritis es la artritis habitual relacionada con la edad. Las células condrocitos se obtuvieron de pacientes sometidos a un reemplazo de rodilla por AH o OA, pero el trabajo experimental se realizó en cultivo celular en laboratorio.

La bioquímica de los resultados es bastante compleja, pero en general muestran que los condrocitos de AH presentan una deposición elevada de hierro y una menor expresión de IL-10 en comparación con los condrocitos de OA. La adición de IL-10 parece proteger las células y reducir la muerte celular, mejorando así potencialmente la salud de las articulaciones. Este estudio de laboratorio proporciona un buen respaldo teórico para el posible uso de la IL-10 en el tratamiento de daños hemofílicos en la articulación, pero aún serán necesarios estudios clínicos a mayor escala. [Luo F et al., Hemofilia, online antes de la publicación del 8/25/25]

¿Por qué inscribirse? ¡LA MEMBRESÍA ES GRATUITA Y LE CAMBIARÁ LA VIDA!

Conéctese. Crezca. Prospera.

Beneficios exclusivos para miembros con hemofilia B

-  Becas y apoyo educativo
-  B-HUB de educación en línea exclusivo con conexión para miembros y glosario fácil de usar
-  Información actualizada sobre productos y alertas de defensa
-  Programas de asistencia para pacientes
-  Oportunidades: encuestas pagas y paneles de asesoría
-  Eventos en persona y virtuales para todas las edades
-  ¡Conozca personas increíbles que a veces se convierten en su segunda familia!

TU CAMINO, TU IMPACTO, TU COMUNIDAD

THE COALITION FOR
HEMOPHILIA
hemob.org



Una organización nacional sin fines de lucro

TERAPIAS EN DESARROLLO PARA ALLÁ HEMOPHILIA B

POR EL DR. DAVID CLARK

Fall 2025

Hay una enorme cantidad de desarrollo de nuevos productos en hemofilia B. Los posibles nuevos productos pueden dividirse en tres categorías: 1) productos factoriales mejorados, 2) agentes de reequilibrio y 3) terapia génica. Estas actualizaciones se dividen en esas tres categorías. Dentro de cada categoría, las propuestas suelen estar listadas en orden de nombre de las organizaciones que desarrollan los productos.

PRODUCTOS DE FACTOR MEJORADOS

Estas son versiones mejoradas de los productos factor que la mayoría de las personas con hemofilia B están utilizando actualmente, incluidos productos para el tratamiento con inhibidores. Esta sección también incluye actualizaciones sobre algunos de los productos actuales en el mercado.

Relación entre Dosis, Niveles de Factores Y Sangrado con IDELVION® de CSL Behring

5/19/25 Hoy en día hay un movimiento para guiar la dosificación de los concentrados de factores de coagulación según la respuesta farmacocinética (PK) de cada paciente a un producto, en lugar de simplemente una dosis fija según el peso del paciente. Algunos pacientes degradan un producto mucho más rápidamente, mientras que otros pueden dejar que permanezca en su lugar su torrente sanguíneo mucho más tiempo. Además, la misma dosis del factor IX puede tener un efecto mayor en el sangrado en un paciente que en otro. No tiene sentido dar la misma dosis a esos pacientes. De hecho, un estudio reciente muestra una variabilidad sustancial, del 182%, en el comportamiento de sangrado entre individuos con niveles de factores similares.

CSL Behring comercializa Idelvion, un concentrado de factor IX recombinante de vida media extendida (EHL). El factor IX en Idelvion se fusiona con una molécula de albúmina para darle una vida media más larga. Un grupo de investigadores de los Países Bajos analizó los datos de los cinco estudios clínicos realizados para Idelvion para intentar determinar las relaciones entre la dosis, el nivel de factor y el comportamiento hemorrágico. Los sujetos incluyeron 114 pacientes con una edad mediana de 26 años (rango de 1 a 61) y niveles basales de factor IX del 2% o menos, en 514 episodios de hemorragia. Un análisis estadístico de los datos combinados de los grupos sugiere que, a niveles de factor cero, tendrían una media de 7,3 sangrados al año. La simulación predice que los niveles de sangrado se reducirían a la mitad en un nivel de factor

IX del 12%, y en un nivel del 20% la tasa de sangrado se reduciría a cero (rango 0 – 3). Ten en cuenta que esto representa solo el comportamiento medio previsto para el grupo en general. Los resultados de cada paciente pueden variar mucho respecto a esa media. [Koopman SF et al., Clin Pharmacol Ther, disponible en línea antes de la publicación impresa el 5/19/25]

Actualizaciones de CSL Comparación de IDELVION® con ALPROLIX® y Rebinyn®

9/18/25 En el último número presentamos un estudio sobre CSL comparando los productos de vida media extendida Idelvion y Alprolix. Ese estudio ya se ha actualizado para incluir a Rebinyn. Los resultados para Alprolix mostraron que requería cantidades más altas de factor IX para alcanzar tasas de sangrado similares a las de Idelvion. En esta actualización mostraron que las cantidades de factor IX utilizadas con Rebinyn eran similares, pero lograron tasas de sangrado significativamente peores.

Estos resultados sugieren que Idelvion es, de media, el mejor producto. ¿Significa eso que todos deberían cambiarse a Idelvion? ¡Solo a las personas que son normales! Como solemos señalar, un principio médico importante es que cada paciente es diferente. El texto anterior muestra que las personas pueden tener tendencias de sangrado muy diferentes incluso con niveles de factores similares. Esto no es diferente. Sabemos por experiencia real que a algunas personas les va mejor con Alprolix, otras con Idelvion y otras con Rebinyn. Necesitas trabajar con tu médico para determinar qué producto es mejor para ti, no solo para la persona promedio con hemofilia B. Tenemos la suerte de contar con una gran variedad de productos, lo que hace más probable que encuentres uno que mejor te funcione. [Olivieri M et al., Abogado Ther, disponible en línea antes de la publicación impresa el 9/18/25]

Seguridad de Dosis Iniciales más Altas de Biológicos HEMA SEVENFACT®



7/17/25 HEMA Biologics comercializa Sevenfact, un producto de factor VII activado para el tratamiento de pacientes con inhibidores. Sevenfact puede administrarse con una dosis inicial de 75 µg/kg para sangrados leves o moderados o 225 µg/kg para hemorragias graves. La dosis inicial es seguida por dosis adicionales de 75 µg/kg en intervalos especificados, según sea necesario. Para tranquilizar a los médicos que pudieran preocuparse por la trombogenicidad con la dosis más alta, un grupo internacional de investigadores analizó la seguridad de la dosis elevada basándose en los datos de tres estudios clínicos que respaldaron la licencia del producto.

