

# Plan de Acción para Hemofilia y otros Desórdenes de la Coagulación en Latinoamérica

**Un reporte basado en un encuentro  
de la Cumbre Latinoamericana  
de Expertos en Hemofilia**

Realizado en Bogotá, Colombia  
en noviembre de 2012



# Plan de Acción para Hemofilia y otros Desórdenes de la Coagulación en Latinoamérica

**Un reporte basado en un encuentro  
de la Cumbre Latinoamericana  
de Expertos en Hemofilia**

Realizado en Bogotá, Colombia  
en noviembre de 2012

## Recomendaciones prioritarias:

1. Creación de un registro permanente y actualizado que contenga todos los pacientes identificados, información sobre la supervisión de pacientes y el tratamiento recibido.
2. Elaboración de un plan estratégico nacional de desarrollo y acción para hemofilia y otros desórdenes de la coagulación (en cada país).
3. El tratamiento adecuado es costo-efectivo y la prevención adecuada es más costo-efectiva.
4. Proporcionar atención integral multidisciplinaria de manera oportuna y permanente.

## Puntos generales

- La prevalencia de la hemofilia se ha incrementado a nivel mundial.
- La hemofilia A y B son condiciones genéticas ligadas al cromosoma X y producidas por mutaciones en los genes que codifican los factores de coagulación VIII y IX.
- La detección de las mutaciones asociadas es prácticamente del 100%.
- La prevalencia de la hemofilia (el número de personas viviendo con hemofilia en un momento determinado) es de aproximadamente 250.000 casos en el mundo y varía de país a país.
- El porcentaje de pacientes diagnosticados con hemofilia en Latinoamérica es aproximadamente del 70%.
- La hemofilia se manifiesta en forma diferente y con diferentes grados de severidad y las variaciones dependen especialmente de la frecuencia y gravedad del sangrado.
- Dentro de las expresiones de la enfermedad, el componente articular es especialmente importante.
- Los tratamientos actuales son eficaces para controlar sangrados y el manejo ideal para prevenirlos se basa en la administración de factores.

## Las recomendaciones para Latinoamérica son:

- La atención integral del paciente con hemofilia.
- La transición del manejo de episodios de sangrado a la prevención de estos episodios.
- La mejoría de la calidad de vida de los pacientes afectados.
- El reconocimiento temprano y completo de los afectados y la prevención (a través del uso extenso de la consejería genética) de la condición.
- El involucramiento gubernamental a través de un plan integrado de salud, de un sistema de información adecuado, y del reconocimiento de la entidad como una prioridad en salud.
- La educación completa, enfocada y sistematizada a todo nivel (individual, institucional y gubernamental).
- La creación de políticas de salud que enlacen la atención individual de calidad, permitan el desarrollo máximo del individuo afectado, promuevan el involucramiento institucional, y globalicen el reconocimiento y manejo adecuados de la enfermedad y de los afectados.

# Resumen Ejecutivo

## Introducción

El presente trabajo surge como resultado de la reunión de expertos en hemofilia realizada en Bogotá, Colombia, en Noviembre 16-17 de 2012. La hemofilia A y B son condiciones genéticas con patrón de herencia ligado al cromosoma X producidas por mutaciones en los genes que codifican los factores de coagulación VIII y IX respectivamente. La detección de las mutaciones asociadas es prácticamente de un 100% y nos proporciona información específica en más del 95% de las familias con hemofilia A y B.

El diagnóstico de la hemofilia (y de otras coagulopatías) se ha incrementado a nivel mundial, muy probablemente relacionado con los esfuerzos individuales e institucionales para incrementar cobertura de programas, así como con los avances tecnológicos y genéticos.

La prevalencia de la hemofilia (el número de personas viviendo con hemofilia en un momento determinado) es de 97 a 205 casos por millón de habitantes de población masculina y según cifras de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH, 2010), existen aproximadamente 250.000 casos en el mundo. Sin embargo, la prevalencia reportada varía de país a país debido a diferentes circunstancias: nivel de reporte; diferente nivel de cuidado en salud (diferente supervivencia); diferencias en la prevalencia de las mutaciones; o una combinación de todos estos factores. El porcentaje de pacientes

diagnosticados con hemofilia en Latinoamérica es aproximadamente del 70% en la actualidad.

La variación de las manifestaciones de la enfermedad (fenotipo) se ha atribuido a factores genéticos (el tipo de mutación), a la presencia de elementos protrombóticos, a la farmacocinética del factor de reemplazo empleado en el manejo, y a los niveles variables de actividad de estos factores.

Las expresiones visibles están relacionadas con la frecuencia del sangrado, el cual a su vez depende del balance de los factores hemostáticos. Dentro de las expresiones de la enfermedad, el componente articular es especialmente importante. Este componente articular es variado y probablemente multifactorial (debido a la interacción compleja de varios factores, muchos de los cuales son desconocidos). En algunos pacientes se observa severa artropatía con poco sangrado y otros, paradójicamente, mantienen buenas articulaciones con mucho sangrado.

## Futuro de la hemofilia y desafíos en su manejo.

Los tratamientos actuales, basados en la administración de factores de coagulación derivados del plasma y los factores recombinantes, son eficaces para controlar los sangrados y, de acuerdo al nivel de purificación, menos o más seguros en cuanto a riesgo de contener sustancias o elementos patógenos para

el paciente. Los principios de los cuidados efectivos y exitosos en hemofilia en diferentes países se basan en la presencia de varios elementos: la existencia de un plan nacional de hemofilia con apoyo a nivel local; una estrategia sistemática para la disponibilidad de un diagnóstico preciso; la presencia de un registro nacional de pacientes completo y de alta calidad; la disponibilidad de un plan de manejo integral al paciente en centros especializados; la colaboración multi y trans-disciplinaria en la prestación de servicios; la disponibilidad de terapia sustituta eficaz y segura en niveles óptimos; la disponibilidad de tratamiento en el hogar; la disponibilidad (idealmente) de tratamiento profiláctico; el acceso a especialistas; la atención adecuada en servicios de emergencias; el manejo adecuado de inhibidores; y por último, pero

de gran importancia, la disponibilidad de educación e investigación a nivel global. Las barreras y desafíos más importantes identificados por el grupo de trabajo (enfocados al contexto Latinoamericano) fueron: la disponibilidad inadecuada de los concentrados de factores derivados plasmáticos (FVIIIpd), de factores recombinantes (FVIIIr) de primera, segunda o tercera generación; la ausencia de planes nacionales integrados a los sistemas de salud; la falta de reconocimiento o registro de la hemofilia (y otras coagulopatías) dentro de las enfermedades prioritarias en la atención por los sistemas de salud; el manejo interdisciplinario a los pacientes es inadecuado o ausente; la falta de recursos invertidos en la generación de conocimiento (epidemiológico, clínico y de investigación) en la entidad.

## Recomendaciones generales del grupo de trabajo.

El grupo de trabajo consideró que a nivel Latinoamericano es importante:

1. La atención integral del paciente con hemofilia.
2. La transición adecuada del manejo de episodios de sangrado a la prevención de estos episodios.
3. La mejoría de la calidad de vida de los pacientes afectados.
4. El reconocimiento temprano y completo de los afectados y la prevención (a través del uso extenso de la consejería genética) de la condición.
5. El involucramiento gubernamental a través de un plan integrado de salud, un sistema de información adecuado, y el reconocimiento de la entidad como una prioridad en salud.
6. La educación completa, enfocada y sistematizada a todo nivel (individual, institucional y gubernamental).
7. La creación de políticas de salud que enlacen la atención individual de calidad, permitan el desarrollo máximo del individuo afectado, promuevan el involucramiento institucional, y globalicen el reconocimiento y manejo adecuados de la enfermedad y de los afectados.

