

# EL MUNDO DE LA HEMOFILIA

[www.wfh.org](http://www.wfh.org) | [www.hemophiliaworld.org](http://www.hemophiliaworld.org)



## EN ESTE NÚMERO

Gran impacto del Congreso Mundial 2016 de la FMH

Se exploran opciones para la administración de la terapia génica

Presentación de herramienta interactiva de recursos de la FMH

Tratamiento para todos es la visión de todos: Día mundial de la hemofilia 2016



FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA  
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE  
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

El Congreso Mundial 2016 de la FMH lleva los últimos avances científicos a la comunidad de trastornos de la coagulación



# Gran impacto del Congreso Mundial 2016 de la FMH

El Congreso Mundial 2016 de la FMH realizado el pasado mes de julio resultó todo un éxito, con una cifra récord que alcanzó 5,482 asistentes de 137 países. El evento marcó el primer congreso celebrado en Estados Unidos en más de 25 años.

El Congreso, principal evento para la comunidad mundial de trastornos de la coagulación, tuvo lugar en el Centro de Convenciones del Condado de Orange (CCCO), en Orlando, Florida, sede ideal para satisfacer las necesidades de los congresos mundiales de la FMH. El salón de exhibiciones estaba muy bien ubicado, de modo que los asistentes al congreso nunca se encontraron a más de unos minutos a pie de cualquier sesión. Todos los hoteles oficiales del congreso estaban igualmente situados muy cerca del CCCO, lo que contribuyó a hacer de este Congreso una experiencia muy conveniente para los participantes.

Como en ocasiones anteriores, el Congreso Mundial 2016 de la FMH ofreció contenido científico detallado, motivadoras historias de pacientes y un entretenido programa social. “Ofrecemos a los participantes una rica mezcla de experiencias”, explicó el presidente de la FMH, Alain Weill. “Las personas vienen a conocer los últimos avances científicos en el campo de los trastornos de la coagulación, pero también a entrar en contacto con miembros de la comunidad y a establecer una red de apoyo que perdurará toda la vida.”

El programa médico abarcó sesiones sobre todos los temas de más importancia y actualidad en el campo de los trastornos de la coagu-

lación, entre ellos una mirada a los productos de factor de semivida prolongada; innovaciones en la inducción de la inmunotolerancia en hemofilia; control de inhibidores; terapia génica; enfoque genómico en los trastornos de la coagulación; y avances en la comprensión de inhibidores. El programa multidisciplinario cubrió una cantidad igualmente amplia de tópicos, tales como atención al paciente, nuevos productos de semivida prolongada, mujeres con hemofilia, el impacto de la profilaxis en niños, actualización sobre el efecto de la hepatitis C en pacientes con hemofilia, y envejecimiento y hemofilia. Varios de los eventos fueron elegibles para recibir acreditación de educación médica continua o unidades de educación continua.

Muchos pacientes participaron en el congreso para compartir sus historias sobre lo que implica vivir con hemofilia y manejar el trastorno. Muchos de sus familiares también estuvieron presentes para compartir sus propias perspectivas. Jeanne White-Ginder contó su propia historia como portavoz de las personas con sida. Kari Atkinson habló sobre lo que representó para su familia el diagnóstico de hemofilia y un inhibidor de su hijo Beau. Gerard O'Reilly abordó su experiencia con la hemofilia y la hepatitis C.

El programa social constituyó otro aspecto destacado del Congreso. La ceremonia de inauguración tuvo lugar después de una novedosa charla con formato de panel de discusión durante la que el presidente de la NHF, Jorge de la Riva, el presidente de la FMH, Alain Weill, el director ejecutivo de la FMH, Alain Baumann, y el director ejecutivo de la NFH, Val Bias, abordaron sus metas compartidas de apoyar a las personas con trastornos de la coagulación. El martes, cientos de personas participaron en la recepción para establecer contactos, ofrecida por el país anfitrión en el Pabellón Mundial Epcot®. Conformaron la velada una cena gastronómica, baile y la inesperada visita de Mickey, Minnie, Donald y Pluto.

El Congreso Mundial 2016 de la FMH no habría podido ser posible sin la generosidad de un dedicado grupo de voluntarios. Este año, 80 de ellos fueron personal de la NHF y del capítulo de Florida de la NHF, quienes colaboraron con nuestro Congreso justo después de la conclusión de la 68ª reunión anual de la NHF.

La FMH desea agradecer el apoyo de todos los participantes, patrocinadores, y de la NHF. Luego de un exitoso congreso más, esperamos darles la bienvenida a todos en Glasgow, en 2018.



## EL MUNDO DE LA HEMOFILIA

OCTUBRE 2016 • VOLUMEN 23, NO. 2

### Presidente

Alain Weill

### Comité editorial

Antonio José Almeida

Alain Baumann

Jens C. Bungardt

Paula Curtis

Magdy El-Ekiaby

Sarah Ford

Assad Haffar

Michel Semienchuk

### Editor

Michel Semienchuk

### Colaboradores

Antonio José Almeida

Alain Baumann

Mark Brooker

Jens C. Bungardt

Paula Curtis

Roddy Doucet

Sarah Ford

Vanessa Herrick

Nicola Hope

Deb Nerud

Stephanie Pineda

Fiona Robinson

Marlene Spencer

Michel Semienchuk

Vicky Uhland

### Producción gráfica

Em Dash Design

### Producción e impresión

AS Lithographe

### Fotos

© 2016 World Federation of Hemophilia (WFH)

Las opiniones expresadas en *El mundo de la hemofilia* no necesariamente reflejan las de la FMH. Se permite la traducción y/o reproducción del contenido de *El mundo de la hemofilia* a organizaciones de hemofilia interesadas, siempre que se haga un reconocimiento apropiado de la FMH.

This publication is available in English.

Cette publication est disponible en français.

Traducido al español por Rosi Dueñas.

*El mundo de la hemofilia* está disponible en formato PDF en [www.wfh.org/PDF](http://www.wfh.org/PDF).

### COMUNÍQUESE CON NOSOTROS A:

1425, boul. René-Lévesque Ouest Bureau 1010  
Montréal, Québec H3G 1T7 Canada

Tel: +1 (514) 875-7944

Fax: +1 (514) 875-8916

Correo-e: [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)

Internet: [www.wfh.org](http://www.wfh.org)



FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA  
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPIHILIE  
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA



# Plataforma de aprendizaje electrónico de la FMH

Fácil acceso a todos los recursos en un solo lugar

[eLearning.wfh.org](http://eLearning.wfh.org)



**FMH**

FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA  
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE  
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

# Presidente de la FMH: La enseñanza es la otra variable de la ecuación del Tratamiento para todos

En 1942, Antoine de Saint Exupéry, autor de *El Principito*, escribió a un amigo: "Lejos de perjudicarte, ser diferente te enriquece."

Casi 75 años después, sigue siendo importante para todos los miembros de la comunidad de trastornos de la coagulación reflexionar sobre tal verdad, afirmó Alain Weill, presidente de la FMH, durante la plenaria titulada: "Tratamiento para todos: La otra variable de la ecuación".

Si bien se ha avanzado mucho en la comunidad de trastornos de la coagulación con respecto a la concientización y el tratamiento, Weill aseveró que todavía queda mucho por hacer.

Algunos de los acontecimientos recientes abarcan la ampliación del Programa de ayuda humanitaria de la FMH. Entre 1996, cuando arrancó el programa, y 2011, el volumen promedio anual de unidades internacionales (UI) de factor de coagulación donado a países en vías de desarrollo fue de 10.5 millones. Entre 2012 y 2014, los donativos de factor aumentaron a 25.5 millones de UI anuales, y estos se dispararon a 116 millones de UI durante los pasados 12 meses.

Además de ofrecer más opciones de tratamiento, Weill comentó que otro objetivo es aprovechar el Programa de ayuda humanitaria de la FMH para demostrar a funcionarios gubernamentales la manera en la que el tratamiento adecuado permite a las personas con hemofilia llevar vidas normales y participar activamente en las actividades económicas y sociales de sus países.

Lo anterior es esencial porque muchas personas de la comunidad mundial de hemofilia todavía enfrentan frustración, discriminación e intolerancia. "Esta inequidad es lo que impulsa mi pasión por las labores de cabildeo", declaró Weill. "Debemos eliminar el estigma relacionado con los trastornos de la coagulación y no debíamos aceptar ninguna otra opción."

Aun en países desarrollados puede sentirse como si la sociedad estuviera contra las personas con trastornos de la coagulación y sus familiares, comentó Weill. El costo del tratamiento puede ser prohibitivo; las oportunidades de empleo pueden ser limitadas. En algunos países, una persona con discapacidad no puede obtener un préstamo bancario. Y en muchos países no es inusual que proveedores



Alain Weill, presidente de la FMH.

de atención médica temerosos nieguen servicios a personas con hemofilia.

Los niños con trastornos de la coagulación siguen enfrentando discriminación, abundó Weill. En una cantidad considerable de países, cuando a un niño se le diagnostica un trastorno de la coagulación, muchas familias enfrentan dificultades devastadoras. En algunos casos, cuando un niño con hemofilia alcanza la edad escolar, algunos profesores mal informados piensan que los trastornos de la coagulación son contagiosos y aíslan al niño de sus salones de clase. "Además de tener que lidiar con su deficiencia de factor, muchos niños también tienen que hacer frente a su ansiedad, depresión y aislamiento."

Pero hay medidas que los miembros de la comunidad de trastornos de la coagulación pueden tomar para combatir esta discriminación e intolerancia. Una manera es informar a gobiernos y líderes sobre la legislación y reglamentación existente para proteger a las personas con discapacidades. Entre éstas se cuentan el artículo 1º de la Declaración Universal sobre Derechos Humanos, adoptada en 1948, y la Convención de las Naciones Unidas sobre los derechos de las personas con discapacidades, aprobada en 2006.

Asimismo, la FMH recientemente extendió su compromiso a través de su plan de acción Transforma 2016, el cual incrementa el número de gerentes de programas regionales en todo el mundo a fin de valorar situaciones regionales y ofrecer soluciones.

La FMH también se convertirá en miembro de Rare Diseases International, organización internacional enfocada a las enfermedades poco comunes, cuyo principal objetivo es convencer a las Naciones Unidas de hacer de las enfermedades poco comunes una prioridad internacional.

Weill urgió a cada miembro de la comunidad de trastornos de la coagulación a pensar también a escala local cuando se trata de actividades educativas. "Conforme participan en el Congreso, reúnan todas las herramientas con las que puedan volver a sus comunidades y que les permitan ayudar a marcar una diferencia a través de las labores educativas", agregó.

"Porque cuando enseñamos a las personas a entender que ser un paciente con un trastorno poco común no es lo que define quién es esa persona, y en lugar de eso la percibimos como un miembro activo de la sociedad que enriquece a su comunidad, demostraremos que efectivamente es verdad que el máximo resultado de la enseñanza es la tolerancia."