Encontraron que la seguridad y eficacia de ambas dosis iniciales eran similares, sin eventos trombóticos asociados, así como sin otras preocupaciones significativas de seguridad. Sin embargo, hay que tener en cuenta que los sujetos con antecedentes de eventos trombóticos fueron excluidos de los estudios. Los autores afirman que los pacientes que tienden a la trombosis deben trabajar estrechamente con sus médicos para determinar la mejor dosis para ellos. También señalan que la dosis inicial más alta, de 225 µg/kg, puede funcionar más rápido y no requerir dosis adicionales. [Carcao M et al., Hemofilia, en línea antes de la publicación impresa el 7/17/25]

Reducción del Dolor con SEVENFACT®



6/19/25 Un grupo coincidente de investigadores también analizó la reducción del dolor tras el tratamiento con Sevenfact, utilizando los datos del estudio clínico. Los niveles de dolor al inicio de una hemorragia y a intervalos específicos después del inicio del tratamiento se midieron mediante una escala analógica visual (VAS). La VAS, una escala de 100 puntos, se ha utilizado para evaluar el dolor en varios entornos clínicos, incluida la hemofilia. El estudio analizó a cinco adolescentes y 22 adultos (todos A o B con inhibidores) en 468 episodios de hemorragia. El dolor suele usarse como indicador del inicio de una hemorragia, así como como indicación de que el tratamiento está completo cuando el nivel de dolor vuelve a su estado base. Cabe señalar que algunos de estos pacientes sufrieron un dolor basal considerable, incluso entre episodios de sangrado.

Los resultados mostraron que la puntuación VAS disminuyó (menos dolor) entre un 30 y un 58% durante las primeras tres horas tras la infusión de Sevenfact, y continuó disminuyendo durante las primeras 24 horas tras el tratamiento. Esto ocurrió independientemente de la edad del paciente y de si recibieron una dosis inicial

de 75 µg/kg o 225 µg/kg, véase arriba. Curiosamente, quienes tenían niveles de dolor basales más altos necesitaban reducciones mayores antes de que estas fueran perceptibles. Aproximadamente el 10% de las hemorragias se trataron con analgésicos (analgésicos, incluidos opioides), y esas hemorragias no se incluyeron en el análisis. Los autores también realizaron un análisis estadístico de los resultados del VA, que demostró que puede ser una herramienta clínicamente útil para medir el dolor en este contexto. [Buckner TW et al., Hemofilia, online antes de la publicación impresa el 6/19/25]

Experiencia en el Mundo Real con ALPROLIX® de Sanofi



9/12/25 Sanofi comercializa Alprolix, un concentrado de factor IX recombinante de vida media extendida (EHL). El factor IX en Alprolix se fusiona con la parte Fc de una molécula de anticuerpo para darle una vida media más larga. Un grupo de investigadores europeos analizó los datos del estudio B-MORE, un estudio real de 24 meses sobre Alprolix. El análisis incluyó a 137 sujetos que recibieron Alprolix profiláctico durante más de seis meses. Los sujetos se dividieron en dos grupos de edad, <12 años y ≥12 años, además de un subgrupo de sujetos ≥50 años.

Los resultados muestran una tasa media anualizada de sangrado (ABR) para el grupo de <12 años de 0,98 y una tasa anualizada de sangrado articular (AJBR) de 0,2. Para el grupo de ≥12 años, incluyendo el subgrupo de ≥50 años, los resultados correspondientes fueron un ABR de 0,87 y un AJBR de 0,46. El subgrupo de ≥50 años tenía un ABR_{0f1,18} y un AJBR de 0,82. Todos los grupos tenían una frecuencia mediana de infusión de una vez por semana. Sus consumos semanales de factor IX fueron de 51,03, 45,56 y 47,29 UI/kg, respectivamente para los grupos de más jóvenes a mayores. No se reportaron desarrollos de inhibidores ni eventos adversos graves. Por tanto, Alprolix parece seguro y eficaz en todos los grupos de edad. [Glosli H et al., resumen PO-23 de la Conferencia Internacional BIC, publicado en Haemophilia, vol. 31, suplemento 3]

Quizá te preguntes por qué a veces citamos un valor medio (también llamado valor medio) y otras veces un valor mediano. Con una gran cantidad de datos, esos valores tienden a ser iguales, pero con las cohortes más pequeñas en la mayoría de los estudios de hemofilia, la mediana tiende a dar una mejor representación del grupo, especialmente cuando hay valores periféricos. Por ejemplo, si tuviste valores de resultado de 4, 1, 3, 2 y 10, la media es 5,0. Esa media hace que parezca que la mayoría de los resultados son relativamente altos, aunque cuatro de los cinco valores sean inferiores a la media. La mediana es el valor intermedio, cuando los datos están organizados secuencialmente. Así, si organizamos los valores como 1, 2, 3, 4, 10, el valor intermedio es 3, que representa mucho

mejor el conjunto de datos. La mayoría de los valores están más cerca de tres que de cinco. Generalmente citamos los valores, medios o medianos, que los autores listan en su artículo, y si muestran ambos valores, intentamos elegir el que dé la mejor estimación global de los datos.

AGENTES DE RE-EQUILIBRIO

Los agentes de reequilibrio modifican el sistema de coagulación para restaurar el equilibrio, de modo que la sangre coagule cuando debería y no cuando no debería. El sistema de coagulación es un complejo conjunto de factores que promueven la coagulación, además de anticoagulantes que inhiben y controlan la coagulación. En una persona sin trastorno hemorrágico, las actividades de coagulación y anticoagulantes están equilibradas, por lo que el sistema produce coágulos según sea necesario. En la hemofilia, con la pérdida de parte de la actividad de los factores de coagulación, el sistema está desequilibrado; Hay un nivel demasiado alto de actividad anticoagulante que impide que la sangre coagule. Los agentes Re equilibrantes reducen o inhiben principalmente la actividad de los anticoagulantes en el sistema. La mayoría de estos agentes ayudan a restaurar la coagulación en personas con hemofilia A o B, con o sin inhibidores, y probablemente encontrarán aplicación para otros trastornos hemorrágicos.

Resultados de un Estudio del Alhemo® de Novo Nordisk en Niños Pequeños



10/23/25 Novo Nordisk comercializa Alhemo (concizumab) como agente de equilibrio para el tratamiento de pacientes con hemofilia A o B. Alhemo es un anticuerpo monoclonal subcutáneo diario que inhibe el inhibidor de la vía de los factores tisulares (TFPI), un anticoagulante. Alhemis aprobados para su uso en pacientes de 12 años o más. Un grupo internacional de investigadores ha realizado ahora un estudio sobre el uso de Alhemo en niños pequeños de seis años o menos. El estudio incluyó a cinco sujetos con hemofilia B grave que también presentaban inhibidores. Además del desarrollo de los inhibidores, los cinco sujetos también experimentaron reacciones alérgicas al factor IX. Su edad media para el desarrollo de los inhibidores fue de 15 meses con la terapia Alhemo comenzando a partir de 21 meses.