## Recomendaciones prioritarias.

1. Creación de un registro permanente y actualizado que contenga todos los pacientes identificados, información sobre la supervisión y manejo clínicos de pacientes y sobre el tratamiento recibido.
2. Elaboración de un plan estratégico nacional de desarrollo y de acción de hemofilia en cada país.
3. El tratamiento adecuado es costo-efectivo y la prevención adecuada es más costo-efectiva.
4. Proporcionar atención integral multidisciplinaria de manera oportuna y permanente.■

# Documento Marco

## AUTORES:

- Tania Maria Onzi Pietrobelli – Federación Brasileira de Hemofilia – Rio Grande do Sul, Brasil.
- Karina Pasquali – Federación Brasileira de Hemofilia – Rio Grande do Sul, Brasil.
- Dr. Emerson de Sousa – Centro de Hematología de Ceara – Fortaleza, Brasil.
- Yuri Andrea Arango – Liga Antioqueña de Hemofilia – Medellín, Colombia.
- Dr. Alejandro Bryón – Health Economics & Outcomes Research Team – Bogotá, Colombia.
- Gustavo Adolfo Campillo – Fundación Red de Apoyo Social de Antioquia – Medellín, Colombia.
- Dra. Amparo Plata – Hospital Departamental de Villavicencio – Villavicencio, Colombia.
- Sergio Robledo – Liga Colombiana de Hemofilia – Bogotá, Colombia.
- Dra. Ana Itamar González – Hospital Carlos McGregor, D.F., México.
- Martha Patricia Monteros – Federación de Hemofilia de la República Mexicana – D.F., México.
- Dra. Apsara Boadas – Banco Municipal de Sangre del Distrito Capital – Caracas, Venezuela.
- Cesar Garrido – Asociación Venezolana de Hemofilia – Caracas, Venezuela.
- Dra. Mercedes Elena Mijares – Banco Municipal de Sangre del Distrito Capital – Caracas, Venezuela.

## EDITORES:

- Maria del Carmen Mejia – Sociedad Hondureña de Hemofilia – Tegucigalpa, Honduras.
- Alaisa de Melgar – Fundación Panameña de Hemofilia – Ciudad de Panamá, Panamá.
- Javier Alvarez – Asociación Peruana de la Hemofilia – Lima, Perú.

## Agradecimientos

Este informe fue posible gracias al apoyo de Bayer HealthCare. El contenido de este informe fue determinado por los autores, independientemente de Bayer HealthCare, a fin de garantizar la independencia del informe y de las conclusiones del grupo. Las opiniones expresadas en esta publicación no reflejan necesariamente las del patrocinador. El grupo de trabajo no percibió honorarios.

Asistencia Editorial provista por los Dres. Juan M. Acuña, Juan M. Lozano, Anamaría Vargas. Soporte para la labor editorial proporcionado por Edelman Latin America Corporation.■

# Contenido

<b>1. Análisis de la Situación del Estado de la Hemofilia y Otras Coagulopatías.</b>	<b>8</b>
1.1. De la epidemiología a la necesidad clínica de la terapia. Cesar Garrido	8
1.2. La comprensión actual de la biología de la hemofilia. Dra. Mercedes Elena Mijares	9
1.3. Análisis comparativo de las terapias existentes y emergentes de la hemofilia. Dra. Apsara Boadas	9
1.4. Análisis de costo efectividad de las terapias existentes. Dr. Alejandro Bryón	10
<b>2. Futuro de la Hemofilia y Otros Desafíos</b>	<b>14</b>
2.1. Estado Ideal del Manejo de la Hemofilia	14
2.1.1. Aspectos Individuales	14
2.1.2. Aspectos Institucionales	14
2.1.3. Aspectos Político	15
2.2. Barreras para Lograr Estado Ideal del Manejo de la Hemofilia	15
2.2.1. Aspectos Individuales	15
2.2.2. Aspectos Institucionales	15
2.2.3. Aspectos Políticos	16
<b>3. Desarrollo de Soluciones en América Latina</b>	<b>17</b>
3.1. Mejorar el Acceso a Tratamientos Eficaces Para la Hemofilia	17
3.1.1. Aspectos Individuales	17
3.1.2. Aspectos Institucionales	17
3.1.3. Aspectos Políticos	18
3.2. Análisis del Beneficio o Valor del Tratamiento de la Hemofilia	18
3.2.1. Aspectos Individuales	18
3.2.2. Aspectos Institucionales	18
3.2.3. Aspectos Políticos	19
3.3. Mejorar La Calidad de Vida para el Paciente con Hemofilia	19
3.3.1. Aspectos Individuales	19
3.3.2. Aspectos Institucionales	19
3.3.3. Aspectos Políticos	19
<b>4. Estado del Arte de Metodologías de la Investigación y su Impacto en Hemofilia</b>	<b>20</b>
<b>5. Próximos Pasos y Plan de Acción</b>	<b>22</b>
<b>6. Referencias</b>	<b>24</b>
<b>7. Anexos (cuadros de priorización)</b>	<b>25</b>

# 1. Análisis de la situación del estado de la hemofilia y otras coagulopatías.

## 1.1. De la epidemiología a la necesidad clínica de la terapia.

*Cesar Garrido*

En los últimos años se ha incrementado el diagnóstico de hemofilia a nivel mundial. Según cifras de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) en el 2010, la cifra era de 250.000 casos. La prevalencia de la hemofilia (el número de personas viviendo con hemofilia en un momento determinado) es de 97 a 205 casos por millón de habitantes de población masculina. Sin embargo, la prevalencia reportada varía de país a país debido a diferente nivel de reporte, al diferente nivel de cuidado en salud (diferente supervivencia) o a una combinación de los dos. El porcentaje de pacientes diagnosticados con hemofilia en Latinoamérica es del 70% en la actualidad. El costo de no proveer cuidado a un paciente incluye el incremento de riesgo de infección por VIH o hepatitis C si se usa plasma o sangre que no es confiable; artropatía debido a sangrados, hospitalizaciones frecuentes y las consecuencias como incapacidad de obtener educación o empleo.

En el Congreso Mundial 2012 de la FMH, se lanzó un proyecto en el 50 aniversario cuyo objetivo principal es el cierre de la brecha de atención durante la próxima década. La idea es un equipo de atención integral que conste de fisioterapeutas, enfermeras, odontólogos, psicólogo, consejo genético, trabajadores sociales, técnicos de laboratorio y ortopedistas, liderado por el hematólogo.

Los pacientes sin cuidado integral tienen una mortalidad mayor del 67%, 40% más hospitalización y si el tratamiento es tardío, se requiere más factor para su tratamiento, lo que da lugar a mayores costos. La terapia de reemplazo con factor "Ideal" mínimo de 1 UI/cápita y la dosis óptima es 6.6 UI/cápita.

En conclusión, los principios de los cuidados en hemofilia son un plan nacional de hemofilia con apoyo local, un diagnóstico preciso, registro nacional de pacientes, tratamiento en centros de atención integral, colaboración en la prestación de servicios, terapia sustituta eficaz y segura en niveles óptimos, tratamiento en el hogar, profilaxis, servicio de especialistas y atención en emergencias, manejo de inhibidores y por último educación e investigación.

## 1.2. La comprensión actual de la biología de la hemofilia.

*Dra. Mercedes Elena Mijares*

La hemofilia A y B son condiciones genéticas con patrón de herencia ligado al cromosoma X. Son causadas por déficit de los factores de coagulación VIII y IX, respectivamente. Hoy en día, el avance de las técnicas de genética molecular hace que la detección de la mutación sea prácticamente de un 100% de exactitud y nos proporciona información específica en más del 95% de las familias con hemofilia A y B. La inversión del intrón 1 o del intrón 22 constituye la base molecular para hemofilia A en el 45-50% de los pacientes con enfermedad grave.