# Vicepresidente médica de la FMH: El futuro del tratamiento de la hemofilia es muy prometedor

El tratamiento de la hemofilia ha iniciado un periodo muy interesante, con nuevos productos que ponen el diagnóstico y el tratamiento a disposición de un mayor porcentaje de la población que nunca antes, declaró la doctora Marijke Van den Berg, vicepresidente médica de la FMH, durante su ponencia plenaria en el Congreso Mundial 2016 de la FMH.

La sesión abarcó una gama de estudios en personas con hemofilia A grave que demuestran la manera en que la profilaxis precoz puede prevenir hemorragias y es clave a fin de lograr resultados más positivos para las articulaciones. En estos modelos, la profilaxis reemplaza al tratamiento episódico, que ha sido un régimen para el tratamiento de la hemofilia frecuentemente utilizado desde los años setenta.

“El tratamiento moderno de la hemofilia ha modificado completamente el fenotipo, pero no en países donde el tratamiento precoz no está disponible”, agregó.

Van den Berg citó un extenso estudio estadounidense de pacientes con hemofilia A grave, dividido en cuatro cohortes por fecha de nacimiento. Aun en el grupo etario nacido en los años ochenta, el grado de discapacidad fue alto, explicó, con un promedio de más de cinco hemorragias articulares en un periodo de seis meses, a pesar de un elevado consumo de factor de coagulación.

El amplio estudio internacional de la función musculoesquelética en niños con hemofilia A grave (MUSFIH por sus siglas en inglés) demostró que se presentaban hemorragias importantes aun con dosis muy altas de factor, sostuvo Van den Berg. El estudio también demostró que el resultado de la salud articular está correlacionado con el número de hemorragias, y no con la dosis del tratamiento episódico. La comprensión de lo anterior es clave, particularmente porque la función articular se deteriora después de los 12 años de edad y las señales de pérdida de la función articular a menudo son visibles durante la pubertad debido a los estirones del crecimiento.

La doctora Van den Berg citó también un pequeño estudio aleatorio que demuestra que la profilaxis con dosis bajas, y no el tratamiento episódico, reduce las hemorragias en un 80 por ciento. La investigación también muestra que el diagnóstico precoz es crucial. “Recuerden que más del 50 por ciento de los pacientes con hemofilia A grave tiene un historial familiar negativo”, acotó.



Marijke Van den Berg, vicepresidente médica de la FMH, aborda los nuevos avances en el tratamiento de la hemofilia.

¿Pero cuándo y cómo iniciar la profilaxis? Van den Berg declaró que las investigaciones apuntan a que la clave es iniciarla antes de los 3 años de edad porque los puntajes de los exámenes físicos, que documentan el daño articular, aumentan cuando se retrasa el tratamiento. La investigación también demuestra que la profilaxis con dosis bajas debería administrarse por lo menos una vez a la semana.

Existe una correlación entre los puntajes articulares y las dosis de factor de reemplazo. “Con dosis de 1,000 a 1,500 hay mucho que ganar”, explicó Van den Berg. Las buenas noticias para las personas en países en vías de desarrollo donde el abasto de factor es limitado consisten en que los datos demuestran que la profilaxis de por vida con dosis de 1,000 UI/kg es mucho más eficaz que el tratamiento episódico. “Los resultados pueden mejorarse considerablemente con un consumo limitado de factor”, aseveró.

Sin embargo, para implementar la profilaxis de dosis bajas son indispensables centros de atención integral, comentó Van den Berg, quien recientemente visitó dos centros internacionales de capacitación en hemofilia que constituyen excelentes ejemplos de lo anterior: El centro de Campinas, Brasil, encabezado por la doctora Margareth Castro Ozelo, y el centro de Johannesburgo, Sudáfrica, bajo la dirección

del doctor Johnny Mahlangu. El centro de Johannesburgo atiende a 1,200 pacientes, con un impresionante 35 por ciento de profilaxis y terapia en el hogar.

Desafortunadamente, estos centros son la excepción. Datos recientes de África demuestran que ni siquiera el cinco por ciento de las personas con hemofilia ha sido diagnosticado. “La razón principal es que el tratamiento disponible es insuficiente o nulo”, explicó Van den Berg.

El Programa de ayuda humanitaria de la FMH enfrentará este déficit de manera sustancial. Entre 2016 y 2020 se planea que el programa ofrezca un abasto predecible de 500 millones de UI de factor, declaró Van den Berg. La disponibilidad de productos de tratamiento conducirá a más diagnósticos, lo que desembocará en más capacitación y, en algunos casos, en cirugías correctivas.

En conclusión, Van den Berg afirmó que las pruebas demuestran que solamente la profilaxis primaria puede evitar la enfermedad articular, y que el tratamiento episódico no constituye un régimen adecuado para casos de hemofilia A grave. Cuando se han presentado hemorragias articulares, los signos de artropatía aparecen aun con dosis profilácticas muy altas.

# Un nuevo e interesante aspecto del sistema de coagulación

Ya conocemos todos los elementos del sistema de coagulación, ¿cierto? La trombina es una enzima clave en el sistema que controla la formación de coágulos; poca o demasiada trombina puede generar ya sea una trombosis o una hemorragia.

Durante la plenaria médica titulada “Repensar los sucesos del proceso hemostático: El papel del factor V y el TFPI”, que formó parte del Congreso Mundial 2016 de la FMH, Rodney Camire, del Hospital Infantil de Filadelfia, Estados Unidos, explicó que varios inhibidores generados a través de las rutas de coagulación intrínseca y extrínseca, que afectan al factor Xa y a la protrombina misma, inciden en la regulación de la trombina. “Al frenar a los inhibidores se puede controlar la trombina”, afirmó.

Camire compartió su experiencia con cientos de asistentes y explicó que “de algunas maneras, el FV es muy similar al FVIII y debe ser procesado en sitios específicos”. No obstante, agregó, el FV es un procofactor que requiere activación proteolítica incluyendo la eliminación del dominio B. Señaló que un paso importante en la generación de trombina es la activación del FV a FVa. Existe una amplia creencia de que uno de los papeles del dominio B es bloquear la actividad del procofactor FV.

Camire y su equipo de investigación estudiaron la manera en la que las dos regiones del dominio B, la región básica (RB) y la región ácida (RA), contribuyen a mantener la molécula en este estado inactivo. No obstante, descubrieron que existe un discreto segmento del dominio B que desempeña una función autoinhibidora esencial que mantiene al FV como procofactor. “La eliminación de esta región es la fuerza impulsora para desvelar un sitio de unión de elevada afinidad para el FVa”, explicó. Camire afirmó que algunas serpientes australianas tienen una forma única de FV en su veneno que carece de estas secuencias inhibitorias, de modo que crean un cofactor procoagulante activo.

El inhibidor de la ruta del factor tisular (*tissue factor pathway inhibitor* o TFPI por sus siglas en inglés) normalmente existe en dos variantes en la sangre: TFPI $\alpha$  and TFPI $\beta$ . El TFPI se une al FV en el plasma, pero no tiene afinidad con el FVa. “Existen de dos a tres tipos diferentes de FV que se generan durante el inicio de la coagulación y que son sensibles al TFPI $\alpha$ ”, explicó Camire.



Rodney Camire

Camire también afirmó que se ha informado de nuevas formas fisiológicas del FV. Citando una investigación del este de Texas (EE. UU.), describió a una familia de personas con un trastorno de la coagulación moderadamente grave que presentaba una mutación en el exón 13 del FV, la cual afecta el corte y empalme de su transcripción. La forma resultante del FV esencialmente carece de gran parte del dominio B, incluso la RB, pero conserva la RA. Conocido como FV corto, se ha demostrado que esta forma de FV se une al TFPI $\alpha$ . Se demostró que estos pacientes tienen una concentración fisiológica de TFPI $\alpha$  10 veces mayor a la normal. Lo anterior, junto con otras investigaciones, ha generado la hipótesis de que el TFPI $\alpha$  altera la función de diferentes formas del FVa, lo que a su vez incide en la generación de trombina. Actualmente este es un objetivo terapéutico para el tratamiento de la hemofilia.

Camire concluyó explicando que las pruebas sugieren que bloqueando la función del TFPI y la inhibición de la activación del FV podría mejorarse la coagulación. “Los anticuerpos enfocados al TFPI se están sometiendo a pruebas clínicas. Secuencias específicas del dominio B del FV constituyen elementos autoinhibidores clave, encargados de mantener al FV como un procofactor. Desmantelar estas secuencias causa la activación del FV.

# Nuevas terapias para el control de inhibidores podrían revolucionar el tratamiento de la hemofilia

Teniendo en cuenta que el tratamiento de la hemofilia cuando se presentan inhibidores sigue siendo problemático, y que los inhibidores podrían ser una consideración importante para nuevos enfoques tales como la terapia génica, resulta particularmente relevante que en una sesión del Congreso Mundial 2016 de la FMH se analizaran terapias alternativas para el control de inhibidores.



Midori Shima

Midori Shima, de la Universidad Médica Nara, en Japón, encabezó esta sesión diseñada para ayudar a los participantes a entender la siguiente generación de tratamientos para personas con hemofilia e inhibidores. “El objetivo de la sesión es resumir los actuales conceptos sobre la aparición de inhibidores y su erradicación desde el aspecto inmunológico, y presentar las nuevas terapias”, explicó Shima. El doctor David Lillicrap, de la Universidad Queen’s, en Canadá, presentó nuevas hipótesis sobre las causas de los inhibidores y su eliminación. Rebecca Kruse-Jarres, de la Universidad de Washington, en Estados Unidos, abordó el tema del FVIII recombinante porcino como un poderoso terapéutico hemostático.

Shima resumió detalles de los ensayos clínicos de tres nuevos productos: un anticuerpo biespecífico anti-FIXa/X (emicizumab) –en el que participa directamente–; un terapéutico anti-antitrombina con ARN de interferencia (fitusiran) y un anticuerpo anti-TFPI (concizumab).

# Se exploran opciones para la administración de la terapia génica

Este año, el Congreso Mundial de la FMH ofreció una sesión en la que científicos que participan en enfoques de terapia génica para el tratamiento de la hemofilia ofrecieron actualizaciones sobre los avances en la administración de terapias a través de células precursoras, edición del genoma y vectores virales adenoasociados (VAA) enfocados al hígado. El doctor David Lillicrap, de la Universidad de Queen's en Canadá, encabezó esta sesión y resumió el impulso de la terapia génica médica como notable.

Christopher B. Doering, de la Universidad Emory, en Estados Unidos, guió al público a través del proceso del uso de células precursoras o células madre en la terapia génica para la hemofilia A. La tecnología celular se aplicó por primera vez a las células T en los años noventa, pero cuestiones de seguridad hicieron necesario el retorno de la investigación a los laboratorios académicos, comentó Doering.

