

WBDR

WFH WORLD BLEEDING
DISORDERS REGISTRY

REGISTRO MUNDIAL DE TRASTORNOS DE LA COAGULACIÓN

.....
INFORME DE DATOS 2023



FMH

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

ÍNDICE

ACERCA DE LA FMH	2
Misión	2
Reconocimientos	2
MENSAJE DEL PRESIDENTE Y DEL VICEPRESIDENTE MÉDICO	3
ACERCA DEL RMTC	4
METODOLOGÍA DEL RMTC	4
Origen de los datos del informe	5
Implementación	5
Juntas de revisión institucional/comités de ética	5
Consentimiento informado	5
Recopilación de datos y visitas de seguimiento	5
Datos del RMTC	5
Identificador único de pacientes	5
Transferencia de pacientes	5
Programa internacional de integración de datos	5
Calidad de los datos	6
Programas de apoyo y capacitación para CTH	6
Gobernanza y acceso a los datos	6
Privacidad de los datos	6
ACERCA DEL INFORME DE DATOS 2023 DEL RMTC	7
COMITÉ DIRECTIVO DEL RMTC DE LA FMH	7
REPRESENTACIÓN MUNDIAL EN EL RMTC, 2023	8
DATOS INCLUIDOS EN EL INFORME DE DATOS 2023 DEL RMTC HEMOFILIA	9
PARTICIPACIÓN	9
Distribución de personas con hemofilia	12
INFORMACIÓN DEMOGRÁFICA SOBRE LA HEMOFILIA	13
Tipo y gravedad de la hemofilia	14
Edad de las personas con hemofilia en el RMTC	15
DIAGNÓSTICO E HISTORIAL CLÍNICO DE LA HEMOFILIA	16
Edad al momento del diagnóstico	16
Edad al momento de la primera hemorragia y de la primera hemorragia articular	18

EMPLEO	19
DATOS CLÍNICOS	20
Eventos hemorrágicos	21
Tasa anualizada de hemorragias (TAH) y tasa anualizada de hemorragias articulares (TAHA)	22
TAH y TAHA con y sin tratamiento profiláctico	27
Articulaciones diana	28
Inhibidores	29
Hospitalización	30
TRATAMIENTO	33
Uso de la profilaxis	34
DATOS INCLUIDOS EN EL INFORME DE DATOS 2023 DEL RMTC ENFERMEDAD DE VON WILLEBRAND	36
PARTICIPACIÓN	37
Distribución de personas con enfermedad de Von Willebrand	38
INFORMACIÓN DEMOGRÁFICA SOBRE LA EVW	39
Tipo de EVW	40
DATOS CLÍNICOS SOBRE LA EVW	41
PROGRAMAS DEL RMTC	42
PROGRAMA DE ACREDITACIÓN DE LA CALIDAD DE LOS DATOS DEL RMTC	42
PROGRAMA INTERNACIONAL DE INTEGRACIÓN DE DATOS	44
PROGRAMA DE APOYO A LA INVESTIGACIÓN DEL RMTC (PAI)	45
PROGRAMA DE FINANCIAMIENTO DEL RMTC PARA CTH (PFC)	46
APLICACIÓN MÓVIL myWBDR	47
APÉNDICE 1 – CONJUNTOS DE DATOS DEL RMTC	48
APÉNDICE 2 – CTH PARTICIPANTES	49
AGRADECIMIENTO	52
GLOSARIO	53



ACERCA DE LA FMH

Desde hace más de 60 años, la FMH, organización internacional sin fines de lucro, trabaja para mejorar la vida de las personas con hemofilia, enfermedad de Von Willebrand (EVW) y otros trastornos de la coagulación hereditarios. Fundada en 1963, está constituida por una red mundial de organizaciones de pacientes en 147 países y cuenta con el reconocimiento oficial de la Organización Mundial de la Salud (OMS). Para obtener más información sobre la FMH visite www.wfh.org.

.....

MISIÓN DE LA FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA

MEJORAR Y PRESERVAR LA ATENCIÓN PARA PERSONAS CON TRASTORNOS DE LA COAGULACIÓN HEREDITARIOS EN TODO EL MUNDO.

MISIÓN

RECONOCIMIENTOS

A las integrantes del Departamento de investigación e instrucción de la FMH quienes contribuyeron a la creación de este informe:

- Donna Coffin, MSc
- Emily Ayoub, PhD
- Ellia Tootoonchian, MPH
- Pamela Dakik, PhD
- Toong Youttanankorn, PhD

Nuestro agradecimiento particular a Ticiania Carvalho Pereira por sus aportaciones al análisis estadístico de los datos del RMTC.

MENSAJE DEL PRESIDENTE Y DEL VICEPRESIDENTE MÉDICO

Marzo de 2024

Estimados miembros de la comunidad de trastornos de la coagulación:

Tenemos el gusto de presentarles el Informe de datos 2023 del Registro Mundial de Trastornos de la Coagulación (RMTC). Este informe representa el sexto año de nuestro esfuerzo a escala mundial para capturar sistemáticamente la experiencia médica del mundo real de personas con hemofilia. Asimismo, significa el año inaugural de la recopilación de datos sobre personas con enfermedad de Von Willebrand en todo el mundo. Esperamos que estos datos apoyen iniciativas de investigación y cabildeo, sirvan como herramienta para orientar las decisiones médicas, y mejoren la atención general de las personas con trastornos de la coagulación.

Hasta el 31 de diciembre del 2023, más de 13,000 personas con hemofilia de 119 centros de tratamiento de hemofilia (CTH) y 44 países de todo el mundo se habían sumado a nuestros esfuerzos de recopilación de estos valiosos datos. En este informe encontrarán el resumen totalizado de los datos de todas las personas con hemofilia y personas con enfermedad de Von Willebrand inscritas al registro. El 2023 marcó el lanzamiento de la recolección de datos de personas con enfermedad de Von Willebrand en el RMTC. Desde el inicio del año, 45 CTH de 22 países habían inscrito a cerca de 1,000 personas con enfermedad de Von Willebrand.

El RMTC ha logrado significativos avances en términos de participación e inscripción de pacientes, siendo importantes catalizadores para mejorar las capacidades de recopilación de datos programas tales como el Programa de Apoyo a la Investigación y el Programa de Financiamiento del RMTC para CTH.

En nombre de la FMH deseamos agradecer calurosamente a todos los dedicados proveedores de atención médica, a las personas con hemofilia y a las personas con enfermedad de Von Willebrand que forman parte de esta importante iniciativa. Asimismo, esperamos continuar colaborando con los CTH interesados en participar en el RMTC, al tiempo que la FMH impulsa su misión del Tratamiento para todos.

Deseamos igualmente reconocer a nuestras aliadas visionarias, Sobi y Takeda, las cuales nos han permitido crear este registro, así como a nuestras aliadas colaboradoras, F. Hoffmann-La Roche, Grifols, Novo Nordisk, Pfizer y Sanofi.

Atentamente,



César Garrido
Presidente



Glenn Pierce
Vicepresidente médico



ACERCA DEL RMTC

El RMTC de la FMH, puesto en marcha en enero de 2018, ofrece una plataforma para que CTH de todo el mundo recopilen datos uniformizados sobre personas con hemofilia y con EVW. El RMTC es un registro prospectivo, longitudinal y de observación. Es también un sistema de ingreso de datos basado en internet, con protección de la privacidad, que permite recopilar datos de pacientes individuales, proporcionando así un perfil clínico de cada paciente.

EL RMTC ESTÁ ABIERTO A
**TODAS LAS PERSONAS CON HEMOFILIA A
O B, Y CON EVW QUE SEAN PACIENTES
DE UN CTH PARTICIPANTE EN EL MISMO.**



METODOLOGÍA DEL RMTC

Los CTH participantes se encuentran a la vanguardia de la captación de pacientes y del ingreso de datos confidenciales y anonimizados de los pacientes a la base de datos del RMTC. La FMH colabora estrechamente con todos los CTH interesados a fin de orientarlos y ayudarlos en las etapas necesarias para participar en el programa, entre ellas la obtención de la aprobación de la junta de revisión institucional, la captación de personas con hemofilia y la gestión de sus datos.

El RMTC está abierto a todas las personas con hemofilia A o B y personas con enfermedad de Von Willebrand que sean pacientes de un CTH que participe en el registro. Se solicita a los CTH que inviten a todas las personas con hemofilia A y B, y EVW de su clínica a inscribirse al RMTC a fin de reducir al mínimo el riesgo de un sesgo en la selección. Todos los pacientes que acepten participar deben dar su consentimiento informado.

ORIGEN DE LOS DATOS DEL INFORME

Los datos presentados en el Informe de datos 2023 del RMTC abarcan datos totalizados y anónimos de pacientes que recibieron atención en un centro de tratamiento de hemofilia (CTH) participante y dieron su consentimiento para el ingreso de sus datos al Registro Mundial de Trastornos de la Coagulación (RMTC).

IMPLEMENTACIÓN

La implementación del RMTC empieza con los CTH. El equipo del RMTC, con ayuda de nuestras organizaciones nacionales miembros (ONM) identifica a CTH candidatos y los invita a inscribirse al RMTC. Los CTH interesados pueden comunicarse con el equipo del RMTC a wbdr@wfh.org. El equipo del RMTC está disponible para ayudar a los CTH a obtener la aprobación ética de su organización local.

JUNTAS DE REVISIÓN INSTITUCIONAL/COMITÉS DE ÉTICA

Los centros de tratamiento de hemofilia deben obtener la aprobación de la junta de investigación institucional o del comité de ética de su institución local antes de inscribir pacientes al RMTC. Se proporcionan a los CTH todos los documentos del RMTC requeridos para su presentación ante el comité de ética y hay versiones traducidas disponibles, previa solicitud.

CONSENTIMIENTO INFORMADO

Las personas con hemofilia y con EVW interesadas en participar en el RMTC deben ser pacientes de un CTH participante y otorgar su consentimiento informado para el ingreso de sus datos confidenciales y anónimos al registro.

Si un paciente decidiera no participar, continuará recibiendo la misma atención que todos los demás pacientes de su CTH. En el caso de pacientes que acepten participar en el RMTC, el equipo de tratamiento del CTH registrará los datos del paciente después de cada visita a la clínica y los ingresará al RMTC.

RECOPIACIÓN DE DATOS Y VISITAS DE SEGUIMIENTO

Los datos de los pacientes se recopilan durante la visita inicial (la visita en la que los pacientes otorgan su consentimiento informado) y durante todas las visitas de seguimiento a la clínica. Durante la visita inicial se recopilan datos retrospectivos correspondientes a los seis meses previos. Durante cada visita de seguimiento se recopilan datos del período transcurrido desde la visita anterior a la clínica. Este método garantiza que se capturen todos los datos y eventos a lo largo del tiempo.

DATOS DEL RMTC

En 2018, al momento del lanzamiento del RMTC, se presentó un conjunto de datos mínimos. En febrero de 2019 se preparó e implementó un conjunto de datos ampliados. Los datos de este informe se basan en los conjuntos de datos tanto mínimos como ampliados (Apéndice 1).

IDENTIFICADOR ÚNICO DE PACIENTES

Todos los pacientes cuyos datos se ingresan al RMTC reciben, mediante un proceso de *hashing* criptográfico, un identificador único de paciente (IUP). El IUP reduce el riesgo de ingresar pacientes por duplicado al RMTC y será útil para la vinculación con otras bases de datos en el futuro. Si desea obtener más información sobre el IUP y el proceso criptográfico consulte el documento sobre [Privacidad y seguridad de los datos](#) del RMTC.

TRANSFERENCIA DE PACIENTES

Puede transferirse a los pacientes entre CTH participantes en el RMTC. Esta función de transferencia es útil en países donde los pacientes reciben atención en más de un CTH.

PROGRAMA INTERNACIONAL DE INTEGRACIÓN DE DATOS

El RMTC cuenta con un componente internacional de integración de datos mediante el cual los registros de hemofilia existentes pueden exportar sus datos directamente al RMTC y formar parte de este registro internacional. Para obtener más información consulte la página [44](#).



CALIDAD DE LOS DATOS

El Programa de acreditación de la calidad de los datos del RMTC está diseñado para mejorar la integridad, exactitud y consistencia de los datos que se ingresan al RMTC. El equipo del RMTC colabora estrechamente con todos los CTH para garantizar que sus datos cumplan las normas de calidad de datos del RMTC.

Para obtener más información sobre el programa de calidad de los datos del RMTC consulte la página [42](#).

PROGRAMAS DE APOYO Y CAPACITACIÓN PARA CTH

Los programas de apoyo y capacitación del RMTC, entre ellos el Programa de Apoyo a la Investigación y el Programa de Financiamiento a CTH, están disponibles para todos los CTH que participan en el registro. Estos programas se diseñaron a fin de garantizar el éxito del RMTC a largo plazo. Se ofrecen capacitaciones presenciales y como webinaros sobre los siguientes temas:

- Proceso de presentación ante el comité de ética.
- Obtención del consentimiento informado.
- Ingreso de datos.
- Gestión de la calidad de los datos.
- Uso eficaz de los datos con fines de investigación y cabildeo.

GOBERNANZA Y ACCESO A LOS DATOS

Cada CTH tiene acceso solamente a los datos que ingresa al RMTC y no pueden ver datos ingresados por ningún otro CTH. Cada año se publican en el Informe de datos del RMTC los datos totalizados de todos los CTH inscritos. Puede obtenerse acceso a los datos con fines de investigación y cabildeo a través del Comité de gobernanza de la investigación del RMTC.

PRIVACIDAD DE LOS DATOS

La base de datos del RMTC se creó por medio de la colaboración entre la FMH, el Instituto Karolinska y BCB Medical, las dos últimas, organizaciones con sede en Suecia. Toda la información de pacientes que se ingresa al RMTC es anónima y confidencial. Las directrices sobre políticas de datos de BCB Medical cumplen con los requisitos de la marca CE (*Conformité Européenne*) y de la norma IG SoC (Declaración de cumplimiento de la gobernanza de la información) del Reino Unido, así como con el Reglamento General de Protección de Datos. Para obtener más información consulte el documento sobre [Privacidad y seguridad de los datos del RMTC](#).

ACERCA DEL INFORME DE DATOS 2023 DEL RMTC

Los datos de esta edición del Informe de datos del RMTC abarcan información sobre pacientes recopilada entre la fecha de lanzamiento del registro, el 26 de enero de 2018, y el 31 de diciembre de 2023. Estos datos provienen de 119 CTH participantes (Apéndice 2), que representan a 44 países, que cuentan con la aprobación de la junta de revisión institucional, y que, al 31 de diciembre de 2023, inscribieron al RMTC a por lo menos un paciente. El informe está dividido en dos secciones; la primera sección se enfoca en personas con hemofilia, mientras que la segunda destaca el primer año de recopilación de datos sobre personas con enfermedad de Von Willebrand.

Sírvase notar que, al momento del corte de datos para este informe (31 de diciembre de 2023), es probable que no todos los pacientes elegibles de los CTH participantes se hayan inscrito al RMTC. Por tanto, los datos de este informe pudieran no representar a toda la población de pacientes de cada CTH, lo que limita las generalizaciones. A medida que aumente la proporción de pacientes inscritos al RMTC en los CTH participantes, los datos serán más representativos de la población de pacientes de cada CTH.

Los datos de 2023 del RMTC se reportan usando distribuciones de frecuencia y porcentajes para datos cualitativos y medianas con cuartiles 1 y 3, indicados como (Q1 – Q3), y/o rango para variables continuas.

COMITÉ DIRECTIVO DEL RMTC DE LA FMH

La FMH desea agradecer la dedicación del actual comité directivo del RMTC al desarrollo y a la implementación del RMTC:

- Dr. Alfonso Iorio, PhD, copresidente
- Dra. Emna Gouider, copresidente
- Dra. Barbara Konkle
- Dr. Saliou Diop
- Dr. Cédric Hermans, PhD
- Dra. Catherine Lambert
- Jamie O'Hara, MSc
- Dr. Glenn Pierce, PhD, vicepresidente médico de la FMH
- César Garrido, presidente de la FMH

REPRESENTACIÓN MUNDIAL EN EL RMTC, 2023

14,342 personas con hemofilia y personas con enfermedad de Von Willebrand se han inscrito al RMTC

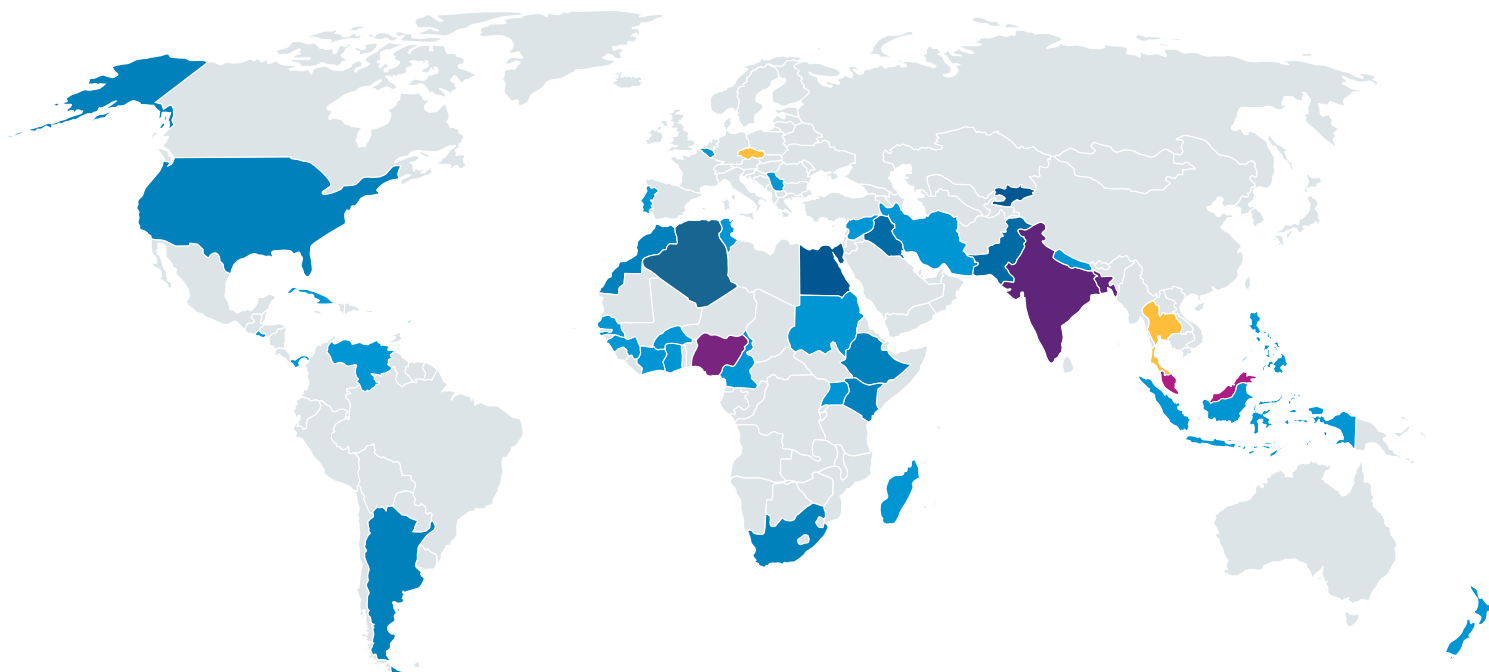


FIGURA 1
PAÍSES Y CTH PARTICIPANTES
EN EL RMTC

Número de CTH por país



Vinculación de datos

Para obtener una lista completa de CTH consulte el Apéndice 2.

