

HEMOFILIA EN PEDIATRÍA

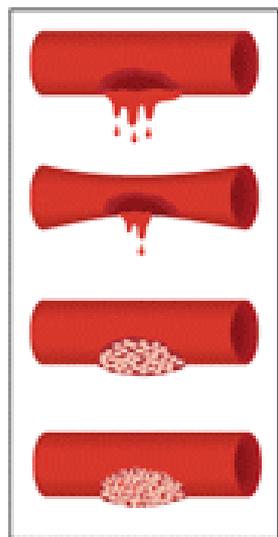
“Taller sobre Hemofilia, von Willebrand y otras coagulopatías congénitas”
Prevención, tratamiento y calidad de vida

Donostia 22 de octubre de 2019

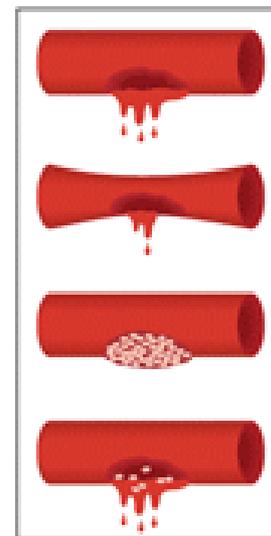
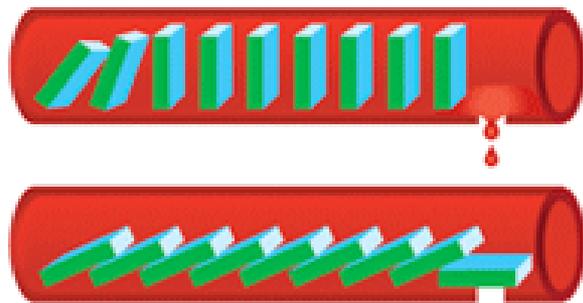
Unai Hernández Dorronsoro
Servicio de Pediatría
Hospital Universitario Donostia

HEMOFILIA: GENERALIDADES

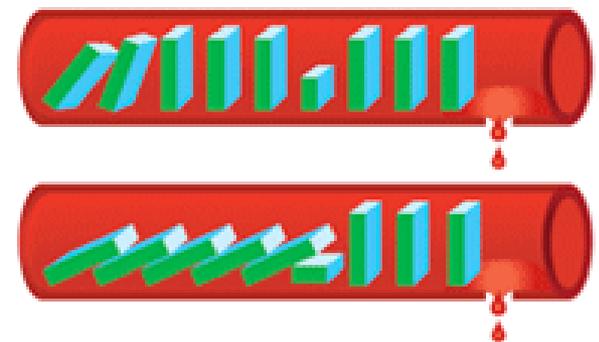
- Trastorno hemorrágico congénito (X/r), provocado por la deficiencia de factores de coagulación
 - **Hemofilia A**: Deficiencia de **FVIII** (incidencia 1/5.000 varones)
 - **Hemofilia B**: Deficiencia **FIX** (incidencia 1/30.000 varones)



Proceso de coagulación normal



Proceso de coagulación en la hemofilia



Clínica

- **Hemorragias**: cualquier parte del cuerpo
- Pueden estar presentes desde el nacimiento o incluso en el feto
- Lo más típico: **hemartrosis**
 - A partir de la adquisición de la marcha.
 - Espontáneo o ante traumatismos mínimos.
- Enfermedad con morbilidad importante
 - Hemartros: artropatía

CLASIFICACIÓN Y CLÍNICA

Hemofilia severa	Hemofilia moderada	Hemofilia leve
Generalmente <1% del nivel del factor	Generalmente de 1 a 5% del nivel del factor	6-40% del nivel del factor
Son características las hemorragias espontáneas	Pueden presentar hemorragias por lesiones menores	Generalmente sólo presentan hemorragias con lesiones graves, cirugía, intervenciones invasoras
Pueden tener hemorragias de 1 a 2 veces por semana	Pueden tener hemorragias 1 vez al mes	Podrían no tener nunca un problema hemorrágico
Caracterizada por hemorragias articulares (hemartrosis)	Pueden tener hemorragias articulares	Las hemorragias articulares son poco comunes