“Las células precursoras son poblaciones poco comunes de células no especializadas que se renuevan por sí mismas y que pueden transformarse en otras células”, inició Doering. “Las células (de la sangre) donadas por una persona que no tiene el trastorno se trasplantan al paciente. Para poder aplicar (este método) en casos de hemofilia podría ser necesaria la transferencia de genes.” Doering agregó que algunas veces es posible utilizar las propias células del paciente, recolectadas periféricamente o de la médula ósea. Para poder implantar células precursoras, algunas de las células del paciente deben destruirse primero a fin de crear “espacio” para las nuevas células.

Entre los desafíos para combinar la transferencia genética y las células precursoras en casos de hemofilia se cuentan la optimización de la expresión transgénica y la biosíntesis del producto, el acondicionamiento pretrasplante seguro y eficaz, y la fabricación del vector viral, declaró Doering. “Las células precursoras pueden durar toda la vida de una persona, de modo que representan una posible cura. Solamente necesitamos enfocarnos a unas cuantas células ya que cada célula precursora producirá cientos de células hijas.”

La Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos ya aprobó el diseño de un ensayo médico piloto con un único lugar de estudio en la Universidad de Emory, Estados Unidos.

Matthew Porteus, del Hospital Infantil Lucille Packard, en Estados Unidos, explicó que la edición del genoma es un método para corregir variantes causantes de enfermedades. “Se trata de una mutagénesis precisa y controlada del genoma. La creación de una escisión en el

ADN hará que las células busquen dicha escisión y la reparen. De modo que podemos estimular mutaciones en el lugar de la escisión.”

Esta reparación podría cambiar la secuencia del ADN por una que ya exista en el genoma o por otra nueva usando biología sintética. Esta segunda opción “crea un nuevo fenotipo terapéutico en la célula. En el caso de la hemofilia podría utilizarse para expresar excesivamente un factor de coagulación”, describió Porteus.

La recombinación homóloga para modificar variantes nucleótidas individuales implica la administración de una nanopartícula con un vector VAA. “En la investigación de la anemia de células falciformes existe una tasa de éxito aproximada de 20 por ciento. También es posible insertar un casete génico en un puerto seguro o en un lugar único en el genoma”, agregó Porteus.

“La adición transgénica sin inactivar al gene objetivo o activándolo para que se transforme en un gene de expresión excesiva ofrece algunas aplicaciones interesantes”, señaló Porteus. “Existen oportunidades y desafíos para la edición genética *in vivo* en la hemofilia. No habría necesidad de administrar a los pacientes agentes acondicionadores y es un método potencial para editar células que naturalmente producen factores de coagulación.” No obstante, una desventaja radica en una relativa incapacidad para monitorear la eficacia y los efectos distintos al objetivo deseado, agregó.

Porteus señaló que una cuestión ética de la edición del genoma radica en su equidad y su distribución, y en cómo ponerla a disposición de personas con hemofilia en todo el mundo.

Brigit E Riley, de Sangamo BioSciences, en Estados Unidos, ofreció nueva información sobre la terapia génica del FVIII usando un vector VAA. “El uso de vectores VAA en ensayos clínicos y preclínicos para el FIX ha tenido éxito; sin embargo, hay un rezago en los ensayos clínicos para el FVIII.”



Christopher Doering habla sobre las posibilidades de las células precursoras.

Mencionó que se está explorando la terapia génica usando vectores VAA con ADNc de FVIII enfocados al hígado. El VAA recombinante es eficaz y estable a largo plazo en tejidos que no se dividen, tales como los del hígado, el cerebro y los músculos. Esto ofrece la posibilidad de producción a largo plazo de un gene de interés en el hígado. No obstante, el gene del FVIII no es ideal para administrarse con un vector VAA debido a su gran tamaño y a la baja eficiencia en la transcripción/traducción. Estos desafíos pueden superarse parcialmente mediante modificaciones multifactoriales. “Con las modificaciones, el rendimiento del virus se mejoró de 8 a 10 veces”, sostuvo Riley.

Señaló que los datos de experimentos *in vitro* muestran una buena correlación entre la actividad y las concentraciones del FVIII con una gama de dosis. *In vivo*, la expresión del casete de FVIIIh (FVIII humano) del vehículo VAA en ratones silvestres generó una expresión del FVIII dos veces mayor a la concentración fisiológica normal. Otros experimentos en un modelo de ratón con hemofilia A demostraron actividad del FVIII *in vivo* tres veces mayor a las concentraciones fisiológicas normales, y las concentraciones se mantuvieron estables a lo largo del tiempo; también se observó una disminución en el tiempo de la hemorragia. En primates no humanos, experimentos similares *in vivo* arrojaron concentraciones de FVIII de cuatro a seis veces mayores que las concentraciones fisiológicas normales. “El objetivo de los estudios de seguimiento de dosis es determinar cuál sería la dosis mínima”, dijo Riley.

A pesar de todos estos interesantes avances, todavía es necesario abordar el desafío de los incentivos financieros. Porteus reflexionó que “sin un modelo de reembolso establecido para la administración de la terapia génica una sola vez, surge la pregunta de si las partes interesadas están dispuestas a arriesgarse con terapias curativas experimentales que tienen una base conceptual diferente, cuando el paradigma actual ha transformado las vidas de las personas con hemofilia”.

# El rostro de los inhibidores: Pacientes, familiares y proveedores de cuidados comparten sus historias

Los inhibidores afectan a entre 20 y 40 por ciento de las personas con hemofilia A. Durante el Congreso Mundial 2016 de la FMH, pacientes, familiares y proveedores de cuidados afectados por este raro padecimiento participaron en un panel de discusión que le puso rostro a sus tribulaciones y triunfos.

Kari Atkinson, con su hijo Beau de 13 años a su lado, hizo una conmovedora presentación de lo que ha sido la vida para ella, Beau, su marido Craig y su hija Jordan desde que a Beau le diagnosticaron hemofilia y un inhibidor.

Cuando Beau tenía tan solo seis meses de edad le diagnosticaron hemofilia A grave. Kari y Craig estaban conmocionados porque no había historial de hemofilia conocido en sus familias. Tampoco tenían idea de que la situación empeoraría.

Cuando a los 18 meses de edad Beau se sometió a pruebas de rutina, los médicos descubrieron un inhibidor. “La detección de ese inhibidor literalmente puso nuestro mundo de cabeza”, contó Kari. “Es tan diferente de la hemofilia normal. Rezamos todas las noches por que pudiéramos tener solo hemofilia normal.”

El inhibidor de Beau afecta a toda la familia”, explicó Kari. “Cualquier persona en esta sala sabe de la cantidad de lágrimas y noches en vela.” El inhibidor inicialmente presentó un título bajo y el primer tratamiento resultó eficaz durante cuatro años. Cuando el primer tratamiento ya no era eficaz, el siguiente tratamiento solamente podía usarse durante un año. Desde 2012, Beau, su familia y sus proveedores de atención han estado luchando por controlar su inhibidor con tratamientos de factor diferentes e insertando puertos dos veces.

“El costo de la atención pasó de 250,000 dólares anuales para la hemofilia a entre un millón y un millón y medio de dólares anuales para el inhibidor, dependiendo del número de hemorragias”, agregó Kari.

Controlar la hemofilia y el inhibidor de Beau es realmente un compromiso de toda la familia, declaró Kari. “Tenemos que estar en alerta máxima todo el tiempo. (Cuando se presenta una hemorragia) nuestra realidad es cuestión de minutos entre caminar, muletas y una silla de ruedas. No importa si estamos en el carro o en el parque, la infusión es inmediata.”

En la escuela, Beau se forma al final de la fila para evitar empujones. No puede participar en las actividades recreativas, pero sus amigos lo apoyan mucho. “Otros pacientes con inhibidores son como una familia más allá de una familia, más allá de una familia”, aseguró Kari.

“Se necesita a toda una comunidad para criar a un niño con hemofilia y a una comunidad aún mayor para criar a un niño con un inhibidor.”



Beau Atkinson observa mientras su madre Kari habla sobre cómo la familia enfrenta su hemofilia A grave complicada por un inhibidor.

Pero hay muchos aspectos positivos, declaró Kari, mientras Beau sonreía a su lado. Actualmente, Beau recibe tratamiento de inducción a la inmunotolerancia cada tercer día con un factor de larga duración. Los niveles de su inhibidor aumentaron inicialmente, pero ahora se encuentran estables.

A Augustus Nedzinkas, joven lituano de 29 años, le diagnosticaron hemofilia A con un inhibidor cuando tenía 14 meses de edad. En esa época, el tratamiento de la hemofilia era rudimentario en Lituania, y “algunas veces la hemorragia no se detenía hasta que la articulación se había expandido al máximo”, aseveró.

A pesar de todo, le fue posible asistir a la escuela pública, graduarse de la universidad, obtener un empleo de tiempo completo y hasta practicar buceo.

Durante varios años, el inhibidor de Augustus presentó niveles bajos, de modo que en el 2012 sus médicos decidieron probar un tratamiento de inducción a la inmunotolerancia de altas dosis, con 100 UI/kg dos veces al día. Este tipo de tratamiento nunca antes se había utilizado en Lituania, pero resultó todo un éxito. Durante el primer mes, el inhibidor de Augustus se redujo a menos de cero.

“Entonces me recetaron un régimen profiláctico diario y eso hizo mi vida muy feliz”, declaró.

“Lo primero que hice fue irme de pesca con arpón y ganarme mi pescado trofeo. Cambié la caja de velocidades de mi carro de automática a manual. Y me casé”. Tiene programada una cirugía de reemplazo de rodilla para el año próximo. “Ahora puedo planificar cosas sin temer que mi salud sea un problema. Todo lo

que tengo que hacer es autoadministrarme una infusión cada mañana”, comentó.

Kuixing Li, enfermera del Hospital Universitario Unión en Pekín, China, habló sobre los inhibidores desde la perspectiva de los proveedores de cuidados.

Uno de sus pacientes era un niño de 9 años con un inhibidor. “Estaba en silla de ruedas, a menudo perdía la compostura y siempre estaba enojado”, explicó Kuixing. “Algunas veces quería dejar su tratamiento.” Su familia no podía permitirse el factor y en su lugar tenían que usar concentrados de complejo de pro-trombina (CCP).

El chico finalmente dejó el hospital después de una hemorragia cerebral. Un día, Kuixing llamó a la abuela para saber cómo se encontraba su paciente. “Esta historia no termina bien”, dijo con la voz entrecortada. “Supe que había muerto porque no pudieron detener una hemorragia.”