En cuanto al fenotipo, el 60-70% de pacientes con hemofilia tienen una enfermedad grave. Pueden tener 15 a 35% de hemartrosis y varios episodios de sangrado muscular espontáneo al año. Sin embargo, la heterogeneidad clínica (variaciones en el cuadro clínico de paciente a paciente) es considerable. Existen variaciones en la frecuencia de sangrado, edad del primer sangrado y la extensión del daño articular. Un 10 a 15% de estos pacientes presentan un fenotipo de enfermedad leve.

La heterogeneidad del fenotipo se ha atribuido a factores como el tipo de mutación, presencia de factores protrombóticos, farmacocinética del factor de reemplazo y los niveles variables de actividad. La frecuencia del sangrado depende del balance de los factores hemostáticos.

El componente articular es variado y probablemente multifactorial (debido a la interacción compleja de varios factores, muchos de los cuales son desconocidos). Puede observarse severa artropatía con poco sangrado y otros mantienen buenas articulaciones con mucho sangrado.

La incidencia de inhibidores en hemofilia A es del 30% y en hemofilia B 3-5%. La presencia de inhibidores es importante, ya que los mismos antagonizan los factores de coagulación administrados disminuyendo su eficacia en grados variables. La predisposición para su desarrollo tiene un componente genético y otro inmune. El componente genético puede ser el tipo de mutación o severos defectos moleculares como grandes deleciones, inversiones o mutaciones sin sentido.

El diagnóstico genético molecular de la hemofilia es una parte importante de la evaluación integral, ya que ayuda a comprender la biología funcional de los dos genes para evaluar las correlaciones entre genotipo y fenotipo, explica las bases del desarrollo de inhibidores y el enfoque de nuevas terapias como la génica y el desarrollo de nuevos factores.

## 1.3. Análisis comparativo de las terapias existentes y emergentes de la hemofilia.

*Dra. Apsara Boadas*

Los tratamientos actuales, basados en la administración de factores de coagulación derivados del plasma y los factores recombinantes, son eficaces para controlar

sangrados y, de acuerdo al nivel de purificación y remoción o inactivación de patógenos virales, menos o más seguros en cuanto a riesgo de contener sustancias o elementos patógenos.

Los concentrados de FVIII derivados plasmáticos (FVIIIpd) deben tener doble inactivación viral y son preparados por fraccionamiento de más de 30.000 donaciones de plasma. Estos concentrados de FVIIIpd tienen diferencia en los procedimientos de inactivación viral y su pureza. Los de pureza intermedia tienen niveles elevados de factor de Von Willebrand (FVW) y los de pureza alta prácticamente no tienen FVW. Los recombinantes (FVIIIr) son producidos por expresión, en vectores portadores del gen del FVIII humano en sus líneas celulares, de los factores pro coagulantes. Estos concentrados recombinantes se clasifican en primera, segunda y tercera generación.

Los criterios para escoger entre los productos anti hemofílicos son el precio y el riesgo de desarrollar inhibidores al FVIII. No hay una elección óptima de productos ya que no hay certeza sobre la aparición de inhibidores. Los estudios disponibles en la actualidad son pequeños y poco conclusivos. La génesis de inhibidores es un evento multifactorial. Hasta el momento no hay evidencia que los FVIIIpd sean menos inmunogénicos que los FVIIIr.

Los FVIIIr todavía tienen unas necesidades que no han podido ser corregidas, como la frecuencia de las dosis, la eliminación de proteínas humanas o animales, estabilidad al calor del producto, reducción en la formación de inhibidores y encontrar formas de administración no invasivas.

Dentro de los nuevos productos existen los que utilizan la misma molécula del factor, en fase de ensayos clínicos; la molécula alterada del factor y así se prolonga la vida media, en fase de ensayos clínicos y una aproximación diferente a la formación del coagulo.

La terapia génica, probablemente el futuro de la terapia en la enfermedad genética, se basa en poder reparar la mutación (alteración) genética responsable de la hemofilia, llevando la copia correcta del gen que codifica el factor por medio de células o virus que integran su ADN en las células que infectan o colonizan. Si esto se logra, y se obtiene controlar la producción de los factores deficientes, se logra aumentar la producción del factor defectuoso o ausente.

Uno de los problemas con esta terapia es el ataque del sistema inmune al factor producido por el gen introducido, cuando se interpreta su presencia como la presencia de una proteína externa y se trata como un elemento desconocido al cual hay que inhibir o eliminar. Esta terapia es una opción curativa pues con un incremento >1% puede prevenir sangrados espontáneos y aumentar la calidad de vida de los pacientes.

## 1.4. Análisis de costo efectividad de las terapias existentes.

*Dr. Alejandro Bryón*

Los análisis de costo-efectividad permiten mejorar las herramientas para la toma de decisiones y así poder determinar cuáles

son las opciones de tecnologías sanitarias más adecuadas; para ello evaluamos las efectividades (desde el punto de vista clínico) que serán tenidas en cuenta para la relación existente entre los costos relativos de esas terapias y los diferentes desenlaces naturales que se presenten en alguno de los estados clínicos a evaluar. En el caso de la hemofilia son muy valiosos los datos del número de sangrados, artropatías, inhibidores, entre otros.

Con base en el proyecto analizado durante el debate académico fue importante referenciar indicadores que orientaran la elección de una terapia frente a otra, para esto se utilizó la razón de costo efectividad incremental (RCEI), que consiste en comparar una opción frente a una referencia. Se calcula como la diferencia en efectividad, dividida por la diferencia en costos. A su vez se estimó el QALY (Años de Vida Ajustados por Calidad, en inglés) que es considerada una unidad de medida de las preferencias de los individuos respecto a la calidad de vida que se ha producido mediante una intervención sanitaria, combinada con los años ganados respecto de un determinado estado de salud. Para su cálculo se combinan dos variables: calidad de vida y cantidad de vida.

El presente estudio realizado en cinco entidades de aseguramiento en Colombia y en un centro clínico de referencia para la alta complejidad en la capital, conto con un universo de afiliados, de acuerdo a los datos publicados por cada entidad de 13.097.380 personas, lo que representa el 28,4% del total de la población colombiana, con base en las proyecciones de población del DANE (Departamento Nacional de Planeación).

En total se tienen registrados 1.186 pacientes con Hemofilia A, lo que representaría una prevalencia del 0,009% dentro de la población afiliada; esto permitió evaluar tres factores VIII recombinantes y la utilización de terapias concomitantes con estos medicamentos (cada uno de ellos con diferentes costos) y seguir en un horizonte de tiempo de vida siete diferentes estados de salud; que incluyeron las siguientes situaciones en los pacientes: sin inhibidores y con daño articular; sin inhibidores y sin daño articular; inhibidores de alta respuesta y con daño articular; inhibidores de alta respuesta y sin daño articular; inhibidores de baja respuesta y con daño articular; inhibidores de baja respuesta y sin daño articular; y muerte.

Se destacó que no todas las entidades nacionales tienen registros de los pacientes de acuerdo a la severidad de la enfermedad, sin embargo, las que lo realizan coinciden con la distribución reportada de Hemofilia A Severa por la literatura mundial, de 31% a 34%, lo que extrapolado a la muestra del estudio representaría entre 367 y 403 pacientes Hemofílicos Severos.

Las diferentes posibilidades que fueron incluidas en el estudio permiten agrupar en sectores determinados la interacción entre costo y beneficio; por eso si entre las opciones que se comparan la menos costosa es también la más efectiva, esto la lleva a ser considerada la más adecuada. Esta alternativa se conoce como una opción; sin embargo, la opción más efectiva puede costar más; la pregunta radicará en si la ganancia adicional en términos de salud justifica el costo adicional.

Los elementos a juicio se analizan por simulaciones matemáticas en diferentes escenarios (Simulaciones de Markov), con base en datos obtenidos durante un horizonte de tiempo en este caso años de tratamiento del paciente.

