



Academia de Cabildeo y Advocacy para organizaciones de pacientes de Centroamérica, El Caribe y Suramérica

Fundamentación

En el continente americano el tratamiento de la hemofilia y otros trastornos raros del sangrado ha mejorado con el paso de los años, por la introducción de nuestras terapias, las acciones de cada Organización de pacientes, como el registro de pacientes, advocacy de los líderes, empoderamiento de los pacientes y familias, y para terminar el cabildeo mejorando el acceso al diagnóstico oportuno y terapias innovadoras.

Ahora bien, estas acciones no son aisladas, la región influye en el desarrollo o decremento del sistema de salud enfocado a la hemofilia y los otros trastornos de la coagulación. Sabemos que existe una inequidad importante en la comparación entre diversos países en su acceso y tratamiento, es por ello necesario tener una línea base para todas las organizaciones de pacientes y así poder identificar y fortalecer a cada una de ellas, enfocándonos en las que menos acceso tienen.

Es entonces que, en base al análisis integral sobre el estatus de las Organización de pacientes, proponemos generar un trabajo enfocado a 4 países, donde se va a generar un trabajo guiado acerca de acciones que mejoren la profundidad de conocimientos de la hemofilia, las coagulopatías, advocacy, el cabildeo, las cuales permitirán tener resultados a corto y mediano plazo.

Ejes propuestos

Se espera poder hacer un seguimiento técnico y asesoría sobre tres ejes centrales en pro de mejorar y mejorar la línea base de conocimientos de las ONMs seleccionadas, detallo:

Planificación de prioridades: este tema será importante para poder brindarle un marco conceptual desde sus necesidades y planificar acciones que les permita alcanzar sus metas y objetivos.

Registro de Pacientes: ser el socio estratégico del gobierno para maximizar la visibilidad de la Hemofilia y otras coagulopatías en su país. Usar herramientas disponibles que permitan ser un documento vivo con información relevante para apoyar el acceso de los pacientes.

Acceso a terapias de innovación: brindar herramientas técnicas para la

profesionalización de los líderes, reforzando conocimientos acerca de las enfermedades y sus tratamientos actualizados. Mejorar conocimientos acerca de los sistemas de salud, metodologías de compras y aprobaciones de nuevas terapias al país.

Advocay y Cabildeo: brindar herramientas técnicas (conocimiento de la patología) y de comunicación que les permita transmitir un mensaje optimo a los tomadores de decisión “Cabildeo y Advocacy”.

Plan de Acción:

Se plantea el hacer un encuentro mensual con cada ONM de dos horas aproximadamente. Sería un día fijo todos los meses y entre cada encuentro se trabajará con una Plataforma Educativa sobre los ejes y temas a tratar y trabajar. El proyecto comenzaría en febrero/marzo y duraría hasta diciembre 2024. Todas las reuniones serán virtuales en Plataforma Zoom y se espera la posibilidad de mantener dos encuentros presenciales en diversos encuentros internacionales:

- Congreso Mundial de la Federación Mundial de la Hemofilia, Madrid, abril 2024
- Cumbre de la Coalición de las Américas, Panama, septiembre 2024.

Resultados esperados generales

- Tener claridad de las tres (3) prioridades por año, planificando acciones de alto impacto que les permita alcanzar sus resultados. El plan debe ser a 3 años
- Implementar mejoras al registro de pacientes para el manejo adecuado de los datos. Registro de pacientes de Hemofilia y coagulopatías.
- Trabajar en una alianza con la Sociedad Científica y el gobierno para la adecuada implementación del registro y mantenimiento de este.
- Identificación de las oportunidades de mejoras en el tratamiento de la Hemofilia en cada país, mirando lo que pasa en la región y en el mundo.
- Buscar alianzas en el país con otros actores claves, Sociedad Científica, La Academia, y externas con pares y organizaciones diversas.

Overview de los países

Los países seleccionados para este año 2024 de la Academia de Cabildeo son; Costa Rica, Guatemala, Panamá y Perú. A continuación se detalla un breve resumen de cada país sobre el Sistema de Salud y en especial, el acceso a tratamiento de la hemofilia.

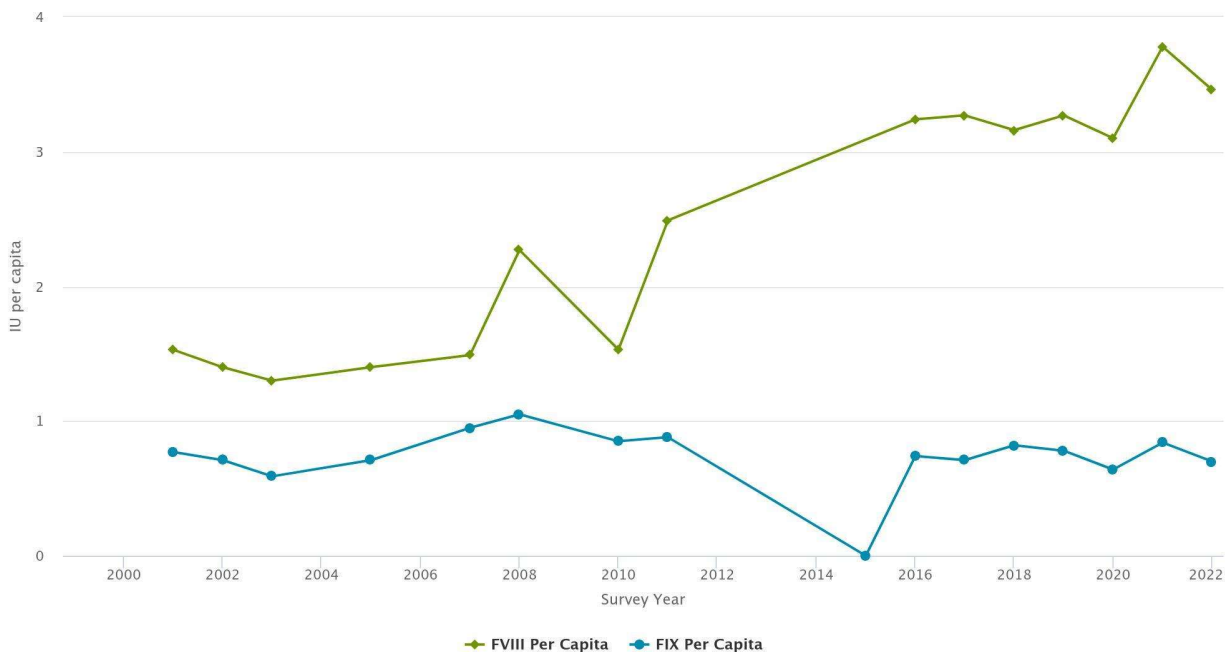
- Costa Rica:

El componente de servicios de salud incluye un sector público y uno privado. El sector público está dominado por la Caja Costarricense de Seguro Social (CCSS), institución autónoma encargada del financiamiento, compra y prestación de la mayoría de los servicios personales. La CCSS se financia con contribuciones de los afiliados, los empleadores y el Estado, y administra tres regímenes: el seguro de enfermedad y maternidad, el seguro de invalidez, vejez y muerte, y el régimen no contributivo. La CCSS presta servicios en sus propias instalaciones o contrata prestadores del sector privado con los que establece contratos denominados "compromisos de gestión". El sector privado comprende una amplia red de prestadores que ofrecen servicios ambulatorios y de especialidad con fines lucrativos. Estos servicios se financian sobre todo con pagos de bolsillo, pero también con primas de seguros privados. El Ministerio de Salud es el rector del sistema y como tal cumple con funciones de dirección política, regulación sanitaria, direccionamiento de la investigación y desarrollo tecnológico. Dentro de las innovaciones relativamente recientes que se han implantado en Costa Rica destacan la implantación de los equipos básicos de atención integral de salud (EBAIS), la desconcentración de los hospitales y clínicas públicos, la introducción de los acuerdos de gestión y la creación de las Juntas de Salud.