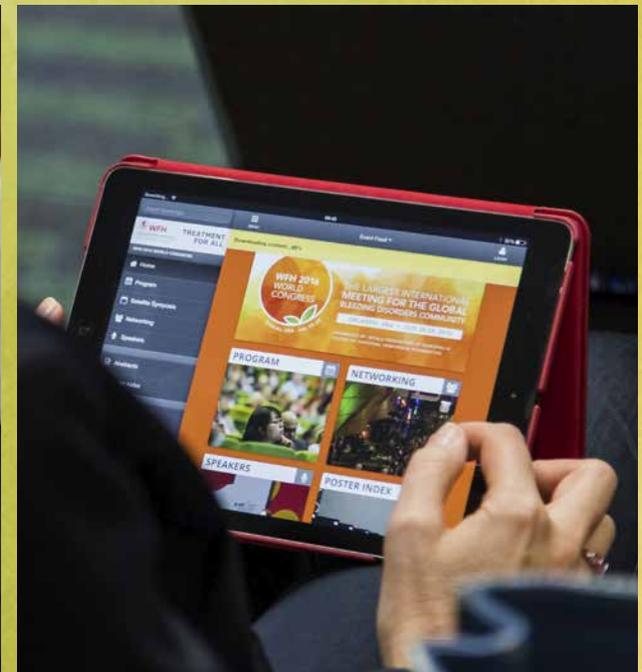
Esto no es poco común en China, donde se calcula que hay de 100,000 a 150,000 personas con hemofilia. “Algunas veces pienso que si la FMH quisiera establecer su meta de *Tratamiento para todos* debería mudar su oficina a China”, dijo Kuixing riendo.

En 2015, había solamente 31 centros de tratamiento de hemofilia en toda China, pero esa cifra representa un incremento notable en comparación con los seis centros que había en 2007. Igualmente, el padrón nacional solo tiene registrados a cerca de 20,000 pacientes.

Luego de un programa nacional del 2008 al 2011 para detectar inhibidores en personas con hemofilia, Kuixing explicó que el gobierno chino creó un plan para el control de inhibidores que abarca la infusión de CCP después de una hemorragia y profilaxis en dosis bajas. Funciona para el 50 por ciento de los pacientes, declaró. Entre tanto, los foros chinos de charla en Internet están llenos de pacientes con inhibidores que no pueden permitirse el tratamiento con factor, de modo que optan por dosis peligrosamente elevadas de CCP.

“Para los proveedores de cuidados en China es un gran desafío proporcionar una buena atención a los pacientes con hemofilia”, afirmó Kuixing.

# El Congreso Mundial 2016 de



# La FMH en imágenes

CONGRESO  
MUNDIAL  
FMH 2016

Orlando, Estados Unidos · 24-28 de julio



# Repensar de una nueva manera los cuidados autoimpartidos

En 2007, Adam, el hermano menor de Patrick Lynch, murió a la edad de 18 años a causa de una hemorragia intracraneal. Tanto Patrick como Adam nacieron con hemofilia A grave.

En aquel momento, Patrick tenía solo 22 años. “Como es de imaginar, los meses –y francamente los años– posteriores fueron muy difíciles. Recuerdo haber dicho ‘(la hemofilia) se lo llevó. Se suponía que ya no nos pasara esto, pero se lo llevó’”, contó Patrick durante la plenaria titulada “Empoderamiento a través de los cuidados autoimpartidos”.

Desesperado por descubrir por qué había muerto Adam, Patrick buscó algún indicio. Lo encontró al fondo de un saco de ropa escondido en un rincón del dormitorio de la universidad en la que estudiaba Adam. El saco estaba lleno de factor. Patrick sospecha que su hermano había dejado de administrarse la profilaxis.

“Pasé mucho tiempo reflexionando sobre por qué dejó de seguir el régimen”, explicó Patrick. “Al final, determiné que fue porque mi hermano nunca se identificó como alguien que padecía un trastorno de la coagulación. Eso lo llevó a hacer a un lado su régimen.”

Patrick nunca ha sentido lo mismo. Presentó un inhibidor cuando era niño pero, gracias a la terapia de inmunotolerancia, lo eliminó cuando tenía 13 años. Pudo seguir un régimen profiláctico y vivir, como él dice, “una vida con mucho más empoderamiento”. Participó en el teatro de su escuela preparatoria y obtuvo una licenciatura en actuación de la Universidad de Boston.

Patrick siempre valoró los cuidados autoimpartidos para la atención de su hemofilia, pero la muerte de Adam le hizo darse cuenta de que otras personas –particularmente los niños– podrían no hacerlo.

“Me hizo pensar en la manera en la que, como comunidad, buscamos la participación de los jóvenes”, comentó. “Y descubrí una oportunidad para usar mi formación en actuación a fin de crear algo que no existía.” Su hermano no se conectó con la comunidad de trastornos de la coagulación de maneras tradicionales, pero, como a mucha gente joven, le encantaba la comedia y el Internet.

De modo que Patrick fundó una empresa, Believe Unlimited, y creó una serie de comedia para Internet inspirada en el programa de televisión “The Office”, llamada “Stop the Bleeding” (Paren la hemorragia). La serie –disponible en [stbhemo.com](http://stbhemo.com)– es un documental cómico sobre una organización sin fines de lucro disfuncional, dedicada a los trastornos de la coagulación. Se vale del humor para abordar serios problemas como los cuidados autoimpartidos y la autofusión, mujeres con trastornos de la coagulación, y la historia de la hemofilia.

“Queremos instruir a los jóvenes con trastornos de la coagulación, pero en realidad queremos ofrecerles una fuente de inspiración”, declaró Patrick. El objetivo es reemplazar el estigma y el miedo que genera la hemofilia con la idea de que el trastorno puede ser “simpático, buena onda o incluso reedificante”, agregó.

Luego del lanzamiento de “Stop the Bleeding”, la empresa de Patrick creó asimismo una serie de ponencias en vivo titulada “Powering Through”, así como los premios “Impact Awards” para reconocer a adolescentes con trastornos de la coagulación; también un podcast mensual titulado “Bloodstream”, y una serie de animación con figuras de masilla

llamada “Helping Hany” que analiza las implicaciones psicosociales de ser una niña con un trastorno de la coagulación. También ha producido videos para la serie de la FMH, *Tratamiento para todos*.

Todo esto encaja con la definición de cuidados de sí mismo de Patrick. “Mi trayectoria y mi comprensión de los cuidados autoimpartidos ha evolucionado”, afirmó. “No es solamente autoinfundirse, ejercitarse y seguir una buena alimentación. Para mí, la atención de sí mismo abarca retribuir a la comunidad y empoderarla.”

También reconoce que su “definición de cuidados autoimpartidos es privilegiada, un privilegio que no es accesible para el 75 por ciento de nuestra comunidad en países en vías de desarrollo”. Es por eso que considera que las personas de países desarrollados tienen la responsabilidad de ayudar a otros que no pueden autoinfundirse o poner en práctica otros aspectos de los cuidados autoimpartidos porque carecen de opciones de tratamiento. Esto puede abarcar preguntar a los fabricantes de productos cómo ayudan a las personas de países en vías de desarrollo y contribuir al Programa de ayuda humanitaria de la FMH.

“Extraño a mi hermano. Durante años pensé en él todos los días”, reveló Patrick con voz entrecortada. “Sigamos incrementando los esfuerzos a favor de nuestros hermanos y hermanas de países en vías de desarrollo de manera que algún día ellos también puedan disfrutar de una definición privilegiada de los cuidados autoimpartidos.”

## La FMH suscribe un memorándum de entendimiento con el Grupo de trabajo sobre hemofilia Asia Pacífico para apoyar a profesionales médicos de la región

La Federación Mundial de Hemofilia (FMH) colaborará con el Grupo de trabajo sobre hemofilia Asia Pacífico (APHWG por sus siglas en inglés) a fin de ayudar a mejorar la atención para las personas con hemofilia y otros trastornos de la coagulación hereditarios en dicha región. El APHWG está formado por médicos que administran tratamiento para la hemofilia

en países de la región y lo encabeza el doctor Alok Srivastava.

La fase piloto de este proyecto de colaboración empezará en el otoño, cuando ambas partes compartirán planes de trabajo para los años 2016 y 2017. Esto garantizará que las labores de desarrollo que se realicen en la región Asia Pacífico se complementen y apoyen las actividades programáticas de la FMH ya exis-

tentes. El principal enfoque del APHWG serán actividades educativas, de capacitación e investigación.

La FMH continuará sus labores de difusión en la región Asia Pacífico y confía en que esta alianza será provechosa para los pacientes con mayores necesidades, impulsando así nuestra visión de garantizar *Tratamiento para todos*.

# Lecciones de la NASA: ¿Qué se considera un grado adecuado de riesgo?

Desde los años ochenta, cuando unas 10,000 personas con hemofilia contrajeron el VIH después de recibir sangre contaminada, evaluar y gestionar el riesgo ha sido un principio fundamental para la comunidad de trastornos de la coagulación. Esto se aplica no solamente al abasto de sangre, la cual puede estar infectada con virus tanto conocidos como desconocidos, sino también al desarrollo de nuevos productos.

Durante la plenaria titulada “Gestión del riesgo de los vuelos del hombre al espacio: Lecciones de 50 años de viajes espaciales de la NASA”, Michael Lutomski, anteriormente gerente de riesgo de la Estación Espacial Internacional de la NASA, señaló que tanto la comunidad de hemofilia como la NASA funcionan en entornos que no toleran riesgos o fallas. No obstante, el riesgo es inevitable; de manera que ¿cuál es la mejor manera de hacer frente a este tipo de situaciones?

Una clave es la gestión permanente del riesgo, afirmó Lutomski. Esto ya lo hacemos casi todos los días de nuestra vida, dijo, usando el ejemplo de haber elegido un vuelo a Orlando para asistir al congreso. Por ejemplo, podríamos haber gestionado el riesgo de perder un vuelo de conexión optando por un periodo mayor entre conexiones.

La NASA tiene un grado de riesgo alucinante, explicó Lutomski, con una tasa anual de fallas de lanzamiento de 3.4 por ciento. “¿Pueden imaginarse cruzar la calle o manejar un auto con esas posibilidades? ¡Nunca lo harían!”, sostuvo.

No obstante, Lutomski dijo que la percepción común –aun en la NASA– era que los vuelos espaciales conllevaban el mismo grado de riesgo que los vuelos en avión. Sin embargo, la explosión del Challenger en 1986 cambió esa percepción, de manera similar a la forma en que la crisis del sida cambió la percepción común de que las transfusiones de sangre eran inherentemente seguras.

La NASA respondió a la crisis del Challenger reevaluando la manera en la que manejaba el riesgo. Instituyó un marco de referencia para la toma de decisiones basadas en el riesgo y un umbral de riesgo. Los astronautas firman declaraciones afirmando que entienden los riesgos, como una tasa de mortalidad de uno por cada 270 miembros de la tripulación en

una expedición de seis meses a la Estación Espacial Internacional. “Ahora tenemos una percepción más sana de los riesgos que realmente estamos corriendo”, comentó Lutomski.