Argelia	2	Kenia	2
Argentina	2	Kirguistán.....	4
Bangladesh	6	Madagascar.....	1
Barbados	1	Malasia.....	15
Bélgica	1	Marruecos.....	2
Burkina Faso.....	1	Nepal	1
Camerún	1	Nigeria	7
Chequia	17	Nueva Zelanda.....	2
Côte d'Ivoire	1	Panamá	1
Cuba	1	Paquistán.....	3
Egipto	4	Portugal	1
El Salvador.....	1	Senegal.....	1
Estados Unidos	2	Serbia.....	1
Etiopía	1	Siria	1
Filipinas.....	1	Sudáfrica.....	2
Ghana	1	Sudán.....	1
Guinea	1	Tailandia.....	8
India	6	Túnez.....	1
Indonesia.....	1	Uganda	1
Irán	1	Venezuela	1
Irak	3		



DATOS INCLUIDOS EN EL INFORME DE DATOS 2023 DEL RMTC HEMOFILIA

119

CTH INSCRITOS

44

PAÍSES REPRESENTADOS

13,343

PACIENTES INSCRITOS



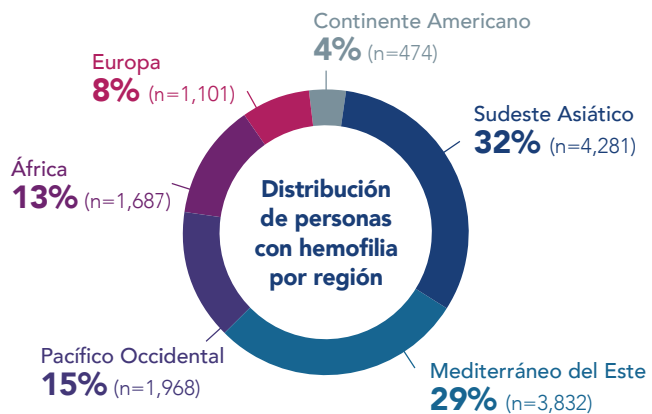
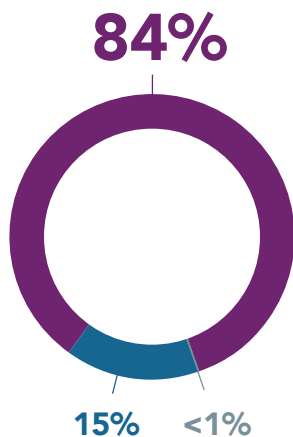
11,245
personas con hemofilia A



2,050
personas con hemofilia B



48
personas con hemofilia de tipo desconocido



CUADRO 1

Resumen de participación - Hemofilia

	Personas con hemofilia leve y moderada*	Personas con hemofilia grave*
Países, n	43	43
Centros de tratamiento de hemofilia**, n	103	113
Personas con hemofilia, n	6,194	6,616
Distribución de personas con hemofilia por región†, n (%)		
África (n=1,687)	473 (28%)	796 (47%)
Continente Americano (n=474)	125 (26%)	340 (72%)
Mediterráneo del Este (n=3,832)	1,782 (47%)	1,989 (52%)
Europa (n=1,101)	614 (56%)	475 (43%)
Sudeste Asiático (n=4,281)	2,390 (56%)	1,861 (43%)
Pacífico Occidental (n=1,968)	810 (41%)	1,155 (59%)
Distribución de personas con hemofilia por INB§, n (%)		
Ingresos altos (n= 1,309)	606 (54%)	501 (45%)
Ingresos medios altos (n=1,945)	709 (34%)	1,356 (65%)
Ingresos medios bajos (n= 7,575)	4,515 (48%)	4,486 (48%)
Ingresos bajos (n=545)	366 (47%)	273 (35%)

* Se define a personas con hemofilia grave por un nivel de factor <1%. Se excluyeron 533 personas con hemofilia de gravedad desconocida por lo cual los totales no suman 100%.

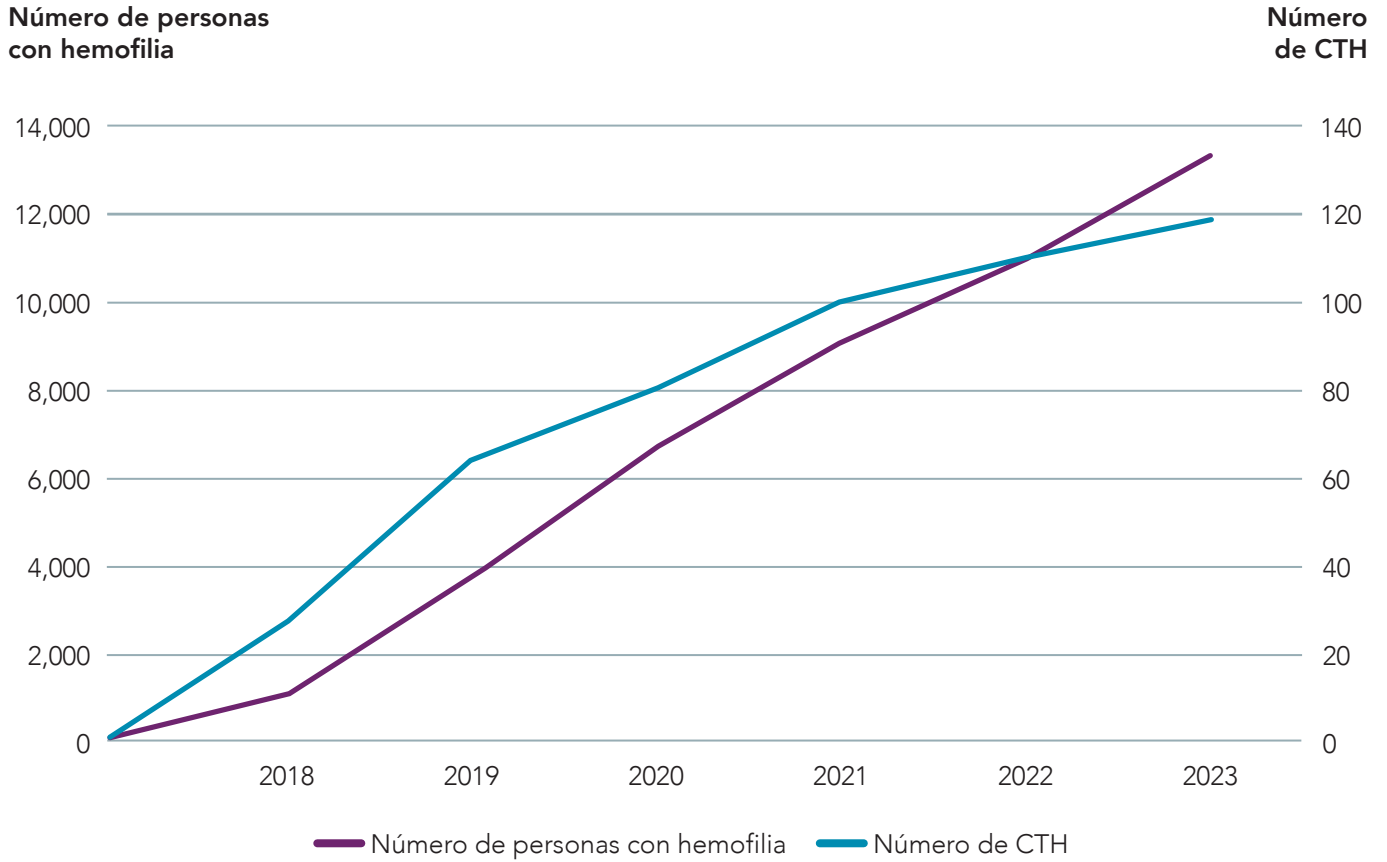
** Los CTH incluidos son los que cuentan con aprobación de la junta de revisión institucional y que, al 31 de diciembre de 2023, inscribieron a por lo menos una persona con hemofilia al RMTC.

† Regiones basadas en los grupos regionales de la OMS.²

§ INB = Ingreso Nacional Bruto; las categorías de ingreso nacional bruto están basadas en la clasificación 2023 del Grupo Banco Mundial para "ingreso nacional bruto" per cápita, método Atlas (US\$ actuales).³

Figura 2

Inscripción de personas con hemofilia y CTH al RMTC Enero de 2018 – diciembre de 2023

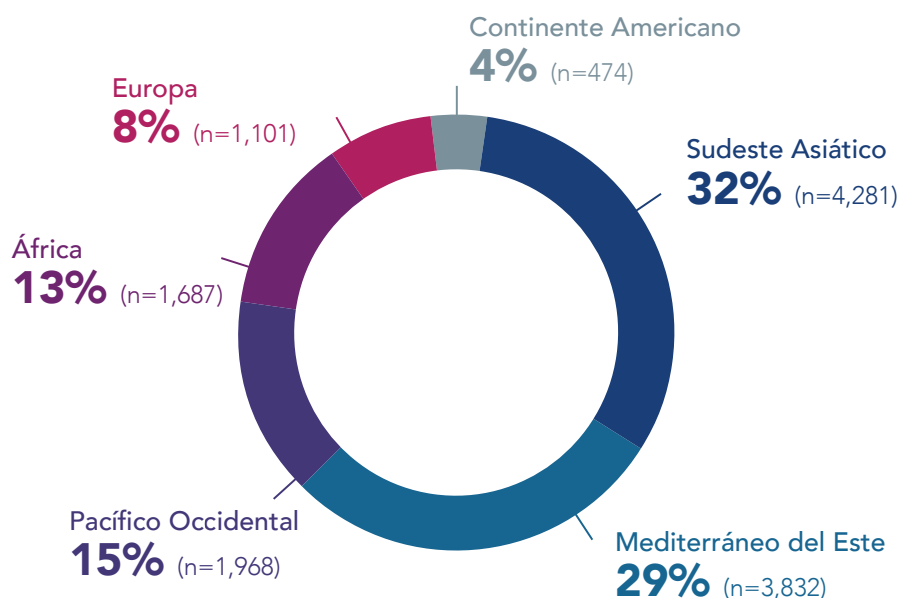


DISTRIBUCIÓN DE PERSONAS CON HEMOFILIA

La clasificación regional usada en el RMTTC se basa en la clasificación regional de la OMS². La mayoría de las personas con hemofilia participante el RMTTC vive en la región del Sudeste Asiático (Bangladesh, India, Indonesia, Nepal y Tailandia) y en el Mediterráneo del Este (Argelia, Egipto, Irán, Irak, Marruecos, Paquistán, Sudán, Siria y Túnez), las cuales representan al 32% y 29% de las personas con hemofilia respectivamente (Figura 3).

Figura 3

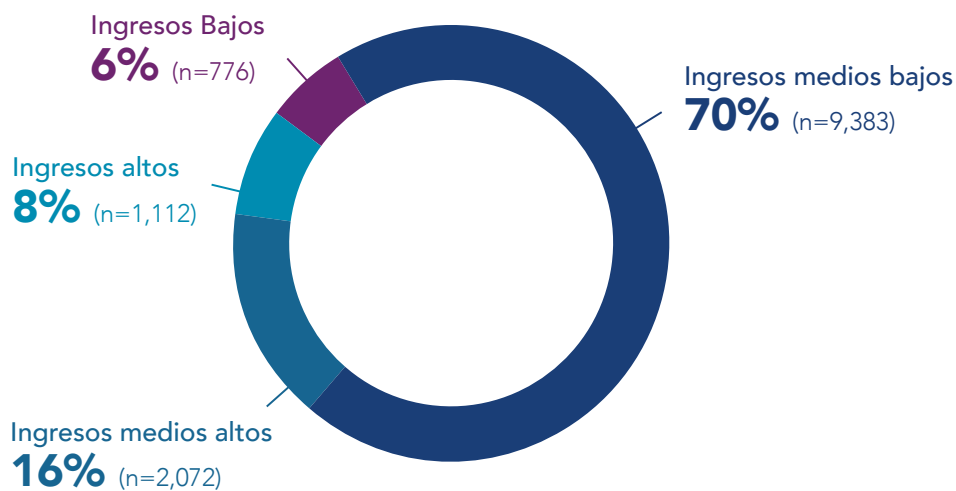
Distribución de personas con hemofilia, por región



La distribución de participantes por ingreso nacional bruto (INB) per cápita³ demuestra que la mayoría de las personas con hemofilia participante en el RMTTC proviene de países con ingresos medios bajos (70%), seguida de países con ingresos medios altos, ingresos altos, e ingresos bajos, representando el 16%, 8% y 6% respectivamente (Figura 4).

Figura 4

Distribución de personas con hemofilia, por ingreso nacional bruto (INB)



INFORMACIÓN DEMOGRÁFICA SOBRE LA HEMOFILIA

CUADRO 2

Resumen de información demográfica sobre la hemofilia

	Personas con hemofilia leve y moderada*	Personas con hemofilia grave*
Tipo de hemofilia**, n (%)		
Hemofilia A (n=11,245)	5,117 (46%)	5,692 (51%)
Hemofilia B (n=2,050)	1,068 (52%)	919 (45%)
Sexo, n (%)		
Masculino (n=13,167)	6,074 (46%)	6,574 (50%)
Femenino (n=174)	119 (68%)	41 (24%)
Edad de las personas con hemofilia[§]		
Edad, años, mediana (RIC)	21 (12-34)	20 (11-32)
Pediátricos (<18 años), (n=5,843)	2,575 (44%)	2,960 (51%)
Adultos (≥18 años), (n=7,500)	3,619 (48%)	3,656 (49%)

RIC=rango intercuartil

* Se excluyeron 533 personas con hemofilia de gravedad desconocida, por lo cual los totales no suman 100%.

** Se excluyeron 48 personas con hemofilia de tipo desconocido, por lo cual los totales no suman 100%.

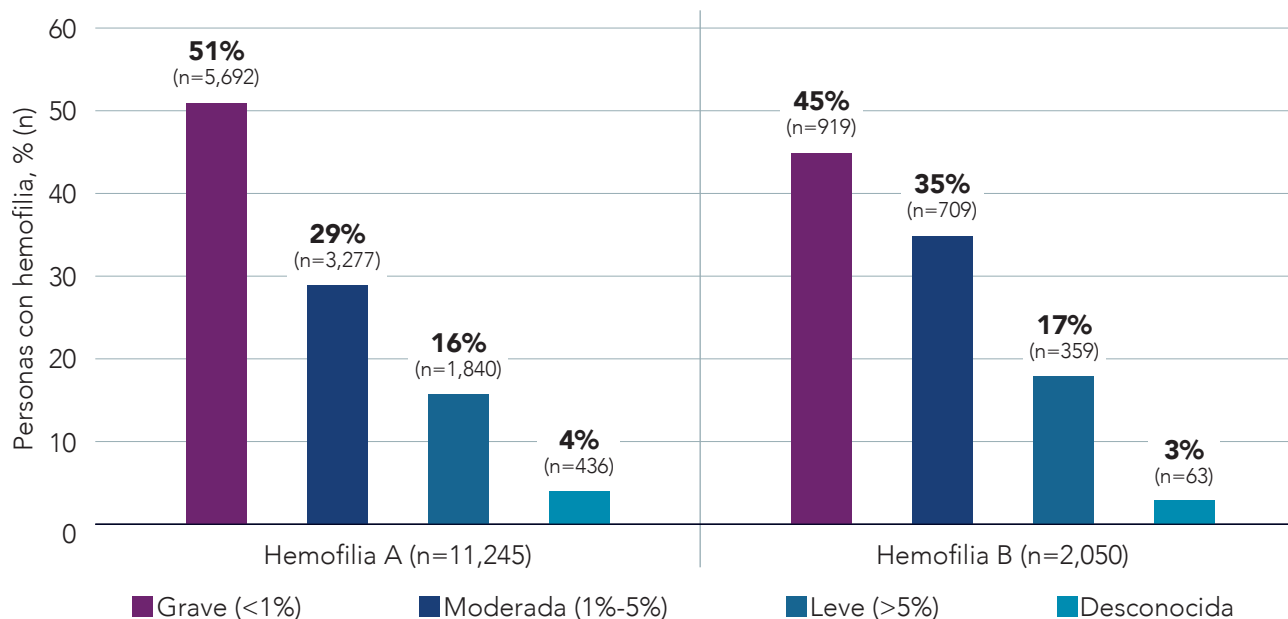
§ La edad de las personas con hemofilia se calculó al 31 de diciembre de 2023.

TIPO Y GRAVEDAD DE LA HEMOFILIA

En general, 99% (n=13,167) de los participantes son hombres; 84% (n=11,245) tiene hemofilia A y 15% (n=2,050) tiene hemofilia B (Cuadro 2). La categoría más frecuente de gravedad entre los pacientes con hemofilia A y con hemofilia B fue grave, con 51% y 45% respectivamente (Figura 5).