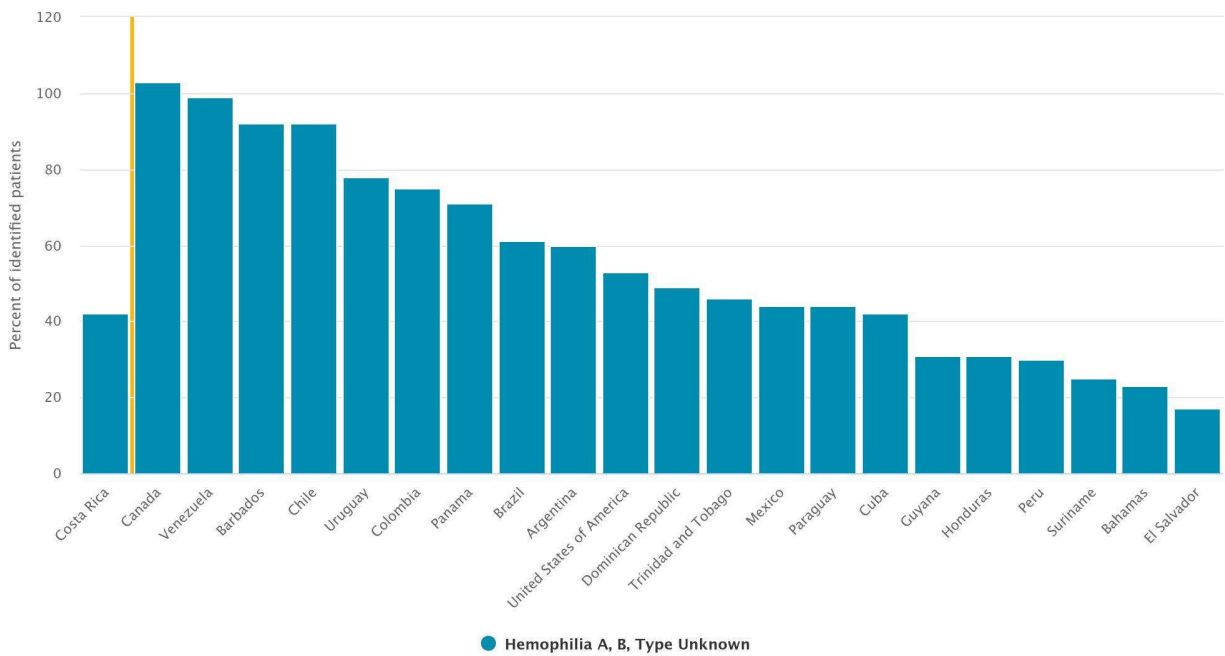
Costa Rica enfrenta desafíos como la actualización del registro de pacientes, lo que indica que no están siendo captados todos los posibles pacientes; la descentralización de atención de la hemofilia, la cual se concentra solo en el Hospital México y Hospital Nacional de Niños, y que llama a capacitar a los profesionales médicos de zonas periféricas al Gran Área Metropolitana (GAM); una equidad en la atención y tratamiento, aspecto en el cual se deben analizar variables sociales, económicas y geográficas de los pacientes; y finalmente, la aplicación de las guías para el manejo de la hemofilia de la FMH, en su tercera edición. Tanto ASOHEMO como la FMH, destacan la apertura que ha tenido la Caja Costarricense de Seguro Social (CCSS) para iniciar con la aplicación de las guías dentro del sistema de salud.

La FMH tiene registrada a la organización ASOHEMO y según datos de la Encuesta Anual Global, se pueden visualizar los siguientes graficos en relación a su registro, comparación y consumo de UI.

FVIII and FIX use per capita over time – Costa Rica

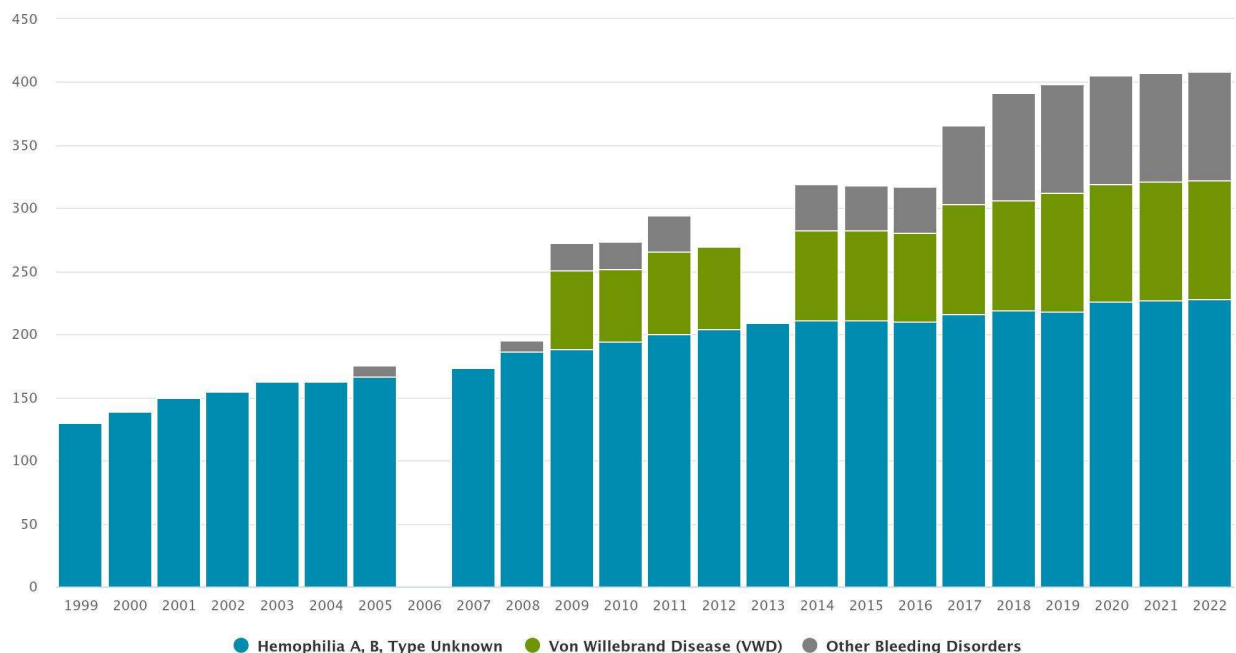


Percent of identified patients – Costa Rica vs. Region 2022



Data source: WFH Annual Global Survey

Identified patients over time – Costa Rica 1999 to 2022



Data source: WFH Annual Global Survey

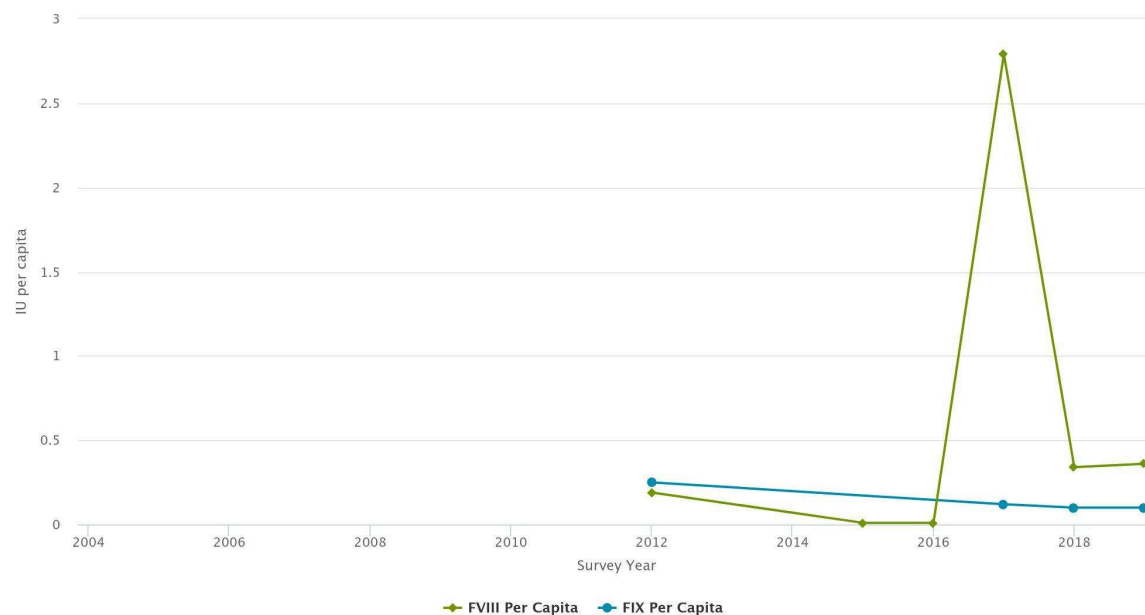
- Guatemala:

En Guatemala la Autoridad Sanitaria se encuentra concentrada en el Ministerio de Salud Pública y Asistencia Social (MSPAS). La Constitución Política de la República reconoce que el goce de la salud es derecho fundamental del ser humano sin discriminación alguna y obliga al Estado a velar por la misma, desarrollando a través de sus instituciones acciones de prevención, promoción, recuperación y rehabilitación. En el artículo 4 del Código de Salud, Decreto Legislativo 90-97, define al Ministerio de Salud Pública como el ente rector de la salud en el país, coordinando con los diferentes actores gubernamentales y no gubernamentales relacionados con la salud de la población. Entre los organismos gubernamentales estrechamente relacionados con las funciones de conducción y de regulación en aspectos relacionados con salud se encuentran: Ministerio de Agricultura, Ganadería y Alimentación: Seguridad Alimentaria y Nutricional, Ley de Sistemas Nacionales de Seguridad Alimentaria y Nutricional (Decreto 32-2005) y Política Agropecuaria y Sectorial. Ministerio de Ambiente y Recursos Naturales: Plan Regional de Inversión en Ambiente y Salud, Acuerdo Gubernativo 1993. Comisión Nacional de Seguridad Alimentaria y Nutricional: Ley de Sistemas Nacionales de Seguridad Alimentaria y Nutricional (Decreto 32-2005) y Política Agropecuaria y Sectorial. Municipalidades: Código Municipal, Decreto Legislativo No. 12-2002, Competencias Municipales.