Una de las mejores maneras de mitigar el riesgo son las autoevaluaciones, agregó Lutomski. Pero las personas tienen muchos motivos para no participar en la evaluación del riesgo y los informes de riesgo. Piensan que no corren riesgo; sus programas son muy pequeños; hacer público el riesgo será el fin del programa; prefieren lidiar con los problemas a medida que éstos se presentan; identificar

riesgos es malo para su carrera; completar formularios burocráticos no forma parte de su trabajo; o no pueden evaluar el riesgo porque no pueden predecir el futuro.

Un sistema exitoso de gestión del riesgo no solamente necesita superar estos argumentos, sino que también debiera ser humilde y estar abierto a nueva información, comentó Lutomski. En la NASA, eso se traduce en un continuo cuestionamiento del desempeño, análisis de los riesgos, y una respuesta adecuada a las fallas cuando éstas ocurren.



Michael Lutomski compara el riesgo que implican la práctica de la medicina y la operación de vuelos espaciales.

## Donantes del Congreso: Ekawat Suwantaraj

Uno de los mejores recuerdos del Centro de recursos del Congreso Mundial 2016 de la FMH será Ekawat Suwantaraj, un talentoso y sonriente miembro de la comunidad de trastornos de la coagulación, originario de Bangkok, Tailandia. Ekawat tiene hemofilia A grave, pero nunca permite que su trastorno le impida plasmar una sonrisa en el rostro de las personas, gracias a su talento. Empezó a dibujar caricaturas hace dos décadas y compartió sus habilidades con la comunidad de la FMH por primera vez durante el Congreso Mundial 2004 de la FMH, al que volvió este año para dibujar, a cambio de un donativo al Programa de ayuda humanitaria de la FMH. Con su esfuerzo recolectó 600 dólares en tan solo unas cuantas horas y deleitó a muchos delegados con una nueva versión de sus mejores ángulos.

Nuestra comunidad retribuye de muchas maneras; algunos donan su tiempo a través de labores voluntarias, otros ofrecen su talento, mientras que otros más ofrecen apoyo financiero. ¡Estamos encantados de que Ekawat haya donado su tiempo y su talento a fin de ayudarnos a recaudar fondos para el Programa de ayuda humanitaria de la FMH!



Ekawat Suwantaraj

# Programa de ayuda humanitaria de la FMH: Cambio perdurable para quienes más lo necesitan

La sólida base del éxito del Programa de ayuda humanitaria de la FMH radica en garantizar un abasto sustentable y pronosticable de productos de tratamiento. Una muestra de este éxito se presentó durante la sesión titulada “Ayuda humanitaria: Tratamiento para todos es la visión de todos”.

Assad Haffar, director del Programa de ayuda humanitaria de la FMH, encabezó e inauguró la sesión que puso de manifiesto la realidad que enfrentan muchas personas que padecen un trastorno de la coagulación en múltiples regiones del mundo. En numerosos países en vías de desarrollo, la falta de acceso al tratamiento constituye una necesidad urgente y un importante desafío en el ámbito de la salud pública. Desde 1996 se han donado 322 millones de unidades internacionales (UI) de productos de tratamiento a 90 países, gracias a los cuales ha sido posible proporcionar ayuda directa a más de 100,000 personas que la necesitaban de manera urgente. La ampliación del Programa de ayuda humanitaria de la FMH ahora abarcará más de 500 millones de UI de productos de tratamiento donados durante un periodo de cinco años, lo cual brindará un abasto predecible y permitirá que la FMH pueda por primera vez planificar y pronosticar necesidades.

Megan Adediran, directora ejecutiva de la Fundación de Hemofilia de Nigeria (FHN), inició su charla explicando la manera en la que se formó su organización. Fue el primer donativo de productos de tratamiento de la FMH lo que la motivó a establecer la FHN. A medida que se ha incrementado la tasa de diagnóstico en Nigeria, también se ha incrementado la necesidad de acceso a productos de tratamiento. La ampliación del programa de ayuda humanitaria de la FMH también ha incidido de manera importante en la comunidad de trastornos de la coagulación, más allá de proporcionar tratamientos preservadores de la vida. Antes de que se iniciara la ampliación en 2015, solamente 178 pacientes habían recibido diagnóstico en Nigeria. Un año después esa cifra había aumentado a 271 pacientes, conforme se corría la voz de que existía un abasto predecible de productos



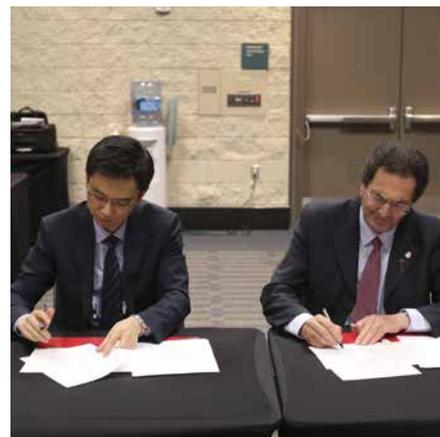
de tratamiento. “El Programa de ayuda humanitaria de la FMH ha traído esperanza a las familias”, afirmó Adediran. “Eso es lo que este programa ha logrado para el pueblo de Nigeria.”

Durante esta sesión, cada ponente explicó por qué es imperativo mejorar y preservar la atención para quienes más la necesitan. Thomas Sannié, presidente de la Asociación Francesa de Hemofílicos (AFH), habló sobre el trabajo que realiza la AFH junto con la FMH a fin de mejorar la situación en países francoparlantes de la región subsahariana de África, a través de la Alianza Francoafricana para el tratamiento de la Hemofilia (AFATH). “Lo que nos motiva a actuar es una visión compartida con todos nuestros aliados de hacer llegar el tratamiento a todas las personas que padecen trastornos de la coagulación”, afirmó Sannié.

El doctor Kibet Shikuku, presidente de la Asociación de Hemofilia de Kenia, continuó ilustrando la necesidad del Programa de ayuda humanitaria de la FMH. Enfatizó que es necesario acompañar estos donativos de labores educativas y de investigación.

Dado que Ahmed Naseer no pudo hacer su presentación durante esta sesión, su hematólogo, el doctor Shasahi Apte describió por todo lo que pasó Naseer hasta su cirugía de reemplazo de rodilla, la cual solo fue posible gracias a los donativos de la FMH. Esto enfatiza todavía más el impacto del apoyo a quienes más lo necesitan.

La sesión concluyó con una reflexión final del doctor Haffar: “Juntos podemos hacer posible lo imposible”. Si desea obtener más información sobre el Programa de ayuda humanitaria de la FMH visite [www.treatmentforall.org](http://www.treatmentforall.org).



El doctor Eun Chul Huh, presidente de Green Cross, y Alain Weill, presidente de la FMH.

## La FMH anuncia acuerdo de ayuda humanitaria multianual con Green Cross

La Federación Mundial de Hemofilia (FMH) y Green Cross Corporation firmaron un acuerdo por tres años, el lunes 25 de julio de 2016, con el propósito de aportar un total de seis millones de unidades internacionales (UI) de su producto de FVIII recombinante al Programa de ayuda humanitaria de la FMH.

El doctor Eun Chul Huh, presidente de Green Cross, y Alain Weill, presidente de la FMH, firmaron el acuerdo durante el Congreso Mundial 2016 de la FMH en Orlando, Florida. Con donativos multianuales –como este compromiso de Green Cross– y con un flujo permanente de productos de tratamiento a la red de la FMH, será cada vez más posible para las personas con trastornos de la coagulación de países en vías de desarrollo tener acceso al tratamiento en casos de emergencia, de hemorragias agudas y de cirugías correctivas, así como profilaxis para niños pequeños.

“Nos sentimos honrados por este compromiso de Green Cross con el Programa de ayuda humanitaria de la FMH”, declaró Weill. “Este donativo ayudará a mitigar la falta de acceso a productos de tratamiento en países en vías de desarrollo, al ofrecer acceso consistente y predecible al *Tratamiento para todos*.”

# Capacitación mundial de la FMH para ONM: Apoyo a las comunidades de trastornos de la coagulación de todo el mundo

La FMH encabeza muchas actividades orientadas a apoyar a las comunidades de trastornos de la coagulación en todo el mundo. Uno de nuestros programas clave para este fin son los talleres de capacitación y desarrollo de la capacidad para organizaciones nacionales miembros (ONM) de la FMH. Estos eventos se realizan a escala nacional y regional a fin de fortalecer los conocimientos y habilidades de las ONM y de ayudarlas a mejorar sus estructuras internas, así como sus actividades y relaciones externas. Los talleres están diseñados en torno a las necesidades de las ONM y abordan una gama de temas importantes: recaudación de fondos, resolución de conflictos, mujeres con trastornos de la coagulación, promoción y cabildeo, relaciones con la industria farmacéutica y planeación de eventos.

Antes de cada uno de sus congresos mundiales, la FMH realiza un taller de capacitación de tres días para ONM de todo el mundo. Este año, la capacitación tuvo lugar del 21 al 23 de julio en el complejo turístico y centro de convenciones

Gaylord Palms, en Orlando, Estados Unidos. El programa cubrió muchos temas de interés para las ONM, entre los que se cuentan planeación estratégica, implementación de proyectos, desarrollo de la atención para la hemofilia y desarrollo del voluntariado. También abarcó sesiones conjuntas y actividades sociales en colaboración con la Fundación Nacional de Hemofilia de Estados Unidos (NHF por sus siglas en inglés). El taller de 2016 fue muy especial, ya que marcó la primera vez que la FMH auspicia una capacitación mundial para ONM en paralelo con la reunión anual de la NHF.

En todas las capacitaciones mundiales para ONM participa un paciente seleccionado para representar a cada una de las ONM de la FMH. La persona seleccionada participa con sus pares de todo el mundo en sesiones plenarias y talleres de capacitación. Al evento de este año también contribuyó el Programa de becas juveniles de la FMH. De las 50 solicitudes recibidas de las ONM se seleccionó a 21 jóvenes. Además de participar en la capacitación mundial para



ONM, los candidatos seleccionados por el Programa de becas juveniles recibieron gratuitamente un pasaje aéreo a Orlando, alojamiento, su inscripción al Congreso, y también pudieron participar como observadores en la reunión anual de la Asamblea General de la FMH.

Además de la faceta formativa de los eventos para ONM, existe también una importante faceta de establecimiento de redes que no puede pasarse por alto. Las sesiones de capacitación tienden a ser con grupos pequeños, lo que quiere decir que los asistentes tuvieron la oportunidad de “romper el hielo” antes del inicio del Congreso Mundial 2016 de la FMH. Muchos participantes han comentado que el evento de capacitación para ONM es una excelente manera de hacer nuevos amigos, establecer nuevos contactos y prepararse para el congreso.