Abordaje interdisciplinario

HEMATOLOGÍA

FARMACIA

TRAUMATOLOGÍA

ODONTOLOGÍA

REHABILITACIÓN

PSICOLOGÍA

RADIOLOGÍA

ENFERMERÍA

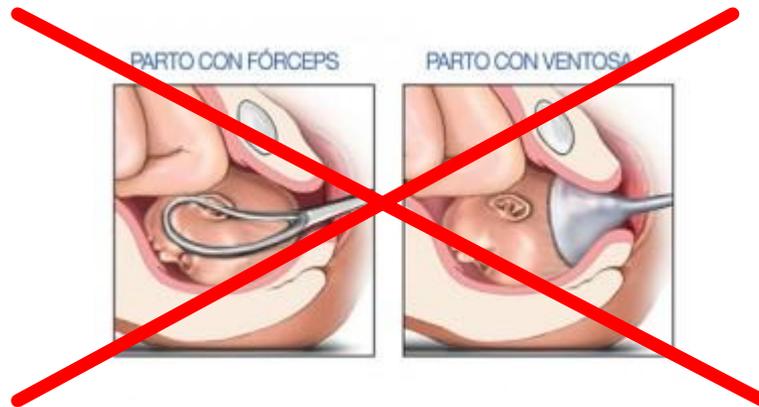
M. FAMILIA

PEDIATRÍA



Parto

- Condicionante, incluso desde el momento del parto
- El parto de un niño con hemofilia diagnosticada o sospechada debería ser atraumático *, **, ***
 - Disminuir el riesgo de sangrado.
 - Individualizar vaginal Vs cesárea
 - No instrumental (incrementa riesgo de HIC)



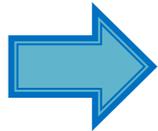
*Perinatal management of newborns with haemophilia. *British Journal of Haematology*, 2001, 112, 264±274

**Pregnancy in carriers of haemophilia. C. Chi, C. A. Lee, N. Shiltagh, A. Khan, D. Pollard and R. A. Kadir. *Haemophilia* (2008), 14, 56–64

*** Guideline on the management of haemophilia in the fetus and neonate. [British Journal of Haematology Volume 154, Issue 2](#)

PEDIATRÍA: PREVENCIÓN

- En la edad pediátrica pueden aparecer las primeras complicaciones:



Prevencción

- Objetivo:
 - Desarrollo músculo-esquelético normal
 - Vida similar a otros niños
- Tratamiento profiláctico médico
 - La administración regular y prolongada del factor deficitario, iniciada en edad temprana, previene artropatía hemofílica
 - Mejor antes o justo después de la primera hemorragia articular*
- Otras medidas preventivas

ADHERENCIA AL TRATAMIENTO

- **Problema: Adherencia**
 - Al tratamiento médico
 - A las medidas preventivas
- Según la OMS
 - La falta de adherencia de cualquier tratamiento farmacológico es del 50% (15- 93%)
- **Vital en la profilaxis:**
 - El éxito depende de mantener los niveles de factor
 - Especialmente desde la infancia.
- Consecuencias de la falta de adherencia
 - Empeoramiento de la calidad de vida
 - Falta de control de la enfermedad
 - Efectos secundarios o intoxicaciones
 - Aumentar la morbilidad.
 - Falta de racionalización en el gasto farmacéutico y sanitario



ORIGINAL ARTICLE *Clinical haemophilia*

Adherence to prophylaxis and quality of life in children and adolescents with severe haemophilia A

M. GARCÍA-DASÍ,* J. A. AZNAR,* V. JIMÉNEZ-YUSTE,† C. ALTISENT,‡ S. BONANAD,*
E. MINGOT,§ F. LUCÍA,¶ F. GIMÉNEZ,** M. FERNANDA LÓPEZ,†† P. MARCO,‡‡ R. PÉREZ,§§
M. Á. FERNÁNDEZ,¶¶ M. J. PALOMA,*** B. GALMES,††† S. HERRERO‡‡‡ and
J. A. GARCÍA-TALAVERA§§§

*Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia; †Hospital La Paz, Madrid; ‡Hospital Vall d'Hebron, Barcelona;
§Hospital Carlos Haya, Málaga; ¶Hospital Miguel Servet, Zaragoza; **Hospital Torrecárdenas, Almería; ††Hospital Juan
Canalejo, A Coruña; ‡‡Hospital General de Alicante, Alicante; §§Hospital Virgen del Rocío, Sevilla; ¶¶Hospital Central de
Asturias, Asturias; ***Hospital Virgen del Camino, Pamplona; †††Hospital Son Espases, Mallorca; ‡‡‡Hospital General de
Guadalajara, Guadalajara; and §§§Hospital de la Candelaria, Tenerife, Spain

- n: 78 pacientes
- 14 Hospitales de España
- Hemofilia A severa
- 6-20 años
- HaemoQoL cuestionarios
- Índice de absoluta adherencia

ORIGINAL ARTICLE *Clinical*

A survey of adherence to haemophilia therapy in six European countries: results and recommendations

P. DE MOERLOOSE,* W. URBANCIK,† H. M. VAN DEN BERG‡ and M. RICHARDS§

*Haemostasis Unit, University Hospital of Geneva, Geneva, Switzerland; †Baxter, Vienna, Austria; ‡Meander Medical
Centre, Amersfoort, the Netherlands; and §Department of Clinical Haematology, St James's University Hospital, Leeds, UK

- n: 180 pacientes
- Hemofilia A severa sin inhibidor
- 6 países
- Encuestas a pacientes
- Encuestas a médicos y enfermeras

CONCLUSIONES:

- La adherencia mejora la calidad de vida
- La autopercepción de riesgo mejora la adherencia
- La adolescencia es un punto crítico
(en nuestro medio autotratamiento más tarde)
- Importante trabajar con las familias

Dificultad: acceso venoso

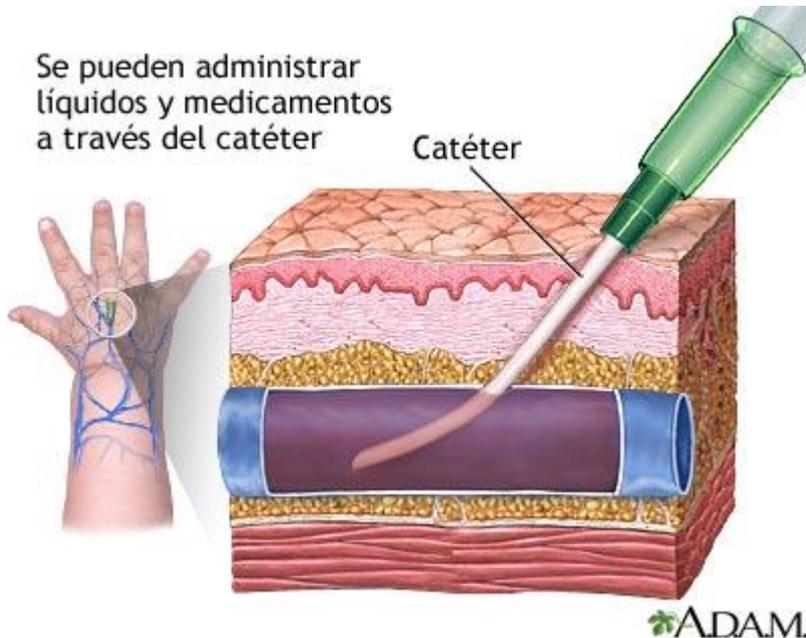
- La necesidad de un acceso venoso adecuado
 - Problema crucial en pediatría
- **¿Catéter venoso central?**
 - Permite el tratamiento domiciliario
 - Complicaciones posibles
 - Infecciones (más riesgo si presencia de inhibidor de FVIII)
 - Oclusiones, roturas y trombosis
 - Especial preocupación en pediatría



Vía venosa periférica

- La vía ideal para la administración de los concentrados de factor de coagulación:

Vía venosa periférica



Accesos venosos centrales

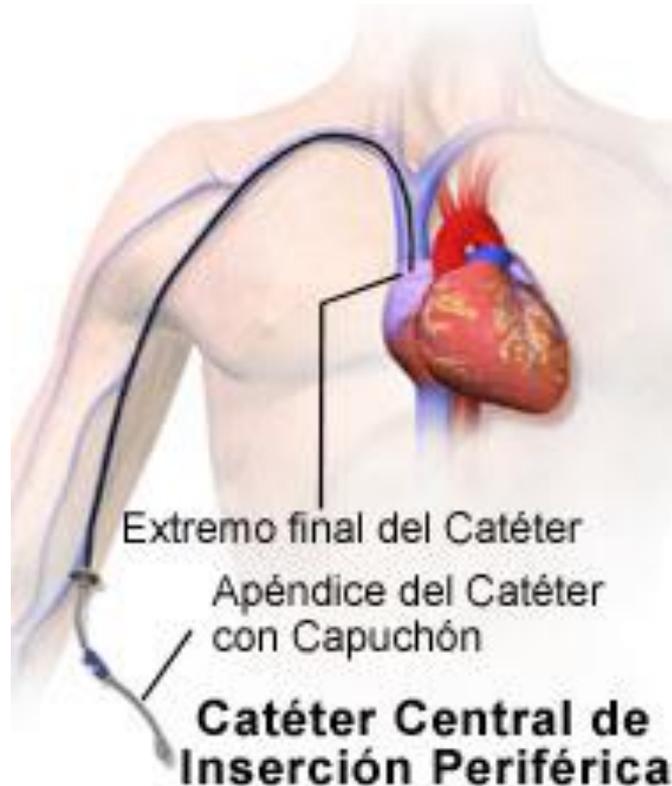
- **Dispositivo de acceso venoso central**
 - No punciones periféricas de repetición.
 - Particularmente útil
 - en niños pequeños
 - en pacientes con difícil punción venosa.

Accesos venosos centrales

- **TIPOS:**
 - **Catéter central de inserción periférica (PICC)**
 - **Catéter venoso central de inserción central**
 - **Puertos subcutáneos (*port-a-cath*)**

Accesos venosos centrales

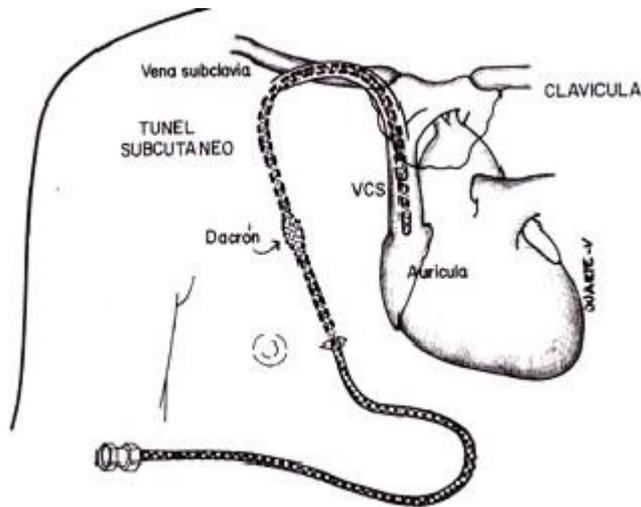
- **Catéter central de inserción periférica (PICC)**



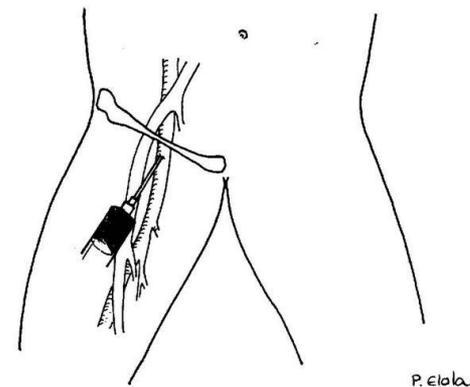
Accesos venosos centrales

- Catéter venoso central de inserción central

Tunelizados
(implantación quirúrgica)