Figura 5

Tipo* y gravedad de la hemofilia, % (n)



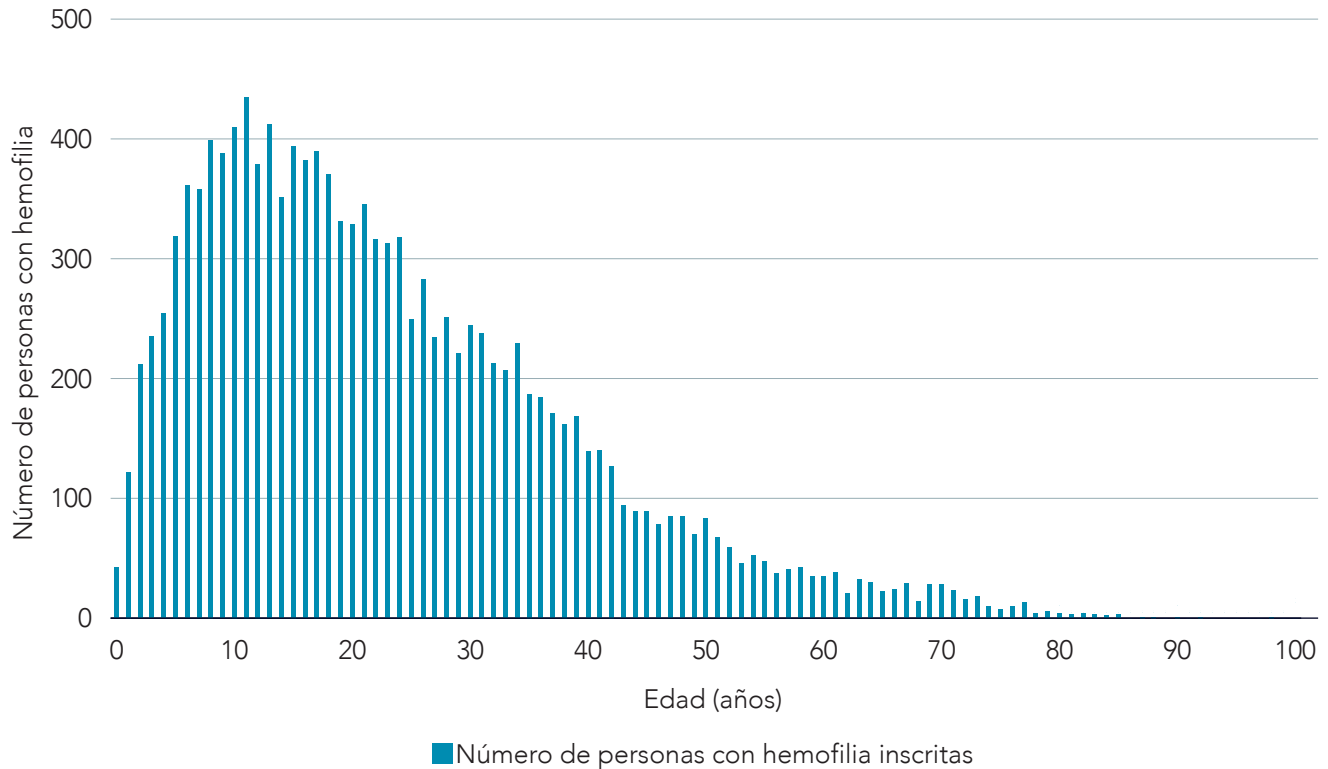
* Se excluyeron de esta figura 48 personas con hemofilia de tipo desconocido.

EDAD DE LAS PERSONAS CON HEMOFILIA EN EL RMTC

La mediana de edad de las personas con hemofilia fue de 20 años, con una variación desde un mes hasta 98 años (Figura 6). Los adultos (≥ 18) representan el 56% ($n=7,500$) y los niños (<18) representan el 44% ($n=5,843$) de todas las personas con hemofilia.

Figura 6

Distribución etaria de personas con hemofilia en el RMTC



PROPORCIÓN ENTRE NIÑOS Y ADULTOS PARTICIPANTES



44%

NIÑOS

:

56%

ADULTOS



DIAGNÓSTICO E HISTORIAL CLÍNICO DE LA HEMOFILIA

CUADRO 3a

Resumen del diagnóstico e historial clínico

	Personas con hemofilia leve y moderada (n=6,194)	Personas con hemofilia grave (n=6,616)
Edad al momento del diagnóstico, meses, mediana (RIC)	62 (16-172)	20 (7-88)
Edad al momento del diagnóstico por categoría etaria, n (%)		
0-11 meses	1,198 (19%)	2,427 (37%)
1-4 años	1,803 (29%)	2,044 (31%)
5-17 años	1,908 (31%)	1,373 (21%)
18-44 años	1,006 (16%)	644 (10%)
45+ años	199 (3%)	56 (<1%)
Edad desconocida	80 (1%)	72 (1%)

CUADRO 3b

	Personas con hemofilia leve y moderada (n=6,194)	Personas con hemofilia grave (n=6,616)
Personas con hemofilia recién diagnosticadas en 2023, n (%)	226 (4%)	149 (2%)
Edad al momento de la primera hemorragia*, meses, mediana (RIC)	18 (6-60)	8 (5-18)
Edad al momento de la primera hemorragia articular**, meses, mediana (RIC)	36 (12-74)	18 (10-47)

* Basado en 10,408 personas con hemofilia con datos sobre la primera hemorragia.

** Basado en 8,418 personas con hemofilia con datos sobre la primera hemorragia articular.

EDAD AL MOMENTO DEL DIAGNÓSTICO

La mediana (RIC) de edad al momento del diagnóstico fue de 37 meses (10-128) para todas las personas con hemofilia; de 62 meses (16-172) para personas con hemofilia leve y moderada; y de 20 meses (7-88) para personas con hemofilia grave (Cuadro 3a). En el caso de personas con hemofilia leve y moderada, la mediana de edad al momento del diagnóstico, por región varió desde 19 meses en el Continente Americano hasta 84 meses en la región Pacífico Occidental (Figura 7). En personas con hemofilia grave, la edad más avanzada al momento del diagnóstico fue de 45 meses en África, y la edad menos avanzada fue de 8 meses en el Continente Americano (Figura 7). La edad al momento del diagnóstico en el caso de personas con hemofilia grave disminuyó a medida que aumentó el INB, desde 44 meses en países con ingresos bajos hasta 10 meses en países con ingresos altos. En el caso de personas con hemofilia leve y moderada, la edad más avanzada al momento del diagnóstico fue de 70 meses, en países con ingresos medios altos (Figura 8).

En 2023 hubo 429 personas con hemofilia recién diagnosticadas, de las cuales 149 son personas con hemofilia grave.

Diecinueve por ciento de las personas con hemofilia leve y moderada y 37% de las personas con hemofilia grave recibieron diagnóstico antes de los 12 meses. Cuarenta y ocho por ciento de las personas con hemofilia leve y moderada y 67% de todas las personas con hemofilia grave recibieron diagnóstico antes de la edad de 5 años (Cuadro 3a, Figura 9).

62 MESES

MEDIANA DE EDAD AL MOMENTO DEL DIAGNÓSTICO PARA PERSONAS CON HEMOFILIA LEVE Y MODERADA

20 MESES

MEDIANA DE EDAD AL MOMENTO DEL DIAGNÓSTICO PARA PERSONAS CON HEMOFILIA GRAVE

Figura 7

Edad al momento del diagnóstico, por región

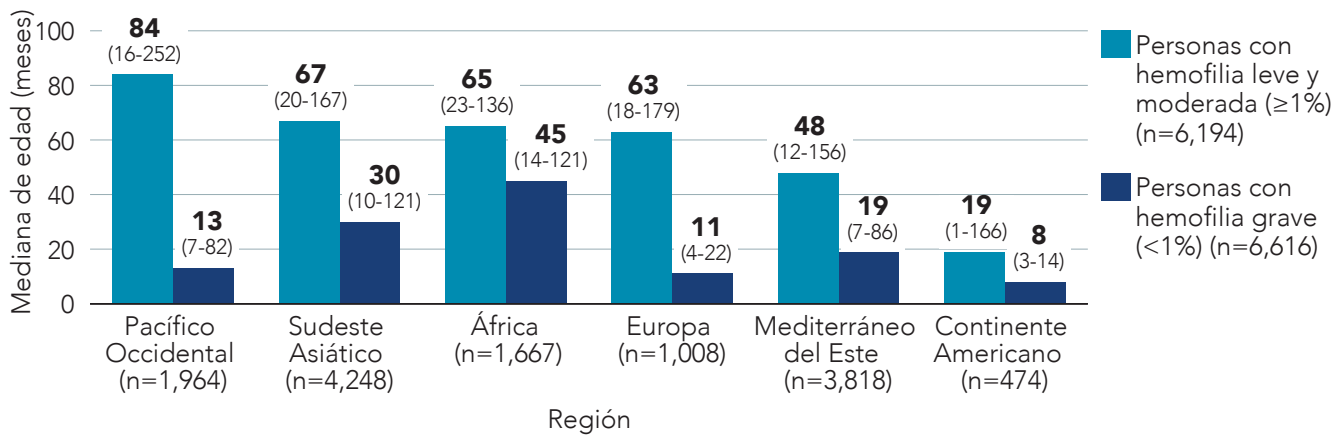


Figura 8

Edad al momento del diagnóstico, por ingreso nacional bruto

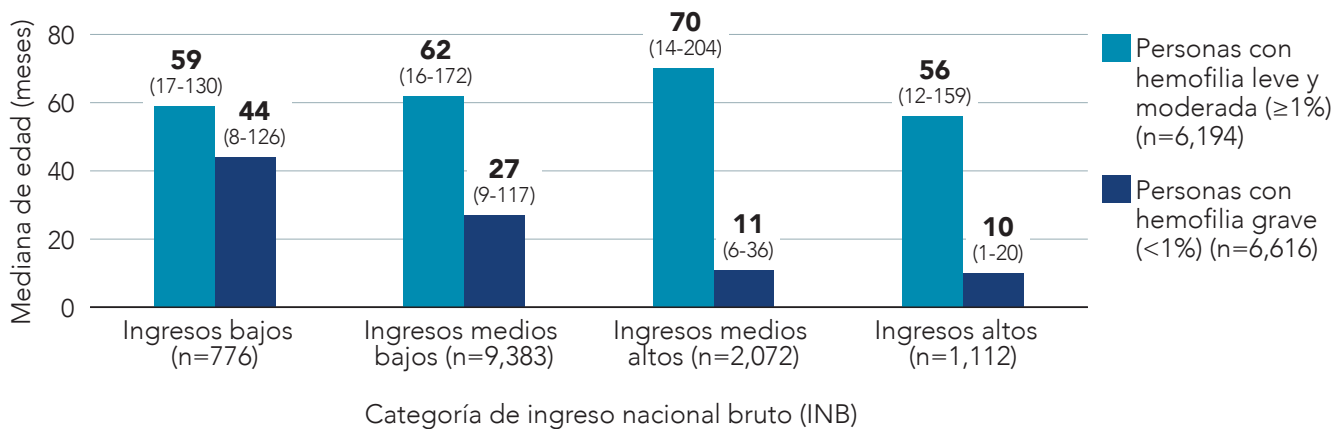
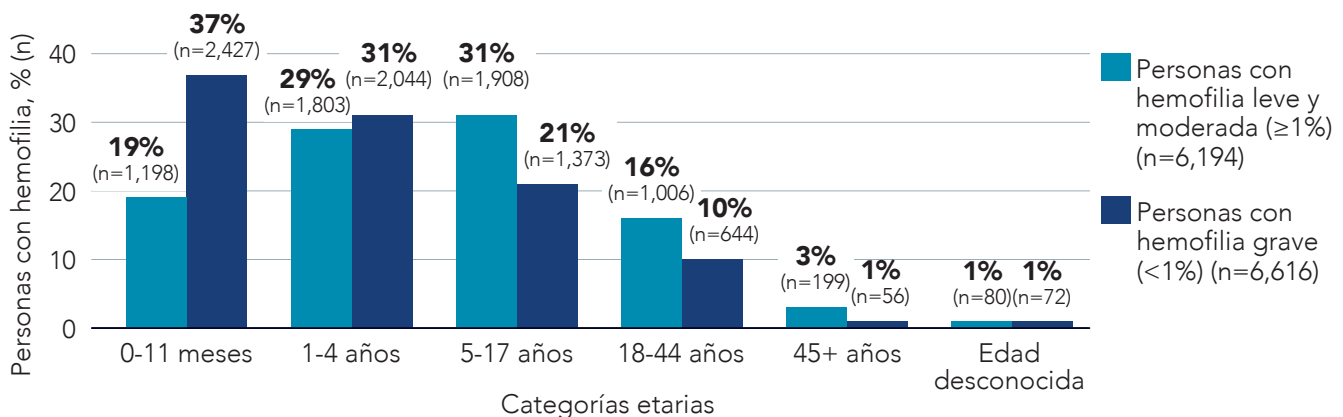


Figura 9

Distribución etaria de personas con hemofilia al momento del diagnóstico



EDAD AL MOMENTO DE LA PRIMERA HEMORRAGIA Y DE LA PRIMERA HEMORRAGIA ARTICULAR

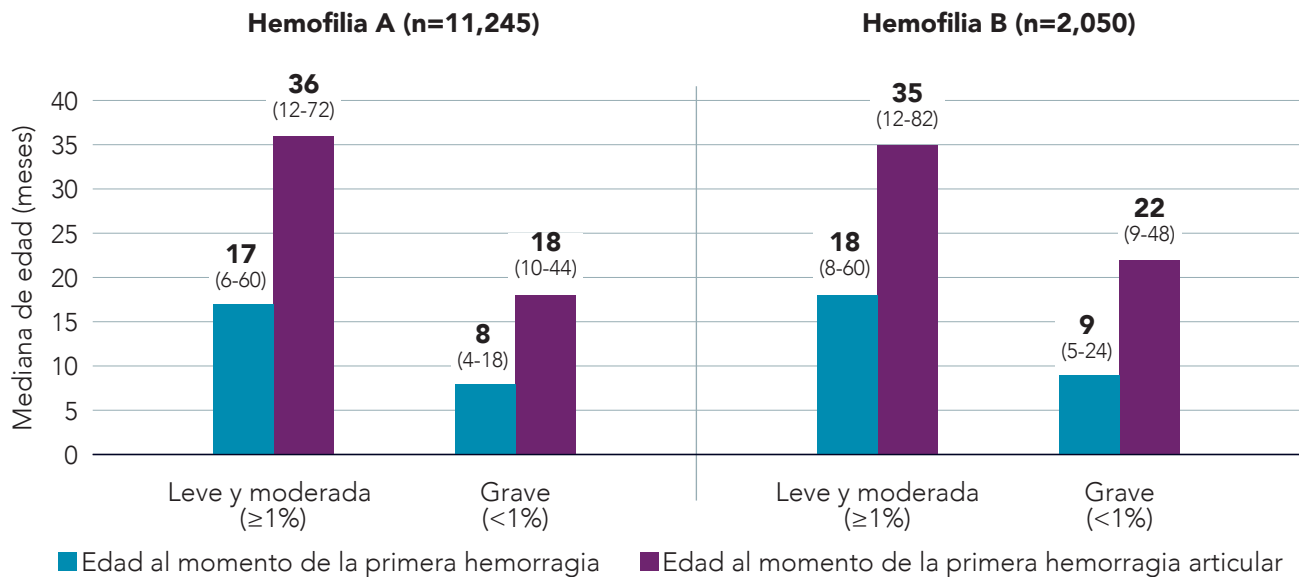
Las medianas de edad al momento de la primera hemorragia y de la primera hemorragia articular fueron de 11 y 24 meses, respectivamente, para todas las personas con hemofilia.

En el caso de personas con hemofilia A grave, la mediana de edad al momento de la primera hemorragia fue de 8 meses, y la mediana de edad al momento de la primera hemorragia articular fue de 18 meses (Figura 10).

En el caso de personas con hemofilia B grave, la mediana de edad al momento de la primera hemorragia fue de 9 meses, y la mediana de edad al momento de la primera hemorragia articular fue de 22 meses (Figura 10).

Figura 10

Edad al momento de la primera hemorragia y de la primera hemorragia articular, por gravedad, hemofilia A y B, meses, mediana (RIC)



EMPLEO

De las 2,634 personas con hemofilia grave adultas (≥ 18 años) que reportaron su situación laboral, 36% estaban empleadas ya sea a tiempo completo o a medio tiempo. La hemofilia afectó la situación laboral de 20% de las personas con hemofilia, quienes se vieron forzadas a trabajar medio tiempo, a solicitar permiso de ausencia a largo plazo, a quedar desempleadas o a jubilarse (Cuadro 4).

CUADRO 4
Empleo

Situación laboral reportada	Personas con hemofilia leve y moderada* (n=2,463)	Personas con hemofilia grave* (n=2,634)
Empleada a tiempo completo o medio tiempo	980 (40%)	952 (36%)
Empleada a medio tiempo debido a la hemofilia	187 (8%)	232 (9%)
Permiso de ausencia a largo plazo por enfermedad debido a la hemofilia	23 (1%)	24 (1%)
Desempleada debido a la hemofilia	131 (5%)	231 (9%)
Jubilada debido a la hemofilia	24 (1%)	19 (1%)
Estudiante	804 (33%)	818 (31%)
Otra	314 (13%)	358 (14%)

* Se excluyeron 126 personas con hemofilia de gravedad desconocida.



20% DE LOS ADULTOS CON HEMOFILIA GRAVE INFORMA QUE SU SITUACIÓN LABORAL SE VE AFECTADA NEGATIVAMENTE DEBIDO A LA HEMOFILIA.

DATOS CLÍNICOS SOBRE LA HEMOFILIA

LOS DATOS CLÍNICOS SOBRE LA HEMOFILIA REPRESENTAN EVENTOS CLÍNICOS OCURRIDOS EN 2023.

CUADRO 5

Resumen de eventos hemorrágicos, 2023

	Personas con hemofilia leve y moderada* (n=5,721)	Personas con hemofilia grave* (n=6,333)
Hemorragias por paciente, media (DE)	4.4 (7.0)	7.3 (11.5)
Pacientes con 0 hemorragias en 2023, n (%)	436 (8%)	624 (10%)
Articulaciones diana**, n (%)		
≥1	431 (8%)	1,011 (16%)
Total de eventos hemorrágicos[§], n	7,943	20,295
Localización o tipo de la hemorragia, n (%)		
Articulación	5,877 (74%)	16,434 (81%)
Músculo	1,087 (14%)	2,174 (11%)
Gastrointestinal	84 (1%)	84 (<1%)
Periodo menstrual abundante	37 (<1%)	8 (<1%)
Sistema nervioso central (SNC)	25 (<1%)	27 (<1%)
Cuello/Garganta	41 (1%)	11(<1%)
Otro lugar	833 (10%)	1,611 (8%)

* Se excluyeron 532 personas con hemofilia de gravedad desconocida. Al momento de la publicación no se contaba con datos del 2023 para 757 personas con hemofilia de Chequia.