Si desea obtener más información sobre la capacitación mundial de la FMH para organizaciones nacionales miembros visite la página de Capacitación para ONM de la FMH.

## Celebración del Programa de hermanamiento de la FMH durante el Congreso

El evento del Programa de hermanamiento de la FMH, realizado el 27 de julio durante el Congreso Mundial 2016 de la FMH, constituyó una oportunidad especial para que los participantes entraran en contacto, compartieran y motivaran a otros a unirse a una iniciativa que establece una alianza entre centros de tratamiento de hemofilia (CTH) y organizaciones de pacientes de países desarrollados con sus contrapartes de países en vías de desarrollo.

El objetivo del programa es mejorar la atención de la hemofilia en países en vías de desarrollo a través de una alianza formal y recíproca, con duración de cuatro años.

Durante el evento hubo presentaciones de las alianzas ganadoras de los dos premios a los Hermanamientos del año 2015. Marion Stolte y Eric Stolte, de la Sociedad Canadiense de Hemofilia compartieron su “jornada conjunta” con la Sociedad de Hemofilia de Bangladesh. Además, el doctor Hans Hermann-Brackmann, del Hospital Universitario de Bonn, Alemania,

compartió la “historia en fotos” de su alianza con el Hospital Universitario St. Marina, en Varna, Bulgaria.

Con un panel de discusión encabezado por la presidente del Comité de hermanamiento de organizaciones de la FMH, Sharon Caris, y con comentarios del presidente de la FMH, Alain Weill, el evento también ofreció una oportunidad para destacar el 15º aniversario del patrocinio del programa a cargo de Pfizer. Michael Goettler, presidente de la División de negocios farmacéuticos innovadores a escala mundial



de Pfizer, expresó el orgullo de su empresa por apoyar un programa que continúa teniendo un profundo impacto en la comunidad mundial de trastornos de la coagulación.

En el evento, así como durante el Congreso, se establecieron muchas conexiones entre colegas, y la FMH espera la oportunidad de apoyar el surgimiento de nuevas alianzas de hermanamiento en años venideros.

*El Programa de hermanamiento recibe apoyo financiero exclusivo de Pfizer.*

# La ceremonia de premiación reconoce a quienes han marcado la diferencia

La ceremonia de entrega de premios de la FMH, realizada durante su Congreso Mundial 2016, reconoce a personas que han sido fuente de inspiración para todos nosotros al haber donado generosamente su tiempo, su experiencia y su pasión a la comunidad mundial de trastornos de la coagulación y a la FMH.



## PREMIO

### Inga Marie Nilsson

Otorgado a una persona o par de voluntarios de la FMH por su contribución al desarrollo de la atención de la hemofilia, con base en su propia iniciativa y su contribución de nuevas ideas y proyectos.

### Henri Chaigneau

Reconoce la investigación científica que mejora los conocimientos sobre la patología, el tratamiento o la prevención de los trastornos de la coagulación.

### Hermanamiento del año de organizaciones de hemofilia

Reconoce a organizaciones aliadas que han ayudado a mejorar la atención de la hemofilia mediante el fortalecimiento y el desarrollo de organizaciones de hemofilia, por medio de la transferencia de habilidades, recursos e información.

### Hermanamiento del año de centros de tratamiento de hemofilia

Reconoce a centros aliados que han ayudado a mejorar la atención de la hemofilia mediante el fortalecimiento y el desarrollo de centros de tratamiento de hemofilia, por medio de la transferencia de habilidades, recursos e información.

## RECEPTOR(ES)

### Frederica Cassis

### Profesor Thierry Vandendroessche Profesora Marinee Chuah

2014 - **La Asociación Nicaragüense de Hemofilia (ANH) y el capítulo de Quebec de la Sociedad Canadiense de Hemofilia (SCH)**, representadas por Denis Antonio Martínez Artola y Antonio Javier Rivas Ojeda, de la ANH, y Patricia Stewart y Francois Laroche, del capítulo de Quebec de la SCH.

2015 - **La Sociedad de Hemofilia de Bangladesh (SHB) y la Sociedad Canadiense de Hemofilia (SCH)**, representadas por el Dr. Mohiuddin Khan, a nombre de la SHB, y Marion Stolte, de la SCH.

2014 - **Arequipa (Perú) y Los Ángeles (EE. UU.)**, representados por el Dr. Willy Quiñones, del Hospital Nacional Carlos Alberto Seguí Escobedo, y el Dr. Guy Young, del Hospital Infantil de Los Ángeles.

2015 - **Varna (Bulgaria) y Bonn (Alemania)**, representados por la profesora Valeria Kaleva, del Hospital Universitario St. Marina, de Varna, y la Dra. Anni Pavlova, el profesor Johannes Oldenburg, la Dra. Christine Brackmann y el Dr. Hans-Hermann Brackmann, del Hospital Universitario de Bonn.



# WFH 2016 AWARDS CEREMONY

Join us to celebrate the WFH's most prestigious awards

ORANGE COUNTY CONVENTION CENTRE  
July 28, 2016  
8:00am - 12:00pm



## PREMIO

### Henri Horoszowski

Incentiva a los especialistas en temas musculoesqueléticos a participar en la atención de la hemofilia.

### Becas del Fondo en memoria de Susan Skinner

Establecido como una subvención para apoyar la capacitación y la formación de mujeres jóvenes con trastornos de la coagulación.

### Subvención de la FMH para investigación médica

Ofrece apoyo a la investigación médica internacional relacionada con los trastornos de la coagulación hereditarios.

### Premio a investigadores jóvenes

Otorgado a investigadores que han presentado resúmenes muy bien calificados en cualquier disciplina relacionada con la hemofilia y otros trastornos de la coagulación similares.

### Premio internacional al voluntariado por la salud

Reconoce a un profesional de la salud voluntario que ha contribuido de manera importante a impulsar la misión y metas de la FMH.

### Premio internacional Frank Schnabel al voluntariado

Reconoce a una persona con hemofilia, o al familiar de una persona con hemofilia, que ha contribuido de manera importante a impulsar la misión y metas de la FMH.

## RECEPTOR(ES)

### Fabio Souza

2015 - Michelle Cecil y Joelle Palmatier

2016 - Ashley Taylor-Fowlie y Claudia Teresa Peña Villena

2015 - Victor Jiménez-Yuste, Marzia Menegatti, Silvia Riva y Jonathan C. Roberts

2016 - Arijit Biswas, Hervé Chambost e Yves Guillaume

Mahasen Saleh  
Christopher Mwaniki  
Jamie O'Hara  
Shannon Jackson  
Lakshmi Srivaths

Aarti Shah  
Lisette M. Schütte  
Kristina Kihlberg  
Fabio Souza  
Pu-Lin Luo

Lily Heijnen

Mark Skinner





# Evento conjunto CIEHEMO-RtW: Abordar soluciones reales

Durante el Congreso Mundial 2016 de la FMH tuvo lugar una singular reunión, organizada para presentar y abordar soluciones reales: El evento conjunto de los programas de becas de los Centros Internacionales de Entrenamiento en Hemofilia y *Reach the World* (CIEHEMO-RtW). Los participantes estaban vinculados con la Sociedad Internacional sobre Trombosis y Hemostasia (ISTH por sus siglas en inglés) y la Federación Mundial de Hemofilia (FMH).

El formato de la reunión abarcó paneles moderados y mesas redondas que permitieron a los participantes, tanto capacitadores como exalumnos de los programas CIEHEMO y RtW, encontrarse cara a cara con sus colegas de todo el mundo y entablar conversaciones constructivas sobre cómo crear conciencia respecto al valor de empoderar a los profesionales de la salud a través de la formación y la capacitación. El moderador del evento fue el doctor Mike Makris, presidente saliente del Comité de la FMH para CIEHEMO.

Entre los participantes en los paneles se encontraban el doctor Philippe de Moerloose y la doctora Evelien Mauser-Bunschoten (capacitadores), así como el doctor Zhenping Chen y César Haddad (exalumnos). El objetivo era reunir dos importantes programas de desarrollo de la capacitación y el liderazgo, así como destacar el éxito de los exalumnos en la mejora de la atención para los pacientes con trastornos de la coagulación en sus respectivos países.

En las charlas participaron asistentes de más de 20 países, de los cuales todos habían intervenido de una u otra manera en los programas de becas de capacitación de los CIEHEMO y RtW. Se formaron grupos limitados a no más de 10 personas a fin de mantener las conversaciones inclusivas y garantizar que todos tuvieran la oportunidad de hablar y compartir sus puntos de vista. Los moderadores presentaron varias preguntas con el propósito de desatar discusiones productivas, tales como “¿Cuál fue el aspecto más destacado de su beca de capacitación?”, “¿Qué sería útil que aprendieran futuros becarios durante la capacitación?” y “¿Qué cosas cambiarían o qué cosas deberían mejorarse para los futuros becarios?”.

El evento concluyó con una sesión de establecimiento de contactos. Muchos participantes afirmaron que se retiraron sintiendo que habían marcado una importante diferencia en el mundo de la hemofilia, la trombosis y la hemostasia a través de su participación en los programas de los CIEHEMO y RtW. También prevaleció el sentimiento de que pronto habrá más mejoras y avances tanto para ellos como para futuros participantes en los programas.

*La FMH desea agradecer el apoyo exclusivo de Bayer al programa CIEHEMO.*

Izq. a der.: Mark Skinner, presidente de la FMH USA; Maria Monahan, presidente de Hemofilia de Georgia; Alain Weill, presidente de la FMH; Val Bias, director ejecutivo de la NHF; Alain Baumann, director ejecutivo de la FMH; y Jorge de la Riva, presidente de la NHF.

## Orgullosos de apoyar a la comunidad mundial

Con humildad y motivado por el espíritu de generosidad que prevaleció durante el Congreso Mundial 2016 de la FMH y la reunión anual de la Fundación Nacional de Hemofilia de Estados Unidos (NHF por sus siglas en inglés), el equipo de recursos filantrópicos de la FMH desea expresar de viva voz su agradecimiento a los cientos de pacientes, profesionales de la salud y voluntarios que visitaron el Centro de recursos de la FMH durante el Congreso. ¡Estamos encantados de haber hecho tantos nuevos amigos!

Gracias a los 368 donantes de 92 países que apoyaron nuestro Programa de ayuda humanitaria y dejaron su marca en el mapa-mundi de la FMH. Su generosidad cruzó la tierra, desde Nigeria hasta Costa Rica, y sus aportaciones representan un voto de confianza en la labor que realizamos todos los días con el propósito de hacer realidad nuestra visión compartida de *Tratamiento para todos*. Gracias también a los más de 750 participantes que compraron su primera membresía de la FMH o la renovaron; nos dará mucho gusto comunicarnos con ustedes durante los próximos meses.