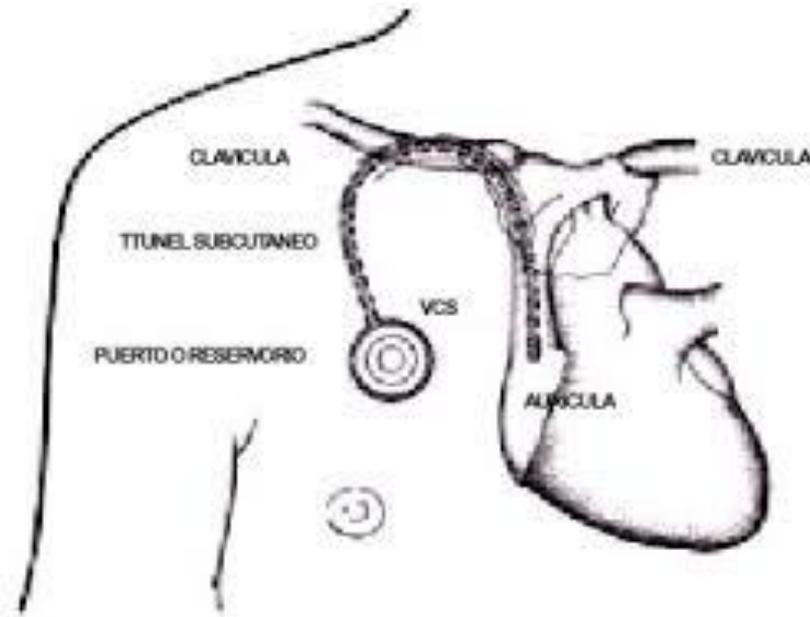
No tunelizados



P. Erola

Accesos venosos centrales

- Puertos subcutáneos (*port-a-cath*)
 - *De elección por menor riesgo de infección*
 - *Cumplir normas de manejo*



ORIGINAL ARTICLE *Clinical haemophilia*

Long-term follow-up of children with haemophilia – low incidence of infections with central venous access devices

A. HARROCHE,* J. MERCKX,† N. SALVI,† J. FAIVRE,† O. JACQMARCQ,† D. DAZET,‡
M. MAKHLOUFI,‡ M. CLAIRICIA,§ M.-F. TORCHET,* A. AOUBA* and C. ROTHSCHILD*

*Department of Haematology, Haemophilia Care Centre ; †Department of Anaesthesia; ‡Specialist Nursing, Department of Haematology, Haemophilia Care Centre; and §Specialist Nursing, Home Care Education Centre for Children Hôpital Universitaire Necker-Enfants Malades, Paris, France

- 15 años de experiencia en un Hospital de Francia
- 50 pacientes con hemofilia y acceso venoso central
- 25 complicaciones
 - 9 hematomas
 - 5 infecciones sistémicas (2 recambios)

La mayoría de las infecciones por de accesos venosos centrales son evitables

Tratamiento domiciliario



Ventajas

- Facilita el tratamiento precoz de las hemorragias, aumentando su eficacia y reducción del dolor.
- Reducción del número de visitas a las unidades de hemofilia y servicios de urgencias.
- Facilita la adherencia a los programas de profilaxis, y reduce el absentismo escolar y laboral.
- Flexibiliza la vida familiar con un impacto positivo en la calidad de vida de los pacientes y familiares.
- Cuando se utiliza correctamente reduce el coste global del tratamiento.