En el estudio presentado fue claro que una de las tres alternativas evaluadas, a pesar de ser una de las más costosas en algunos centros de manejo, es la que produce el mejor resultado costo-beneficio

al asociarse a menores complicaciones. Por lo tanto el costo de la terapia es solamente un elemento a considerar pues existe la posibilidad de que terapias de alto costo se acompañen de altos beneficios, creando así la opción más costo-efectiva. Lo anterior es un paso que busca este tipo de estudios para aumentar elementos de discusión académica y científica para tomar decisiones; pero es necesario seguir generando investigaciones que aumente el conocimiento sobre el tema.■



# Análisis Costo Efectividad para el Manejo Farmacológico de la Hemofilia A Severa en el Hospital Universitario de San José en Colombia

María Helena Solano (1), Amparo Y. Castro S. (2, 3), Diana Cuenca (2), Alejandro Bryón (2), Thomas Leisewitz (2), Claudia Patricia Casas (1), Virginia Abello (1).

(1) Departamento de Hematología, Hospital de San José, Fundación Universitaria Ciencias de la Salud Bogotá, Colombia.

(2) HEORT - Health Economics & Outcomes Research Team, Bogotá, Colombia.

(3) Interuniversity Institute for Biostatistics and statistical Bioinformatics, Universiteit Hasselt, Diepenbeek, Belgium.

## Introducción:

La incidencia mundial de la Hemofilia A, se ha estimado en 1 por cada 10.000 habitantes hombres. De acuerdo a la Liga Colombiana de Hemofilia, en Colombia, uno de cada 7.500 hombres nace con Hemofilia A, aunque no se tienen cifras oficiales publicadas, es evidente que esta patología representa un alto costo social para el país.

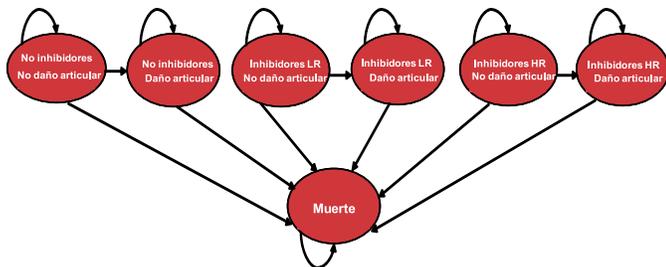
## Objetivos:

Evaluar la costo efectividad de tres tratamientos: Kogenate, Advate y Recombinate para el tratamiento de Hemofilia tipo A Severa en una población de 16 a 78 años.

Describir los resultados de pacientes con Hemofilia Severa que reciben profilaxis con distintos productos del Factor VIII.

## Metodología:

Se adaptó un modelo de Markov que describe la historia natural y los resultados de la Hemofilia A Severa. El modelo considera siete estados de salud caracterizados por el estado del inhibidor (3 niveles: HR, LR, Ninguno), daño articular (Si o no) y la muerte (estado absorbente).



**Figura 1: Diagrama del Modelo para los Estados de Markov**

Resultados del Modelo: Costos Totales, años de vida sobrevividos y Años de Vida Ajustados por Calidad (AVACs).

Costo-Efectividad: Costo incremental por año de vida y Costo incremental por AVAC ganado.

Se desarrollaron análisis de sensibilidad determinísticos y probalísticos.

## Resultados:

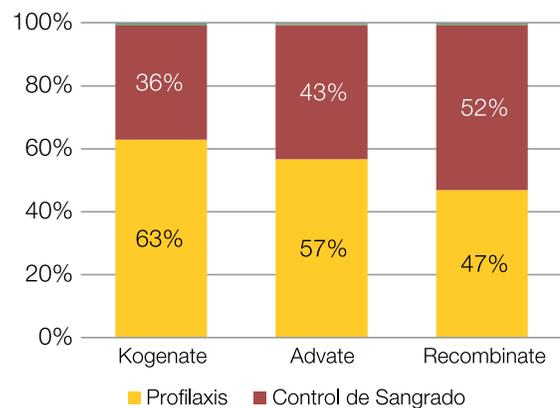
En enero de 2012, el hospital tenía 70 pacientes con Hemofilia tipo A (35 con Hemofilia Severa). Se estimaron los costos atribuidos a: profilaxis, control del sangrado, terapia inmunológica de inducción, daño articular, monitoreo de la enfermedad y pérdida de productividad laboral.

	Advate	Kogenate	Recombinante
Costos (millones, pesos colombianos)	16.029	14.714	18.623
Casos de daño articular	0.290	0.286	0.297
AVACs	22.52	22.61	22.34
RCEI usando AVACs	Dominado	Referencia	Dominado

**Table 1: Costos Esperados y Resultados**

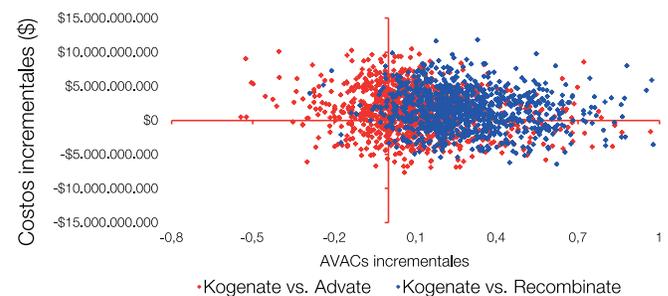
La ganancia en términos de AVACs es similar para los tres tratamientos. (Tabla 1)

Los componentes con el mayor impacto en los costos son profilaxis y control de sangrado (figura 2).



**Figura 1: Distribución de los costos por componentes**

Del análisis de sensibilidad determinístico, el parámetro con el mayor impacto es la dosis de Advate con profilaxis. Del análisis de sensibilidad probabilísticos, Kogenate es una alternativa dominante respecto a Advate en 45% de las simulaciones, y en 70.4% de las simulaciones respecto a Recombinate (Figura 3).



**Figura 3: Análisis de sensibilidad Probabilístico**

## Conclusions

Se encontró que los costos de Kogenate y Recombinate son en su mayoría atribuidos a la profilaxis y aquellos a Advate al tratamiento de sangrado. Aunque la eficacia clínica de los productos es similar, las diferencias en la incidencia del desarrollo del inhibidor significan menores costos y mejor calidad de vida para los pacientes que son tratados con Kogenate.

## 2. Futuro de la hemofilia y otros desafíos.

### 2.1. Estado Ideal del Manejo de la Hemofilia.

#### 2.1.1. Aspectos Individuales

El grupo de trabajo identificó varios aspectos que deberían estar presentes a nivel individual para aceptar que el manejo de la hemofilia es ideal. En primer término, los individuos afectados deberían estar libres de dolor o de limitaciones físicas y sin episodios de sangrado. Esto debe traducirse en una vida independiente, con actividades equivalentes a las de personas sin la condición, y con necesidades de cuidado médico que sean similares a las observadas en la población general o en sujetos con otras enfermedades crónicas (De Moerloose 2012). Para lograr esto se requiere que los productos de reemplazo usados para la profilaxis o el tratamiento puedan emplearse fácilmente a nivel del hogar, administrándose por vía oral o subcutánea, en dosis adecuadas y con intervalos tan prolongados como sea posible, lo que implica que tengan una vida media más larga (Berntorp 2012, Richards 2010).

#### 2.1.2. Aspectos Institucionales

De la misma manera, el grupo identificó varios aspectos ideales a nivel institucional. Las instituciones deberían ofrecer métodos

oportunos y seguros para el estudio y la confirmación del diagnóstico, la consejería genética a las familias con portadoras o con casos confirmados, y el tratamiento integral por equipos con participación de todos los profesionales de la salud necesarios (Colvin 2008, Ludlam 2005), los cuales deberían tener acceso a educación continua. Para ello se requiere que las instituciones cuenten con adecuada financiación.

Por otra parte, sería ideal que este manejo institucional pudiera ofrecerse de manera descentralizada o mediante un trabajo coordinado de las entidades participantes (organizaciones gubernamentales, instituciones de salud, organizaciones sociales).