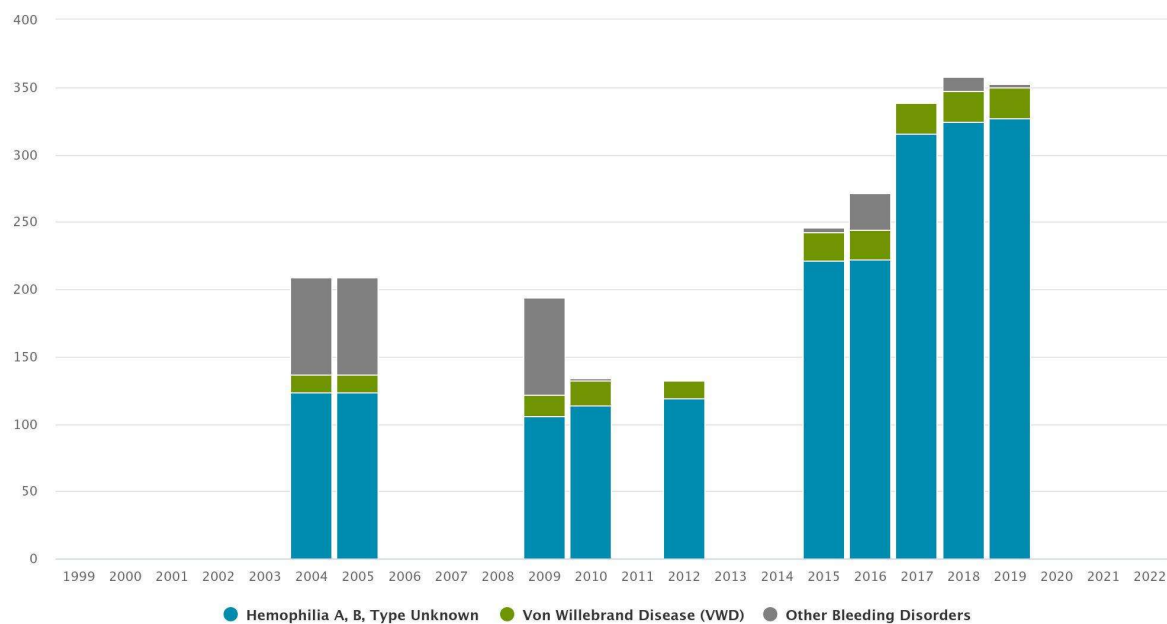
Las responsabilidades del Ministerio de Salud en regulación y conducción son exclusivas y comparte con otras instituciones gubernamentales y no gubernamentales el aseguramiento, provisión de servicios, financiamiento y funciones esenciales de salud pública

El Instituto Guatemalteco de la Seguridad Social atiende el tratamiento de la Hemofilia actualmente, con algunos logros en los últimos años pero con grandes desafíos por delante. Actualmente la FMH no tiene una organización referente o asociada en Guatemala, pero los datos que arroja la FMH sobre Guatemala en su Encuesta Anual Global indica los niveles de UI y registro del año 2018, indicando que hay una total ausencia de datos actualizados, lo que no permite tener claridad de la situación nacional:

FVIII and FIX use per capita over time – Guatemala



Identified patients over time – Guatemala 1999 to 2022



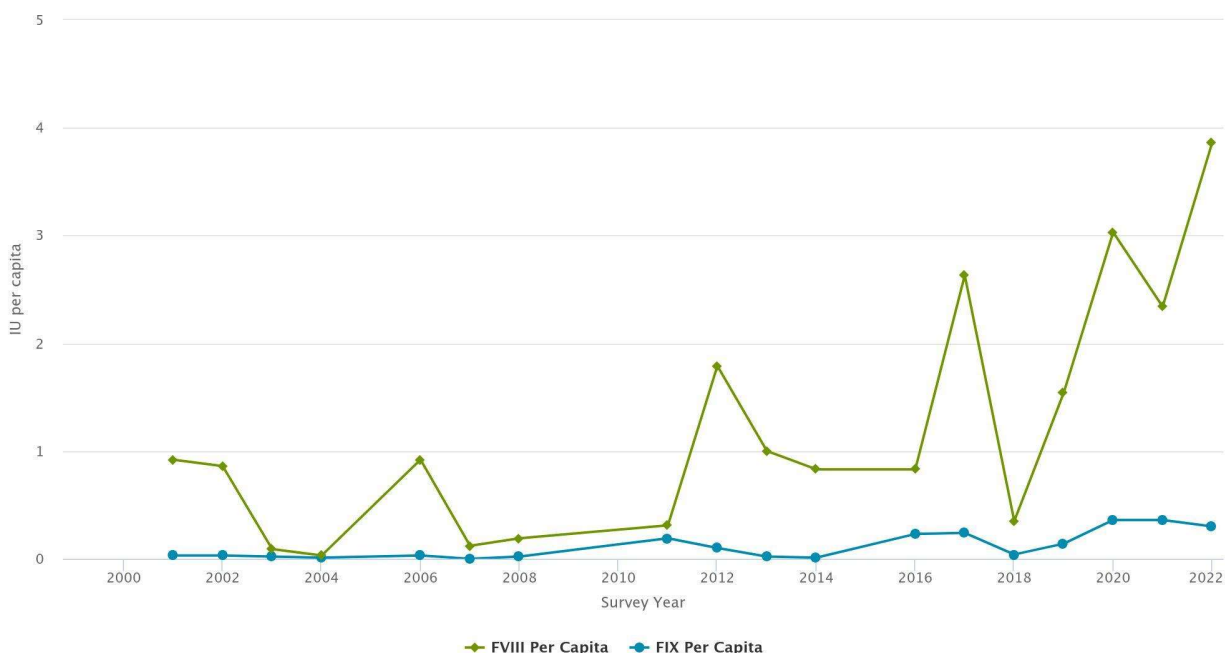
- Panamá:

Panamá cuenta con un sistema de salud segmentado en dos grandes organizaciones: el Ministerio de Salud (MINSA) y la Caja del Seguro Social (CSS) que ofrecen coberturas de servicios heterogéneas a la población, basados en un modelo de atención hospitalocéntrico, centrado en las enfermedades y bastante fragmentado. Estas instituciones cuentan con servicios sobrepuestos y descoordinados en los centros urbanos a lo largo del Océano Pacífico, mientras en las comarcas indígenas y zonas rurales de difícil acceso apenas existe la escasa infraestructura y recursos humanos provistos por el Ministerio de la Salud

En Panamá se observa tanto la escasez, como el exceso y la duplicidad en la provisión de los servicios de salud, dependiendo de la ubicación geográfica. Los datos son bastante elocuentes y muestran como los recursos humanos y la infraestructura sanitaria, inclusive del primer nivel de atención, se concentran en la región del pacífico y predominantemente en la capital y las áreas urbanas del país. Esta organización del sistema de salud y la distribución de los recursos provocan evidentes inequidades en el acceso que afectan principalmente a la población pobre y perteneciente al empleo informal, así como a la población indígena y rural, las cuales no cuentan con cobertura de la CSS, ni con servicios permanentes