** Incluye a personas con hemofilia que reportaron al menos una articulación diana en 2023; las articulaciones diana se definen como "3 o más hemorragias espontáneas en una sola articulación durante un periodo de 6 meses consecutivos. Cuando se han presentado ≤2 hemorragias en la articulación dentro de un periodo de 12 meses consecutivos, la articulación ya no se considera articulación diana".⁴

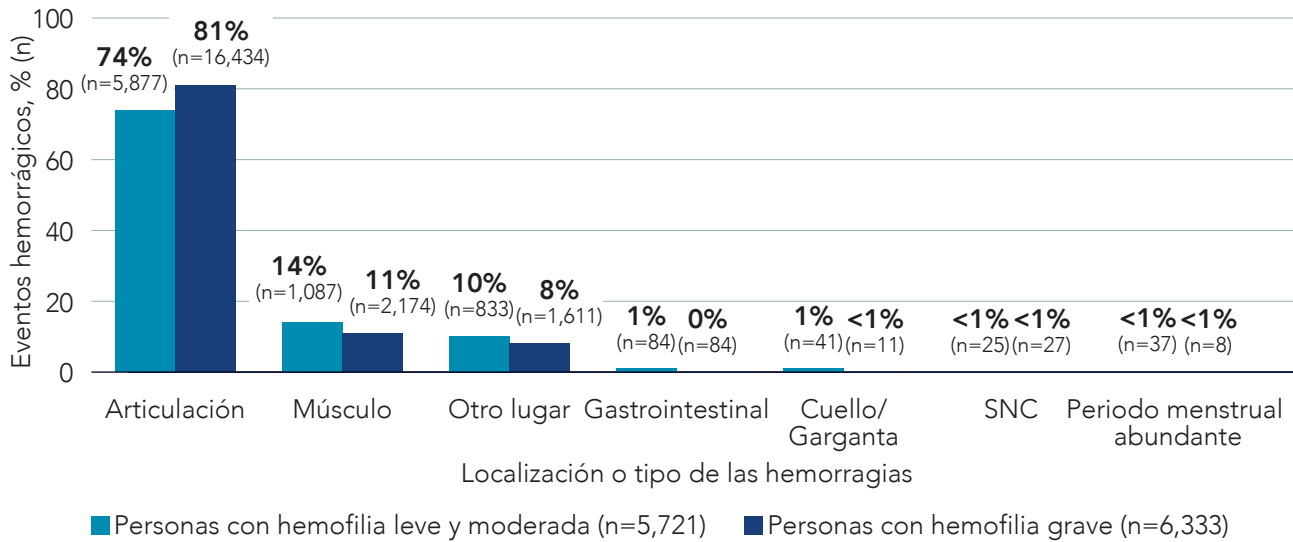
[§] Es probable que las personas con hemofilia hayan presentado hemorragias en más de un lugar.

EVENTOS HEMORRÁGICOS

En 2023, las personas con hemofilia reportaron un total de 29,071 hemorragias. De estas, 22,937 (79%) fueron hemorragias articulares; 3,427 (12%) fueron hemorragias musculares; y 54 (<1%) fueron hemorragias en el sistema nervioso central (SNC). Las personas con hemofilia grave reportaron un total de 20,295 hemorragias. La distribución de eventos hemorrágicos por localización o tipo en personas con hemofilia grave fue similar a la de personas con hemofilia leve y moderada (Figura 11).

Figura 11

Localización o tipo de los eventos hemorrágicos, % (n)



TASA ANUALIZADA DE HEMORRAGIAS Y TASA ANUALIZADA DE HEMORRAGIAS ARTICULARES

La tasa anualizada de hemorragias (TAH) y la tasa anualizada de hemorragias articulares (TAHA) se calcularon anualizando el número de hemorragias y el número de hemorragias articulares, respectivamente. La TAH y la TAHA se calcularon con base en el número total de hemorragias reportadas durante las visitas en 2023, dividido entre el período de observación expresado en días, y anualizado. El cálculo utilizado es el siguiente: $(\text{número de hemorragias} / \text{período de observación en días}) \times 365.25$. Si el intervalo entre la primera visita del 2023 y la visita anterior fuera superior a 18 meses, se excluye del análisis la hemorragia reportada de este intervalo. Solamente se utilizaron períodos de observación totales de más de 30 días. No se calcularon la TAH y la TAHA en casos en los que un paciente no tuvo una visita en el 2023 o cuando el período de observación fue menor a 30 días. En las figuras 14 y 15 se excluyó a los pacientes con 0 hemorragias en 2023. Se interpreta que los pacientes con 0 hemorragias en un año determinado reciben el tratamiento necesario para prevenirlas. Esto permite un análisis más profundo de la necesidad de atención al considerar la TAH y la TAHA por categoría económica o región.

TAH

La mediana (RIC) de la TAH fue de 4 (1-10) para todas las personas con hemofilia, con variaciones según el INB (Figura 12) y la región (Figura 14). Los países con ingresos altos y medios altos tienen una TAH de 0 (Figura 12). Las figuras 16 y 18 muestran la TAH según el INB y la región, excluyendo a personas con hemofilia que presentaron 0 hemorragias; la TAH para todas las personas con hemofilia es de 6 (3-13), disminuye conforme aumentan los ingresos y varía entre las regiones.

TAHA

La mediana (RIC) de la TAHA fue de 2 (0-8) para todas las personas con hemofilia, con variaciones según el INB (Figura 13) y la región (Figura 15). La TAHA observada en países con ingresos bajos fue de 2 (0-8) y de 0 para países con ingresos altos. Las figuras 17 y 19 muestran la TAHA según el INB y la región, excluyendo a personas con hemofilia que presentaron 0 hemorragias; la TAHA fue de 6 (2-12) y se redujo de 8 (4-15) a 2 (2-4) al comparar a países con ingresos altos y con ingresos bajos, y varía entre las regiones.

Figura 12

Mediana de la TAH para todas las personas con hemofilia, por INB

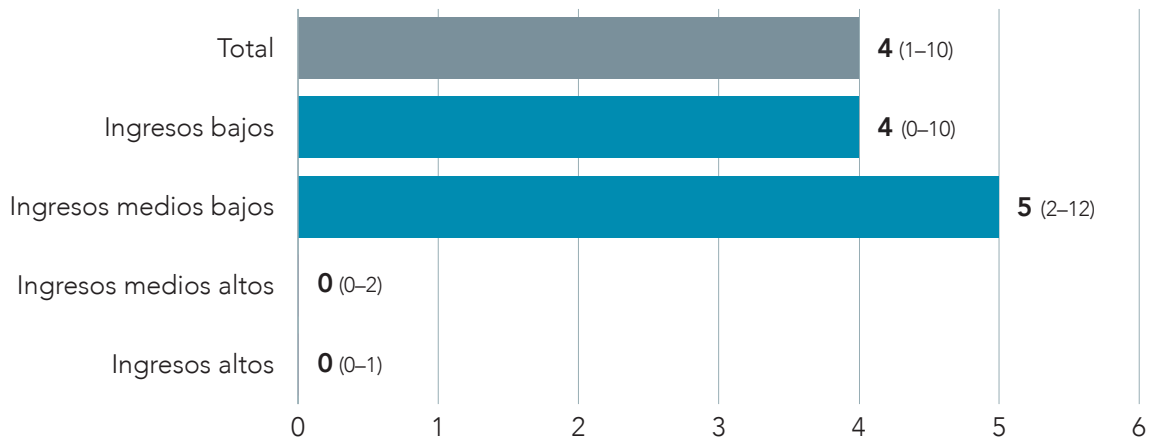


Figura 13

Mediana de la TAHA para todas las personas con hemofilia, por INB

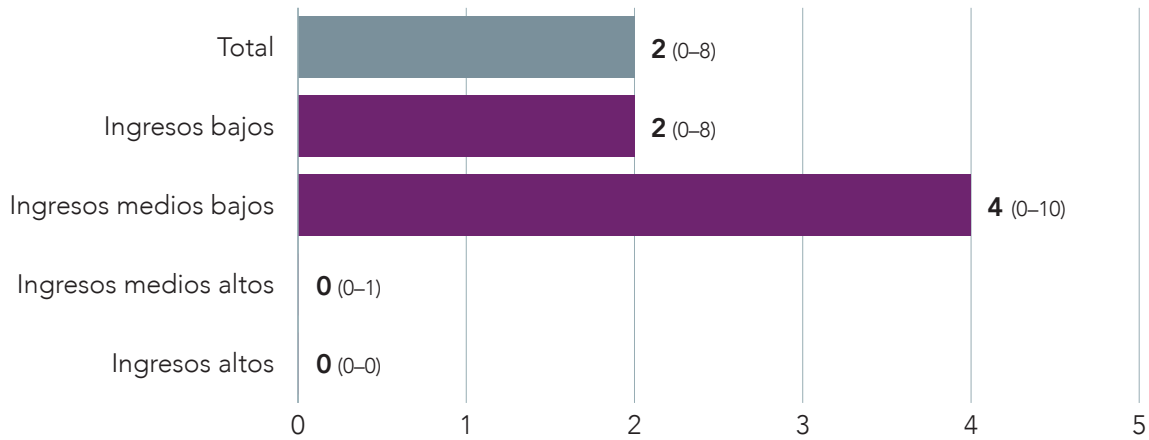


Figura 14

Mediana de la TAH para todas las personas con hemofilia, por región

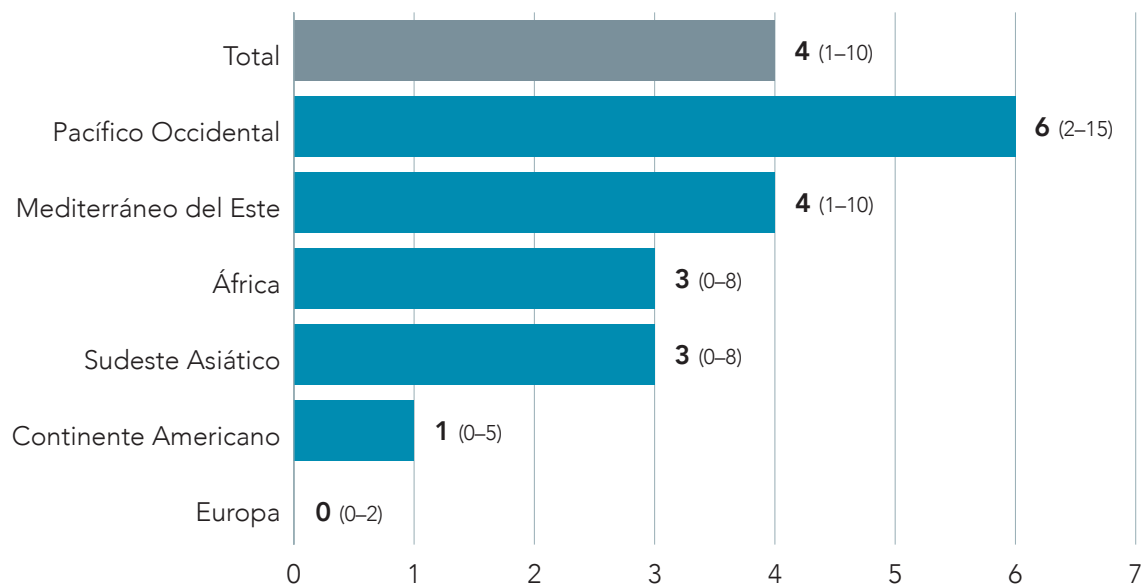


Figura 15

Mediana de la TAHA para todas las personas con hemofilia, por región

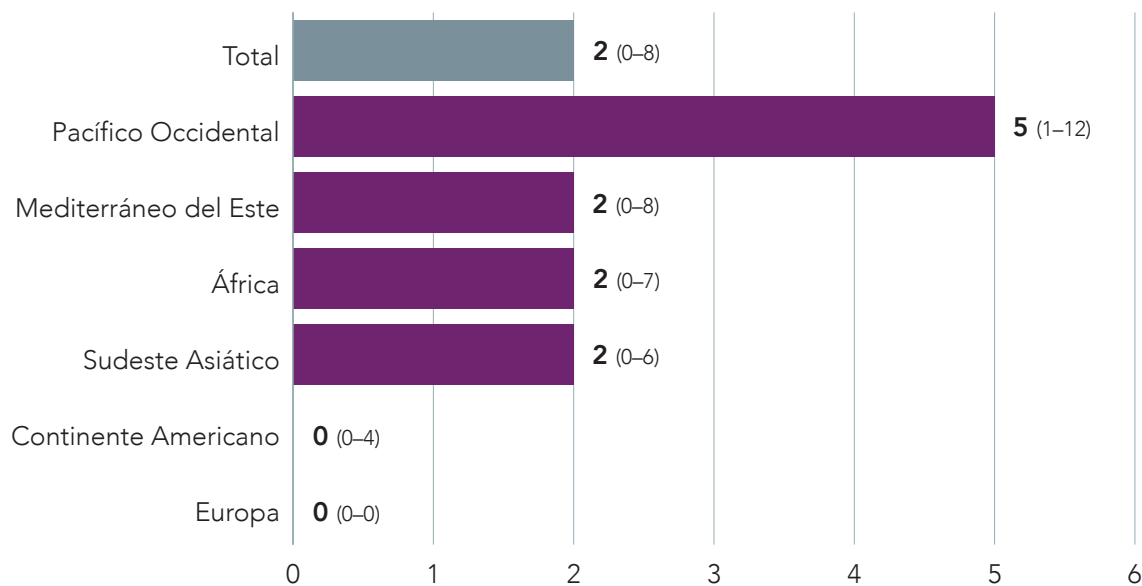


Figura 16

Mediana de la TAH para todas las personas con hemofilia, por INB (excluyendo pacientes con 0 hemorragias)

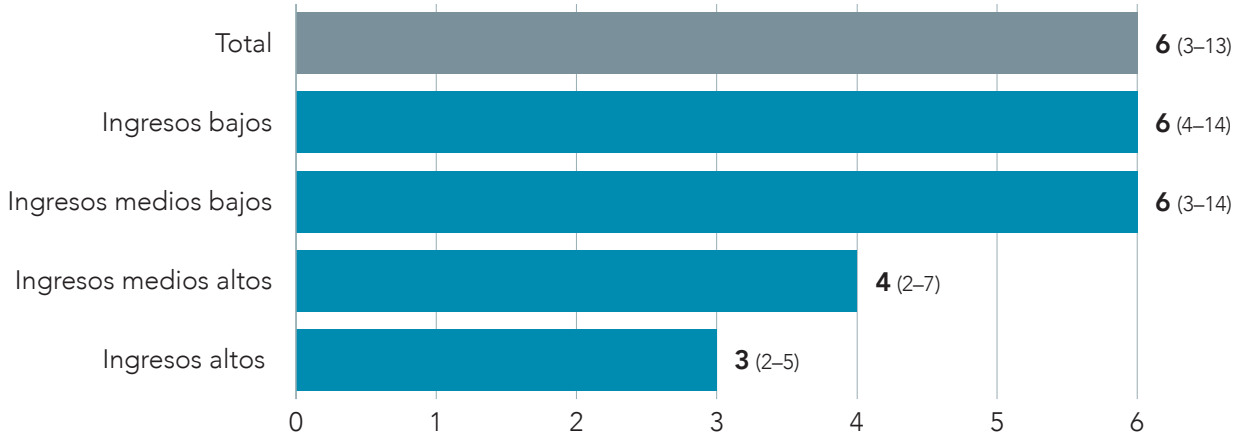


Figura 17

Mediana de la TAHA para todas las personas con hemofilia, por INB (excluyendo pacientes con 0 hemorragias)

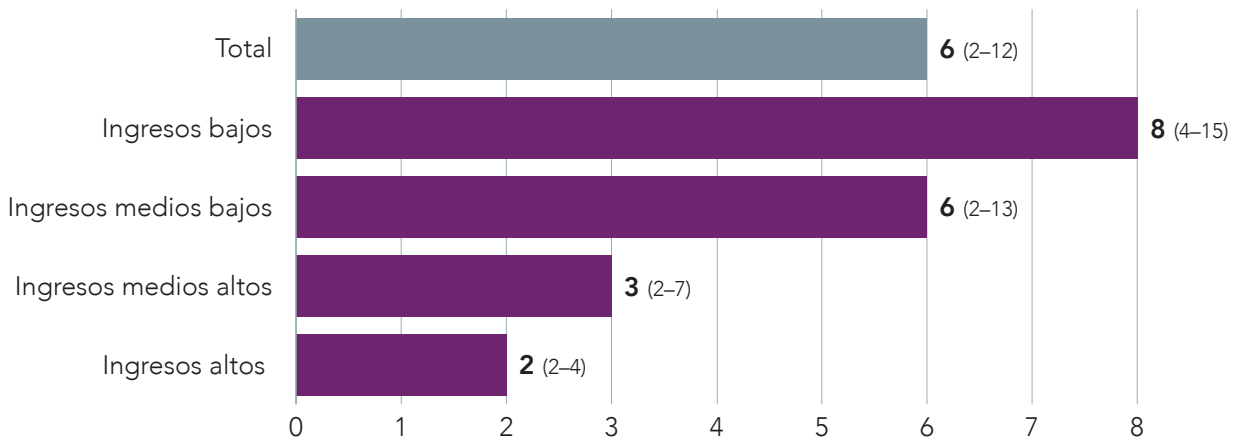


Figura 18

Mediana de la TAH para todas las personas con hemofilia, por región (excluyendo pacientes con 0 hemorragias)