Gracias a los 28 capítulos de la NHF que respondieron al llamado para convertirse en campeones para el Programa de ayuda humanitaria de la FMH y recaudaron \$139,800 en apoyo a la FMH USA. En particular, deseamos agradecer a nuestras

dos campeonas fundadoras: la Fundación Nacional de Hemofilia y Hemofilia de Georgia, Inc. dado que, sin el apoyo de sus líderes, Val Bias y María Monahan, los resultados a la fecha nunca habrían alcanzado el nivel de éxito logrado.

Sobre todo, gracias a los pacientes y líderes de la comunidad mundial de trastornos de la coagulación. Su perseverancia y optimismo ante enormes desafíos representan la fuente de la que extraemos la energía para continuar nuestra labor en nombre de ustedes. Estamos orgullosos de poder trabajar a su lado a fin de marcar la diferencia a escala mundial en las vidas de las personas que padecen un trastorno de la coagulación, sin importar el lugar donde vivan.

Agradeceremos se una hoy a nuestros donantes haciendo un donativo en línea en [www.wfh.org/donate](http://www.wfh.org/donate).



# Lanzamiento de la plataforma de aprendizaje electrónico de la FMH: Un solo punto de fácil acceso para todos los recursos sobre trastornos de la coagulación

Durante su Congreso Mundial 2016, la FMH tuvo el gusto de anunciar el lanzamiento de un importante avance en los recursos educativos que ofrece a la comunidad de trastornos de la coagulación: la plataforma de aprendizaje electrónico de la FMH. Diseñado para fomentar la enseñanza a escala mundial, el portal pone contenidos y herramientas al alcance de cualquier persona que disponga de una computadora o dispositivo móvil y de una conexión a Internet.

La plataforma de aprendizaje electrónico de la FMH reúne información básica, así como materiales más detallados en ocho centros de aprendizaje temáticos: Trastornos de la coagulación hereditarios, Introducción a la hemofilia, Portadoras y mujeres con hemofilia, Inhibidores, Profilaxis, Enfermedad Von Willebrand, Deficiencias poco comunes de factores de coagulación, y Trastornos plaquetarios hereditarios. Esta agrupación intuitiva facilita considerablemente el acceso a los múltiples y valiosos recursos que la FMH ofrece a la comunidad de trastornos de la coagulación.

Un complemento a los centros de aprendizaje electrónico son las búsquedas con filtros entre los cientos de recursos de la colección de la FMH. Las búsquedas pueden refinarse por categoría (artículo, libro, hoja informativa, etc.), tipo de recurso (webinario, póster electrónico, video, etc.), autor o idioma. También es posible realizar búsquedas por palabra clave, similares a las de Google. Los usuarios pueden, asimismo, utilizar una poderosa herramienta interactiva de navegación que les permite explorar contenidos por medio de los seis pilares del modelo de desarrollo integral de la FMH: Apoyo gubernamental, Administración de la atención, Experiencia médica (incluso multidisciplinaria), Productos de tratamiento, Organizaciones de pacientes, y Recolección de

datos y resultados de la investigación. Además, la plataforma permite a los usuarios enterarse de materiales recientemente agregados e incluso les ofrece una ojeada al tipo de información que otros usuarios consultan con más frecuencia.

“La FMH está dedicada a apoyar a la comunidad de trastornos de la coagulación en todo el mundo”, explica Alain Weill, presidente de la FMH. “Una de las mejores formas de brindar dicho apoyo es ofreciendo un fácil acceso a recursos educativos, ya sea que se trate de explicaciones ilustrativas para un niño recién diagnosticado, demostraciones técnicas que ayuden a un científico de laboratorio a realizar eficazmente un ensayo diagnóstico, o un módulo interactivo que explique el complejo contenido de las Guías de tratamiento a defensores de pacientes o profesionales de la salud. La nueva plataforma de aprendizaje electrónico de la FMH logra todo lo anterior al facilitar el acceso a nuestros recursos educativos sobre trastornos de la coagulación para cualquier persona y para todo el mundo.”

Las herramientas disponibles cubren casi la totalidad de lo que una persona implicada en el campo de los trastornos de la coagulación pudiera necesitar, incluso módulos interactivos que presentan las Guías de la FMH para el tra-

tamiento de la hemofilia; un manual de laboratorio; un padrón electrónico de concentrados de factor de coagulación; una introducción a la hemofilia en imágenes; y un compendio de herramientas de valoración.

Una vez que los usuarios han encontrado el contenido educativo que desean explorar, la plataforma de aprendizaje electrónico les ofrece una poderosa función para ayudarles a encontrar exactamente lo que están buscando, fácil y rápidamente. Por ejemplo, los videos demostrativos del manual de laboratorio se complementan con transcripciones en las que pueden realizarse búsquedas en la totalidad del texto, e incluso la capacidad de saltar instantáneamente a secciones específicas del video que corresponden a las palabras clave de interés para el usuario.

La plataforma de aprendizaje electrónico de la FMH se lanzó oficialmente en el marco de nuestro Congreso Mundial 2016, y los delegados tuvieron la oportunidad de probarla en el Centro de recursos de la FMH. Ya hay cientos de recursos disponibles y constantemente se están agregando nuevos materiales. Visite [eLearning.wfh.org](http://eLearning.wfh.org) para echarle una ojeada ahora mismo y conocer más acerca de los temas relacionados con los trastornos de la coagulación que más le interesan a usted.



# Reunión anual de la Asamblea General 2016 de la FMH

La reunión anual de la Asamblea General 2016 de la FMH se realizó el 29 de julio, inmediatamente después de concluido el Congreso Mundial 2016 de la FMH, y el encuentro abarcó muchos temas de interés para los miembros y las partes interesadas de la FMH.

La frecuencia de las reuniones de la Asamblea General de la FMH se modificó de una cada dos años a una cada año a fin de cumplir con la nueva Ley canadiense de corporaciones sin fines de lucro. Con el objeto de facilitar este proceso para todos los participantes, la FMH adoptará una innovadora reunión anual virtual de la Asamblea General de la FMH en los años en los que no se realiza el Congreso. Las reuniones en persona seguirán realizándose en años de Congreso.

La FMH dio la bienvenida a ocho nuevas organizaciones miembros, incrementando el total de las mismas a 134. Japón y Surinam se convirtieron en organizaciones miembros de la FMH totalmente acreditadas, mientras que Burkina Faso, El Salvador, Madagascar, Malawi, Myanmar y Namibia fueron aceptadas como organizaciones miembros asociadas de la FMH.

Alain Weill fue reelecto como presidente de la FMH, y algunos otros candidatos fueron votados al Consejo Directivo de la FMH. Encontrará más información sobre los nuevos miembros del equipo del Consejo en el artículo “Consejo Directivo de la FMH: Bienvenida a los nuevos miembros y agradecimiento a los miembros salientes”, incluido en este número de El mundo de la hemofilia.

El presidente de la FMH, Alain Weill; el vicepresidente de finanzas de la FMH, Eric Stolte; la vicepresidente médica de la FMH, Dra. Marijke van den Berg; y el director ejecutivo de la FMH, Alain Baumann presentaron los aspectos destacados de sus respectivos informes a la reunión anual de la Asamblea General 2016. Las presentaciones compartieron un tema común general: la FMH está logrando considerables avances tanto en la entrega de ayuda a países en vías de desarrollo como en la ampliación de sus programas de capacitación y apoyo a escala mundial.

Durante la sesión vespertina de la reunión anual de la Asamblea General 2016 se anunció cuál será el país anfitrión del Congreso Mundial

2022 de la FMH. Jens Bungardt, director de congresos y reuniones de la FMH, y Alain Weill explicaron los desafíos que enfrenta la FMH en el futuro cercano. Se abordaron dos problemas importantes. El primero es el hecho de que la ISTH empezará a celebrar reuniones anuales a partir del 2020, lo que significa que cada dos años habría dos reuniones importantes sobre trastornos de la coagulación hereditarios. Weill habló sobre este desafío y explicó que la FMH debe desarrollar un plan estratégico que le permita navegar en un entorno cambiante.

El segundo problema es que ninguno de los posibles destinos finalistas para el Congreso pudieron ofrecer propuestas que garantizaran la continuidad y el desarrollo futuro de la FMH. Bungardt comparó los costos proyectados de las propuestas recibidas con los de congresos anteriores –entre ellos el Congreso Mundial 2014 de la FMH en Melbourne y el Congreso Mundial 2016 de la FMH en Orlando– y demostró claramente que los costos de las ciudades oferentes eran muy altos en comparación con cualquier otro lugar utilizado por la FMH durante la última década.

Por consiguiente y de acuerdo con el artículo 23.1 de la Constitución y estatutos de la FMH relativo a “Congresos mundiales y regionales”, el Consejo Directivo de la FMH ejerció su derecho a seleccionar el lugar que mejor satisfaga las necesidades y objetivos de la comunidad y de todas las partes interesadas de la FMH, al tiempo que brinda a la FMH los recursos necesarios para cumplir su misión.

El Consejo anunció que luego de cuidadosos análisis y deliberación, el destino seleccionado para el Congreso Mundial 2022 de la FMH sería Montreal, Canadá. Muchas ONM aportaron útiles comentarios tanto a favor como en contra de esta selección y, tomando en cuenta el espíritu de *Tratamiento para todos*, se presentó una moción a fin de determinar el apoyo a la selección del Consejo para la sede del Congreso 2022. Los resultados de la votación fueron a favor de la decisión de realizar el Congreso en Montreal. El Consejo desea agradecer los comentarios, el compromiso y la pasión por la misión de la FMH de sus ONM y de todas las personas que participaron en la Asamblea General.

## Hemophilia Alliance apoya la capacitación continua de profesionales de la salud estadounidenses

La FMH USA tiene el gusto de anunciar la primera emisión de subvenciones de viaje de Hemophilia Alliance, la cual arrancó este año, justo a tiempo para el Congreso Mundial 2016 de la FMH. El objetivo de esta subvención es impulsar el arte y la ciencia de los trastornos de la coagulación en los campos de enfermería, trabajo psicosocial, odontología, fisioterapia y ciencias de laboratorio. Financiado gracias al generoso apoyo de Hemophilia Alliance, el donativo anual de \$15,000 estará dedicado a apoyar el intercambio científico y el aprendizaje a escala mundial, cubriendo los costos de viaje para que un estadounidense, miembro de comités multidisciplinares de la FMH seleccionados, pueda participar en las reuniones internacionales de la FMH.

# Consejo Directivo de la FMH: Bienvenida a los nuevos miembros y agradecimiento a los miembros salientes

El 26 de julio de 2016, la reunión anual de la Asamblea General de la FMH tuvo lugar en Orlando, Florida, y las organizaciones nacionales miembros emitieron sus votos para elegir al Consejo Directivo y al presidente de la FMH para el periodo 2016-2018. Cada uno de los candidatos en esta elección contaba con un singular conjunto de habilidades, pero el principal motivo de inspiración fue que todos los candidatos ofrecieron la misma dedicación a la FMH y el mismo deseo de trabajar como voluntarios a fin de lograr *Tratamiento para todos*.