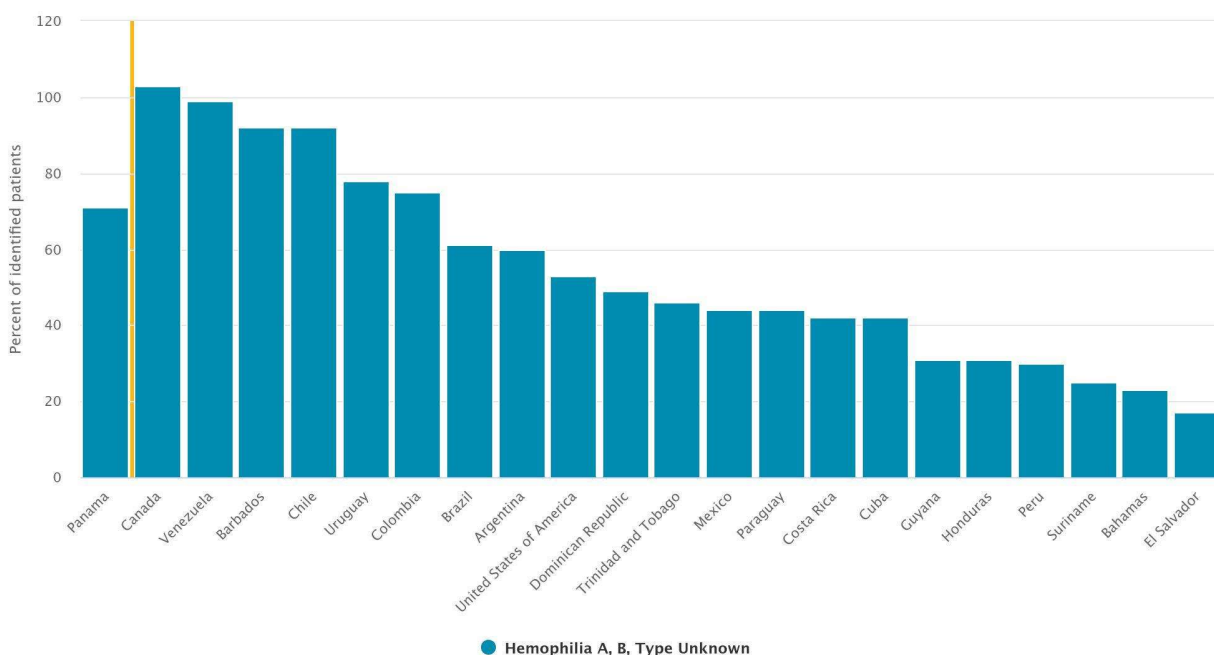
La CSS es quien provee la medicación y tratamiento a los pacientes con esa condición, apoyado en diferentes hospitales que ejecutan el tratamiento como efectores públicos. La FMH reconoce a la Fundación Panameña de la Hemofilia y en su Encuesta Anual Global arroja la información siguiente:

FVIII and FIX use per capita over time – Panama



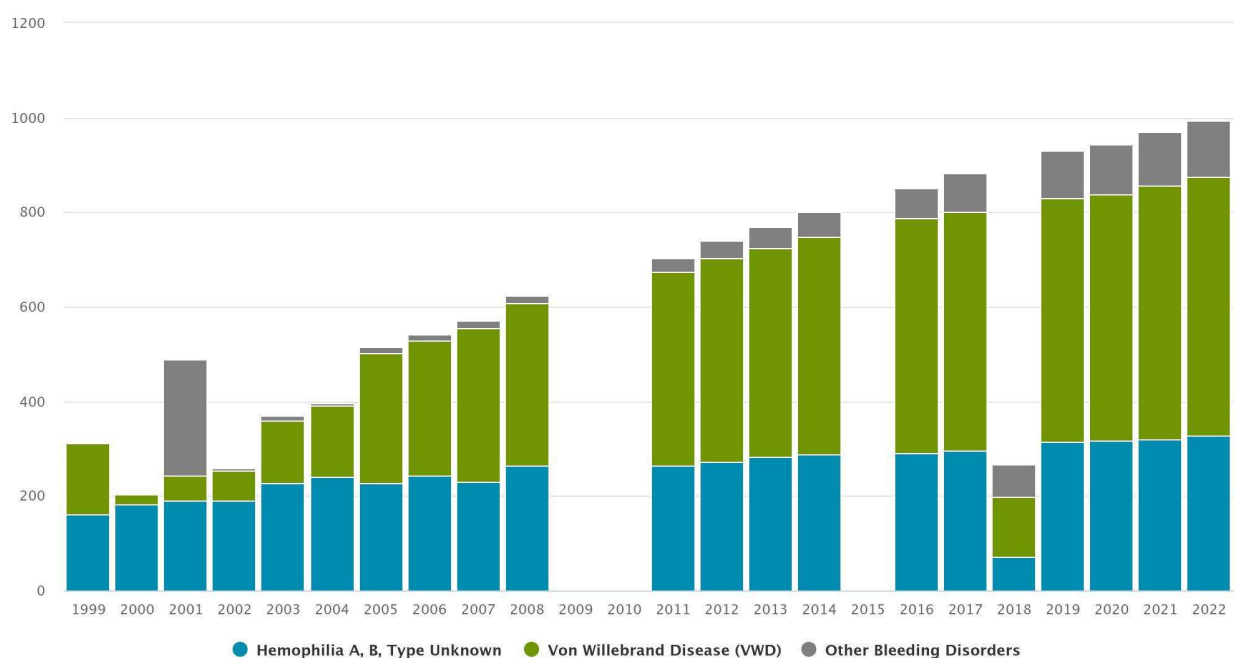
Data source: WFH Annual Global Survey

Percent of identified patients – Panama vs. Region 2022



Data source: WFH Annual Global Survey

Identified patients over time – Panama 1999 to 2022



Data source: WFH Annual Global Survey

● Perú:

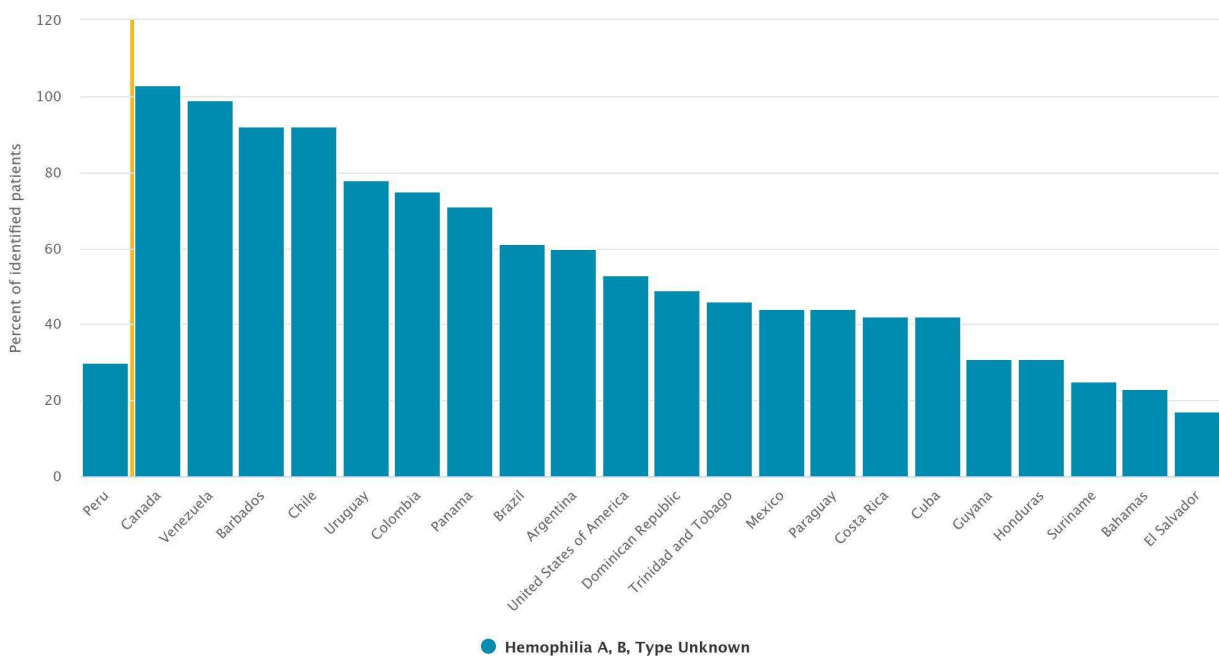
El sistema de salud del Perú tiene dos sectores, el público y el privado. Para la prestación de servicios de salud, el sector público se divide en régimen subsidiado o contributivo indirecto y régimen contributivo directo, que es el que corresponde a la seguridad social. El gobierno ofrece servicios de salud a la población no asegurada a cambio del pago de una cuota de recuperación de montos variables sujetos a la discrecionalidad de las

organizaciones o a través del Seguro Integral de Salud (SIS).

La prestación de servicios tanto para el régimen subsidiado de población abierta como para la población afiliada al SIS se realiza a través de la red de establecimientos del Ministerio de Salud (MINSA), hospitales e institutos especializados que están ubicados en las regiones y en la capital de la república. El sistema de seguridad social en salud tiene dos subsistemas: el seguro social con provisión tradicional (EsSalud) y la provisión privada (EPS). EsSALUD ofrece servicios de salud a la población asalariada y sus familias en sus propias instalaciones, pero desde la promulgación de la Ley de Modernización de la Seguridad Social en 1997, el sector privado le ha vendido servicios personales a EsSALUD a través de las Entidades Prestadoras de Salud (EPS). Los militares, policías y sus familias tienen su propio subsistema de salud integrado por las Sanidades de las Fuerzas Armadas (FFAA) y la Policía Nacional del Perú (PNP). En el sector privado se distingue el privado lucrativo y el privado no lucrativo. Forman parte del privado lucrativo las EPS, las aseguradoras privadas, las clínicas privadas especializadas y no especializadas, los centros médicos y policlínicos, los consultorios médicos y odontológicos, los laboratorios, los servicios de diagnóstico por imágenes y los establecimientos de salud de algunas empresas mineras, petroleras y azucareras. Como prestadores informales están los proveedores de medicina tradicional. El sector privado no lucrativo está clásicamente representado por un conjunto variado de asociaciones civiles sin fines de lucro. La mayor parte presta servicios de primer nivel y frecuentemente reciben recursos financieros de cooperantes externos, donantes internos, gobierno y hogares.