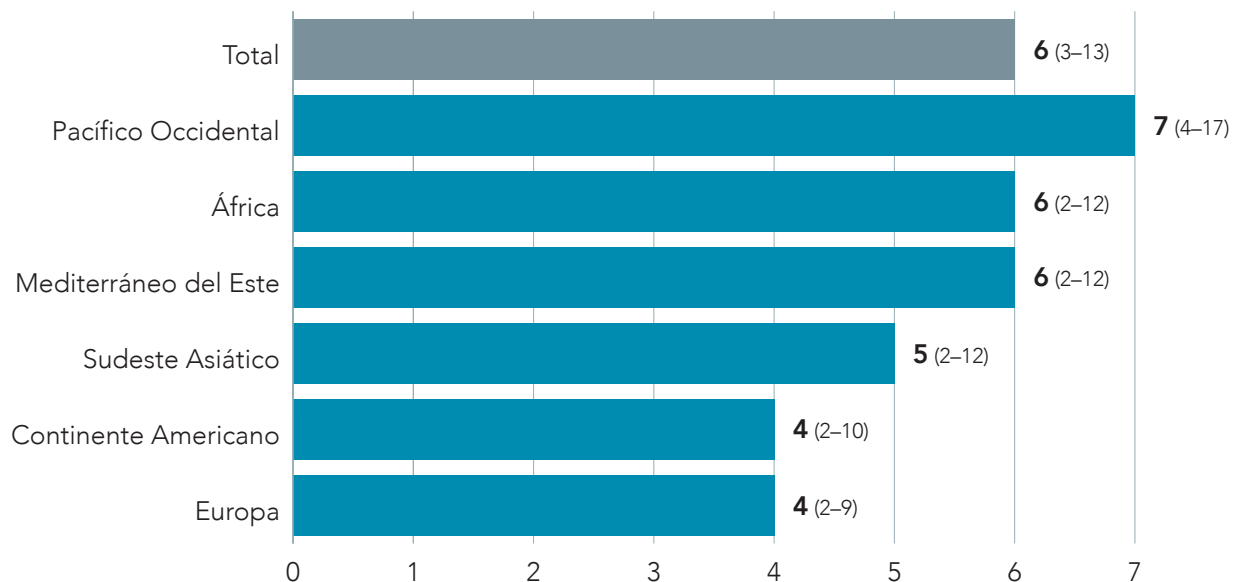
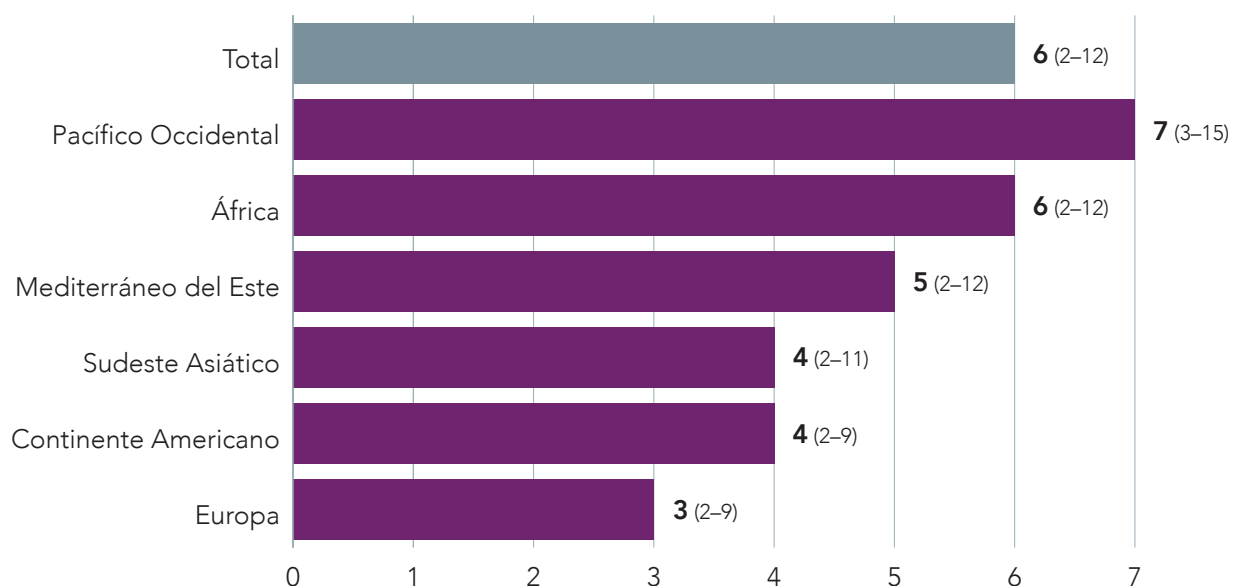


Figura 19

Mediana de la TAHA para todas las personas con hemofilia, por región (excluyendo pacientes con 0 hemorragias)



TAH Y TAHA CON Y SIN TRATAMIENTO PROFILÁCTICO

En 2023, la mediana de la TAH para personas con hemofilia leve y moderada con y sin tratamiento profiláctico fue de 4. En el caso de personas con hemofilia grave, la mediana de la TAH disminuyó de 5 a 2 para quienes recibieron tratamiento profiláctico en 2023 (Figura 20). La figura 21 muestra la TAHA para personas con hemofilia con y sin tratamiento profiláctico, la cual ilustra el mismo patrón que la TAH. La TAHA para personas con hemofilia grave disminuyó de 4 a 1 con tratamiento profiláctico.

Figura 20

Mediana de la TAH para todas las personas con hemofilia - Con y sin tratamiento profiláctico

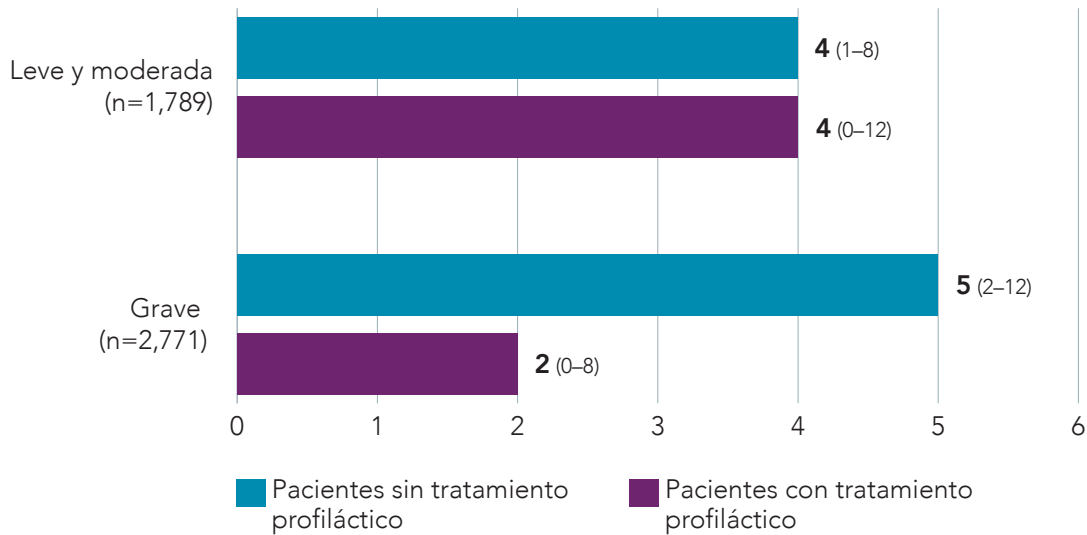
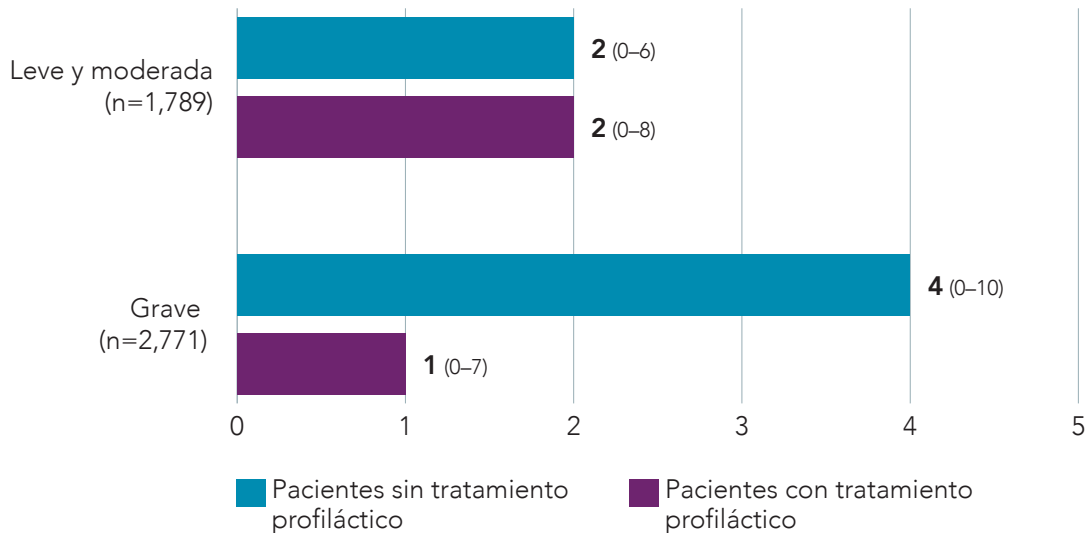


Figura 21

Mediana de la TAHA para todas las personas con hemofilia - Con y sin tratamiento profiláctico

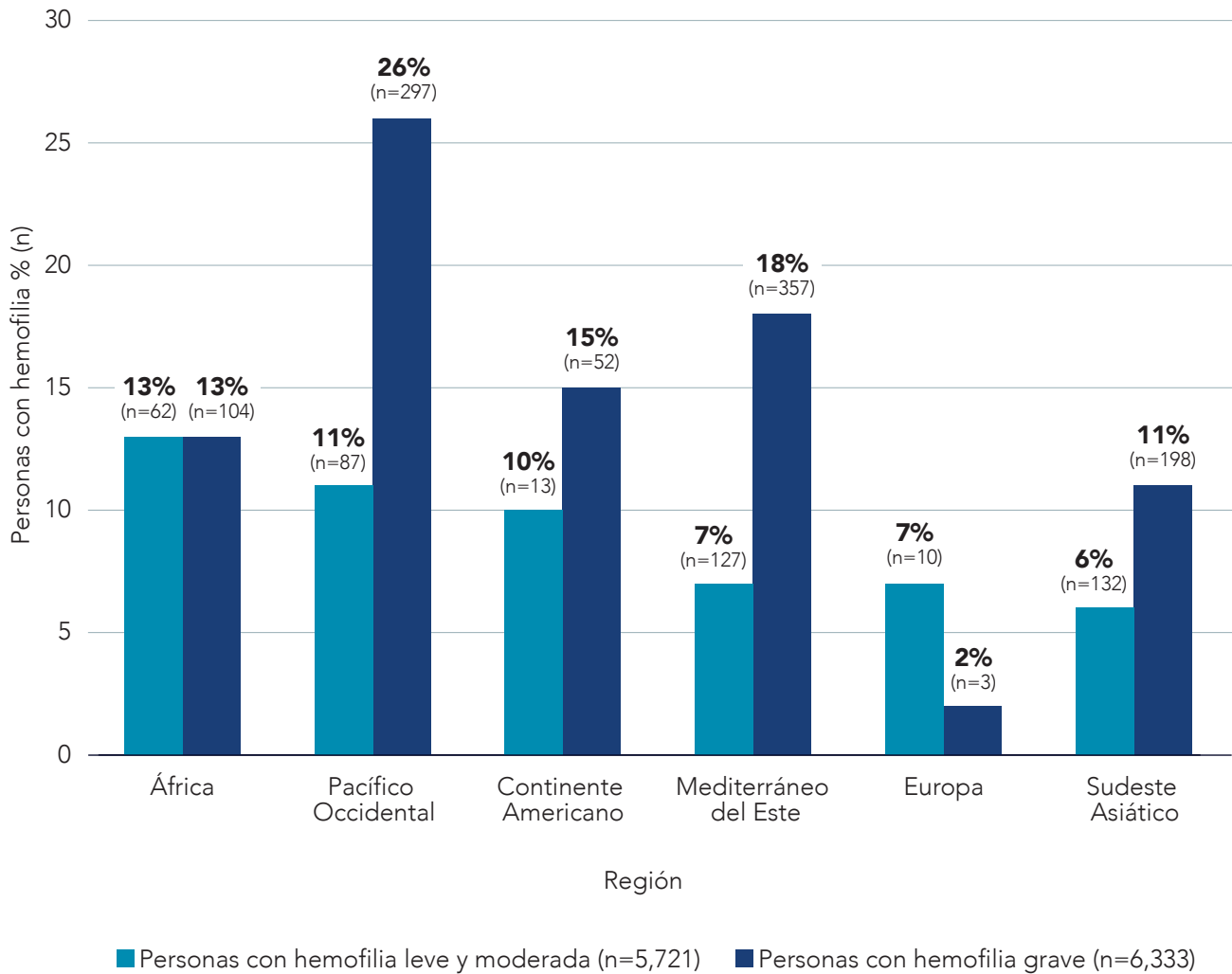


ARTICULACIONES DIANA

En 2023, 8% de personas con hemofilia leve y moderada y 16% de personas con hemofilia grave reportaron tener al menos una articulación diana. El porcentaje de personas con hemofilia grave que reportó una articulación diana varió, según la región, entre 26% y 2% (Figura 22).

Figura 22

Personas con hemofilia con al menos una articulación diana, por región



INHIBIDORES

CUADRO 6

Resumen de inhibidores, 2023

	Personas con hemofilia leve y moderada (n=5,721)*	Personas con hemofilia grave (n=6,333)*
Pacientes con historial de un inhibidor**, n (%)	191 (3%)	686 (11%)
Pruebas de inhibidores en 2023		
Pacientes sometidos a pruebas†, n (%)	111 (2%)	382 (6%)
Prueba con resultado positivo	14 (13%)	81 (21%)
Prueba con resultado negativo	97 (87%)	301 (79%)
Pacientes recién diagnosticados con un inhibidor††, n (%)	8 (<1%)	24 (<1%)
Pacientes en quienes se sospecha la presencia de un inhibidor, pero sin pruebas disponibles‡, n (%)	1 (<1%)	2 (<1%)

* Al momento de la publicación no se contaba con los datos para 2023 de 757 personas con hemofilia de Chequia.

** Número de pacientes que tenía un inhibidor antes de su inscripción al RMTC o una prueba con resultado positivo antes de 2023.

† Número de pacientes que se sometió a una prueba de detección de inhibidores en 2023. Los métodos de prueba abarcan Bethesda, Nijmegen-Bethesda, y estudio de mezclas (TTPa).

†† Número de pacientes que nunca antes se había sometido a una prueba de detección de inhibidores, que se sometió a una en 2023, y cuyo resultado fue positivo.

‡ Incluye a todas las personas con hemofilia con una visita inicial en 2023.

Los datos sobre las pruebas de inhibidores se recopilan en la visita inicial (para los 6 meses previos) y en cada visita de seguimiento posterior. En este informe, el número de personas con hemofilia con resultados positivos en una prueba de inhibidor se define como cualquier personas con hemofilia que haya tenido al menos una prueba de inhibidor positiva en 2023. En 2023 se sometieron a pruebas de detección de inhibidores 111 personas con hemofilia leve y moderada y 382 personas con hemofilia grave. Las pruebas de detección de inhibidores de 14 personas con hemofilia leve y moderada (13 %) y 81 personas con hemofilia grave (21 %) registraron resultados positivos. Se diagnosticaron por primera vez inhibidores a un total de 33 personas con hemofilia (<1 %) (sin antecedentes de inhibidores y sin prueba positiva previa documentada), de las cuales <1 % eran personas con hemofilia grave (Cuadro 6 y Figura 23).

Figura 23

Personas con hemofilia grave con prueba de inhibidores, 2023 (n=382)



HOSPITALIZACIÓN

CUADRO 7a

Resumen de hospitalizaciones relacionadas con la hemofilia, 2023

	Personas con hemofilia leve y moderada (n=5,721)*	Personas con hemofilia grave (n=6,333)*
Pacientes hospitalizados**, n (%)	358 (6%)	659 (10%)
Total de hospitalizaciones†, n	1,108	3,189
Días por hospitalización, mediana (RIC)	8 (4-18)	14 (6-30)
Número de hospitalizaciones por paciente‡, mediana (RIC)	1 (1-4)	3 (1-7)

CUADRO 7b

	Personas con hemofilia leve y moderada (n=5,721)*	Personas con hemofilia grave (n=6,333)*
Motivo de las hospitalizaciones, n (%)		
Hemorragia articular	712 (12%)	2,391 (38%)
Hemorragia muscular de otro tipo	162 (3%)	417 (7%)
Hemorragia de otro tipo	110 (2%)	234 (4%)
Hemorragia en tejidos blandos	25 (<1%)	45 (<1%)
Hemorragia gastrointestinal	17 (<1%)	25 (<1%)
Cirugía	15 (<1%)	22 (<1%)
Hemorragia intracraneal	13 (<1%)	19 (<1%)
Epistaxis	5 (<1%)	1 (<1%)
Hemorragia en músculo psoas	4 (<1%)	9 (<1%)
Hematomas en cuello	1 (<1%)	1 (<1%)
Otro	76 (1%)	186 (3%)

* Se excluyeron 532 personas con hemofilia de gravedad desconocida. Al momento de la publicación no se contaba con los datos para 2023 de 757 personas con hemofilia de Chequia.

** Número de personas con hemofilia hospitalizadas.

‡ Basado exclusivamente en pacientes que fueron hospitalizados.

† La hospitalización se define como pasar por lo menos una noche en el hospital.

En 2023, 358 (6%) personas con hemofilia leve y moderada y 659 (10%) personas con hemofilia grave acumularon un total de 4,329 hospitalizaciones relacionadas con la hemofilia. La mediana (RIC) de la duración de la estancia en el hospital para personas con hemofilia leve y moderada y personas con hemofilia grave fue de 8 días y 14 días, respectivamente (Cuadro 9a). El motivo más común de la hospitalización fueron hemorragias articulares en pacientes con hemofilia tanto A como B (70% y 63% respectivamente; figuras 24 y 25). En total, 34 hospitalizaciones se debieron a una hemorragia intracraneal; 24 (1%) de ellas fueron en pacientes con hemofilia A y 10 (<1%) en pacientes con hemofilia B. No están incluidas en las gráficas siguientes personas con hemofilia de tipo desconocido que fueron hospitalizadas (figuras 24 y 25).