Tras al menos 12 semanas con Alhemo, las tasas anuales de sangrado (AB) del grupo oscilaron entre cero y cuatro. Solo dos de los cinco sujetos experimentaron sangrados espontáneos, que ambos se resolvieron tras el ajuste de la ADOSE. La generación de trombina (una medida de coagulación) aumentó y no se produjeron eventos trombóticos. Los niveles de inhibidores también disminuyeron al no haber más exposición al factor IX.

Sin embargo, es probable que los niveles de inhibidores vuelvan a aumentar si a los sujetos se les administrara el factor IX. [Levy-Mendelovich S et al., J Thromb Haemost, en línea antes de la publicación impresa el 10/23/25]

TERAPIA GÉNICA Y CELULAR

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

Be Biopharma Publica Datos Preclínicos



7/30/25 Be Biopharma está desarrollando BE-101, una terapia celular para la hemofilia B. BE-101 utiliza las propias células B del paciente, genéticamente modificadas para contener un gen normal de factor IX. Las células B, un tipo de glóbulo blanco, producen anticuerpos y, por tanto, son buenas para producir grandes cantidades de proteína. Las células B del paciente se extraen del torrente sanguíneo, se transforman en laboratorio para contener un gen de factor tipo Padua IX (PFIX) de mayor actividad y luego se transfunden de nuevo al cuerpo. Las células B tienden a aislarse en un nicho de la médula ósea donde tienen una vida útil del orden de décadas. Como BE-101 utiliza las propias células del paciente, no se espera que haya ninguna reacción inmune contra las células trasplantadas. Por lo tanto, el tratamiento puede repetirse, si se desea, por ejemplo, para añadir más células y aumentar la producción del factor IX.

Be Bio trató recientemente a su primer paciente (ver el último número) y ahora ha publicado sus datos preclínicos. Los diversos experimentos muestran que 1) la adición de un gen PFIX no interfiere con la biología, viabilidad o diferenciación de las células B, 2) las células B transformadas son capaces de producir grandes cantidades de PFIX activo, que puede ser modificado correctamente por vitamina K, y 3) han desarrollado un proceso de producción a gran escala para producir las células B modificadas. Las células B del paciente se transforman en laboratorio mediante el método CRISPR-Cas9, y los investigadores demostraron que 4) el sitio de integración del nuevo gen era reproducible con pocos efectos fuera del objetivo (pocas ocasiones en que el gen se colocaba en el lugar incorrecto), y 5) que la inserción génica mantenía la estabilidad del genoma de las células B. En ratones trasplantados con células B humanas, demostraron que 6) las células B se secuestran rápidamente en la médula ósea de los ratones y 7) secretan su factor IX en el torrente sanguíneo del ratón.

Una vez tratados los ratones, los investigadores demostraron que 8) los niveles de factor IX disminuyeron

ligeramente justo después del trasplante, pero luego se mantuvieron estables hasta 184 días. También observaron la presencia de anticuerpos humanos en los ratones, lo que sugiere que las células trasplantadas seguían siendo viables y producían anticuerpos, así como el factor IX. Demostraron 10) que el nivel de cualquier ADN PFIK externo que no se hubiera integrado en los genomas de la célula B era muy bajo.

Demostraron, de forma importante, 11) que los ratones podían ser redosificados con células B transformadas adicionales sin reacción inmunitaria. También demostraron que 12) el aumento en los niveles de PFIK era aproximadamente lineal, es decir, por ejemplo, si un ratón recibía un número de células transformadas que elevaba su nivel de PFIK a unos 10 ng/ml, un trasplante adicional del mismo número de células elevaría el nivel de PFIK a unos 20 ng/ml. Finalmente, 13) un estudio de toxicidad de 28 días en ratones no mostró problemas.

Esta lista te da una idea de los extensos tipos de estudios que las empresas realizan durante sus estudios preclínicos. También realizan estudios de estabilidad para asegurarse de que el producto es estable antes del trasplante. También se requieren estudios adicionales y ejercicios de validación para el proceso de fabricación. Todo esto es solo para obtener el permiso de la FDA para seguir adelante con estudios clínicos en pacientes. Es un largo camino hacia el desarrollo y la aprobación de nuevos productos. [Liu H et al., Mol Ther, online antes de la publicación impresa el 7/30/25]

BioMarin Despojará de la **B:OMARIN** Terapia Génica **ROCTAVIANA®** para la Hemofilia A

10/27/25 BioMarin Pharmaceutical comercializa Roctavian, la única terapia génica aprobada para la hemofilia A. Debido a las bajas ventas, anunciaron que querían deshacerse de Roctavian. Previamente habían decidido limitar sus ventas a solo tres países: EE. UU., Alemania e Italia, para reducir sus costes.

Aunque Roctavian es para hemofilia A, esto es una indicación adicional del mercado de terapia génica para hemofilia B. La terapia génica para hemofilia se consideraba un producto de gran éxito, pero hasta ahora ni siquiera ha podido compensar sus altos costes de desarrollo. Como hemos estado informando, las razones de la lenta adopción de la terapia génica en la comunidad hemofilia son complejas y controvertidas. Una de las principales razones puede ser la resistencia de los pagadores a los precios elevados: 2,9 millones de dólares para Roctavian y 3,5 millones para Hemgenix por hemofilia B. Otra razón importante parece que sea la logística complicada necesaria para llevar la terapia génica a los pacientes.

Mientras tanto, varias empresas siguen adelante con el desarrollo de terapias génicas más avanzadas para la hemofilia. Además, China e India han estado informando de buenos resultados con sus propios tratamientos de terapia génica de origen local. [Artículo de BiopharmaDive 10/27/25]

Estudio de CSL Compara **CSL Behring** la Rentabilidad de **HEMGENIX®** y **ALPROLIX®** en Suecia

9/12/25 CSL Behring comercializa Hemgenix, una terapia génica para la hemofilia B que se administra mediante un vector del virus adeno-asociado (AAV) y utiliza el gen de alta actividad del factor IX de Padua. Para ayudar a justificar el alto coste de Hemgenix, CSL, en consulta con Parexel International, desarrolló un modelo de estimación de costes que compara el uso puntual de Hemgenix por parte de un paciente sueco con la profilaxis continua con el factor de coagulación Alprolix. Los resultados muestran un ahorro de coste de por vida de unos 18 millones de coronas suecas, unos 1,8 millones de dólares estadounidenses, con Hemgenix. El coste de los medicamentos representa el 98,4% del ahorro. [Yan S et al., resumen PO-21 de la Conferencia Internacional BIC, publicado en Haemophilia, vol. 31, suplemento 3]

CONOCE A ELIZABETH: VIVIENDO CON HEMOFILIA, LIDERANDO A TRAVÉS DE LA MÚSICA

POR ALLYSON KAMPS

“Aprender a navegar en un mundo que no fue hecho para mí me ayudó a apoyar a otros en la misma situación.”