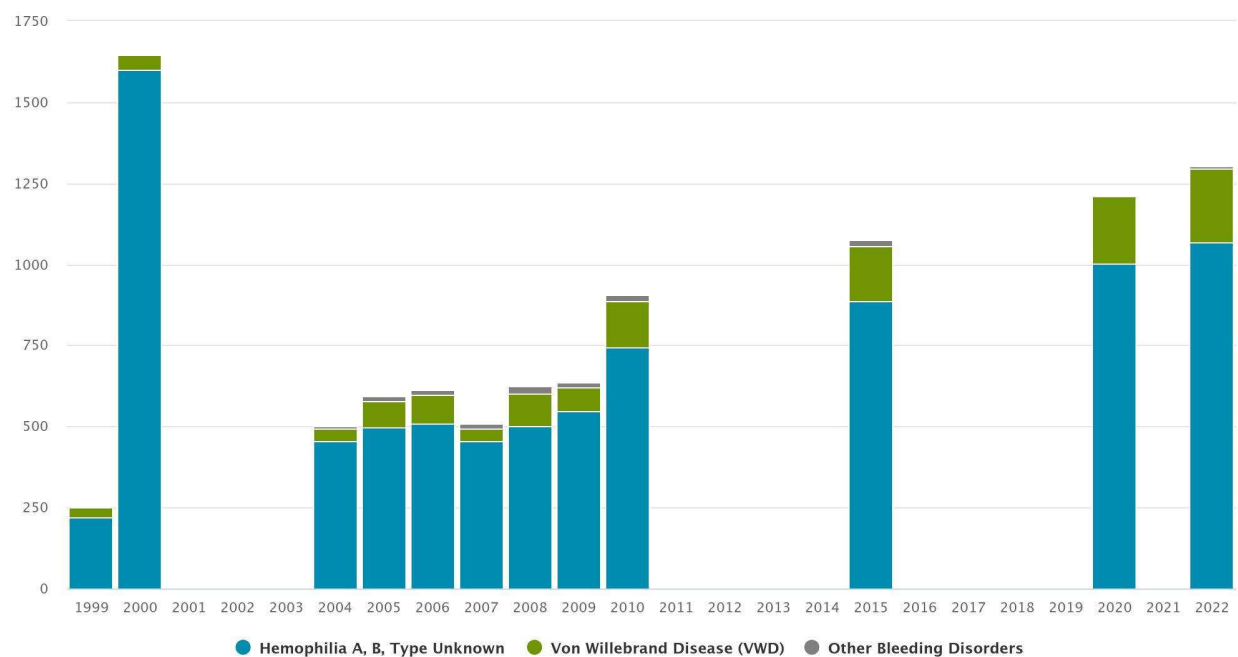
La FMH reconoce a la organización de hemofilia del Perú y en su Encuesta Anual Global arroja la información siguiente:

Percent of identified patients – Peru vs. Region 2022



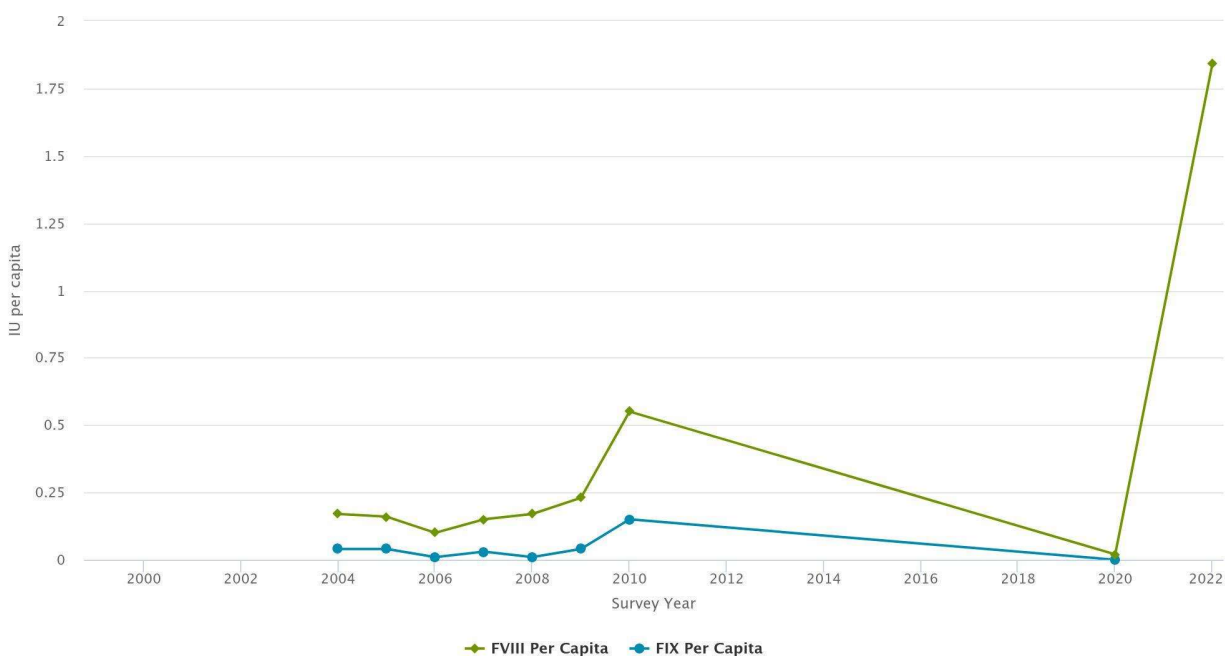
Data source: WFH Annual Global Survey

Identified patients over time – Peru 1999 to 2022



Data source: WFH Annual Global Survey

FVIII and FIX use per capita over time – Peru

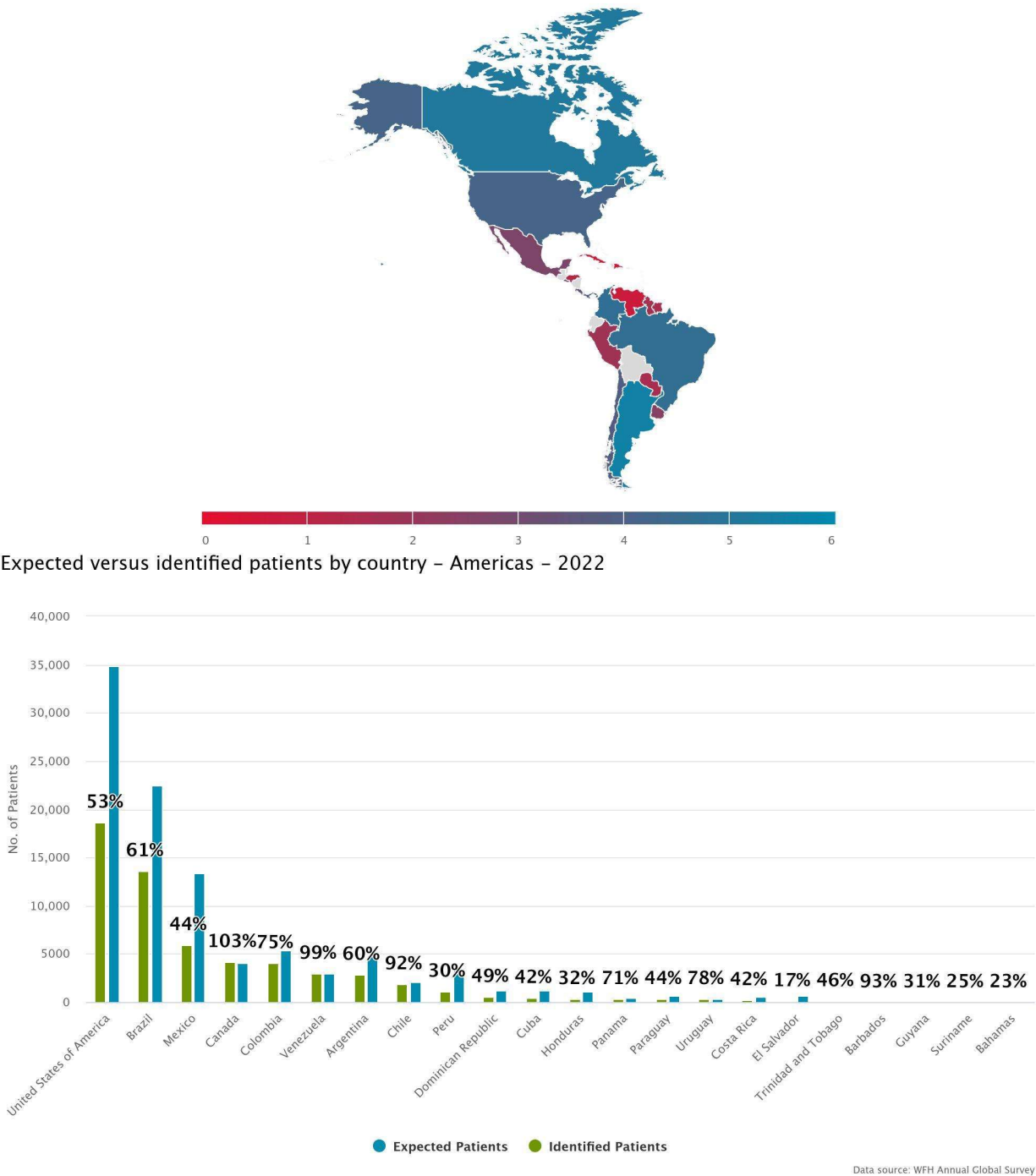


Data source: WFH Annual Global Survey

- Datos Regionales:

Ahora bien, se muestra un grafico comparativo de países para saber su situación con los demas del continente: Nivel de registro y nivel de uso de UI por país.

Americas map of FVIII user per capita 2022



Metodología:

La metodología que se utilizará tendrá dos dimensiones:

Encuentros Sincrónicos: se desarrollará un encuentro mensual de 1.5 hs con cada

organización durante todo el 2024, encuentro virtual coordinado con los líderes y voluntarios. La metodología de los mismos será expositiva inicialmente, luego será interactiva y con la guía de casos ejemplos y el ejecutar ejercicios en dicho encuentro. Se plantearán herramientas para poder abordar los temas centrales de cada eje, por ejemplo cuadros comparativos, tablas de control, cuadros de doble entrada, etc.

Trabajos asincrónicos: luego de cada encuentro virtual se desarrollará un trabajo por parte de cada una de las organizaciones en base a una tarea que deberán realizar entre cada encuentro. La tarea tendrá una supervisión a las dos semanas de enviada para guiar y verificar que estén avanzando como se acordó. Esta metodología implica entonces un seguimiento y guía a distancia utilizando en la práctica las herramientas aprendidas.

Desarrollo de los ejes

En este apartado se desarrollarán los ejes arriba planificados. Se detallarán los temas y como se abordarán en líneas generales:

- Planificación de prioridades:

Fundamentalmente, la planificación es una herramienta utilizada en la organizaciones para establecer los objetivos y elegir los medios para alcanzarlos. Esto permite que se pueda seguir un curso de acción concreto y definido. Con la planificación se puede determinar qué se va a hacer, cómo se va a hacer, dónde y cuándo se hará y cuánto nos va a costar.

De manera similar, esta herramienta de la planificación nos permite decidir en el momento presente, lo que haremos en el futuro. Primero se define el problema, luego se analiza el pasado y se elabora el plan que tenemos que seguir. Los pasos para poder hacer una planificación general y así luego ver las prioridades y ponderarlas son:

Evaluación de la situación actual:

En primer lugar, la evaluación de la situación debe incluir un análisis de los factores más importantes para la organización. Estos factores en los casos de nuestras organizaciones pueden ser el Registro, mapa de interesados, cuadro de riesgos, etc.

Es decir, la planificación parte del entorno de la organización. Con ello se determina la finalidad de la organización y se definen los objetivos de corto, mediano y largo plazo que se esperan alcanzar. Buscando sacar provecho a las oportunidades y evitando las amenazas del entorno.

Definición de metas y objetivos:

En segundo lugar, las metas y objetivos definen lo más importante que una organización espera alcanzar en el corto, mediano y largo plazo. Los objetivos deben estar claramente definidos, por ello deben ser realistas, medibles y relevantes para la organización. En

nuestro caso podemos pensar como meta obtener mejor acceso y bienestar de los pacientes con hemofilia del país.

Claro que, los objetivos son los puntos comunes por los que todos los voluntarios de la organización deben trabajar. Convirtiéndose en puntos claves que guían las acciones y las actividades de las personas. Los ejemplos de objetivos para cumplir la meta serían: mejorar el Registro de pacientes, instalar en las redes sociales y medios una campaña de sensibilización e información sobre hemofilia, etc.

Elaborar un Plan de Acción:

En tercer lugar, si se quieren alcanzar los objetivos es necesario definir un plan de acción. El plan de acción indica las actividades concretas que se tienen que realizar para cumplir con los objetivos. También, estas acciones concretas pueden ser estrategias o tácticas que se tienen que realizar para cumplir con los propósitos del plan. Por ejemplo si el objetivo es elevar un 20% los registros de pacientes de hemofilia, una acción podría ser confeccionar una encuesta para ser enviada a todos los pacientes que ahora están registrados preguntando sobre familiares con la misma sintomatología.

Asignación de Recursos:

En cuarto lugar, los recursos que se necesitan para llevar a cabo el plan pueden ser humanos, financieros, físicos y materiales. Estos recursos deben ser asignados de acuerdo con las acciones o actividades plasmadas en la planificación.

Sin duda, estos recursos deberán estar organizados de manera eficiente en el proceso de planificación. Así mismo, se debe mantener un proceso de control a lo largo de la ejecución del plan. Es entonces que siguiendo el hilo anterior, a esa actividad de enviar una encuesta, se debe asignar quien lo hará, si requiere material informático y si eso tiene un costo.

Ejecución de la acción:

En quinto lugar, la ejecución de las acciones implica poner en marcha el plan de acción. Para ello es necesario delegar autoridad, de igual modo asignar tareas y responsabilidades para alcanzar las metas del plan. A lo largo de la ejecución del plan se puede dar retroalimentación cuando sea necesario.

Control y evaluación:

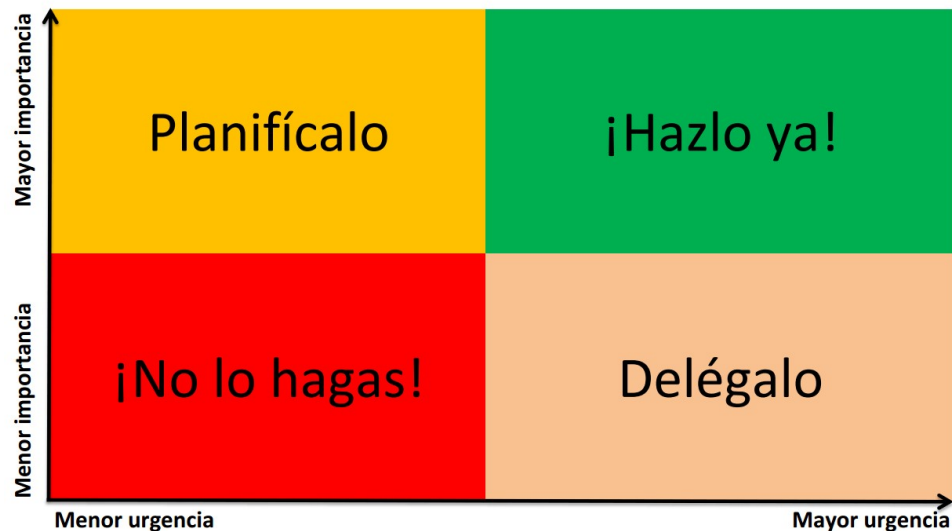
Finalmente, el control es necesario en el proceso de planificación para que se logre cumplir con los objetivos. Por ello se debe dar un seguimiento de cómo se están llevando a cabo las actividades y cómo se están alcanzando los objetivos.

Ahora bien, una vez avanzado en la conformación de la Planificación, es importante entonces detenernos en un punto central que es detectar las prioridades dentro de la misma. Esto es importante ya que se debe diferenciar lo urgente de lo importante y lo no importante, para que haya eficiencia en las acciones que cumplen luego el objetivo y a su vez la meta final.

El establecimiento de prioridades es un proceso de actividades de clasificación y, por

lo tanto, de elección que conduce a la asignación de los recursos a los programas elegidos. Por lo tanto, incluye los valores, precedencias, motivos y limitaciones en que se basan tales decisiones

La diferencia entre lo urgente y lo importante se puede analizar desde varias dimensiones, pero hay herramientas que son útiles para esta tarea.



La base de esta matriz se encuentra en una cita atribuida a Eisenhower: "Tengo dos tipos de problemas, los urgentes y los importantes. Lo urgente no es importante, y lo importante raramente es urgente."

Esta reflexión subraya la necesidad de distinguir entre tareas que requieren atención inmediata y aquellas que son importantes para lograr objetivos a largo plazo, pero que no necesariamente demandan acción inmediata.

Veamos algunas características de cada caso:

- Urgente e Importante: Estas tareas requieren atención inmediata y prioritaria.
- Urgente pero NO Importante: Idealmente, estas tareas deben delegarse.
- Importante pero NO Urgente: Programa estas tareas para más adelante, pero no las postergues indefinidamente.
- Ni Importante Ni Urgente: Estas actividades suelen ser prescindibles.

A continuación, se presenta un grafico modelo para verlo mas en detalle:

		URGENCIA	
		Urgente	No Urgente
IMPORTANCIA	Importante	- Proyectos con deadline. - Cuestiones apremiantes. - Emergencias o crisis.	- Detección de oportunidades. - Tareas de carácter preventivo. - Actividades de planificación.
	No importante	- Asuntos que requieren de resolución inmediata. - Algunas llamadas telefónicas. - Ciertos correos electrónicos. - Determinadas reuniones.	- Pérdida de tiempo. - Asuntos ajenos al puesto de trabajo y la responsabilidad. - Asuntos triviales. - Ciertas llamadas telefónicas y algunos emails.

Es entonces que como tarea para las organizaciones, se les pedirá que elaboren un cuadro de doble entrada para diferencias cada caso, saber como proceder ante cada situación pero sobre todo, para poder priorizar las respuestas a las prioridades que tienen como organización

- Registro de Pacientes:

¿En qué consisten las campañas de identificación de pacientes?

Las campañas de identificación de pacientes consisten en buscar a las personas con hemofilia u otros trastornos de la coagulación que no han sido diagnosticadas aún o que sus necesidades sanitarias no encuentran respuesta en los servicios de salud. Se pueden identificar a los pacientes a través de actividades de concienciación y educación o buscando activamente pacientes para su diagnóstico.

El acercamiento a los pacientes se concentra en una población en particular, en este caso en la gente con hemofilia, enfermedad de von Willebrand y otros trastornos de la coagulación hereditarios, con el objetivo de identificarlos y ofrecerles el tratamiento y los servicios sanitarios adecuados. En general, se encuentran pacientes potenciales y se dispone su diagnóstico a través de campañas de acercamiento a los pacientes dentro de una comunidad, país o región específicos.

Una campaña de acercamiento a los pacientes puede incluir:

- Contactar a pacientes conocidos para saber si es posible que tengan familiares con un trastorno de la coagulación que no han sido diagnosticados y derivarlos a un centro de tratamiento para someterse a pruebas.
- Organizar un día de pruebas en una o más ciudades donde quienes sospechen que padecen de un trastorno de la coagulación puedan concurrir para obtener un diagnóstico.
- Realizar talleres para educar a grupos de médicos específicos (por ejemplo, médicos generalistas, médicos de salas de emergencia, obstetras/ginecólogos) sobre los síntomas de la hemofilia, de la enfermedad de von Willebrand, o de otros trastornos de la coagulación y alentarlos a derivar a quienes posiblemente padecen de un trastorno de la coagulación a un centro de tratamiento de la hemofilia.
- Organizar una sesión de educación o información para mujeres y hombres entre la población en general para crear conciencia sobre estos trastornos y sus signos y síntomas.
- Ser el socio estratégico del gobierno para maximizar la visibilidad de la Hemofilia y otras coagulopatías en su país. Usar herramientas disponibles que permitan ser un documento vivo con información relevante para apoyar el acceso de los pacientes.

La organización de una campaña efectiva de acercamiento a los pacientes se puede dividir en 10 pasos:

- Establecer el objetivo
- Definir la población objetivo
- Formar un equipo para el proyecto
- Obtener el apoyo de la comunidad ligada a los trastornos de la coagulación
- Crear alianzas
- Determinar la estrategia
- Elaborar un plan de acción
- Ejecutar el plan
- Hacer el seguimiento
- Evaluar el resultado

Es importante definir claramente el objetivo o el resultado deseado de la campaña. Cuando se tiene en manos un proyecto grande, es fácil perder de vista el objetivo e intentar resolver de golpe todos los problemas que enfrenta la población hemofílica de un país. El objetivo podría hacer hincapié en:

- diagnosticar nuevos pacientes
- crear un padrón nacional
- encontrar una población que no está siendo atendida adecuadamente
- concienciar a los médicos generalistas

El objetivo debe ser específico y mensurable. Asimismo, resulta importante tener una visión clara y realista de qué es factible cumplir.

Es importante poder contar con algunas herramientas básicas para poder tener mayor posibilidad de cumplir dicho objetivo, por ejemplo:

- Alianzas con entidades médicas/científicas, organizaciones benéficas, hospitales, etc
- Obtener el consenso del objetivo y apoyo de entidades y actores relacionados con la hemofilia como personas claves en el Estado, pacientes líderes, referentes, laboratorios, etc

Es entonces que como tarea para los miembros de la Academia sería analizar primero que requieren en relación al registro y planificar una acción que mejore la situación actual.

- Acceso a terapias de innovación:

Los avances de la ciencia en el campo de la salud son incuestionables desde hace décadas, desde sus inicios la medicina nos ha brindado respuestas y soluciones a situaciones de salud, de solo pensar en la aparición de la insulina en 1923 o de la comercialización de las hormonas de crecimiento en la década de 1970, nos demuestran la importancia de las investigaciones e innovaciones en este campo.

La historia del tratamiento de la hemofilia comienza en 1900, que se realizaron transfusiones de sangre fresca para aumentar la longevidad de las personas con hemofilia —dado que el promedio de vida era aproximadamente de 13 años—.

- En 1950 se dio inicio de la disposición del plasma para el tratamiento.
- En 1965 se dio a la disposición del crioprecipitado del plasma.
- En 1970 se inició la producción de concentrados por factores de coagulación.
- En 1980, se dio una baja de este tratamiento debido a que el 80 % de los que padecían hemofilia se contagiaron del VIH/sida.
- A raíz de esto, en 1985, cada uno de los factores fueron sometidos a una inactivación viral, haciendo cada vez el proceso más antiséptico.
- En 1992 salió al mercado el primer factor que no fue derivado del plasma, obtenido por tecnología ADN recombinante.
- En 1995 se introdujo el primer tratamiento profiláctico, capaz de reemplazar el factor debilitado.

Luego de este breve resumen histórico, debemos centrarnos en los avances que se han producido en los últimos años, generando una disrupción importante en los tratamientos, eficacia y también financiamientos de los mismos. Hemos visto aparecer concentrados de factor de vida media extendida, terapias de no reemplazo de factor y hasta terapia génica.

Esto ha generado muchos beneficios para la comunidad de pacientes, como mejorar su

calidad de vida, mayor expectativa de vida, menos limitaciones, entre otras, pero también nos plantea diversos desafíos para la adaptación de los sistemas de salud en las Américas. Es por ello que este apartado brindará aportes sobre el conocimiento de esta historia brevemente, pero se centrará en brindar herramientas y conocimientos para poder reconocer los procesos y modelos que den respuesta al acceso de estas terapias.

Inicialmente debemos conocer las herramientas sobre procesos de creación de las nuevas terapias y modelos de compras masivas o licitaciones. Luego se brindarán herramientas para poner en práctica lo aprendido.

En relación al punto de los procesos de aprobación, mostraremos el caso de la FDA como el mas completo dentro del continente:

- **Elaboración de un medicamento:** Una empresa fabrica un medicamento nuevo y solicita la aprobación de la FDA para venderlo en los Estados Unidos.
- **Pruebas con animales:** Antes de evaluar el medicamento en las personas, la empresa debe hacer pruebas del medicamento nuevo en animales para saber si existe probabilidad de que cause un daño grave (por ejemplo, toxicidad).
- **Solicitud IND (para la investigación de un nuevo medicamento)** La compañía presenta una solicitud para la investigación de un nuevo medicamento (IND, por sus siglas en inglés) a la FDA basado en los resultados iniciales de las pruebas con animales. Estos resultados deben incluir la composición del medicamento y la manufactura y el plan propuesto para la evaluación del producto en personas.
- **Ensayos clínicos:** Después de que la FDA evalúa y aprueba la solicitud para la investigación de un nuevo medicamento (IND), se pueden iniciar los ensayos clínicos con personas. Existen 4 fases para los ensayos clínicos, comenzando con ensayos en reducida escala y seguidos por ensayos a gran escala. Después de los ensayos clínicos, los investigadores presentan los informes del estudio a la FDA.
- **Solicitud para un nuevo medicamento (NDA)** Una vez que el fabricante del medicamento presente evidencia de que es seguro y eficaz, la empresa puede presentar la solicitud para un nuevo medicamento (NDA, por sus siglas en inglés). La FDA revisa la solicitud y toma la decisión de aprobar o no aprobar el medicamento.
- **Etiquetado de los medicamentos:** La FDA revisa el etiquetado o rotulado para cerciorarse de que comunica información correcta y de forma apropiada a los profesionales de la salud y a sus consumidores.
- **Inspección de instalaciones:** La FDA inspecciona las instalaciones donde será fabricado el medicamento.
- **Aprobación de medicamentos:** La FDA aprueba la solicitud NDA (solicitud para un nuevo medicamento) y envía una carta de respuesta.
- **Monitoreo pos-comercialización:** Una vez que la FDA aprueba el medicamento, exige a las compañías someterse a inspecciones de seguridad de la FDA con

regularidad.

Luego una vez aprobado un medicamento, es importante preguntarse como el sistema de salud de un país puede comenzar con su cobertura, para ello hay que repensar los modelos de compras en el caso de la hemofilia. Es entonces que lo recomendado desde la Federación MUndial de la Hemofilia son las compras por licitaciones o masivas, pero veremos mas en detalle esto.

Un sistema nacional de licitaciones, o un sistema unificado de adquisiciones, es un sistema rentable para la compra de productos o servicios. En lugar de que cada organización compre su propio stock de un producto o servicio determinado, el gobierno compra lo que se necesita para la totalidad del país o de la población. Una licitación a escala nacional puede reunir a los expertos clave de un país y conducir a un análisis más riguroso y eficaz de los criterios usados para decidir qué productos deberían comprarse. Este sistema puede lograr un ahorro en costos al adquirir grandes cantidades y solicitar a los fabricantes ofertas competitivas, llamadas licitaciones. Los contratos se asignan por un periodo determinado a la compañía o compañías cuyas ofertas mejor satisfagan dichos criterios.

Algunos beneficios de este proceso:

- Baja de los valores de mercado de las terapias por el volumen de UI a negociar
- Inducir a generar una base mínima de atención y de acceso a nivel nacional
- Participación de diversos actores de la comunidad de la hemofilia, enriqueciendo el proceso, generando consensos y unificando objetivos.
- El proceso puede arrojar mejores y mas detallados datos estadísticos de las terapias a comprar
- Permite analizar a escala nacional, el uso y demanda de uno o dos años en base a la información que se tenga de un registro nacional.
- Puede incluir un sistema de suplencias, donde en caso de cuello de botella en la provisión de un laboratorio, se activa un segundo como plan de contingencia.
- Aumenta la gama de productos y opciones para los medicos tratantes

Ahora se muestran algunos tipos de modelos de licitaciones, utilizados en la UE, como ejemplos.

Licitación abierta Esta es la licitación más común. En un procedimiento de licitación abierta se invita a las compañías, a través de un anuncio público, a presentar ofertas para el abastecimiento de productos o servicios. Cualquier compañía puede solicitar los documentos de la licitación y presentar una oferta.

Licitación restringida Este tipo de licitación aplica cuando se invita a compañías específicas a presentar ofertas en casos en los que hay un elemento específico de diseño o de aportación intelectual requerido y cuando es evidente que solo un número restringido de compañías podrían proporcionar los bienes o servicios de manera

satisfactoria. Este es un proceso de dos etapas. Durante la primera etapa se establecen los requisitos y se buscan expresiones de interés. En la segunda etapa se envían los documentos de la licitación a compañías que poseen la experiencia y las capacidades profesionales y técnicas necesarias.

Licitación de diálogo competitivo Las licitaciones de diálogo competitivo pueden realizarse donde solo ciertas compañías o productos podrían cumplir con los criterios de la licitación. La autoridad contratante anuncia los requisitos e inicia un diálogo con las partes interesadas que precalifican, como en el caso del procedimiento restringido. En la UE se debe solicitar a por lo menos tres compañías que presenten ofertas y se selecciona la oferta económicamente más ventajosa (OEMV).

Licitación negociada Este procedimiento debe utilizarse en circunstancias excepcionales, solamente cuando hay razones de peso para su aplicación. Generalmente puede utilizarse cuando la naturaleza de los bienes o servicios que se proporcionarán es tal que solo una compañía es capaz de cumplir el contrato. También puede utilizarse cuando no se han presentado ofertas luego de una licitación abierta o restringida, o cuando se han presentado ofertas irregulares.

Ahora bien, la intención es poder hacer ejercicios para ubicar a los organismos competentes dentro del Estado Nacional o local, que tienen la competencia del tratamiento de la hemofilia, para ello se creará un cuadro de doble entrada para identificar cada área por un lado, y su incidencia actual en el proceso de compra.

- Advocacy y Cabildeo:

El cabildeo es un intento por influenciar a los legisladores para que establezcan políticas, usando un enfoque más activo y más amplio que la simple presentación de una propuesta o un conjunto de propuestas. Generalmente requiere la participación de medios de difusión, políticos y personas clave de su organización, en una estrategia integrada diseñada para asegurar una respuesta positiva a su propuesta y aumentar las posibilidades de lograr sus objetivos. Tanto la defensa de causas como el cabildeo implican ejercer influencia en lo que la gente cree, piensa o hace, a fin de alcanzar un objetivo. Es más probable que las labores de cabildeo tengan éxito cuando en ellas participan muchas personas. Pueden diseñarse a fin de establecer la agenda (proactivas) o para responder a la agenda de alguien más (reactivas).

Las labores de cabildeo son más eficaces cuando:

- se basan en hechos, experiencia práctica, y ofrecen pruebas de sus reivindicaciones;
- se planean cuidadosa y estratégicamente;
- involucran y representan al grupo a nombre de quien se realizan

Las labores de cabildeo son menos eficaces cuando:

- las realiza una organización sin reputación establecida respecto al problema en cuestión;
- no se basan en hechos, ni reciben el apoyo del grupo a nombre del que se realizan;
- son mal ideadas y poco

claras en cuanto a lo que tratan de lograr.

Lo importante en este punto es definir cual es el objetivo de la campaña de cabildeo, que como se vio al inicio, debe estar vinculado a sus metas y objetivos y también ponderado en analizar las prioridades de la organización según el momento pero sobre todo saber si es alcanzable o es un objetivo tan idealista que no se podrá alcanzar con esta campaña. Es así entonces que todos definen el objetivo, lo consensuan, dividen sus tareas y comienzan la ejecución.

Es importante antes de comenzar que se haga un análisis contextual que determine el grado de conocimiento y de concientización respecto a la hemofilia que hay entre los políticos, autoridades y tomadores de decisión Si este es el primer tema para el que lanza una campaña, y el grado concientización y conocimiento público y político es muy bajo, y será necesario educar a políticos, medios de difusión y público en general.

También es importante y necesario establecer los resultados esperados de la campaña de cabildeo para poder hacer luego controles intermedios y finales y evaluar con indicadores concretos el estado de avance.

Ahora bien, para hacer la campaña se requiere cumplir determinados pasos:

- Elaboración de un presupuesto
- Determinar los recursos humanos
- Determinar la duración probable de la campaña
- Asignar roles
- Crear un mapa de actores
- Confeccionar una Matriz de Riesgos
- Crear una Matriz de Comunicaciones

Es entonces que con el analisis integral de los puntos anteriores, se puede definir un objetivo claro y se espera que cada organización así lo haga, confeccione un Plan de Cabildeo basado en los pasos indicados y con herramientas sencillas para completar y que sirvan de Guía para el desarrollo de la misma.

Cronograma de tiempo de ejecución del proyecto:

En este apartado se adjunta como Anexo el Cronograma tentativo del Proyecto, basado en un Diagrama de tiempos por semana, diferenciando etapas y tareas para cada uno de los 4 países.

Resultados esperados:

Los resultados esperados del proyecto están organizados en base a cada eje del

proyecto, por ello los detallo en base a los mismos:

Planificación de prioridades:

- Poder planificar sus acciones en función de sus objetivos como organización
- Diferenciación entre lo urgente y lo importante
- Delegación de tareas menores y enfoque en las prioridades

Registro de Pacientes:

- Conocer los modelos mas efectivos de Registros de Pacientes
- Definir un objetivo sostenible para mejorar el Registro
- Establecer una estrategia eficaz para lograr el objetivo

Acceso a terapias de innovación:

- Conocer los protocolos standar para la aprobación de un medicamento
- Conocer los modelos de compras por licitación
- Reconocer los entes gubernamentales para iniciar dicho proceso

Advocacy y Cabildeo:

- Reconocer herramientas efectivas para el cabildeo
- Crear un Mapa de Actores
- Crear una Matriz de Comunicaciones