Figura 24

Motivo de la hospitalización en pacientes con hemofilia A (n=3,693)

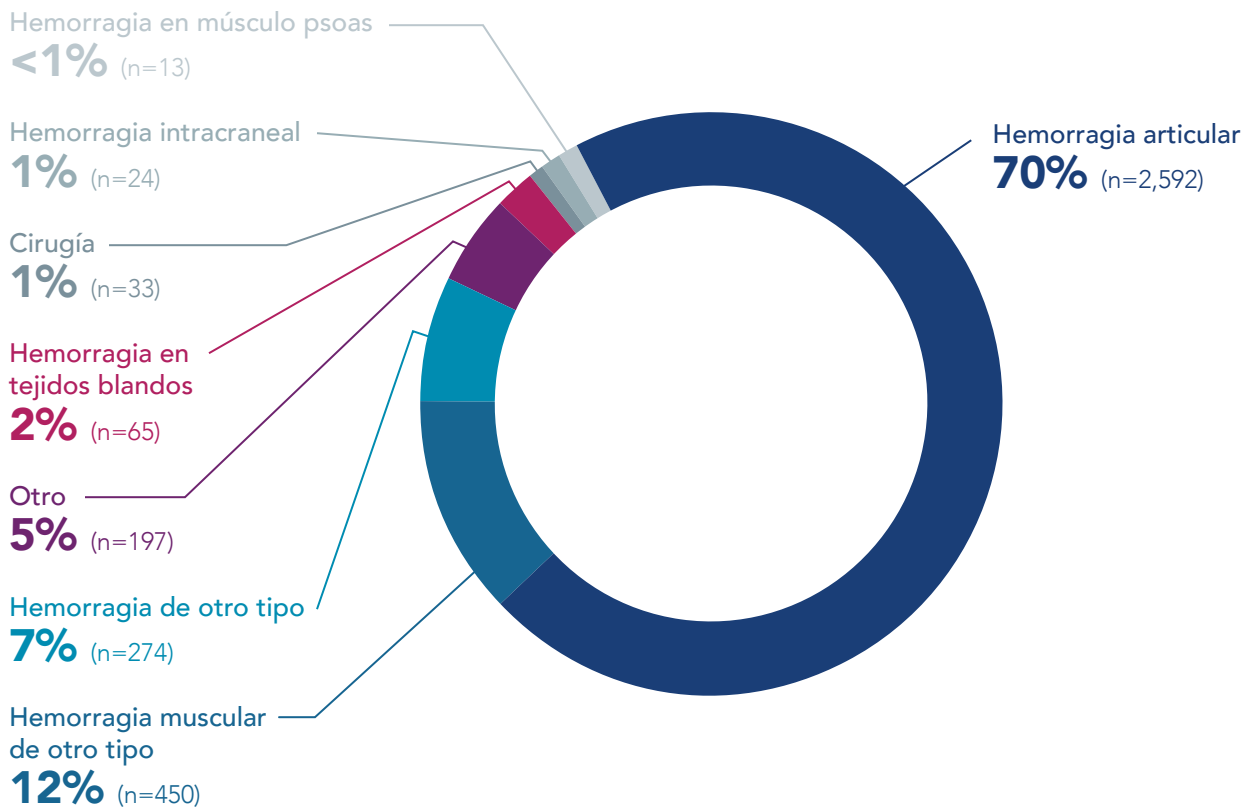
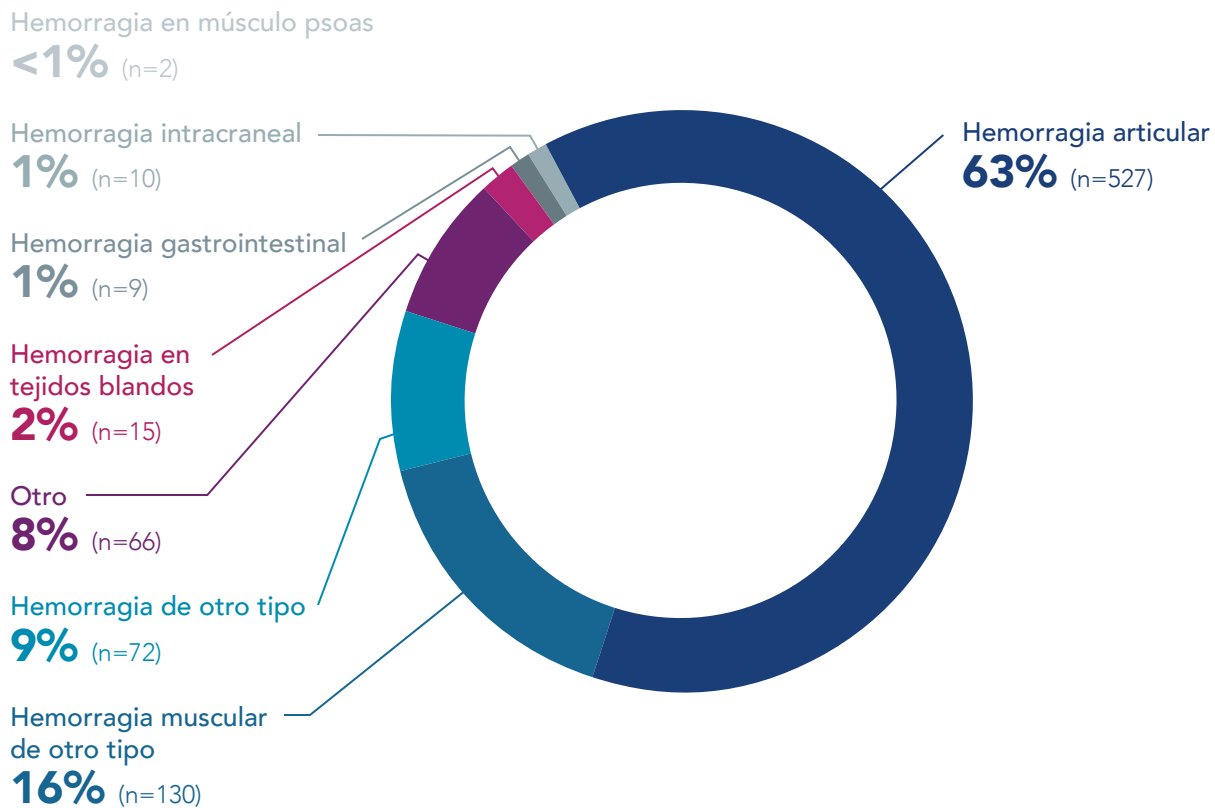


Figura 25

Motivo de la hospitalización en pacientes con hemofilia B (n=835)



TRATAMIENTO

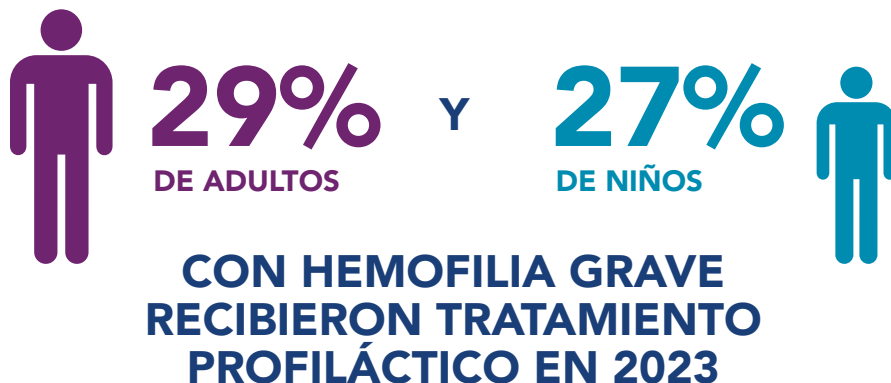
CUADRO 8

Resumen de tratamiento, 2023*

	Personas con hemofilia leve y moderada (n=5,721)*	Personas con hemofilia grave (n=6,333)*
Recibieron al menos un tratamiento profiláctico en 2023, n (%) **	446 (8%)	1,775 (28%)
Hemofilia A, n (%)	360 (8%)	1,574 (29%)
FVIII, vida media estándar	200 (56%)	979 (62%)
FVIII, vida media prolongada	62 (17%)	207 (13%)
Agente de desvío	1 (<1%)	9 (<1%)
Producto sin factor de reemplazo	128 (36%)	487 (31%)
Otro	10 (3%)	47 (3%)
Hemofilia B, n (%)	86 (9%)	201 (23%)
FIX, vida media estándar	36 (42%)	104 (52%)
FIX, vida media prolongada	39 (45%)	80 (40%)
Agente de desvío	0 (0%)	3 (2%)
Producto sin factor de reemplazo	0 (0%)	5 (3%)
Otro	20 (23%)	31 (15%)

* Al momento de la publicación no se contaba con los datos para 2023 de 757 personas con hemofilia de Chequia. Se excluyeron de este análisis 48 personas con hemofilia de tipo desconocido y 532 personas con hemofilia de gravedad desconocida.

** Número de personas con hemofilia que recibió tratamiento profiláctico en 2023. Incluye a pacientes que iniciaron el tratamiento profiláctico o que continuaron el tratamiento profiláctico en 2023. Los pacientes podrían haber recibido tratamientos correspondientes a múltiples categorías.



USO DE LA PROFILAXIS

En 2023, un total de 2,278 (18%) personas con hemofilia recibieron tratamiento profiláctico; de estas, 28% de personas con hemofilia grave recibió tratamiento profiláctico; 89% de las cuales fueron personas con hemofilia A y 11% fueron personas con hemofilia B (Cuadro 8).

Figura 26

Porcentaje de personas con hemofilia que recibió tratamiento profiláctico en 2023, por región*

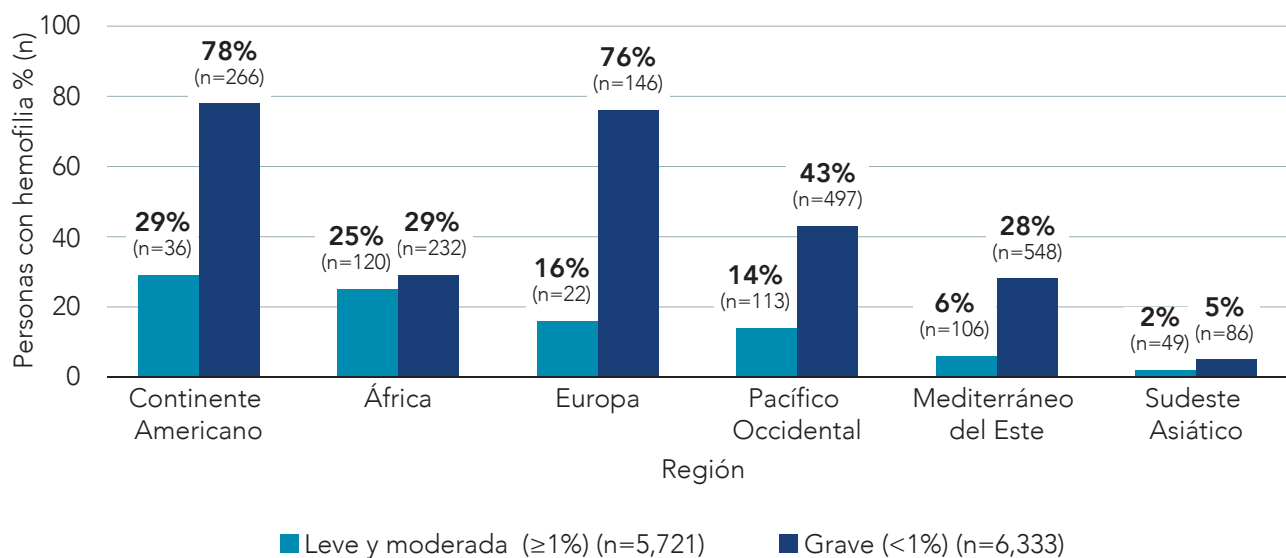
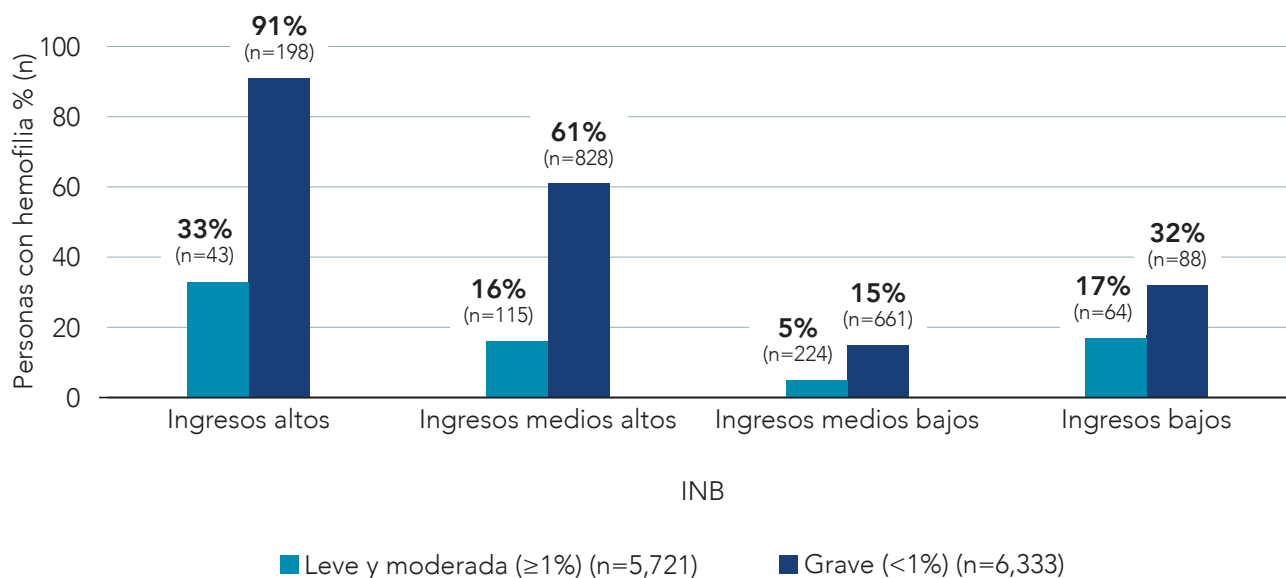


Figura 27

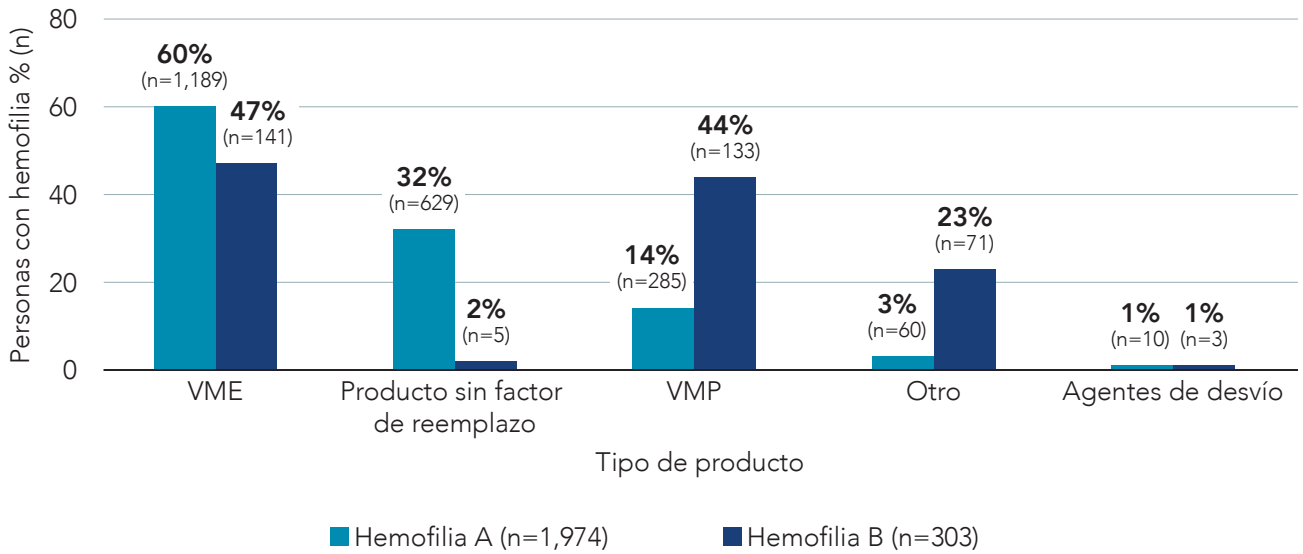
Porcentaje de personas con hemofilia que recibió tratamiento profiláctico en 2023, por INB



Para las personas con hemofilia que recibieron tratamiento profiláctico, los concentrados de factor de coagulación de vida media estándar (VME) fueron el tipo de tratamiento más común utilizado en 2023 (63% de las personas con hemofilia A y 52% de las personas con hemofilia B que recibieron profilaxis). El 28% de las personas con hemofilia A recibió tratamientos con producto sin factor de reemplazo (Cuadro 8, Figura 28).

Figura 28

Distribución del tipo de producto entre personas con hemofilia que recibieron tratamiento profiláctico





DATOS INCLUIDOS EN EL INFORME DE DATOS 2023 DEL RMTC **ENFERMEDAD DE VON WILLEBRAND**

45

CTH
INSCRITOS

22

PAÍSES
REPRESENTADOS

999

PACIENTES
INSCRITOS

CUADRO 9

Resumen de participación - EVW

Países, n	22
Centros de tratamiento de hemofilia*, n	45
Personas con EVW, n	999
Distribución de personas con enfermedad de Von Willebrand, por región†, n (%)	
África	22 (2%)
Continente Americano	2 (<1%)
Mediterráneo del Este	649 (65%)
Europa	274 (27%)
Sudeste Asiático	15 (2%)
Pacífico Occidental	37 (4%)
Distribución de personas con enfermedad de Von Willebrand, por INB§, n (%)	
Ingresos altos	274 (27%)
Ingresos medios altos	41 (4%)
Ingresos medios bajos	674 (68%)
Ingresos bajos	10 (1%)

* Los CTH incluidos son los que cuentan con aprobación de la junta de revisión institucional y que, al 31 de diciembre de 2023, inscribieron a por lo menos una personas con enfermedad de Von Willebrand al RMTC.

† Regiones basadas en los grupos regionales de la OMS.²

§ INB = Ingreso Nacional Bruto; las categorías de ingreso nacional bruto están basadas en la clasificación 2023 del Grupo Banco Mundial para "ingreso nacional bruto" per cápita, método Atlas (US\$ actuales).³

DISTRIBUCIÓN DE PERSONAS CON ENFERMEDAD DE VON WILLEBRAND

La clasificación regional usada en el RMTC se basa en la clasificación regional de la OMS¹. La mayoría de las personas con enfermedad de Von Willebrand son de la región del Mediterráneo del Este (Irán, Irak, Marruecos, Paquistán, Sudán, Siria y Túnez) y de Europa (Chequia, Portugal), y representan al 65% y al 27% de las personas con enfermedad de Von Willebrand respectivamente (Figura 29).