“Quizá no sería musicoterapeuta si no fuera por la hemofilia”, me contó Elizabeth VanSant mientras compartía sus primeras experiencias viviendo como joven con hemofilia B severa. Diagnosticada con solo 3 meses, fue una época aterradora e incierta para sus padres. Habló de experiencias en la primera infancia, incluyendo aprender a hacerse una infusión, que venía acompañado de ansiedad y traumas médicos, inseguridades sobre las cicatrices de puerto y frustraciones por la frecuencia con la que necesitaba tratamiento. Pero al final, la historia de Elizabeth es una de aceptación, compasión y autenticidad.

Las clases de baile de la infancia a menudo le dejaban heridas y con hemorragias, así que encontró otra forma de expresar su creatividad. En tercer curso empezó clases de piano. En una época en la que estaba aprendiendo a gestionar su hemofilia, especialmente la auto infusión de la familia, el banco del piano se convirtió en un lugar para procesar emociones. Desde entonces, Elizabeth ha ampliado su repertorio instrumental para incluir guitarra, flauta, percusión y su voz.

Además de su impacto emocional, tocar el piano ofrecía un sorprendente beneficio físico. “Me ha hecho crecer mucho las venas”, dijo Elizabeth. “Incluso estar ahí y mover las manos, aunque solo los dedos, puede ayudar mucho a la salud vascular y a hacer que esas venas resalten.” El movimiento motor fino, junto con la respiración consciente, la ayudó a prepararse para su infusión y fortaleció su conexión con su cuerpo de una manera que el ejercicio tradicional no siempre podía ofrecer durante los periodos de recuperación.

Elizabeth aprendió a hacerse infusiones a los dieciséis años, demostrando que está bien aprender a tu propio ritmo. “Avanzamos a ritmos diferentes, y es importante reconocer tus propias necesidades personales”, dijo. “Y está bien sentir las emociones.” También atribuye a su comunidad el apoyo a su trayectoria, desde puestos de infusión en eventos de La Coalición para la Hemofilia B hasta liderazgo y mentoría a través de Gut Monkey. “Eso fue algo que realmente me impactó, simplemente rodearme de otras personas.”

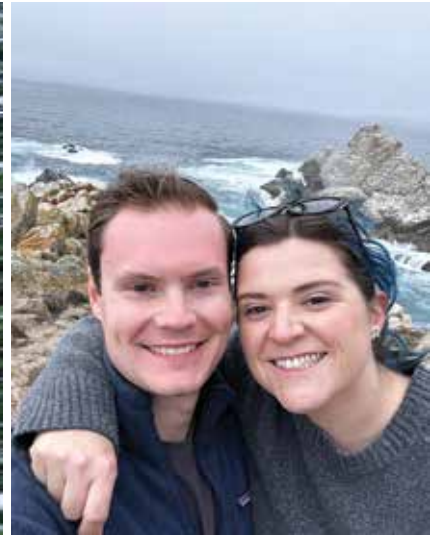
Hoy, Elizabeth trae la misma paciencia y compasión hacia los demás que la ayudaron de niña. Cuando



descubrió la musicoterapia, “fue casi como si se encendiera una bombilla.” Hace dos años, abrió su propia consulta de musicoterapia centrada en personas neurodivergentes en el Noroeste del Pacífico y ahora está trabajando para ampliarla a una consulta grupal.

Cuando le preguntaron cómo es una sesión típica, dijo: “Siempre estamos trabajando en metas y objetivos. Así que quizá alguien tiene mucha energía y quiere lanzar una pelota de un lado a otro. También estamos trabajando en las habilidades de comunicación, así que puede que cante ‘Estoy listo’, o como, ‘¡Atrapa!’” Explicó que usar melodías y frases simples y rítmicas que sean fáciles de repetir puede ayudar a fomentar una comunicación expresiva.





Dependiendo de lo que el cliente quiera hacer ese día, las sesiones también pueden implicar tumbarse en el suelo, bailar, jugar con burbujas o cantar.

Convertir su pasión por la música en una carrera significó que Elizabeth tuvo que buscar nuevas vías para expresarse creativamente. “Mi casa está llena de lienzos”, dijo. “Pinto, coso, construyo Legos, cualquier cosa donde no esté haciendo música.” Estos hobbies le ofrecen espacio para recargar energías y participa con la creatividad solo por diversión, reforzando la importancia del juego y la variedad en una vida que requiere tanto disciplina como sanación.

Elizabeth habla abiertamente sobre su vida con la hemofilia y la ve como parte de lo que la llevó a su carrera. “Aprender a navegar por un mundo (uno que no fue construido para mí) me ha ayudado a apoyar a mis clientes mientras navegan por un mundo que tampoco fue hecho para ellos.”

Muchas mañanas, Elizabeth puede ser encontrada cantando Frank Sinatra en residencias asistidas, algo completamente diferente a las sesiones individuales que dirige en su consulta privada. No hay tratamientos, metas

o planes, simplemente la alegría de conectar a través de la música. Aun así, el corazón detrás de ella es el mismo. “Es importante aportar todos los aspectos de ti mismo a lo que sea que hagas”, dijo. “No ocultes quién eres, y nunca sabes quién te oirá.”

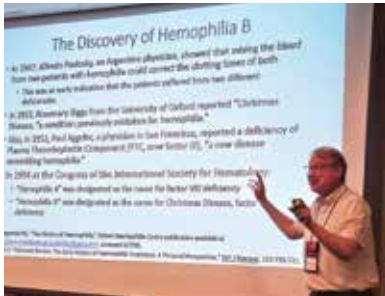
Para Elizabeth, compartir sus vidas una forma de abogar. “Esa palabra suele estar ligada a los Días de la Colina y demás, y ese no soy yo. Solo comparto mi historia y sea que quien esté escuchando, puede que saque una pequeña conclusión de eso.” Entiende que no todo el mundo está preparado para compartir abiertamente y ofrece una sugerencia: “Empieza incluso por tus seres queridos, tus amigos más cercanos: lo que podrías estar pasando en el día a día, tus pensamientos o incluso solo tu diagnóstico. Eso es importante. Así que empieza poco a poco. Así es como sucede todo lo grande, empezando pequeño.”

El recorrido de Elizabeth, desde averiguar cómo es la vida con hemofilia hasta construir una práctica de musicoterapia, muestra cómo compartir tu historia puede ser una forma poderosa de conectar con los demás. Con honestidad y creatividad, marca la diferencia una nota, una conversación y una experiencia compartida a la vez.