Otro aspecto institucional fue la necesidad de brindar educación a los pacientes y a sus familias en los entornos habituales (instituciones educativas como escuelas y universidades, lugares de trabajo, entidades de gobierno).

Finalmente, las instituciones deben contar con protocolos o guías de práctica clínica que orienten el manejo de la condición; estos deberían ser aprobados a nivel nacional y podrían servir para que las instituciones que manejan pacientes con hemofilia obtengan reconocimiento por parte de la comunidad y para garantizar una adecuada financiación.

### 2.1.3. Aspectos Políticos

El grupo consideró que de manera ideal se debería conocer con exactitud el número de casos que existen en la población, así como el tipo de tratamientos que estos casos han recibido. Obtener esta información requeriría que la hemofilia se convirtiera en una enfermedad de notificación obligatoria, o adelantar un censo de la población afectada.

Para reducir los costos asociados con el tratamiento se debería contar con sistemas de compra centralizada, lo que a su vez redundaría en una mejor disponibilidad de los productos necesarios para todos los pacientes. También se requiere de decisiones de carácter político para crear los centros de atención integral, generar las guías de práctica clínica que guíen las decisiones diagnósticas y terapéuticas, y producir modelos de gestión para el manejo de la hemofilia y de otros desórdenes de la coagulación. Las redes sociales (Facebook, Twitter, etc.), así como otros recursos de Internet, podrían ayudar a lograr todas estas condiciones políticas.

## 2.2. Barreras para Lograr Estado Ideal del Manejo de la Hemofilia.

### 2.2.1. Aspectos Individuales

Luego de identificar las condiciones ideales a nivel individual, institucional y político, el grupo identificó las principales barreras para alcanzar dichas condiciones. A nivel individual se

mencionaron los numerosos trámites administrativos para acceder a los servicios de salud y para garantizar un tratamiento oportuno y continuo.

Los individuos también experimentan dificultades para acceder a la atención en centros especializados, a una buena atención (por personal capacitado y comprometido) cuando se presentan emergencias, y a la valoración por todos los miembros de los equipos multidisciplinarios (ortopedia, psicología, rehabilitación, etc.).

Otras barreras que afectan al individuo incluyen los tiempos prolongados de espera en las consultas, la limitada disponibilidad de los medicamentos, la carencia de presentaciones que permitan una aplicación menos frecuente y más cómoda, y las limitaciones socioeconómicas de la mayoría de los pacientes, que interfiere con una adecuada adherencia al tratamiento.

### 2.2.2. Aspectos Institucionales

Una de las principales barreras institucionales es la deficiencia en los sistemas de información; este registro inadecuado de pacientes afecta el funcionamiento y el desarrollo de los centros de tratamiento. Adicionalmente, a menudo la planta física de las instituciones de salud es inadecuada, los centros especializados tienen limitaciones de recursos, y el personal de salud no cuenta con la capacitación o la motivación necesarias para desarrollar una labor adecuada y eficaz.

Por último, la carencia de guías y protocolos de manejo o su inadecuada utilización a nivel institucional afectan directamente a los pacientes, limitan la disponibilidad de los medicamentos, o contribu-

yen a una distribución irregular de los mismos, muchas veces debida a una comunicación inadecuada entre la institución y la entidad gubernamental encargada de suministrarlos.

### **2.2.3. Aspectos políticos**

Los aspectos políticos también pueden constituirse en barreras para alcanzar condiciones óptimas en el manejo de la enfermedad. De acuerdo con el grupo, la más grave de todas es la ausencia de planes nacionales para enfrentar la condición. La carencia de sistemas adecuados de información y de guías de manejo adecuadas también tiene orígenes políticos. En el fondo, lo anterior puede explicarse por una ausencia de políticas claras de gobierno para enfrentar

el problema de la hemofilia, así como por no identificar la enfermedad como una condición de interés público. Las regulaciones existentes para clasificar los centros médicos, así como las influencias económicas y la limitación en la asignación de recursos, también afectan los programas.

A lo anterior se suma la ausencia de políticas claras para la regulación de los precios de los medicamentos para tratar la condición, que tienen alto costo, y en algunas ocasiones la legislación por edades para obtener el tratamiento.

Por último, en ocasiones hay políticas, decisiones o acciones administrativas provenientes de diferentes organizaciones que son dispares o contradictorias.■

# 3. Desarrollo de soluciones en América Latina.

## 3.1. Mejorar el Acceso a Tratamientos Eficaces Para la Hemofilia.

### 3.1.1. Aspectos Individuales

El grupo de trabajo planteó varias posibles soluciones que, al implementarse, pueden contribuir a mejorar el acceso a tratamientos eficaces por parte de los individuos afectados. La primera de ellas, a la que se asignó un carácter prioritario, es el desarrollo y evaluación de guías de práctica clínica. Esto coincide con las recomendaciones de algunas autoridades internacionales (De Moerloose 2012, Colvin 2008).

Es también necesario considerar que el manejo de la enfermedad a nivel del individuo debe tener un carácter integral, que cubra todas las posibles necesidades de los afectados pero que a su vez identifique de manera clara las responsabilidades y las actividades de cada uno de los miembros de los equipos de manejo (Colvin 2008).

Este debe contemplar la estructura según el nivel de complejidad de cada caso. Las guías deben incorporar el desarrollo de diagramas de flujo claros para el manejo de los pacientes, así como la existencia de redes de apoyo para los individuos afectados.

### 3.1.2. Aspectos Institucionales

Varias acciones institucionales pueden contribuir a superar las barreras mencionadas para alcanzar el estado ideal. Se mencionaron la necesidad de brindar educación integral a los individuos afectados, a sus familias, a los educadores, e incluso a quienes trabajan con los pacientes (Colvin 2008). Es necesario que las entidades contribuyan a reducir el número y la complejidad de los procesos administrativos para prestar los servicios.

Las instituciones deben también emprender acciones para mejorar la comunicación a todos los niveles: con los pacientes, que deben ser informados de sus deberes y sus derechos, y dentro de los equipos de trabajo y los profesionales que deben prestar atención a los afectados. En el mismo sentido, una mejor comunicación debe facilitar y hacer más efectiva la participación de los padres y de los pacientes en los procesos de toma de decisiones.

Las instituciones que desarrollan tratamientos deben trabajar en presentaciones de los productos que sean fáciles de usar, incluyendo vías de administración más cómodas y uso menos frecuente (Berntorp 2012). Finalmente, las instituciones que participan en el manejo de pacientes deben promover y compartir

sus experiencias; para esto pueden ser de utilidad las redes sociales.

### **3.1.3. Aspectos Políticos**

Una de las primeras acciones de carácter político es el desarrollo y la implementación de sistemas de información adecuados, que pueden incluir métodos de vigilancia epidemiológica y de control, así como la creación de registros; estos sistemas deberían implementarse por etapas que busquen incrementar el registro de casos de manera progresiva (50% en el primer año, incrementando a 75% y al menos a 90% en el segundo y el tercer año, respectivamente).

La creación de este tipo de registros ha sido recomendada internacionalmente (Colvin 2008). Otro aspecto importante de carácter político es la creación e implementación de planes estratégicos para el desarrollo de guías de atención y de modelos de gestión para hemofilia; estas actividades podrían desarrollarse en un plazo de 12 meses.

También se requieren decisiones de carácter político para la creación de un número suficiente de centros de tratamiento de hemofilia que sigan procedimientos estandarizados de acuerdo con las guías desarrolladas; los centros de tercer nivel deben crearse a más corto plazo (cinco años), mientras que los tipos secundarios y primarios podrían tomar 10 y 15 años, respectivamente.