Figura 29

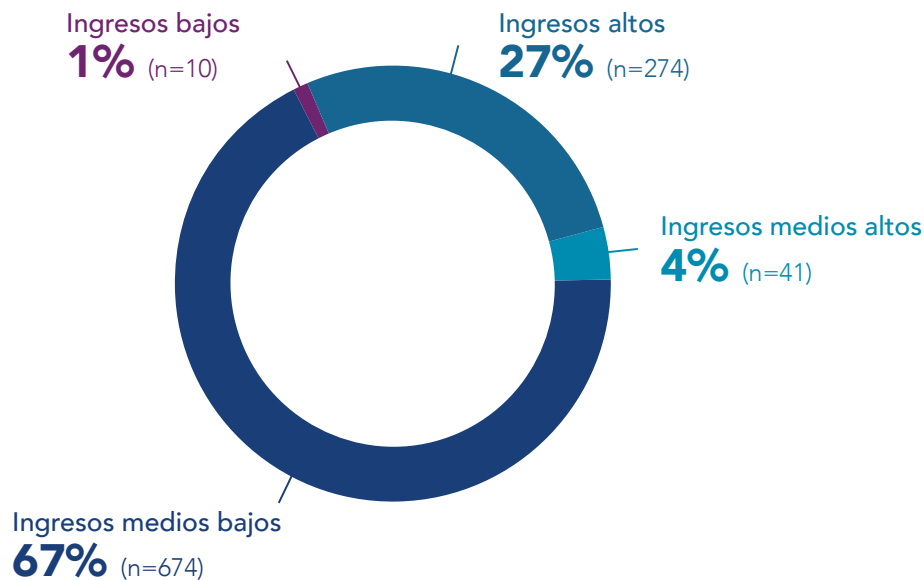
Distribución de personas con enfermedad de Von Willebrand, por región



La distribución de pacientes por ingreso nacional bruto (INB) per cápita², demuestra que la mayoría de las personas con enfermedad de Von Willebrand vive en países con ingresos medios bajos (67%), seguida de países con ingresos altos, medios altos y bajos, representando el 27%, 4% y 1% respectivamente (Figura 30).

Figure 30

Distribución de personas con enfermedad de Von Willebrand, por INB



INFORMACIÓN DEMOGRÁFICA SOBRE LA EVW

CUADRO 10

Resumen de la información demográfica sobre la EVW

	EVW (n=999)
Sexo, n (%)	
Masculino	439 (44%)
Femenino	560 (56%)
Edad de las personas con enfermedad de Von Willebrand[§]	
Edad, años, mediana (RIC)	21 (12-36)
Pediátricos (<18 años)	432 (43%)
Adultos (18 años)	567 (57%)
Tipo de EVW, n (%)	
EVW tipo 1	224 (22%)
EVW tipo 2	189 (19%)
EVW tipo 3	547 (55%)
EVW tipo plaquetario	1 (<1%)
EVW de tipo desconocido	38 (4%)

RIC=rango intercuartil

[§] La edad se calculó al 31 de diciembre de 2023.

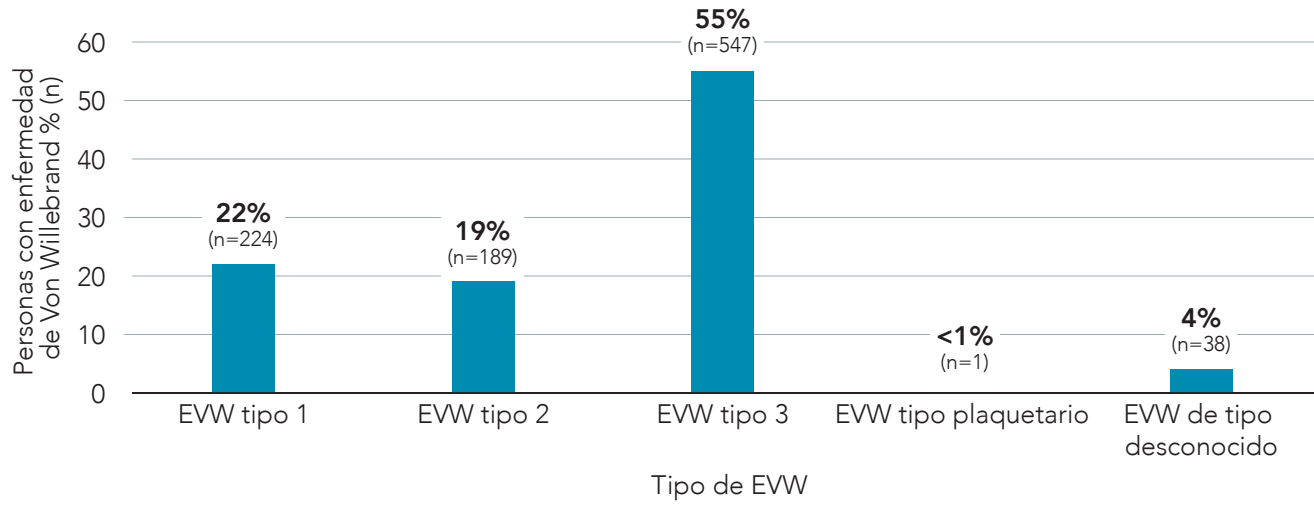


TIPO DE EVW

En general, 56% (n=560) de los pacientes fueron mujeres y 44% (n=439) fueron hombres (Cuadro 10). Cincuenta y cinco por ciento (n=547) de los pacientes tiene EVW tipo 3, mientras que 22% y 19% tiene EVW tipo 1 y tipo 2 respectivamente (Cuadro 10, Figura 31).

Figura 31

Tipo de EVW



DATOS CLÍNICOS SOBRE LA EVW

LOS DATOS CLÍNICOS SOBRE LA EVW REPRESENTAN EVENTOS CLÍNICOS OCURRIDOS EN 2023.

CUADRO 11

Resumen de eventos hemorrágicos, 2023*

Edad al momento de la primera hemorragia, meses, mediana (RIC)	4 (2-24)
Pacientes con 0 hemorragias en 2023, n (%)	154 (33%)
Total de eventos hemorrágicos**, n	2,426
Localización o tipo de la hemorragia, n (%)	
Articulación	297 (12%)
Músculo	125 (5%)
Periodo menstrual abundante	468 (32%)
Gastrointestinal	53 (2%)
Cuello/Garganta	21 (1%)
Otras hemorragias	1,408 (58%)

* Al momento de la publicación no se contaba con datos del 2023 para personas con enfermedad de Von Willebrand de Chequia.

** Es probable que las personas con hemofilia hayan presentado hemorragias en más de un lugar.

.....

4 MESES

MEDIANA DE EDAD AL MOMENTO DE LA PRIMERA HEMORRAGIA PARA PERSONAS CON EVW

.....

24%

PERSONAS CON EVW QUE RECIBIERON AL MENOS UN TRATAMIENTO EN 2023

.....

2%

PERSONAS CON EVW QUE RECIBIERON TRATAMIENTO PROFILÁCTICO EN 2023

.....



PROGRAMA DE ACREDITACIÓN DE LA CALIDAD DE LOS DATOS DEL RMTC

El principal objetivo del Programa de Acreditación de la Calidad de los Datos (ACD) del RMTC es uniformizar los procedimientos de recopilación de datos entre CTH y garantizar el ingreso de datos de alta la calidad al RMTC. Sistemáticamente se aplica un sólido proceso de limpieza y validación de datos a fin de mejorar la integridad, exactitud y consistencia de los mismos.

La evaluación integral de los datos se lleva a cabo en dos dimensiones fundamentales:

- Integridad: Se requiere que todos los campos de datos estén completos.
- Exactitud: Refuerza la validez y consistencia de todos los campos de datos.

El equipo de calidad de datos del RMTC colabora estrechamente con los CTH, proporcionándoles capacitación integral y comentarios constructivos para mantener altas normas de calidad de los datos. Los casos de datos incompletos e inexactos se comunican a los CTH dos veces al año, mediante formularios de aclaración de datos, acompañados de solicitudes de actualización de datos. Al final del año se evalúa el nivel general de calidad de los datos de cada CTH, en sus respectivos sitios, con base en los niveles de clasificación de la calidad de los datos del RMTC (véase la figura 32).



73% (71) **DE LOS CTH**

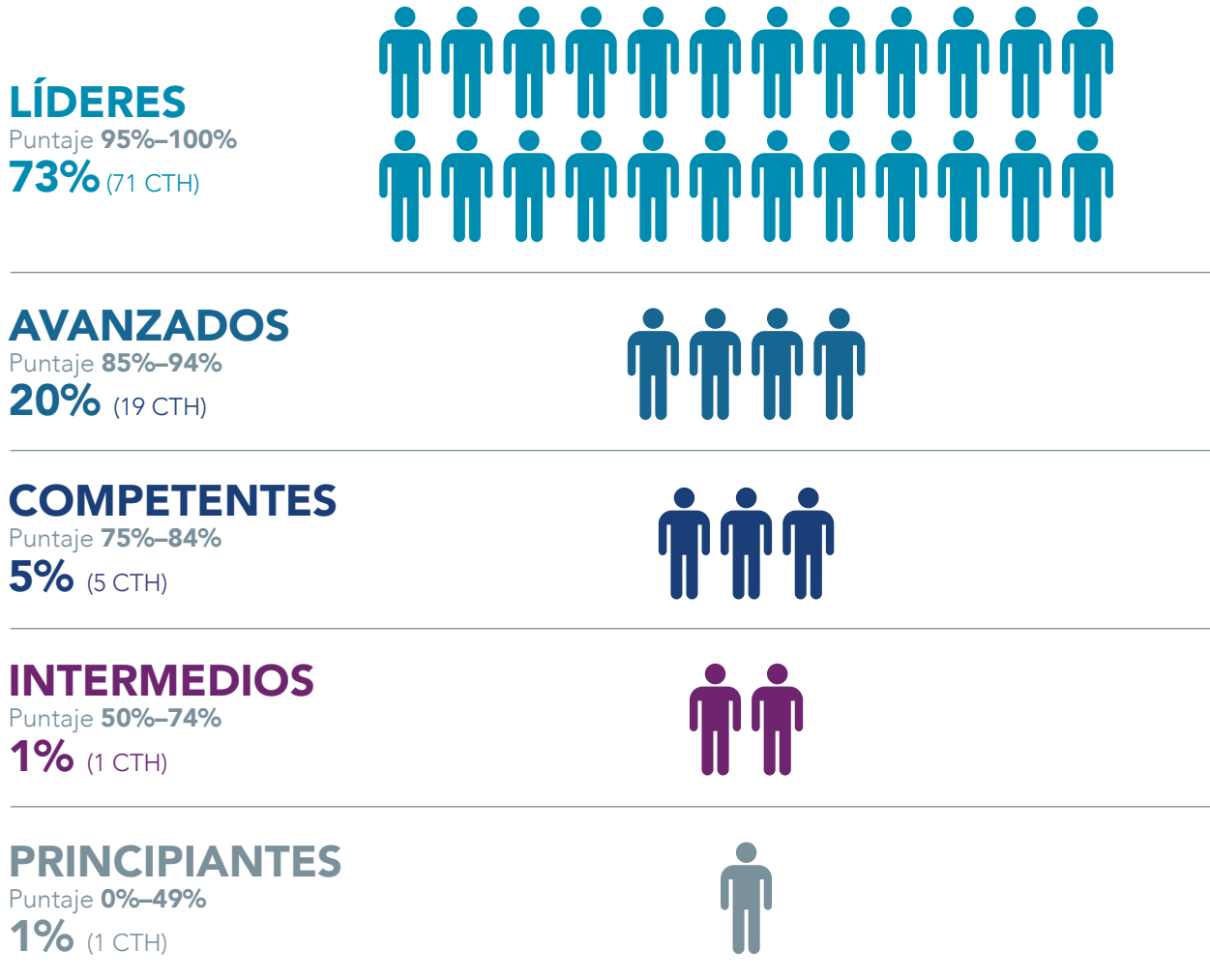
ALCANZARON EL NIVEL MÁS ELEVADO DE CALIFICACIÓN DE CALIDAD DE LOS DATOS Y FUERON CLASIFICADOS COMO 'LÍDERES'.

(PUNTAJE DE CALIDAD DE LOS DATOS $\geq 95\%$)

En 2023, el equipo del RMTC trabajó directamente con 97 CTH. Sorprendentemente, 71 (73%) de estos CTH se consideraron 'Expertos' en el ingreso de datos, con un puntaje de 95% y mayor, lo cual representa el nivel más alto de calidad de datos.

Figura 32

Escala de calificación de calidad de datos del RMTC



Nota: Los datos importados a través del Programa Internacional de Integración de Datos no se verifican en el marco del Programa de Acreditación y Calidad de Datos del RMTC.

El Programa de ACD del RMTC permite a la FMH y a los CTH participantes monitorear y evaluar periódicamente la calidad de los datos del RMTC a fin de prevenir y gestionar problemas relacionados con la calidad de los datos y de priorizar áreas de mejoramiento. A través de la implementación del Programa de ACD del RMTC, el objetivo de la FMH es mejorar la eficacia, eficiencia y sustentabilidad del RMTC.

PROGRAMA INTERNACIONAL DE INTEGRACIÓN DE DATOS

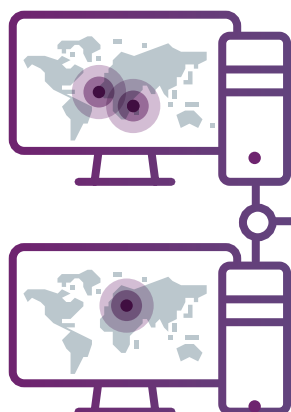
Los registros y la colaboración internacional entre países ofrecen una oportunidad de reunir suficientes datos para aumentar las pruebas y los conocimientos sobre trastornos poco comunes en diferentes regiones y economías. En una iniciativa para combinar recursos de registros de hemofilia existentes y maximizar la utilidad de los datos actualmente disponibles, el RMTC estableció el Programa Internacional de Integración de Datos con el propósito de facilitar la transferencia de datos de registros existentes de pacientes al RMTC. Se ha elaborado y puesto a prueba un protocolo para importar al RMTC datos de registros ya existentes. En 2019, el RMTC inició una colaboración de vinculación de datos con el Registro del Programa Nacional de Hemofilia de Chequia (CNHPR por su sigla en inglés). Desde 2019, los datos anónimos del CNHPR se importan anualmente al RMTC. A la fecha, se han recopilado y actualizado anualmente datos correspondientes de más de 850 personas con hemofilia, con 31 nuevas inscripciones de personas con hemofilia en 2023. Con la adición del módulo sobre EVW al RMTC en 2023, por primera vez se importaron del CNHPR datos demográficos, clínicos y diagnósticos de más de 270 personas con EVW, los cuales se actualizarán anualmente.

Desde el 2021, el Registro de Trastornos de la Coagulación Hereditarios de la Sociedad Tailandesa de Hematología (STH) empezó a colaborar con el RMTC para integrar datos selectos al registro mundial. Ocho de los 10 CTH ubicados en hospitales universitarios participaron en esta colaboración. En 2023 se habían transferido al RMTC conjuntos de datos mínimos y ampliados de más de 300 personas con hemofilia A y B, incluso los de 8 nuevas personas con hemofilia inscritas.

Al momento de la publicación de este informe, la STH y la FMH evalúan la posibilidad de integrar al RMTC el conjunto de datos mínimo de pacientes con EVW, a través del Programa Internacional de Integración de Datos.

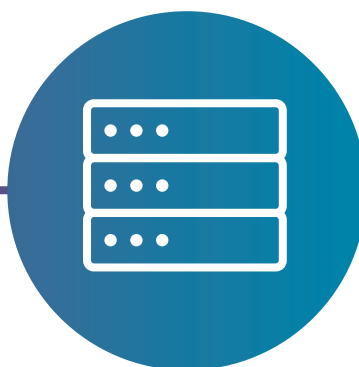
El Programa Internacional de Integración de Datos está disponible para países interesados que deseen sumarse a esta iniciativa mundial compartiendo sus datos nacionales e ingresando los datos de sus personas con hemofilia al RMTC. Se alienta a las personas interesadas a comunicarse con la FMH a wbdr@wfh.org.

REGISTROS NACIONALES DE HEMOFILIA EN MÚLTIPLES LUGARES



MAPEO DE DATOS

- TRANSFORMACIÓN
- INTEGRACIÓN



WBDR SUECIA



PROGRAMA DE APOYO A LA INVESTIGACIÓN DEL RMTC (PAI)

El Programa de Apoyo a la Investigación (PAI) del RMTC está diseñado para ayudar a centros de tratamiento de hemofilia (CTH) a recopilar, analizar y utilizar sus datos del RMTC con ayuda de un pequeño financiamiento para la investigación. Este programa está abierto a CTH reconocidos de cualquier país, siempre y cuando participen en el RMTC.

En 2023, siete CTH recibieron financiamiento para su proyecto de investigación. Desde 2018 hemos proporcionado financiamiento para 46 proyectos de investigación en 24 países.

Desde el 2018:



PAÍSES

24



PROYECTOS DE INVESTIGACIÓN

46



CTH PARTICIPANTES

39



MONTO OTORGADO

>200,000
USD



PUBLICACIONES EN
CONFERENCIAS INTERNACIONALES
(RESÚMENES Y ARTÍCULOS DESTACADOS)

23

PROGRAMA DE FINANCIAMIENTO DEL RMTC PARA CTH (PFC)

El Programa de Financiamiento del RMTC para CTH (PFC) está diseñado a fin de proporcionar fondos para apoyar actividades de recopilación de datos en los CTH participantes en el RMTC ubicados en países con ingresos bajos y medios bajos.

El objetivo del PFC es ayudar a los CTH a mejorar la inscripción de pacientes, el registro de visitas de seguimiento, las escalas funcionales, y las mediciones de calidad de vida. Los CTH elegibles reciben compensación en función del número de pacientes activos inscritos al RMTC o del número de pacientes identificados con hemofilia y enfermedad de Von Willebrand que recibe seguimiento en el CTH al momento de la solicitud de apoyo. Los fondos se asignan por un período de un año.