REUNIONES DE OTOÑO EN EL CAMINO: UNA TEMPORADA DE CONEXIÓN, APRENDIZAJE Y ALEGRÍA

POR ROCKY WILLIAMS



Este otoño, La Coalición para la Hemofilia B salió de gira para llevar aprendizaje, sonrisas y conexión a familias de todo el país. Entre septiembre y octubre, nuestra serie familiar Reuniones en el Camino-otoño visitó Milwaukee, WI; San Diego, CA; Minneapolis, MN; Manchester, NH; Phoenix, AZ; y Pittsburgh, PA. Estos eventos crean espacios acogedores para que la comunidad de hemofilia B se conecte, comparta experiencias y fortalezca los lazos.

Para muchas familias, el fin de semana comenzaba con una cena de bienvenida la noche antes de cada reunión. Estas reuniones relajadas permitieron que amigos de toda la vida se reconectaran y que los nuevos asistentes se sintieran incluidos de inmediato, estableciendo un ambiente cálido que se mantuvo hasta el día siguiente.

Cada día de reunión comenzaba temprano con café, conversación

y sonrisas amables mientras los participantes se registraban y exploraban el salón de exposiciones. Tras una bienvenida sentida de La Coalición para la Hemofilia B y nuestros patrocinadores, la energía subió con Shake, Rattle, y Roll, dirigida por el Dr. Robert Friedman. Esta sesión animada y llena de música hizo que todos se movieran y sonrieran, creando impulso para el día que tenían por delante.



CALIFORNIA



La mañana continuó con el *Círculo de Rap Comunitario Firme y en Desarrollo*, donde los participantes compartieron historias personales, escucharon con atención y encontraron fortaleza en experiencias compartidas. A lo largo del día, las familias participaron en una mezcla reflexiva de educación, bienestar y construcción comunitaria. Las sesiones sobre terapia génica y nuevos tratamientos profilácticos subcutáneos ofrecieron a los asistentes la oportunidad de escuchar directamente a expertos médicos, así como a personas con experiencia vivida.

El empoderamiento siguió siendo un tema central. *En Abogacía en Acción*, dirigida por Bobby Wiseman y Lee Hall, los participantes exploraron cómo las historias cotidianas pueden impulsar cambios significativos en la atención médica y las políticas públicas.

Mientras los adultos asistían a sesiones educativas, adolescentes y preadolescentes disfrutaban de una excursión fuera del campus centrada en el trabajo en equipo y la aventura, lo que les daba espacio para conectar y forjar amistades a su manera.

MINNESOTA



NEW HAMPSHIRE



Entre sesiones, el ambiente se mantenía cálido y envolvente. Las pausas para hacer conexiones, las comidas compartidas y las conversaciones con los colaboradores en el salón de exposiciones fomentaron la conexión, mientras que *las actividades de Camina y Conversa* invitaron a los participantes a continuar las conversaciones al aire libre, destacando las muchas formas en que el bienestar y la abogacía pueden manifestarse en la vida diaria.

El día concluyó con Nuestra Historia, Nuestra Experiencia, una sesión creada y presentada por el Dr. David Clark en varias reuniones, con Matthew Barkdull presentando en otras. A esto le siguió *B Amazing: Estamos en Esto Juntos*, una alegre sesión de cierre llena de risas, reflexión y gratitud compartida.

En todas las ciudades, la sensación era la misma. Eran más que reuniones. Fueron encuentros emotivos que celebraban la conexión, la resiliencia y la comunidad. Estamos profundamente agradecidos a todos los que se unieron a nosotros y a nuestros generosos patrocinadores, CSL Behring y Novo Nordisk, cuya colaboración hizo posible esta serie a nivel nacional.

CSL Behring



ARIZONA



PENNSYLVANIA



FAMILIA DE SANGRE 2025

POR LAURA ECHANDI

Del 5 al 7 de septiembre tuvo lugar la **9ª Conferencia Anual Familia de Sangre** en el Anaheim Marriott de California, organizada por la Fundación de Hemofilia del Sur de California. Familias hispanohablantes de todo el país se reunieron durante tres días de aprendizaje, conexión y comunidad.

Creada para familias que viven con trastornos hemorrágicos, la conferencia ofreció educación, apoyo y oportunidades significativas para compartir experiencias. La Coalición por la Hemofilia B se enorgulleció de participar, reconectando con rostros conocidos y conociendo nuevas familias, mientras compartían información sobre eventos y programas próximos.



ABOGACÍA EN ACCIÓN

POR MARTA THOMAS

Esta sesión llevada a cabo el 10 de septiembre resonó profundamente en muchos participantes, centrándose en cómo compartir tu historia, incluso en pequeños momentos cotidianos, puede ser una forma poderosa de defensa. Lee Hall y Bobby Wiseman ayudaron a guiar la conversación, fundamentándola tanto en la política como en la experiencia personal.

Lee comenzó con una visión clara y accesible de los desarrollos recientes en políticas sanitarias, incluyendo la Ley One Big Beautiful Bill Act y su posible impacto en programas como Medicaid y la Ley de Cuidado de Salud a Bajo Precio. Explicó cómo las decisiones tomadas en el Congreso pueden afectar directamente el acceso a la atención, especialmente para quienes dependen más de estos programas, ayudando a los participantes a comprender mejor lo que está en juego.

Jim Romano se unió para ofrecer actualizaciones en directo desde el Capitolio. Compartió perspectivas sobre el proceso presupuestario actual, posibles plazos y cómo las próximas decisiones podrían afectar a la comunidad de trastornos hemorrágicos. Jim animó a los asistentes a estar atentos a las alertas de acción y recordó a todos lo sencillo y eficaz que puede ser contactar a los funcionarios electos cuando sea necesario hacer abogacía.

Uno de los momentos destacados de la noche fue Grant, quien compartió sus experiencias personales afrontando

los retos sanitarios y de seguros con su familia. Su historia puso un rostro humano en las discusiones políticas y subrayó por qué la abogacía de los derechos es importante a un nivel tan personal. Erica Garber dirigió una actividad reflexiva llamada "Círculos de Conexión", invitando a los participantes a reflexionar sobre dónde se sienten seguros al compartir sus historias. Estos momentos dieron lugar a conversaciones significativas con personas con nombre, proveedores médicos, vecinos y otras personas en quienes confían en ellas.

Bobby añadió humor y tranquilidad, recordando a todos que la abogacía no requiere perfección, cada conversación y cada historia compartida cuenta. La sesión terminó con ganadores de la rifa, sonrisas y un recordatorio de que el Centro de Educación B sigue siendo un espacio para el aprendizaje y la conexión.

Gracias a Medexus por patrocinar esta reunión tan significativa.