Alain Weill fue reelecto por un segundo periodo al cargo de presidente de la FMH. También fueron reelectos Deon York, Magdy El Ekiaby y Glenn Pierce. Los nuevos miembros del Consejo Directivo de la FMH son Carlos Safadi, de Argentina, y Predrag Mikov, de Serbia.

La FMH desea agradecer a todos los miembros salientes de su Consejo Directivo por su compromiso con nuestra organización y con la comunidad mundial de trastornos de la coagulación. Su dedicación y esfuerzos contribuyeron a muchos de los recientes logros

de nuestra organización, entre ellos un muy exitoso Congreso Mundial 2016, en Orlando, el pasado mes de julio.

A los nuevos miembros, a nombre propio y de la comunidad de trastornos de la coagulación, les damos la bienvenida y les expresamos nuestro agradecimiento. Nuestro Consejo Directivo y el personal de la FMH esperan colaborar con ustedes para continuar atendiendo a la comunidad de trastornos de la coagulación, y empezar a prepararnos para nuestro próximo congreso en Glasgow, Escocia, en 2018.

## CONSEJO DIRECTIVO DE LA FMH 2016-2018

### Alain Weill

Presidente  
Francia

### Dr Marijke van den Berg

Vicepresidenta médica  
Países Bajos

### Eric Stolte

Vicepresidenta de finanzas  
Canadá

### Dr Magdy El Ekiaby

Miembro médico  
Egipto

### Dr Jerzy Windyga

Miembro médico  
Polonia

### Cesar Garrido

Miembro lego  
Venezuela

### Dr Glenn Pierce

Miembro médico  
Estados Unidos

### Dra. Flora Peyvandi

Miembro médico  
Italia

### Predrag Mikov

Miembro lego  
Serbia

### Carlos Safadi

Miembro lego  
Argentina

### Deon York

Miembro lego  
Nueva Zelanda

## COOPTADOS

### Dr. Saliou Diop

Miembro médico  
Senegal

### Barry Flynn

Miembro lego  
Reino Unido



## WFH 15TH INTERNATIONAL MUSCULOSKELETAL CONGRESS

Seoul, Republic of Korea  
May 5-7, 2017



**WFH**

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

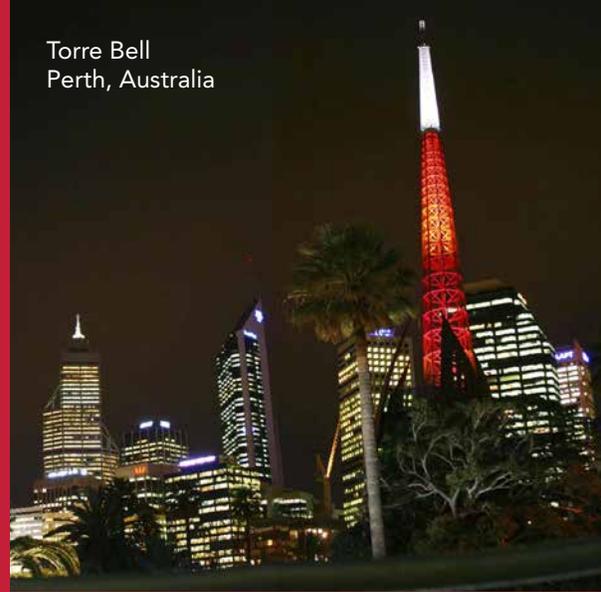
DÍA MUNDIAL  
DE LA HEMOFILIA  
2016

17 de ABRIL



Edificio Hemsley  
Nueva York, NY, EE.UU.

Torre Bell  
Perth, Australia



Torre Ostankino  
Moscú, Rusia



COSI  
Columbus, OH, EE.UU.



Puente Story  
Brisbane, Australia



El Día mundial de la hemofilia recibe apoyo financiero de:  
Bayer, CSL Behring, Novo Nordisk, Precision BioLogic,  
Roche y Sobi.

Cataratas del Niágara  
Ontario, Canadá



# Agradecimientos

A los patrocinadores y simpatizantes comprometidos a apoyar nuestra misión de *Tratamiento para todos*.

## PATRONO

Jan Willem André de la Porte

## CONTRIBUCIONES ANUALES IRRESTRICIAS

Alnylam Pharmaceuticals  
Bayer  
Biogen  
BioMarin Pharmaceutical Inc  
Biotest  
CSL Behring  
F. Hoffmann-La Roche Ltd  
Gilead Science  
Green Cross  
Grifols  
Kedrion  
LFB  
Novo Nordisk  
Octapharma  
Pfizer  
Precision BioLogic  
Shire  
SOBI  
uniQure

## SEGUNDA DÉCADA DEL PROGRAMA DE LA ALIANZA MUNDIAL PARA EL PROGRESO (AMP)

Aliada visionaria  
Shire  
Aliada de liderazgo  
CSL Behring  
Aliadas colaboradoras  
Bayer  
Biogen  
Biotest  
Grifols  
Kedrion  
Novo Nordisk  
Pfizer  
SOBI

## PROGRAMAS PATROCINADOS

Programa de hermanamiento  
Pfizer

Programa del Esquema Internacional de Valoración Externa de la Calidad (IEQAS)  
Novo Nordisk Haemophilia Foundation

Programa de becas de entrenamiento en centros internacionales de hemofilia (CIEHEMO)

Bayer  
Programa de investigación de la FMH

Bayer  
Grifols  
Hemophilia Center of Western Pennsylvania 340B Program  
Shire

Centros de aprendizaje en línea de la FMH:

Patrocinador visionario  
Shire

Patrocinadores de apoyo  
Inhibidores: F. Hoffmann-La Roche Ltd, Shire

Proyectos de localización de la página Internet:  
Árabe: Pfizer  
Japonés: Biogen  
Ruso: SOBI  
Chino simplificado: Bayer

Programa de ayuda humanitaria de la FMH  
Bayer  
Biogen-SOBI  
Biotest  
CSL Behring  
Grifols  
Precision BioLogic  
Shire

Otros programas patrocinados  
Taller de capacitación sobre recolección de datos y su uso en el campo de los trastornos de la coagulación: Shire

Premio Inga Marie Nilsson:  
Octapharma  
Fondo en memoria de Susan Skinner: Hemophilia Alliance Foundation  
Taller sobre enfermedad de Von Willebrand: LFB  
Taller sobre desarrollo de liderazgo juvenil: F. Hoffmann-La Roche Ltd

Día mundial de la hemofilia  
Bayer, CSL Behring, F. Hoffmann-La Roche Ltd, Novo Nordisk, Precision BioLogic, SOBI

## OTROS COLABORADORES

340B Factor Program at Akron Children's HTC  
Association française des hémophiles\*  
Colorado Chapter of the National Hemophilia Foundation  
Eastern Pennsylvania Chapter Florida Hemophilia Association  
Fondazione Angelo Bianchi Bonomi Hemophilia Foundation of Greater Florida, Inc.  
Hemophilia Foundation of Minnesota/Dakotas  
Hemophilia Foundation of Northern California  
Hemophilia Foundation of Oregon  
Hemophilia of Georgia  
Hemophilia of Iowa, Inc.  
Hemophilia of South Carolina  
LA Kelley Communications, Inc.  
Lubrizol Foundation  
Mary M. Gooley Hemophilia Center  
National Hemophilia Foundation (EE.UU.)\*  
Phillips 66  
Pierce Douglas Living Trust  
Rocky Mountain Hemophilia & Bleeding Disorders Association

\*La FMH se enorgullece en reconocer el apoyo de sus organizaciones nacionales miembros.

# Calendario de eventos

## Conferencia anual del CEH

7 al 9 de octubre de 2016  
Stavanger, Noruega  
Correo-e: office@ehc.eu  
www.ehc.eu

## 3er Congreso sobre controversias en trombosis y hemostasia (CITH)

8ª Conferencia rusa sobre hemostasiología y hemorreología clínicas  
20 al 22 de octubre de 2016

Moscú, Rusia

Tel.: 7 (495) 646 01 55

Fax: 7 (495) 960 21 91

Correo-e: apoziturina@ctogroup.ru  
http://cith2016.ru/en/

## 2o taller asiático de IPFA sobre calidad y abasto de plasma

2 al 3 de marzo de 2017

Yogyakarta, Indonesia

Tel.: 31 20 512 3561

Correo-e: info@ipfa.nl

www.ipfa.nl/events

## Jornadas Españolas de Hematología

20 al 21 de abril de 2017

Buenos Aires, Argentina

www.acamedbai.org.ar/iihema.php

## 24o Taller internacional IPFA/PEI sobre vigilancia y detección de patógenos transportados por la sangre

16 al 17 de mayo de 2017

Zagreb, Croacia

Tel.: 31 20 512 3561

Correo-e: info@ipfa.nl

www.ipfa.nl/events

## 3er Simposio mundial IPFA/BCA sobre el futuro de las donaciones de sangre y plasma

11 al 12 de septiembre de 2017

Atlanta, Estados Unidos

Correo-e: info@ipfa.nl

www.ipfa.nl/events

## ¡EL MUNDO DE LA HEMOFILIA DESEA TENER NOTICIAS SUYAS!

Las actividades de las personas con hemofilia y sus organizaciones son importantes para todos los miembros de la comunidad mundial de trastornos de la coagulación. Agradeceremos historias, cartas y sugerencias para artículos. Por favor envíelos a:

Michel Semienchuk, editor

*El mundo de la hemofilia*

Federación Mundial de Hemofilia

1425, boul. René-Lévesque Ouest, bureau 1010

Montréal, Québec H3G 1T7 Canada

Correo-e: msemienchuk@wfh.org

# DESDE LA CREACIÓN DEL PROGRAMA DE AYUDA HUMANITARIA DE LA FMH EN 1996:

**90**  
PAÍSES  
BENEFICIADOS

**420,000,000+**  
UI DE FACTOR  
DISTRIBUIDAS

**100,000+**  
PERSONAS HAN  
RECIBIDO  
AYUDA



La falta de acceso a la atención y el tratamiento en países en vías de desarrollo constituye un importante y urgente desafío de salud pública, ya que el costo de los productos de tratamiento es prohibitivo para la mayoría de las personas que padece un trastorno de la coagulación. La FMH encabeza el esfuerzo a fin de acabar con esta falta de acceso en países en vías de desarrollo proporcionando acceso consistente y predecible al *Tratamiento para todos*.

Para obtener más información visite  
[www.treatmentforall.org](http://www.treatmentforall.org)



FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA  
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOFILIE  
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA