

Premio Internacional Duquesa de Soria

Categoría: Ayuda a proyectos de investigación

Premio al proyecto de investigación multidisciplinar

Estudio SELFIE II: Análisis continental del tratamiento integral de la hemofilia.

Pseudónimo: Markus 2021

FUNDAMENTACIÓN

La hemofilia es un problema hemorrágico. Las personas con hemofilia no sangran más rápido de lo normal, pero pueden sangrar durante más tiempo. Su sangre no tiene suficiente factor de coagulación que es una proteína en la sangre que controla el sangrado. La incidencia de la hemofilia es de 1 de cada 10,000 personas, en su mayoría varones.

El tipo más común de hemofilia se llama hemofilia A. Esto significa que la persona no tiene suficiente factor de coagulación VIII (factor ocho). La hemofilia B es menos común y una persona con hemofilia B no tiene suficiente factor IX (factor nueve). El resultado es el mismo para las personas con hemofilia A y B; es decir, sangran durante más tiempo de lo normal.

La hemofilia suele ser heredada, lo que significa que se transmite a través de los genes de los padres. Los genes transmiten mensajes sobre la forma en que se desarrollarán las células del cuerpo a medida que el bebé se convierte en adulto. Determinan el color de cabello y ojos de una persona, por ejemplo. A veces, la hemofilia puede ocurrir cuando no hay antecedentes familiares. A esto se le llama hemofilia esporádica . Aproximadamente el 30% de las personas

con hemofilia no la contrajeron a través de los genes de sus padres y fue causado por un cambio en los propios genes de la persona. En casos raros, una persona puede desarrollar hemofilia más adelante en la vida. La mayoría de los casos involucran a personas de mediana edad o ancianas, o mujeres jóvenes que han dado a luz recientemente o están en las últimas etapas del embarazo.

El tratamiento actual de hemofilia y otros desordenes de la coagulación es diverso en los distintos países del continente americano. Esto se debe a características demográficas, de infraestructura, sistema político, sistema de salud y financieros, entre otros. Cada país tiene una historia para la conformación de su Constitución, del Estado Nación y a su vez de la estructura de su sistema de Salud, historia y antecedentes que condicionan la situación actual en el sistema sanitario público en general y en el tratamiento de la hemofilia en particular.

El sistema de salud de cada país además tiene características y especificidades únicas que conforman el andamiaje de atención, los procedimientos y los procesos para lograr efectivo el tratamiento. En este punto, las Organizaciones de pacientes de Hemofilia (denominadas ONM por la Federación Mundial de Hemofilia) tiene un aporte central en incidir en ese sistema de salud nacional para que la cobertura y acceso a un tratamiento integral de la hemofilia se vea reflejado en la calidad de vida de los pacientes.

América es el tercer continente con mayor población después de Asia y África, las regiones que culturalmente se describen como Norteamérica, Centroamérica y el Caribe, y Sudamérica comprenden según datos del Banco Mundial¹ cerca de mil millones de habitantes en 2014, distribuidos en 35 países y 25 dependencias, en los cuáles se cuentan 25 acreditaciones como Organización Nacional Miembro de la Federación Mundial de Hemofilia.

¹ Mas información en: <https://datos.bancomundial.org/indicador/SP.POP.TOTL>

Según el Reporte Global Anual 2019² de la Federación Mundial de Hemofilia, hay diagnosticados 55317 pacientes con Hemofilia A y B, pero si sumamos a otros pacientes con desordenes de la coagulación el número asciende a 106521. Tengamos en cuenta que este número es sobre los diagnosticados y siempre ese Registro es menor a la cantidad real que existe en cada país. En este sentido, el Reporte indica que el registro actual implica solamente un 56% de los pacientes que se esperan tener en América, siendo el total del universo real unos 98726 en relación a la hemofilia A y B solamente. Si incluyéramos a todas las enfermedades de los desórdenes de la coagulación, también tendríamos un universo bastante mayor que aún no se ha detectado.

Es importante destacar que la hemofilia, de no ser tratada correctamente, genera artropatías que se vuelven discapacitantes para los pacientes, generando así futuros ciudadanos pasivos y no activos, lo cual genera una mala calidad de vida en los mismos y sobrecarga en los sistemas de salud de cada país a mediano y largo plazo.

Es entonces que por estos aspectos que se mencionan que es necesario el poder obtener una foto completa de la situación del Tratamiento Integral de la Hemofilia y otras Coagulopatías, y también con una mirada retrospectiva de que sucedió años anteriores para tener este presente y hacer análisis y recomendaciones hacia futuro.

ESTRUCTURA DEL PROYECTO

Visión: Mejorar la calidad de vida y tratamiento de los pacientes con hemofilia en las Américas

Misión: Incidir en las políticas públicas con el manejo adecuado de nueva información y datos relevantes sobre diferentes dimensiones.

Objetivos generales:

- Obtener un estado de situación del Tratamiento de la Hemofilia en las Américas

² Mas información en: <https://www.wfh.org/es/nuestra-labor-investigacion-datos/sondeo-mundial-anual>

- Reconocer las limitaciones históricas de cada país en el tratamiento de la Hemofilia
- Analizar las posibles soluciones en base a la información obtenida
- Identificar los procedimientos administrativos de los Estados mas eficientes y eficaces en el tratamiento de la Hemofilia.
- Obtener análisis comparativo para el intercambio de experiencias y aplicación de modelos en otros países.
- Colaborar para incidir en las políticas públicas de cada país para el tratamiento de la Hemofilia

En el Anexo I presenta una Escala de Tiempo planificada para ejecutarse en tres años donde se plasma las metas, objetivos y actividades, entre otras herramientas desglosadas y detalladas año a año.

En el Anexo II se presenta la Escala de Tiempo Triannual año a año con las actividades que se desarrollarán mes por mes.

METODOLOGÍA DE INVESTIGACIÓN:

La metodología será llevada a cabo en dos dimensiones, una cuantitativa y otra cualitativa y en etapas planificadas para que el proyecto en general este finalizado en 3 años, tal como se visualiza en el ANEXO I.

Cualitativa: Se iniciará las investigaciones por medio de contacto y entrevistas con diferentes actores del sistema de salud de cada país. Líderes de las Organizaciones Nacionales de Pacientes, referentes provinciales, estatales y locales, pacientes, voluntarios de las Organizaciones, Ministros de Salud, asesores legales y financieros de los Ministerios de Salud, Directores de los Programas de financiamiento del tratamiento de Enfermedades Poco Frecuentes o Huérfanas, Directores de las industrias farmacéuticas, Gerentes para América de las industrias farmacéuticas, etc. Las mismas tendrán modalidad presencial cuando se amerite viajar al país para llevar a cabo dichos encuentros ó en formato virtual. Se espera que dichas

reuniones arrojen información específica sobre como es el abordaje presupuestario, legal y financiero del tratamiento y así poder hacer un análisis FODA de cada país para colaborar en su avance.

Cuantitativa: Se enviarán a todas las Organizaciones Nacionales Miembros una encuesta virtual que abordará diversas dimensiones sobre el tratamiento integral y estado actual del mismo, a los fines de poder tener un análisis cuantitativo de las respuestas y poder hacer estadísticas nacionales.

Se comenzara también con la división de los países dentro de cada etapa a cada investigador a los fines de organizar las tareas de cada uno e iniciar el proceso de obtención de datos de sitios oficiales, de normativas y del posterior análisis de cada situación.

ETAPAS:

Etapa 1: Países que tengan un nivel de acceso al tratamiento medido por cantidad de UI por habitante menor a 1%.

Etapa 2: Países que tengan un nivel de acceso al tratamiento medido por cantidad de UI por habitante mayor a 2%.

ESTRUCTURA INTERNA DEL EQUIPO DE INVESTIGACIÓN

El equipo de trabajo del Estudio SELFIE estará conformado por un Coordinador del Proyecto y tres investigadores y un asistente administrativo. El equipo tendrá la siguiente estructura organizativa y las tareas:

Coordinador del proyecto: Dirección del Proyecto. Supervisión del alcance de las metas y objetivos anuales. Control del estado de avance de cada Plan de Acción. Coordinará las reuniones del Equipo de Trabajo. Supervisión de las tareas de investigación de los investigadores. Dirección de las líneas de análisis para cada tema. Supervisión de los Informes requeridos y planificados. Responsable de la comunicación pública de la información del

proyecto. Referente para la vinculación con los líderes de las ONM, estados, Organismos internacionales, etc.

Investigadores: Investigar, recopilar y analizar la información definida. Llevar adelante la investigación en una región de países del continente americano predefinida y acordada con el Coordinador. Participar junto con el Coordinador de las reuniones virtuales o presenciales sobre los distintos temas con aquellos países que estén a su cargo en la investigación. Elaborar pre-informes o informes parciales sobre los temas planificados a analizar. Elaborar pre-informes o informes parciales extraordinarios a pedido del Coordinador. Sistematizar la información. Responsable del estado de avance de la investigación en su región.

Asistente administrativo: Coordinar y revisar las agendas del Coordinador e investigadores para concretar reuniones presenciales o viajes. Generar los vínculos virtuales para las reuniones vía Zoom. Llevar adelante el control contable del proyecto. Llevar adelante la guarda de los gastos planificados o no del proyecto.

En el Anexo III se presenta la estructura y organigrama del Equipo de Trabajo de la investigación.

ANEXO I

	Plan de Acción 2022	Plan de Acción 2023	Plan de Acción 2024	Meta cumplida
PROYECTO	OBJETIVOS	OBJETIVOS	OBJETIVOS	META
<i>Estudio SELFIE.</i>	Crear equipo de Trabajo que lleve adelante la investigación. Vincularse fuertemente con las Organizaciones Nacionales Miembros (ONM). Recopilar por país la información sobre el estado de situación legal e institucional del tratamiento en Hemofilia en las Américas. Recopilar información del estado de cada ONM.	Analizar la inversión económica de los Estados Nacionales para el tratamiento de la hemofilia. Identificar los flujos financieros que aportan recursos al tratamiento. Analizar las variables económicas para maximizar los recursos. Analizar a mediano plazo los diversos tipos de tratamiento.	Comparar distintos tipos de Sistemas de Salud. Identificar los mejores tratamientos de la hemofilia. Identificar mejoras a los procedimientos establecidos por países. Seguimiento de la estructura estatal pública en materia de salud y hemofilia.	Mapeo continental del tratamiento de la Hemofilia en cada país y herramientas para generar o mejorar el tratamiento profiláctico.
	ACTIVIDADES	ACTIVIDADES	ACTIVIDADES	
	Conformación del Equipo de Trabajo de la Investigación. Análisis de la metodología a utilizar. Definición de las categorías. Entrevistas virtuales y presenciales cualitativas con los representantes de las ONM de América. Envío de encuestas. Recopilación histórica sobre el Tratamiento de la Hemofilia en cada país. Lectura y análisis de la información pública disponible en cada país de los Sistemas de Salud. Análisis de la estructura estatal nacional o subnacional en materia de tratamiento de la Hemofilia. Reuniones trimestrales del equipo de investigación.	Busqueda de la información pública financiera de los Estados Nacionales. Identificación de Programas o áreas que tengan a su cargo el financiamiento del tratamiento de la hemofilia. Análisis de costos de los tratamientos. Análisis de diferencia de costos entre tratamiento a demanda y tratamiento profiláctico en cada país. Análisis económico de compras conjuntas. Análisis de compras regionales. Entrevistas a entes regionales. Revisión de experiencias anteriores.	Firma de Convenios de Cooperación con la Federación Mundial de Hemofilia (WBDR), European Hemophilia Consortium y PROBE Study para hacer análisis comparativos de sistemas. Aplicar técnicas y modelos de análisis económicos para los sistemas de Salud de cada país. Solicitar reuniones con autoridades y las ONM para generar tratamientos profilácticos en base a la información obtenida. Elaboración de Informe final.	
	ENTREGABLES	ENTREGABLES	ENTREGABLES	
Resultado de las encuestas enviadas. Resultados de las entrevistas cualitativas realizadas. Informe trimestral del estado de avance de la investigación. Informe por categorías del estado de situación del tratamiento de la Hemofilia. Informe con datos históricos y antecedentes. Informe por región.	Informe trimestral del estado de avance de la investigación. Informe sobre situación financiera que brinda recursos al tratamiento en cada país. Informe por país de los costos de cada tratamiento.	Informe trimestral de estado de avance de la investigación. Informe comparativo sobre distintos Sistemas y analisis de los mas efectivos. Informe de costos reales a mediano y largo plazo de diferentes tratamientos en cada país. Planificación por país de estrategias legales y financieras para obtener tratamiento profiláctico.		