## **3.2. Análisis del Beneficio o Valor del Tratamiento de la Hemofilia.**

### **3.2.1. Aspectos Individuales**

El grupo de trabajo discutió el beneficio potencial (“el valor”) del tratamiento adecuado de la hemofilia. A nivel del individuo esto llevará a un mejor desempeño de sus actividades diarias, que ganarán independencia y autonomía, lo que a su vez conducirá a mejorar la autoestima y a desarrollar la sensación de ser productivo para la sociedad.

La mejoría en la calidad de vida consecuente debe representar un mejor estado funcional para las actividades de educación, trabajo y recreación, así como una disminución en la frecuencia y la severidad de las secuelas. El individuo, y en especial si es un menor, se sentirá libre de estigmas y menos discriminado (Berntorp 2012).

### **3.2.2. Aspectos Institucionales**

El tratamiento adecuado de la condición también tendrá valor a nivel de las instituciones. En primer término, contribuirá a garantizar la calidad y la equidad en la atención de los afectados, así como a una mejor prevención de las complicaciones y las secuelas de la enfermedad.

Un tratamiento adecuado puede asociarse con una utilización más adecuada de sus recursos, contribuyendo a la mejoría en la calidad de vida de los pacientes y al reconocimiento de ciertas instituciones como centros de excelencia en el manejo de pacientes con hemofilia. La existencia de instituciones consolidadas puede contribuir al establecimiento de mejores políticas por parte del sector público y gubernamental. Finalmente, se consideró que el fortalecimiento institucional puede facilitar una mejor adherencia al tratamiento por parte de los pacientes.

### **3.2.3. Aspectos Políticos**

Contar con mejores tratamientos también tiene valor a nivel político. A nivel económico, los pacientes podrán mejorar su acceso a la educación y al mercado laboral y, en consecuencia, a que sus actividades se tornen más productivas en términos económicos. Adicionalmente, la reducción en la frecuencia y en la severidad de la discapacidad llevará a una reducción en los costos del servicio de salud. En este sentido, el tratamiento y en particular la prevención serían actividades con una razón costo – efectividad positiva, que redundaría en una mejor eficiencia en el uso de recursos.

## **3.3. Mejorar la Calidad de Vida Para el Paciente con Hemofilia.**

### **3.3.1. Aspectos Individuales**

Varias acciones que tienen lugar a nivel del individuo pueden mejorar la calidad de vida

del paciente. A través de la educación se puede alcanzar un mayor compromiso del sujeto afectado para la prevención de complicaciones y de secuelas, así como una mayor capacidad individual para la auto-infusión de los productos utilizados (Colvin 2008). Es también necesario garantizar una disponibilidad adecuada del tratamiento cuando este sea necesario, y contar con alternativas que tengan una mayor vida media y por tanto requieran aplicaciones menos frecuentes (Berntorp 2012).

### **3.3.2. Aspectos Institucionales**

En el mismo sentido, para mejorar la calidad de vida de los pacientes las instituciones deben proporcionar atención integral multidisciplinaria de forma oportuna y continua (Colvin 2008), así como planificar estrategias de acompañamiento de los pacientes a largo plazo que estimulen hábitos de vida saludables, aporten al desarrollo personal y a la prevención de las complicaciones y de las secuelas propias de la enfermedad.

### **3.3.3. Aspectos Políticos**

La mejoría de la calidad de vida también demanda acciones de carácter político. Se deben generar planes nacionales de hemofilia que incluyan el tratamiento integral multidisciplinario, la participación de redes de atención y de apoyo social, la sensibilización para mejorar la inclusión social y las oportunidades de educación y de trabajo, y la creación de incentivos para las instituciones que participan en el manejo. ■

## 4. Estado del arte de la investigación y su impacto

La necesidad de considerar la investigación en hemofilia y otras coagulopatías desde un punto de vista sistematizado relacionado con el tipo de investigación, nace de la característica multifactorial y de alta complejidad de la entidad.

La investigación de los aspectos biológicos y moleculares han fascinado desde tiempos ancestrales a los investigadores. En la actualidad, los avances del secuenciamiento y categorización de las alteraciones moleculares y proteicas y su expresión fenotípica (características físicas visibles en los individuos) han permitido una buena correlación entre los diferentes grados de enfermedad y los hallazgos en el laboratorio.

La tipificación de los defectos específicos de una familia permite el diagnóstico preciso y temprano de esta capacidad. Esta capacidad, en general, permite la consejería genética de portadoras y afectados con la certeza de un pronóstico específico y ajustado a la realidad, estableciendo opciones entre las cuales estos individuos pueden optar para el futuro de la enfermedad en su familia.

La investigación en servicios de salud, en el otro espectro, explora los sistemas y las instituciones y como los servicios ofrecidos se relacionan con los resultados adecuados o inadecuados de los pacientes afectados y sus madres portadoras.

La aparición de terapias efectivas pero de alto costo ha planteado un terreno interesante en la investigación de servicios de salud y alternativas terapéuticas, desde el punto de vista económico.

La investigación de la relación de costo de terapia y costo de resultados (análisis de costo-beneficio) es raro en hemofilia, ya que es muy difícil colocarle costo a las consecuencias de la enfermedad.

Los estudios de costo-efectividad plantean una alternativa mejor, permitiendo evaluar diferentes alternativas de manejo y su resultado en unidades naturales (como consecuencias de la terapia, inhabilidades, secuelas, e incluso muerte). A medida que aumenten las posibilidades terapéuticas y que los sistemas pagadores tengan más dificultad para escoger entre terapias equivalentes, mayor será la relevancia de estos estudios.

La investigación epidemiológica es crucial para entender el comportamiento de la enfermedad y sus complicaciones en poblaciones, grupos y subgrupos. La importancia de proporcionar información de primera mano para la elaboración de políticas de salud relevantes a estos pacientes que permita a los sistemas entender la capacidad de inversión en salud y sus consecuencias se constituye, en muchas ocasiones, en la fuente de información esencial para otras modalidades de investigación.

Existen sistemas de información epidemiológicos de la hemofilia y otras coagulopatías en Latinoamérica que son muy deficientes. El consenso general es la necesidad de una mejoría radical en este terreno en nuestra región.

La investigación clínica usa técnicas epidemiológicas para medir factores de exposición y riesgo, al igual que resultados de interés en ambientes clínicos.

La recolección de datos en pacientes individuales es esencial. Se puede realizar desde muchas perspectivas como evaluación de riesgos, diagnóstico, terapias, y pronóstico, entre otras.

En la hemofilia y coagulopatías, la evaluación de factores de riesgo y pronósticos para establecer su

asociación con desenlaces, tanto deseables como indeseables, es crucial. La investigación diagnóstica está muy relacionada con la investigación molecular básica, aun cuando el diagnóstico de elementos clínicos de manejo es también importante.

En resumen, los campos de investigación en la hemofilia son amplios y dada la capacidad limitada de recursos, los grupos interesados deben trabajar en priorizar la investigación necesaria.

En la actualidad, es posible que la investigación de nuevas terapias y esquemas de manejo y la investigación de sistemas de salud, apoyadas por una estructura epidemiológica de recolección adecuada de datos, sean los campos prioritarios de investigación. ■

## 5. Próximos pasos y plan de acción.

El grupo de trabajo desarrolló un trabajo de identificación de los elementos más relevantes relacionados con la hemofilia y otras coagulopatías, desde diferentes puntos de vista. Posterior a la elaboración de una lista extensa e inclusiva, se procedió a priorizar una lista de 17 elementos más importantes y posteriormente una lista de los 4 elementos prioritarios. La siguiente es una breve exposición de esos cuatro elementos.