El efecto que el PFC tiene en los CTH receptores lo demuestra la considerable mejora en la inscripción de pacientes y la recopilación general de datos. Los CTH receptores de subvenciones del PFC inscribieron a 519 nuevas personas con hemofilia durante 2023.

Para obtener más información [visite nuestra página internet](#).



PAÍSES RECEPTORES
EN 2023

12

MONTO DE SUBVENCIONES
OTORGADAS EN 2023

\$26,000
USD

CTH RECEPTORES
EN 2023

20

APLICACIÓN MÓVIL myWBDR

myWBDR es una aplicación móvil diseñada para pacientes del RMTC diagnosticados con hemofilia o EVW. Con el objetivo principal de empoderar a sus usuarios, myWBDR ofrece una plataforma accesible para facilitar el registro y el monitoreo de episodios hemorrágicos, niveles de dolor, tratamientos y estado general de salud usando los cuestionarios EQ-5D-5L y PROBE.

myWBDR está disponible en los idiomas árabe, español, francés, hindi, inglés, portugués, ruso, tailandés y vietnamita.

myWBDR se lanzó oficialmente en mayo de 2022. Desde entonces, la aplicación ha sido adoptada en 13 países y ha acumulado más de 700 registros de hemorragias y más de 5,000 registros de tratamiento, lo cual apunta a su importante papel en la recopilación de datos reportados por los pacientes, los cuales contribuyen a un mejor manejo clínico y a la generación de valiosas pruebas para la investigación y la toma de decisiones sobre los trastornos de la coagulación.

myWBDR también funciona como una importante herramienta que permite a los proveedores de atención médica (PAM) monitorear el estado de salud de sus pacientes y mejorar la calidad de la atención y el tratamiento que proporcionan. El acceso a la aplicación se obtiene a través de los CTH participantes en el RMTC. Las personas interesadas pueden ponerse en contacto con su PAM para iniciar el proceso de inscripción a la aplicación.

Agradeceremos dirija cualquier pregunta o solicitud de información adicional sobre myWBDR a myWBDR@wfh.org.

APÉNDICE 1 – CONJUNTOS DE DATOS DEL RMTC

Conjunto de datos del RMTC

Demográficos	Diagnósticos	Clínicos
Fecha de nacimiento	Fecha del diagnóstico	Eventos hemorrágicos
Género	Tipo de hemofilia	Articulaciones diana
País de residencia	Gravedad de la hemofilia	Tratamientos
Empleo	Nivel de factor de la hemofilia	Situación de inhibidores
Escolaridad	Historial de inhibidores	Hospitalización
Estado civil	Historial de tratamiento	Mortandad
	Historial de hemorragias	Efectos adversos
	Pruebas genéticas	Comorbilidades
	Tipo sanguíneo	Escalas funcionales*
	Historial familiar	Escalas de Calidad de vida**
		COVID-19

Los campos identificados en negritas representan el conjunto de datos mínimos, los cuales son campos de datos obligatorios.

* Las escalas funcionales abarcan las siguientes: Puntaje de Salud Articular en la Hemofilia, Enfermedad Articular, Rango de Movimiento, Puntaje Gilbert de la FMH, Puntaje de Independencia Funcional en la Hemofilia.

** Escala de Calidad de vida: EQ-5D-5L.

APÉNDICE 2 – CTH PARTICIPANTES

País	Ciudad-Clínica
Argelia	<ul style="list-style-type: none"> • Annaba – Servicio de Hematología CHU Annaba • Constantine – Unidad de Hemofilia y Enfermedades Hemorrágicas Hereditarias
Argentina	<ul style="list-style-type: none"> • Bahía Blanca – CARDHE • Buenos Aires – Fundación de la Hemofilia e Instituto de Investigaciones Hematológicas “Dr. Mariano R. Castex”
Bangladesh	<ul style="list-style-type: none"> • Chittagong – Hospital de la Facultad de Medicina de Chittagong • Dhaka – Universidad Médica Bangabandhu Sheikh Mujib • Dhaka – Facultad de Medicina de Dhaka • Dhaka – Hospital Dhaka Shishu • Dhaka – Fundación Lab One • Rajshahi – Facultad de Medicina y Hospital Rajshahi
Barbados	<ul style="list-style-type: none"> • Bridgetown – Hospital Queen Elizabeth
Bélgica	<ul style="list-style-type: none"> • Woluwe-Saint-Lambert – Clínicas Universitarias Saint-Luc
Burkina Faso	<ul style="list-style-type: none"> • Uagadugú – CHU Pediátrico Charles de Gaulle
Camerún	<ul style="list-style-type: none"> • Yaundé – CHU de Yaundé
Chequia	<ul style="list-style-type: none"> • Brno – Hospital Universitario: Departamento de Hematología Clínica • Brno – Hospital Universitario: Departamento de Hematología Pediátrica • České Budějovice – Departamento de Hematología Clínica • České Budějovice – Departamento de Pediatría • Hradec Králové – Hospital Universitario: Departamento de Medicina Pediátrica • Liberec – Hospital Regional: Departamento de Hematología Clínica • Olomouc – Hospital Universitario: Departamento de Medicina Pediátrica • Olomouc – Hospital Universitario: Departamento de Hemato-Oncología • Ostrava – Hospital Universitario: Centro de Sangre • Ostrava – Hospital Universitario: Departamento de Medicina Pediátrica • Pilsen – Hemacentrum • Pilsen – Hospital Universitario: Departamento de Bioquímica y Hematología • Pilsen – Hospital Universitario: Departamento de Pediatría • Praga – Hospital Universitario en Motol: Departamento de Hematología y Oncología Pediátricas • Ústí nad Labem – Hospital Masaryk: Departamento de Hematología Clínica • Ústí nad Labem – Hospital Masaryk: Departamento de Pediatría - Hematología
Côte d'Ivoire	<ul style="list-style-type: none"> • Abiyán – CHU de Yopougon
Cuba	<ul style="list-style-type: none"> • La Habana – Instituto de Hematología e Inmunología
Egipto	<ul style="list-style-type: none"> • El Cairo – Centro Pediátrico de Hemofilia, Universidad Ain Shams • Guiza – Hospital Shabrawishi • Mansoura – Hospital Universitario Infantil de Mansoura • Zagazig – Departamento de Pediatría, Universidad de Zagazig
El Salvador	<ul style="list-style-type: none"> • San Salvador – Hospital Nacional de Niños Benjamin Bloom
Estados Unidos	<ul style="list-style-type: none"> • Winston-Salem – Wake Forest Baptist Health
Etiopía	<ul style="list-style-type: none"> • Addis Abeba – Hospital Tikur Anbessa

País	Ciudad-Clínica
Filipinas	<ul style="list-style-type: none"> • Manila – Hospital de la Universidad de Santo Tomás
Ghana	<ul style="list-style-type: none"> • Kumasi – Hospital Universitario Komfo Anokye
Guinea	<ul style="list-style-type: none"> • Conakry – Hospital Nacional Ignace Deen, CHU de Conakry
India	<ul style="list-style-type: none"> • Aluva – Centro de Tratamiento de Hemofilia, Hospital de Distrito • Bhopal – Facultad de Medicina Gandhi • Dibrugarh – Centro de tratamiento de Hemofilia de la Facultad de Medicina Assam • Kochi – Instituto de Ciencias Médicas Amrita • Ludhiana – Facultad de Medicina Cristiana • Manipal – Academia de Estudios Superiores de Manipal (MAHE) y Capítulo Manipal de la Sociedad de Hemofilia • Noida – Instituto de Posgrado de Salud Infantil • Tiruvalla – Hospital de la Facultad de Medicina de la Iglesia Believers
Indonesia	<ul style="list-style-type: none"> • Banjarmasin – Hospital General Ulin
Irán	<ul style="list-style-type: none"> • Ahvaz – Hospital Baghaei 2
Irak	<ul style="list-style-type: none"> • Bagdad – Centro de Hemofilia – Ciudad Médica • Bagdad – Centro Nacional de Hematología – Universidad Al-Mustansirya • Basora – Centro de Enfermedades Hematológicas Hereditarias de Basora
Kenia	<ul style="list-style-type: none"> • Eldoret – Hospital Universitario y de Referencias Moi • Nairobi – Hospital Nacional Kenyatta
Kirguistán	<ul style="list-style-type: none"> • Bishkek – Centro Nacional para la Maternidad y la Infancia • Bishkek – Centro Nacional de Oncología y Hematología • Osh – Hematología de Adultos – Hospital Clínico Conjunto Interregional de Osh • Osh – Departamento de Hematología Pediátrica – Hospital Clínico Interregional Infantil
Madagascar	<ul style="list-style-type: none"> • Antananarivo – CHU Joseph Ravoahangy Andrianavalona (HJRA)
Malasia	<ul style="list-style-type: none"> • Alor Setar – Hospital Sultanah Bahiyah • Ampang – Hospital Ampang • George Town – Hospital Pulau Pinang • Ipoh – Hospital Raja Permaisuri Bainun • Johor Bahru – Hospital Sultan Ismail • Johor Bahru – Hospital Sultanah Aminah • Klang – Hospital Tengku Ampuan Rahimah • Kota Bharu – Hospital Raja Perempuan Zainab II • Kota Kinabalu – Hospital Queen Elizabeth • Kota Kinabalu – Hospital Wanita dan Kanak-Kanak Sabah • Kuala Lumpur – Hospital Kuala Lumpur • Kuala Terengganu – Hospital Sultanah Nur Zahirah • Kuching – Hospital Umum Sarawak • Melaka – Hospital Melaka • Seremban – Hospital Tuanku Ja'afar • Taiping – Hospital Taiping
Malawi	<ul style="list-style-type: none"> • Lilongüe – Hospital Central Kamuzu
Marruecos	<ul style="list-style-type: none"> • Rabat - Adultos – Centro de Referencia para la Hemofilia, Hospital Ibn Sina • Rabat - Niños – Centro de Tratamiento de Hemofilia de Rabat, Hospital Infantil de Rabat

País	Ciudad-Clínica
Nepal	<ul style="list-style-type: none"> • Katmandú – Hospital del Servicio Civil
Nigeria	<ul style="list-style-type: none"> • Abuja – Hospital Nacional, Abuja • Benín – Hospital Universitario de Benín • Estado de Enugu – CTH Sudeste, Departamento de Hematología, UNTH Ituku Ozalla Enugu • Gombe – Universidad Estatal de Gombe • Ibadan – Universidad de Ibadan • Kano – Hospital Universitario Aminu Kano • Lagos – Hospital de la Universidad de Lagos
Nueva Zelanda	<ul style="list-style-type: none"> • Christchurch – Hospital Christchurch • Palmerston Norte – Hospital de Palmerston Norte
Paquistán	<ul style="list-style-type: none"> • Karachi – Sociedad de Bienestar en la Hemofilia, Karachi • Lahore – Centro de Tratamiento de Hemofilia • Peshawar – Sociedad de Bienestar en la Hemofilia, Peshawar • Rawalpindi – Centro de Tratamiento de Hemofilia
Panamá	<ul style="list-style-type: none"> • Panamá City – Hospital del Niño
Portugal	<ul style="list-style-type: none"> • Lisboa – Centro de Atención Integral de Coagulopatías Congénitas, Hospital Santa María
Senegal	<ul style="list-style-type: none"> • Dakar – Centro Nacional de Transfusión Sanguínea
Serbia	<ul style="list-style-type: none"> • Belgrado – Instituto de Salud Materno Infantil de Serbia “Dr. Vukan Cupic”
Sudáfrica	<ul style="list-style-type: none"> • Bloemfontein – Universidad del Estado Libre • Groote Schuur Centro de Atención Integral de la Hemofilia • Kimberley – Hospital Kimberley
Sudán	<ul style="list-style-type: none"> • Jartum – Centro de Hemofilia, Hospital Universitario de Jartum
Siria	<ul style="list-style-type: none"> • Damasco – Sociedad Siria de Hemofilia (SHS)
Tailandia	<ul style="list-style-type: none"> • Bangkok – Departamento de Medicina, Hospital Siriraj • Bangkok – Departamento de Medicina, Universidad Thammasat • Bangkok – Departamento de Pediatría, Universidad Chulalongkorn • Bangkok – Departamento de Pediatría, Hospital Ramathibodi • Bangkok – Departamento de Pediatría, Universidad Thammasat • Chiang Mai – Hospital Universitario de Chiang Mai • Nakohn Ratchasima – Departamento de Pediatría, Hospital Maharat Nakohn Ratchasima • Songkla – Departamento de Pediatría, Universidad Príncipe de Songkla
Túnez	<ul style="list-style-type: none"> • Túnez – Hospital Aziza Othmana
Uganda	<ul style="list-style-type: none"> • Kampala – Hospital Mulago
Venezuela	<ul style="list-style-type: none"> • Caracas – Centro Nacional de Hemofilia - Banco Municipal de Sangre DC
Vietnam	<ul style="list-style-type: none"> • Hanoi – Hospital Nacional Infantil • Hanoi – Instituto Nacional de Hematología y Transfusión Sanguínea • Ciudad Ho Chi Minh – Hematología Transfusión Sanguínea
Zambia	<ul style="list-style-type: none"> • Lusaka – Hospital Universitario

AGRADECIMIENTO A PERSONAS CON HEMOFILIA Y PERSONAS CON ENFERMEDAD DE VON WILLEBRAND

Agradecemos a cada una de las personas con hemofilia y de las personas con enfermedad de Von Willebrand inscritas al RMTC quienes amablemente han accedido a compartir sus datos. ¡Gracias por ayudarnos a mejorar la atención para las personas con trastornos de la coagulación en todo el mundo!

AGRADECIMIENTO A CTH

Nuestro agradecimiento a todo el dedicado personal de los centros de tratamiento de hemofilia participantes en el RMTC, quienes trabajan arduamente a fin de asegurarse de que sus datos cumplan las normas de calidad de datos del RMTC!

AGRADECIMIENTO A NUESTROS PATROCINADORES

La FMH agradece el generoso apoyo financiero de todos sus patrocinadores, el cual nos permite continuar con esta importante iniciativa.

El RMTC recibe apoyo de:

Aliadas visionarias



Aliadas colaboradoras



GLOSARIO

Articulación diana: Tres o más hemorragias espontáneas en una misma articulación dentro de un período de 6 meses consecutivos. Si se produjeran ≤2 hemorragias en la articulación dentro de un período de 12 meses consecutivos, la articulación ya no se consideraría articulación diana.

Centro de tratamiento de hemofilia (CTH): Centro médico especializado que proporciona diagnóstico, tratamiento y atención a personas con hemofilia y otros trastornos de la coagulación hereditarios.

Concentrado de factor de vida media estándar: Concentrados de factor recombinantes tradicionales, con una vida media de 8 a 12 horas.

Concentrado de factor de vida media prolongada: Nueva generación de concentrados de factor recombinantes cuya vida media es más larga. La vida media es el tiempo que tarda el factor infundido en perder la mitad de su potencia. El factor VIII tradicional tiene una vida media de 8 a 12 horas. La vida media prolongada del factor VIII se define como una relación superior a 1.3 veces la vida media tradicional.

Concentrados de factor: Preparaciones fraccionadas y liofilizadas de factores de coagulación individuales o de grupos de factores, derivados de sangre donada.

Crioprecipitado: Fracción de la sangre humana preparada a partir de plasma fresco. El crioprecipitado es rico en factor VIII, factor Von Willebrand y fibrinógeno (factor I); no contiene factor IX.

Desmopresina (DDAVP): Hormona sintética usada para el tratamiento de los casos más leves de enfermedad de Von Willebrand y de casos leves de hemofilia A. Se administra por vía intravenosa, inyección subcutánea o aerosol intranasal.

Hemofilia A: Trastorno causado por la deficiencia del factor VIII, también conocido como hemofilia clásica.

Hemofilia B: Trastorno causado por la deficiencia del factor IX, también conocido como enfermedad de Christmas.

Hemofilia grave: Trastorno causado por un nivel de actividad de coagulación del factor VIII o factor IX inferior al 1 % en el torrente sanguíneo.

Hemofilia leve: Trastorno causado por un nivel de actividad de coagulación del factor VIII o factor IX superior al 5 % e inferior al 40 % de la actividad normal en el torrente sanguíneo. (Las definiciones nacionales difieren respecto al límite superior para la hemofilia leve y varían entre 24 % y 50 %).

Hemofilia moderada: Trastorno causado por un nivel de actividad de coagulación del factor VIII o factor IX de entre 1 y 5 % de la actividad normal en el torrente sanguíneo.

Ingreso Nacional Bruto: Ingreso nacional bruto (INB) per cápita (en USD actuales) calculado por el Banco Mundial en cuatro grupos de ingresos utilizando el método Atlas. La clasificación se actualiza el 1° de julio de cada año.

Inhibidores: Una persona con hemofilia tiene inhibidores cuando su sistema inmunológico ataca las moléculas del concentrado de factor, por lo que este pierde su eficacia.

Productos derivados de plasma: Concentrados de factor que contienen factor VIII o IX que han sido fraccionados a partir de sangre humana.

Registro: Base de datos, censo o padrón de personas identificadas con hemofilia o trastornos de la coagulación hereditarios. Un registro incluye información personal y sobre diagnóstico, tratamiento y complicaciones.

REFERENCIAS

¹ World Federation of Hemophilia. World Bleeding Disorders Registry (WBDR). ClinicalTrials.gov Identifier: NCT03327779. Publicado el 31 de octubre de 2017. <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03327779>

² World Health Organization. 2023. Definition of regional groupings. <https://www.who.int/about/who-we-are/regional-offices>. Consultado el 10 de marzo de 2023.

³ World Bank 2023. World Bank Data. <https://data.worldbank.org/>. Consultado el 25 de octubre de 2023.

⁴ Blanchette VS, Key NS, Ljung LR, Manco-Johnson MJ, van den Berg HM, Srivastava A; Subcommittee on Factor VIII, Factor IX and Rare Coagulation Disorders of the Scientific and Standardization Committee of the International Society on Thrombosis and Hemostasis. Definitions in hemophilia: communication from the SSC of the ISTH. J Thromb Haemost. 2014 Nov;12(11):1935-9



Federación Mundial de Hemofilia

1425, boulevard René-Lévesque Ouest, Bureau 1200
Montréal (Québec) H3G 1T7, Canada

T +1 514.875.7944 **F** +1 514.875.8916
wfh@wfh.org