ANEXO II

ESCALA DE TIEMPO ANUAL	Actividades de Plan de Acción 2022	Actividades de Plan de Acción 2023	Actividades de Plan de Acción 2024
Enero	Reunión inicial para la conformación del Equipo de Trabajo . Asignación de roles, tareas y regiones. Revisión de la planificación anual.	Revisión del Equipo de Trabajo. Reunión inicial anual para la revisión de roles y tareas. Revisión de la planificación anual.	Revisión del Equipo de Trabajo. Reunión inicial anual para la revisión de roles y tareas. Revisión de la planificación anual.
Febrero	Análisis de la metodología a utilizar. Definición de las categorías. Conformación de las guías de preguntas de las entrevistas y encuestas.	Inicio de la investigación de la búsqueda de información pública sobre circuitos y procedimientos financieros de los Estados Nacionales	Revisión de la información obtenida en los dos años de investigación previos. Actualización de los Informes anuales según cambios recientes.
Marzo	Planificación de entrevistas cualitativas con representantes de las ONM. Inicio de las entrevistas.	Continuación de la búsqueda de la información pública. Asistencia a las ONM para avanzar con la recopilación. Pre-informe parcial sobre la recopilación de la información obtenida.	Vinculación con Federación Mundial de Hemofilia y firma de convenio para cruce de datos y ampliar la investigación. Asistencia de la FMH en análisis y manejo de los datos.
Abril	Continuación de la ejecución de las entrevistas cualitativas. Elaboración de pre-informes al finalizar todas las planificadas. Informe trimestral de estado de avance.	Análisis de la identificación de Programas o áreas que financien el tratamiento de la hemofilia. Informe trimestral de estado de avance.	Convenio con el European Hemophilia Consortium para asistencia técnica en análisis de costos y comparativos entre América y Europa. Informe trimestral de estado de avance.
Mayo	Envío de encuestas virtuales. Asistencia a cada ONM para la completitud de las encuestas.	Creación de un Inventario de Programas y Áreas en América que financien el tratamiento de la hemofilia. Estudio específico sobre aquellas mas eficientes y eficaces como modelos a seguir.	Convenio con PROBE Study para vincular resultados con el SELFIE para obtener un mapeo general del tratamiento de la hemofilia desde las dimensiones Público-Privado.
Junio	Recepción de las encuestas completas. Inicio del análisis de las mismas.	Análisis de costos de tratamiento a demanda actual. Análisis histórico.	Análisis de los resultados de los Convenios firmados. Proceso de operacionalización de los resultados. Elaboración de un pre-informe sobre los Convenios y sus beneficios.
Julio	Continuación del análisis de las encuestas. Confección de un pre-informe sobre los resultados. Informe trimestral de estado de avance. Reunión del Equipo de Trabajo con el Consejo de la CoA.	Análisis de costos de tratamiento profiláctico. Análisis comparativo entre tratamiento a demanda vs tratamiento profiláctico. Informe trimestral de estado de avance. Reunión del Equipo de Trabajo con el Consejo de la CoA.	Inicio de publicación parcial de resultados. Difusión en las redes y bibliotecas digitales. Informe trimestral de estado de avance. Reunión del Equipo de Trabajo con el Consejo de la CoA.
Agosto	Busqueda y recopilación histórica sobre el tratamiento de la hemofilia en cada país.	Elaboración de pre- informe parcial sobre diferencias de costos de cada tratamiento en cada región y por país.	Solicitudes de audiencias presenciales o virtuales con autoridades y personas claves de los Estados de cada país junto a los líderes de las ONM para mostrar analisis nacional del tratamiento de la hemofilia e incidir en la política pública de salud para instauración o mejora del tratamiento profiláctico.
Septiembre	Continuación de la búsqueda y recopilación histórica sobre el tratamiento de la hemofilia en cada país.	Investigación sobre entes regionales que aborden compras conjuntas. Entrevista con OPS, COMISCA y otras bajo metodología cualitativa y cuantitativa.	Continuación de las entrevistas.
Octubre	Análisis actual de la estructura estatal nacional o subnacional dedicada al tratamiento de la hemofilia en cada país. Informe trimestral de estado de avance.	Análisis económico y financiero de costos de compras regionales. Análisis de modelos de compras. Elaboración de pre-informe parcial sobre diferencias de costos. Informe trimestral de estado de avance.	Continuación de las entrevistas. Inicio de la recopilación, sistematización y elaboración del Informe Final Triannual de la investigación.
Noviembre	Continuación del análisis de la estructura estatal nacional o subnacional dedicada al tratamiento de la hemofilia en cada país. Confección de un pre-informe sobre estado de situación en cada país.	Investigación de experiencias previas, pros, contras, resultados, beneficios e inconvenientes de dichas experiencias. Entrevistas cualitativas con personas claves de dichas experiencias.	Continuación de la elaboración del Informe Final Triannual. Envío del Informe a traducción al inglés y portugués.
Diciembre	Elaboración de Informe general sobre Estado de situación histórica y actual en cada país y estructura vigente. Informe final de estado de avance. Reunión del Equipo de Trabajo con el Consejo de la CoA para balance anual. Difusión parcial de los resultados obtenidos.	Recopilación de información obtenida de todas las investigaciones. Elaboración de Informe final sobre entes de financiación, costos comparativos y mejores procedimientos para el tratamiento en América. Difusión parcial de los resultados obtenidos.	Reunión de cierre de la investigación. Balance y perspectivas. Presentación formal del Informe Final Triannual a la FMH, EHC, OPS, OMS, COMISCA, Estados Nacionales de América y la industria.

ANEXO III