### 5.1. Metas: Sistema Integrado de Información y Vigilancia.

- Registro y supervisión de pacientes y tratamiento constante.
- Sistema de Vigilancia/Registro Latinoamericano en tres niveles:
  - Básico (usuario)
  - Intermedio (médico y administrador en salud)
  - Alto (investigador)
- Los plazos de desarrollo de tal sistema serían:
  - A 3 años recolectar datos básicos en todos los pacientes.
  - A 5 años datos medios en todos.
  - A 8 años datos complejos en todos.
- Elementos a contemplar:
  - a) Diseño
  - b) Piloto
  - c) Implementación
  - d) Análisis y medición
  - e) Auditoría y control de calidad

## 5.2. Plan Estratégico Nacional de Desarrollo y Acción.

- Desarrollo de guías de atención y modelo de gestión en un año, creando centros de tratamiento especializados de hemofilia.
- Plan nacional de desarrollo: realizar una convocatoria a todas las partes involucradas en un periodo inmediato para definir las líneas estratégicas del plan como son construcción de guías y modelos de gestión en un periodo intermedio.
- Creación de centros de tratamiento y promoción. Difusión de iniciación del plan en seis meses o un año.

## 5.3. Tratar es Costo-efectivo. Prevenir es aún más Costo-efectivo.

- Todo tratamiento es prioritario para todos los pacientes.
- La meta es revisar literatura en un plazo de tres meses, invertir en tratamiento para presentar proyecto a las personas que elaboran políticas en salud en seis meses, compra centralizada para prevenir y tratar la hemofilia y todas las coagulopatías (todos los factores) y hacer una evaluación pre y post profilaxis para comprobar la disminución de gastos.

## 5.4. Proporcionar Atención Integral Multidisciplinaria de Manera Oportuna y Permanente.

- Guías de práctica clínica basadas en la Federación Mundial de Hemofilia con adaptación a cada país en un plazo de seis meses.
- El modelo de atención integral a un año sobre cómo atender al paciente. Estructuración de los niveles de atención y redes para ejecutarse en 3-5 años.
- Generar flujo grama de atención en un año.■

# Referencias

1. De Moerloose P, Fischer K, Lambert T, Windyga J, Batorova A, Lavignelissalde G, et al. Recommendations for assessment, monitoring and follow-up of patients with haemophilia. *Haemophilia* 2012;18: 319–325.
2. Berntorp E, Shapiro AD. Modern haemophilia care. *Lancet* 2012;379: 1447–56.
3. Richards M, Williams M, Chalmers E, Liesner R, Collins P, Vidler V, et al. Writing group: on behalf of the Paediatric Working Party of the United Kingdom Haemophilia Doctors' Organisation. A United Kingdom Haemophilia Centre Doctors' Organization guideline approved by the British Committee for Standards in Haematology: guideline on the use of prophylactic factor VIII concentrate in children and adults with severe haemophilia A. *British J Haematol* 2010;149:498–507.
4. Colvin BT, Astermark J, Fischer K, Gringeri A, Lassila R, Schramm W, et al, for The Inter Disciplinary Working Group. European principles of haemophilia care. *Haemophilia* 2008;14: 361–374.
5. Ludlam CA, Pasi KJ, Bolton-Maggs P, Collins PW, Cumming AM, Dolan G, et al, on Behalf of UK Haemophilia Centre Doctors' Organisation. A framework for genetic service provision for haemophilia and other inherited bleeding disorders. *Haemophilia*. 2005;11:145–163.
6. Human Gene Mutation Database, <http://www.hgmd.org/>. February 4, 2012.
7. Jayandharan GR, Srivastava A, Srivastava A. Role of Molecular Genetics in Hemophilia: From Diagnosis to Therapy. *Semin Thromb Hemost* 2012; 38:64–78.
8. Pipe SW, High KA, K, Ohashi K, Ural AU, Lillicrap D. Progress in the molecular biology of inherited bleeding disorders. *Haemophilia* 2008, 14 (3): 130–137. ■

## Anexos

### Apéndice

Proceso de priorización de puntos importantes en el manejo de coagulopatías.

<b>Cuadro 1.</b> Lista extensa e puntos relacionados con el tratamiento, identificados por el grupo de trabajo, desde el punto de vista de los pacientes, las instituciones, y el entorno político en salud.		
	<b>TRATAMIENTO: ESTADO DEL ARTE</b>	<b>BARRERAS AL TRATAMIENTO</b>
<b>PACIENTES</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>No dolor, no limitación física (sangrado)</li> <li>Vida activa normal (no ir al médico) – independencia física</li> <li>Terapia de larga duración y cantidad adecuada</li> <li>Terapia domiciliaria</li> <li>Vía de administración</li> <li>Terapia domiciliaria</li> <li>Balance psicológico</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Personal capacitado y comprometido insuficiente</li> <li>Falta de apoyo psicológico para edad</li> <li>Dificultad de acceso a centros especializados y valor por ortopedia</li> <li>Trámites administrativos</li> <li>Dificultad de disponibilidad</li> <li>Tiempo de espera en consulta</li> <li>Falta de adherencia al tratamiento</li> <li>Falta de consejería y educación</li> </ul>
<b>INSTITUCIÓN</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Consejería genética</li> <li>Tamizado y caracterización oportuno</li> <li>Diagnóstico oportuno</li> <li>Atención integral</li> <li>Educación continua de personal</li> <li>Trabajo conjunto con entidades sociales y gobierno</li> <li>Descentralización de atención</li> <li>Acciones de educación a pacientes y familias</li> <li>Educación a entidades gubernamentales</li> <li>Reconocimiento como Centro de Tratamiento de Hemofilia (CTH)</li> <li>Protocolo de manejo</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Falta de estructura física y capacitación a los centros y profesionales</li> <li>Tratamiento humanizado</li> <li>Distribución irregular de los factores o no disponibilidad</li> <li>Desconocimiento de los profesionales de salud en general</li> <li>Aplicación inadecuada de guías y protocolos</li> <li>Nivel socioeconómico de los pacientes</li> <li>Registro inadecuado de pacientes</li> </ul>
<b>POLÍTICA</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Censo real: Enfermedad de notificación obligatoria</li> <li>Compra centralizada y abierta</li> <li>Mejor tratamiento: tipo de producto y régimen</li> <li>Centros de atención integral</li> <li>El gobierno debe dictaminar quien paga</li> <li>Guías de atención y modelos de gestión</li> <li>Área centralizada de la hemofilia (estado)</li> <li>Creación de redes</li> <li>Políticas basadas en evidencia</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Desinformación y falta guía de manejo</li> <li>No identificación de la reforma interés público</li> <li>Política de gobierno e ingresos</li> <li>Legislación por edades</li> <li>Ausencia regulación de precios</li> <li>Pliegos no claros</li> <li>Influencias económicas</li> <li>Ausencia de planes nacionales de hemofilia</li> <li>Disparidades</li> </ul>

**Cuadro 2.** Soluciones de acceso, valor y calidad de vida desde los puntos de vista del paciente, la institución, y el entorno de políticas de salud: lista extensa (en negro) y puntos prioritarios seleccionados por el grupo (en rojo).