PANORAMA DE PRODUCTOS PARA LA HEMOFILIA B CON EL DR. DAVID CLARK

POR MARTA THOMAS

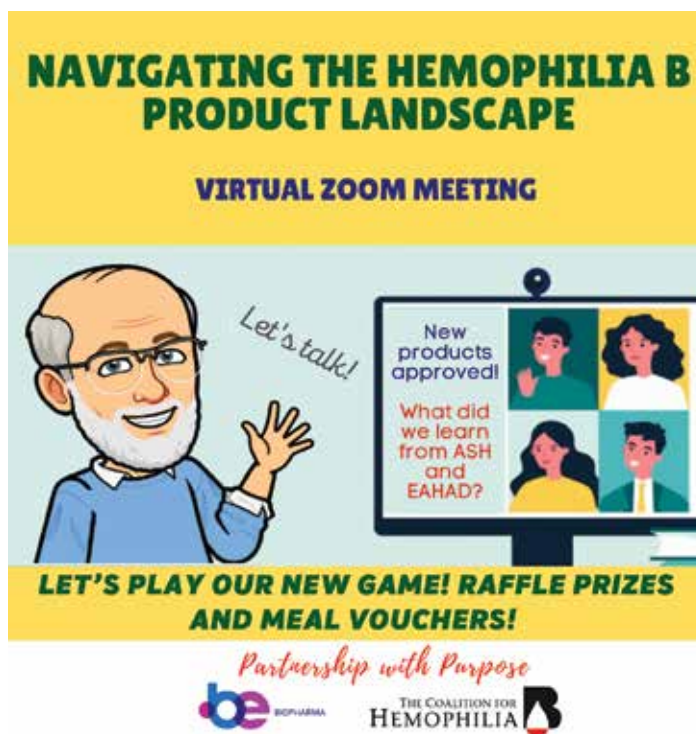
Con el generoso apoyo de Be Biopharma, nuestra comunidad se reunió el 23 de septiembre para una velada informativa centrada en las opciones actuales y emergentes de tratamiento de la hemofilia B. La sesión reunió tanto a miembros veteranos de la comunidad como a nuevos asistentes, creando un espacio acogedor para el aprendizaje y la discusión dirigido por dos expertos respetados en el campo.

El Dr. Michael Wang, vicepresidente de Desarrollo Clínico en Be Biopharma, inauguró el programa con una visión atractiva de la terapia con células B y su posible papel en el cuidado de la hemofilia B. Basándose en su experiencia como hematólogo pediátrico y exdirector de HTC, el Dr. Wang explicó cómo las células B modificadas podrían algún día producir Factor IX dentro del cuerpo, ofreciendo potencialmente una protección duradera sin necesidad de pre-acondicionamiento ni infusiones frecuentes. Los asistentes hicieron preguntas reflexivas sobre la re-dosificación, consideraciones de seguridad y el progreso de los ensayos clínicos en curso. El Dr. Wang compartió que los primeros datos son alentadores y señaló hitos clave, incluyendo la exitosa infusión del primer paciente a principios de este año.

El Dr. David Clark, presidente de La Coalición para la Hemofilia B, ofreció una visión completa del panorama actual del tratamiento. Expuso las opciones disponibles que iban desde terapias derivadas del plasma y recombinantes hasta productos de vida media prolongada y terapia génica. El Dr. Clark enfatizó que, aunque tiene más opciones es positiva, las decisiones de tratamiento siguen siendo muy individuales y deben reflejar cómo responde cada persona a la terapia.

También habló sobre los tratamientos en investigación en desarrollo y cómo las futuras terapias buscan mejorar la protección contra las hemorragias, extender los intervalos de dosificación y ofrecer alternativas para quienes no son elegibles para terapia génica. Otras conversaciones abordaron el cambio de producto, consideraciones sobre seguros y cómo abordar las conversaciones con los profesionales sanitarios al evaluar nuevas opciones.

La velada concluyó con un tono alegre con un juego de preguntas y respuestas temático de hemofilia creado por el Dr. Clark, que reforzaba los puntos clave mientras mantenía la sesión interactiva. En general, el programa destacó la importancia de mantenerse informado y empoderado a medida que las opciones de tratamiento continúan evolucionando.



REMEDIOS HERBALES CASEROS: BIENESTAR DIARIO BASADO EN LA TRADICIÓN

POR MARTA THOMAS

Guiada por la herbolaria y practicante de sanación somática (proceso de curación que conecta cuerpo y mente) Renk Koçtürk, esta sesión del 25 de septiembre ofreció una introducción calmante y acogedora a **Los Remedios Caseros**, centrada en ingredientes de uso diario y la sabiduría ancestral. En lugar de depender de productos caros, la conversación se centró en lo que muchos ya tienen en casa y cómo usar ingredientes con cuidado e intención.



al bienestar físico como emocional. Renk enfatizó que la herbolaria es relacional, la forma en que cultivamos, preparamos y hablamos con las plantas importa tanto como cómo las utilizamos.

Los participantes aprendieron técnicas muy prácticas, incluyendo preparar té de jengibre, hirviendo el jengibre en rodajas durante al menos siete minutos para liberar completamente sus beneficios, y crear rituales de vapor de romero para apoyar la salud respiratoria y calmar el sistema nervioso.

Renk invitó a los participantes a ver el otoño como una estación para desacelerar, aterrizar y prepararse para el invierno. Habló sobre el profundo conocimiento herbal transmitido por las comunidades negras, latinas e indígenas, recordando a los asistentes que muchas tradiciones familiares tienen sus raíces en prácticas de sanación vividas que se comparten a través de generaciones.

El grupo exploró hierbas comunes como el ajo, jengibre, romero y tomillo, discutiendo cómo estos pueden ayudar

Durante toda la velada, Renk abordó preguntas sobre seguridad y dosis, recordando a todos que escuchen a sus cuerpos y vean la herbolaria como un complemento, no como un reemplazo, de la atención médica. Los asistentes se marcharon con consejos sencillos, renovados con confianza y una mayor apreciación por la sabiduría sanadora que ya existía en sus cocinas.

¿ESTÁS LISTO PARA CONTAR TU HISTORIA?

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



¿QUÉ TE MOTIVA?

TODOS TIENEN UNA HISTORIA

¿CUÁL ES TU HISTORIA?

LA COALICIÓN PARA LA HEMOFILIA B PARTICIPA EN LA TRADICIONAL REUNIÓN ANUAL DE HEMOFILIA DE INDIANA

POR JENNIFER DEGLOPPER

El 26 y 27 de septiembre, Matt Marlatt y yo representamos a La Coalición para la Hemofilia B en la **Reunión Anual de Hemofilia de Indiana** en Indianápolis. El evento tuvo una buena asistencia y nosotros agradecemos la cálida hospitalidad brindada por todos los implicados. Disfrutamos mucho de la oportunidad de hablar con familias B hemofilias.



Entre los momentos destacados estuvieron la *Teddy Bear Clinic (Clínica del Oso de Peluche)*, donde los asistentes practicaron habilidades de infusión de forma divertida, práctica e interactiva, y el Science Fair Roadshow (Gira de la Feria de Ciencias) de Believe Limited, que involucró a participantes de todas las edades.

¡Gracias a Hemofilia de Indiana por organizar un evento tan acogedor y atractivo!

LA COALICIÓN PARA LA HEMOFILIA B PARTICIPA COMO EXPOSITORA EN LA CONFERENCIA NACIONAL 2025 PARA MUJERES CON HEMOFILIA

POR JENNIFER DEGLOPPER

Del 3 al 5 de octubre, represente a la Coalición para la Hemofilia B la **Conferencia Nacional 2025 de la Fundación para la Hemofilia de Michigan** en Detroit. La conferencia proporcionó un espacio poderoso para la conexión, el aprendizaje y el empoderamiento de las mujeres que viven con trastornos hemorrágicos.

Los asistentes participaron en grupos grupales centrados en deficiencias de factores raros, experiencias de mediana edad y jóvenes adultos, planificación familiar y comunidades hispanohablantes. Esta conferencia anual sigue siendo una reunión significativa e inspiradora para mujeres de toda la comunidad de trastornos hemorrágicos.



PRÓXIMOS EVENTOS

Para más información y para registrarse: hemob.org/events

Para más información y para registrarse: hemob.org/eventos

¡Los miembros de la coalición que participen en nuestros eventos virtuales recibirán vales de comida! Por favor, asegúrate de que la cámara esté encendida y que seas visible durante el evento



TODOS LOS LUNES
DE 1:00 A 2:00 PM EST
LUNES DE SALUD MENTAL
EN EL B-HUB
CONNECT.HEMOB.ORG



8 DE ABRIL DE 2026
LAS VEGAS, NV
EVENTO BENÉFICO
LET'S PLAY IX GOLF

Recaudando fondos para que los niños con hemofilia B puedan participar en actividades divertidas de desarrollo de fortalezas y habilidades, ofreciendo una opción de estilo de vida saludable que puedan mantener toda la vida.



9-12 DE ABRIL DE 2026
LAS VEGAS, NV
¡SIMPOSIO B DE LA
COALICIÓN PARA LA
HEMOFILIA 2026!

El Simposio Anual de la Coalición reúne a expertos en medicina, investigación, salud mental y políticas junto a líderes y defensores del sector para ofrecer educación, apoyo y conexiones significativas. El evento fomenta la comunidad y empodera a las personas para avanzar con mayor independencia, confianza y éxito en sus carreras y vidas.

B SIN LÍMITES PODCAST

HEMOB.ORG/PODCAST

Descubre el poder de
entender la hemofilia B.
Tu Viaje,
Tu Fortaleza.



THE COALITION FOR
HEMOFILIA



GUARDE ESTA FECHA

SIMPOSIO ANUAL 2026
ABRIL 9-12, 2026 EN LAS VEGAS



THE COALITION FOR
HEMOPHILIA
HEMOB.ORG





LA COALICIÓN PARA LA HEMOFILIA B
PROGRAMA DE ASISTENCIA AL PACIENTE



UNA DE LAS COSAS MÁS IMPORTANTES QUE PODEMOS HACER EN LA VIDA ES HACERLES SABER A LAS PERSONAS QUE NO ESTÁN SOLAS. – SHANNON L. ALDER



La vida puede cambiar en un instante. Un diagnóstico, una hospitalización inesperada, la pérdida de un empleo, reducción en las horas laborales o incluso un desastre natural pueden transformar la estabilidad de una familia de un día para otro.

Por eso, nuestro Programa de Asistencia al Paciente fue creado para apoyar a los pacientes y cuidadores durante estos momentos de necesidad. Este programa proporciona ayuda financiera de emergencia para aliviar el impacto de dificultades económicas repentinas. Aunque el programa no cubre gastos médicos, su propósito es profundamente significativo: ayuda a cubrir necesidades urgentes y a corto plazo que afectan directamente a los pacientes y sus familias.

Durante más de 35 años, la Coalition for Hemophilia B ha estado al lado de la comunidad con hemofilia B, ofreciendo apoyo, recursos y una voz para quienes lo necesitan.

PARA MÁS INFORMACIÓN VISITE:
<https://www.hemob.org/financial-assistance>
COMO APOYAR/DONAR: [hemob.org/donate](https://www.hemob.org/donate)



880 Third Avenue, 5th Floor; New York, New York 10022
Phone: 212-520-8272 Fax: 212-520-8501 contact@hemob.org

VISITE NUESTRAS REDES SOCIALES:

Website: www.hemob.org

Facebook: www.facebook.com/HemophiliaB/

X: <https://x.com/CoalitionHemoB>

Instagram: www.instagram.com/coalitionforhemophiliab

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



Para mas información, contacte 212-520-8272, contact@hemob.org
y para información en español contacte Chris Villareal, contact@hemob.org

MADDIE SE ENFRENTA AL DESAFÍO Y ESPERA CON ENTUSIASMO APOYAR A LA COMUNIDAD DE HEMOFILIA B

POR SHELLY FISHER

Maddie, estudiante de primer año de universidad, me hizo un espacio entre cursos de psicología, trabajo de fin de semana, trotar en familiar y planes para visitar una casa encantada. Con un otoño lleno de sus actividades favoritas, ve hacia un futuro como consejera de salud mental y continúa involucrada en la comunidad de hemofilia B.



La universidad ha sido un “gran cambio” para Maddie, y está disfrutando de la independencia y flexibilidad añadidas para gestionar sus estudios. Aunque no participaba en clubes en el momento de nuestra entrevista, planea unirse a un club de investigación en psicología. “Yo investigaría para artículos de psicología, lo cual suena bastante bien”, compartió. Maddie mantiene la mente abierta sobre hacia dónde pueden llevar sus estudios, pero sabe que su objetivo es la terapia de salud mental. “Todavía queda mucho por explorar en ese campo.” También señaló que su profesora de psicología se ha convertido rápidamente en su favorita, describiéndola como atractiva, rápida y un poco divertida.

Los fines de semana, Maddie trabaja como cajera y en servicio de atención al cliente en un supermercado local, la misma tienda que su familia ha frecuentado durante años. Fuera del trabajo, disfruta pasar tiempo con su familia y amigos, donde es conocida como “la chistosa”, y se centra en mejorar su distancia al correr junto a su hermano.

Con antecedentes familiares conocidos de hemofilia B, Maddie fue identificada como portadora al nacer y más tarde supo que tiene hemofilia leve al tras necesitar tratamiento tras una cirugía. Como corredora de campo a través, se ha mantenido activa sin problemas. “Correr es algo que requiere mucho tiempo



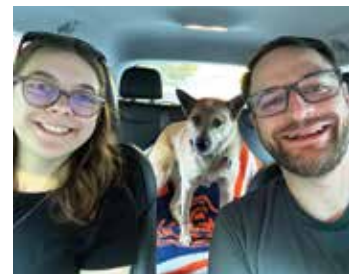
para mejorar”, dijo, señalando la paciencia y persistencia que requiere.

Cuando le preguntaron qué consejo daría a alguien recién diagnosticada con hemofilia, Maddie ofreció una tranquilizadora reflexión. “La experiencia de cada uno es diferente. Asegúrate de tener un buen sistema de apoyo. Da pequeños pasos y encuentra tu zona de confort como tu propio defensor.”

Maddie asistió más recientemente al evento Reuniones en el Camino de La Coalición para la Hemofilia B en Milwaukee, donde disfrutó especialmente aprendiendo sobre la historia de la hemofilia. Encontró significativas las discusiones en grupos pequeños, especialmente escuchando las perspectivas de los participantes mayores. “Me permitió ser mucho más consciente desde una perspectiva nacional y mundial”, compartió.

Para su familia, los eventos de CHB a lo largo del año han fomentado un fuerte sentido de conexión. “Me encantan las charlas y aprender todo lo que puedo, y siempre ayudamos con la limpieza”, dijo Maddie. Estas experiencias también han marcado sus objetivos profesionales. “He aprendido que puede haber un desgaste mental para quienes manejan la hemofilia B, y me interesa ofrecer terapia a cualquiera que esté pasando por eso.”

Con el apoyo de sus padres y una comunidad fuerte a su apoyo, Maddie está lista para llegar hasta el final y devolver algo a la comunidad de la hemofilia B, con amigos y familiares animándola en cada paso del camino.



¡LUCES! ¡CÁMARA! ¡ACCIÓN! ¡JOSHUA TIENE UN ESCENARIO POR DELANTE Y QUIERE CENTRAR SU ATENCIÓN EN LA HEMOFILIA B!

POR SHELLY FISHER

Apenas dos días después de que comenzó noviembre, Joshua sacó tiempo de un domingo tranquilo para hablar sobre el último año de secundaria, sus objetivos futuros y su pasión por devolver algo a la comunidad de hemofilia B. Con gran parte del año escolar ya transcurrido, Joshua admitió un poco de “seniority” y estuvo deseando comenzar la siguiente etapa de su vida.

Cuando le preguntaron cómo iba en la escuela, Joshua respondió simplemente: “La escuela va bien.” Aunque disfruta de la historia, su verdadera pasión reside en el modelaje y la actuación. Joshua asistió a clases de teatro durante su primero, segundo y tercer año y se siente seguro de las habilidades que adquirió. “Soy muy bueno memorizando líneas y sabiendo dónde estar”, compartió. “Pero la actuación teatral y la de cine son muy diferentes. Quiero salir en una película, no en una obra de teatro.

Joshua ha ido construyendo su portafolio y currículum con el apoyo de una agencia de talentos y clases de interpretación, manteniendo abiertas sus opciones. “Los actores no pueden ser exigentes. Deberían ser flexibles”, dijo. Abierto a una gran variedad de géneros cinematográficos, desde acción hasta comedia, Joshua es igual de adaptable en lo que respecta al modelaje. “Me encanta un buen conjunto. Yo modelaré lo que se me presente.”

Fuera del colegio, a Joshua le gusta pasar tiempo con sus amigos, a menudo pasando el rato en el centro comercial o relajándose juntos. Conocido como “la madre” del grupo, es quien recuerda a todos que actúen con responsabilidad



y mantengan la calma en público. Si un amigo está decaído, Joshua es rápido en intervenir con ánimo y humor, aunque admite que a menudo es el blanco de las bromas de sus amigos.

Joshua siempre ha sabido que tiene hemofilia B, pero no fue hasta cuarto de primaria, tras lesionarse el hombro en el recreo, cuando experimentó síntomas graves que requirieron una infusión. Todavía siente algo de hormigueo y entumecimiento en esa zona, pero eso no le ha impedido hacer las cosas que le gustan. Su hematólogo sigue supervisando el problema, y Joshua sigue abierto a explorar la fisioterapia si es necesario.

Cuando le preguntaron qué consejo daría a alguien recién diagnosticado, Joshua respondió con su característica facilidad. “Tienes que vivirlo. No te ancla a la defensiva. Solo tienes que estar consciente. Nunca me impidió hacer lo que quería hacer.”

La Coalición para la Hemofilia B ha desempeñado un papel importante en la vida de Joshua, proporcionando educación, recursos y conexión para su familia. Disfrutó especialmente de la programación juvenil en los simposios de CHB y recientemente asistió al evento de Florida, donde le encantaba visitar un museo interactivo con sus compañeros. “Hay algo especial en hacer cosas así con personas que entienden por lo que estás pasando”, dijo.

Joshua también es voluntario en su comunidad local de trastornos hemorrágicos y actúa como líder juvenil en campamentos, donde la inclusión y la conexión son lo que más le importan. Con un escenario claramente en su futuro, Joshua espera aprovechar todos los focos para concienciar sobre la hemofilia B. “Quiero mostrar a la gente que pueden hacer lo que quieran”, compartió. ¡La primera escena de Joshua acaba de empezar — acción!



Inspirado con

Historias y Obras de Arte Hechas por los
Adolescentes de la Comunidad De Hemofilia



OTOÑO 2025

EN ESTE NÚMERO:

- MADDIE SE ENFRENTA AL DESAFÍO Y ESPERA CON ENTUSIASMO APOYAR A LA COMUNIDAD DE HEMOFILIA B
- ¡LUCES! ¡CÁMARA! ¡ACCIÓN! ¡JOSHUA TIENE UN ESCENARIO POR DELANTE Y QUIERE DESTACAR SU ATENCION EN LA HEMOFILIA B!



¡CONOCE A JOSHUA!



¡CONOCE A MADDIE!

SE BUSCAN: ¡CREADORES DE CONTENIDO ADOLESCENTES!

¡Llamando a todos los creadores de contenido! Si tienes un corazón para los preadolescentes / adolescentes y un impulso para la creación de contenido, entonces nos encantaría que ofrecieras tu tiempo y talento como voluntario con nosotros. La Coalición para la Hemofilia B actualmente está aceptando voluntarios para colaborar en una nueva sección del boletín para aquellos jóvenes de 11 a 18 años muy espediales en nuestra comunidad.

No se requiere experiencia, ya que contamos con un equipo listo para pulir tus brillantes ideas para publicación. Si tienes ideas para temas, eventos y nuevas secciones, trabajemos juntos en ello: ¡contacta con mattm@hemob.org para conocer tus próximos pasos!