	<b>SOLUCIONES (ACCESO)</b>	<b>SOLUCIONES (VALOR)</b>	<b>SOLUCIONES (CALIDAD DE VIDA)</b>
<b>PACIENTES</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Disminuir trámites administrativos</li> <li>2. Conocimiento de derechos y deberes</li> <li>3. Comunicación y educación</li> <li>4. Producto fácil de aplicar</li> <li>5. Participar en toma de decisiones</li> <li>6. Tratamiento para todos</li> <li>7. Compartir experiencias</li> <li>8. Mejoría de redes de apoyo</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Mejor desempeño diario</li> <li>2. Productivo a la sociedad</li> <li>3. Independencia y autonomía</li> <li>4. Aumento de autoestima</li> <li>5. Una mejor vida (educación, trabajo y diversión)</li> <li>6. Libre de discriminación y estigmas</li> <li>7. Mejor movilidad social</li> <li>8. Disminución de secuelas</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Toma de conciencia: compromiso de prevenir complicaciones y secuelas</li> <li>2. Poder realizar actividades sin limitaciones físicas</li> <li>3. Asegurar disponibilidad de tratamiento suficiente (adecuada)</li> <li>4. Saber autoinfusión</li> <li>5. Factores de larga duración</li> </ol>
<b>INSTITUCIÓN</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Registro y supervisión de pacientes y el tratamiento recibido de manera constante</li> <li>2. Mejorar la estructura física y la actualización y capacitación profesional y pacientes</li> <li>3. Investigación y soporte científico</li> <li>4. Generar estrategias que disminuyan los trámites administrativos</li> <li>5. Promover las guías y protocolos de tratamientos</li> <li>6. Atención y acceso 24 horas</li> <li>7. Reevaluar paradigmas personales encargados de políticas de tratamientos</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Prevención de las complicaciones de la enfermedad</li> <li>2. Comparación de las etapas del tratamiento</li> <li>3. Utilización con el mejoramiento de la calidad de vida del paciente</li> <li>4. Ser reconocido como centro de excelencia en el tratamiento de la hemofilia <ul style="list-style-type: none"> <li>• Mayor efectividad institucional</li> </ul> </li> <li>5. Garantía de una mejor adherencia al tratamiento</li> <li>6. Contribuir al estado en el establecimiento de nuevas políticas públicas</li> <li>7. Calidad de atención</li> <li>8. Garantizar equidad de atención</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Proporcionar atención integral multidisciplinaria de manera oportuna y permanente</li> <li>2. Promover la independencia</li> <li>3. Estimular los hábitos de vida saludable</li> <li>4. Planificar estrategias de acompañamiento a largo plazo que aporten al desarrollo personal y a la prevención de patología inherentes a la edad</li> </ol>
<b>POLÍTICA</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Sistema de registro de información por etapas (50% en 1 año, 75% en segundo año, 90% en tercer año)</li> <li>2. Plan estratégico nacional de desarrollo y acción en hemofilia <ul style="list-style-type: none"> <li>• guías de atención y modelo de gestión en 1 año,</li> <li>• crear CTH</li> </ul> </li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Discapacidad: aumento costo servicios de salud</li> <li>2. Socioeconómicas: pensiones y subsidios</li> <li>3. No tratamiento adecuados: infecciones – más costo de incapacidad</li> <li>4. Costo social: bajo índice escolar y poca oportunidad de empleos</li> <li>5. Tratar es costo-efectivo y prevenir es más costo-efectivo</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Plan nacional de hemofilia</li> <li>2. CTH – Integral (psicología y trabajo social)</li> <li>3. Redes de atención y de apoyo social</li> <li>4. Cultura de servicios (natación)</li> <li>5. Mejoría infraestructura deportiva</li> <li>6. Sensibilización para inclusión social (trabajo y educación)</li> <li>7. Incentivos para las instituciones - familia</li> </ol>

**Cuadro 2b.** Soluciones de acceso, valor y calidad de vida desde los puntos de vista del paciente, la institución, y el entorno de políticas de salud: lista priorizada por el grupo en el paso anterior (expuesta en rojo en el cuadro 1) y puntos prioritarios del segundo paso de priorización (en rojo).

	<b>SOLUCIONES (ACCESO)</b>	<b>SOLUCIONES (VALOR)</b>	<b>SOLUCIONES (CALIDAD DE VIDA)</b>
<b>PACIENTES</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Comunicación y educación</li> <li>2. Tratamiento para todos</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>3. Una mejor vida (educación, trabajo y diversión)</li> <li>4. Disminución de secuelas</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>5. Toma de conciencia: compromiso de prevenir complicaciones y secuelas</li> <li>6. Asegurar disponibilidad de tratamiento suficiente (adecuada)</li> </ol>
<b>INSTITUCIÓN</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Registro y supervisión de pacientes y el tratamiento recibido de manera constante</li> <li>2. Promover las guías y protocolos de tratamientos</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>3. Prevención de las complicaciones de la enfermedad</li> <li>4. Garantía de una mejor adherencia al tratamiento</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>5. Proporcionar atención integral multidisciplinaria de manera oportuna y permanente</li> <li>6. Planificar estrategias de acompañamiento a largo plazo que aporten al desarrollo personal y a la prevención de patología inherentes a la edad</li> </ol>
<b>POLÍTICA</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Plan estratégico nacional de desarrollo y acción de hemofilia <ul style="list-style-type: none"> <li>• Guías de atención y modelo de gestión en 1 año,</li> <li>• Crear centros de tratamientos de hemofilia</li> </ul> </li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>2. Costo social: bajo índice escolar y poca oportunidad empleos</li> <li>3. Tratar es costo-efectivo y prevenir es más costo-efectivo</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>4. Plan nacional de hemofilia</li> <li>5. CTH integral (psicología y trabajo social)</li> </ol>

<b>Cuadro 2c.</b> Soluciones de acceso, valor y calidad de vida desde los puntos de vista del paciente, la institución, y el entorno de políticas de salud: prioridades finales con estrategias y plazos propuestos.		
<b>PRIORIDAD</b>	<b>ACCIONES/ESTRATEGIAS</b>	<b>PLAZOS</b>
Registro y supervisión de pacientes y el tratamiento recibido de manera constante	<p>Meta: Sistema de vigilancia / Registro latinoamericano básico intermedio y alto en complejidad y contenido. Cada país lo define. Básico para pacientes, intermedio para administración de salud y médicos, avanzado para investigadores</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Diseño</li> <li>2. Piloto</li> <li>3. Implementación</li> <li>4. Análisis y medición</li> <li>5. Auditoría y control de calidad</li> </ol>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• 3 años - todos - recolectar datos básicos en todos los pacientes</li> <li>• 5 años –mitad - datos medios en todos los pacientes</li> <li>• 8 años - todos- datos complejos en todos los pacientes</li> </ul>
<p>Plan estratégico nacional de desarrollo y acción de hemofilia</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Guías de atención y modelo de gestión en un año,</li> <li>• Crear centros de tratamiento de hemofilia</li> </ul>	<p>Meta: Plan nacional de desarrollo Desarrollar convocatoria a actores involucrados en un periodo inmediato para definir líneas estratégicas de plan</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) Construcción guías y modelo de gestión en periodo intermedio</li> <li>2) Creación de centros de tratamiento</li> <li>3) Promoción y difusión e iniciación del plan en seis meses a un año</li> </ol>	
Tratar es costo-efectivo y prevenir es más costo-efectivo	<p>Meta: Todo el tratamiento es prioritario para todos de manera costo-efectivo y prevenir es costo-efectivo</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Revisar literatura</li> <li>2. Invertir en tratamiento para presentar proyecto a personas que elaboran políticas de salud</li> <li>3. Compra centralizada de tratamiento en general para tratar a todas las coagulopatías (todos los factores)</li> <li>4. Demostración clínica por cada paciente, hacer evaluación pre y post profilaxis para ver que disminuyeron los costos</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 3 meses</li> <li>2. 6 meses</li> <li>3. Sin tiempo</li> <li>4. Sin tiempo</li> </ol>
Proporcionar atención integral multidisciplinaria de manera oportuna y permanente	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Guía de práctica clínica para que los expertos tomen la guía de la FMH (Adaptar a cada país)</li> <li>2. Modelo de atención integral a un año</li> </ol> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Sobre cómo atender al paciente</li> <li>2. Estructuración de los niveles de atención</li> <li>3. Redes</li> <li>3. Generar flujo grama de atención</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. 6 meses</li> <li>2. En 3-5 años (ejecución)</li> <li>3. 1 año</li> </ol>





Federación de Hemofilia de la República Mexicana, A.C.



LIGA COLOMBIANA DE HEMOFÍLICOS Y OTRAS DEFICIENCIAS SANGUÍNEAS



FEDERAÇÃO BRASILEIRA DE HEMOFILIA



LIGA ANTIOQUEÑA DE HEMOFÍLICOS