Desventajas

- Diagnóstico incorrecto del episodio hemorrágico agudo por parte del paciente lo que conlleva demoras, infradosificaciones, o sobretratamientos con subyacente pérdida de eficacia e incremento de costes.
- Falta de adherencia a los tratamientos indicados
- Mal uso: por mal acceso venoso, mala preparación del producto, incorrecto almacenamiento, etc
- Problemas psicológicos derivados de inseguridad, estrés, etc

- Periodo de formación dirigido a padres o tutores.
- A partir de los 10 años los niños suelen tomar el relevo
- Garantizar seguimiento adecuado

Rapidez de acción

- ***Dispositivos de identificación:***
 - Se recomienda que los niños con hemofilia lleven un dispositivo identificador (collar, pulsera, etc.)
 - Ayuda a tratamiento precoz con menor morbilidad
- Facilitar acceso a su tratamiento y administrar rápidamente el suyo propio ante una emergencia

**EMERGENCY DEPARTMENT CARE FOR PATIENTS WITH HEMOPHILIA AND
VON WILLEBRAND DISEASE**

Tammuela Singleton, MD, Rebecca Kruse-Jarres, MD, and Cindy Leissing, MD

Department of Medicine, Tulane University School of Medicine, New Orleans, Louisiana
Reprint Address: Cindy A. Leissing, MD, Section of Hematology/Oncology, Tulane University School of Medicine,
1430 Tulane Avenue, Box SL-78, New Orleans, LA 70112

doi:10.1016/j.jemermed.2007.12.024

Vacunas

- Los niños con hemofilia deben recibir:
 - Plan vigente completo de vacunación + Hepatitis A



Vacunas

- Mayor riesgo de sangrado tras inyección i.m.
- ¿Hay que administrar **sistemáticamente** todas las vacunas por vía subcutánea?
 - La administración s.c. de vacunas inactivadas adyuvadas
 - No respuesta inmune óptima
 - Mayor reactogenicidad.
 - La vacunación por vía intramuscular
 - ¿ Segura y más eficaz ?
 - ¿ Riesgo de sangrado significativo mínimo ?



Vacunas

- **VACUNACIÓN SUBCUTÁNEA:** (La mayoría)
 - Vacunas de virus atenuados
 - Vacunas inactivadas que no contienen adyuvantes.
- **VACUNACIÓN INTRAMUSCULAR:**
 - Vacunas inactivadas adyuvadas.
 - Lo más rápidamente posible tras la terapia sustitutiva.
 - El riesgo de sangrado está en relación con el calibre de la aguja y no con la longitud
 - (calibre máximo 23 G).
 - Aplicar una firme presión sobre la zona de punción durante 2 minutos

Vacunas: CONTROVERSIA

Immunization of patients with bleeding disorders

M. MAKRIS,* C. P. CONLON† and H. G. WATSON‡

*Sheffield Haemophilia and Thrombosis Centre, Royal Hallamshire Hospital, Sheffield; †Nuffield Department of Medicine, John Radcliffe Hospital, Oxford; and ‡Department of Haematology, Aberdeen Royal Infirmary, Aberdeen, UK

Haemophilia (2003), 9, 541–546

PERINATAL MANAGEMENT OF NEWBORNS WITH HAEMOPHILIA

ROSHNI KULKARNI¹
JEANNE LUSHER²

British Journal of Haematology, 2001, 112, 264–274

■ Conclusión:

- Los pacientes con trastornos hemorrágicos deberán ser vacunados preferiblemente por vía subcutánea mejor que intramuscular o intradérmicamente, salvo que se cubra con infusión de concentrado de factor de coagulación

Table 1. Available vaccines, preferred mode of administration in patients with bleeding disorders and type of vaccine.

Vaccine	Preferred administration route	Type of vaccine
<i>Common vaccines</i>		
Diphtheria	Subcutaneous	Inactivated
Haemophilus influenzae type b	Subcutaneous	Conjugated subunit
Hepatitis A	Subcutaneous	Subunit
Hepatitis B	Subcutaneous	Subunit
Hepatitis A + B combined	Subcutaneous	Subunit
Influenza	Subcutaneous	Inactivated
Measles, mumps, rubella (MMR)	Subcutaneous	Live attenuated
Meningococcal A&C	Subcutaneous	Subunit
Meningococcal C	Subcutaneous	Conjugated subunit
Meningococcal ACWY	Subcutaneous	Subunit
Pertussis	Subcutaneous	Inactivated
Pneumococcal	Subcutaneous	Subunit
Poliomyelitis (oral)	Oral	Live attenuated
Poliomyelitis	Subcutaneous	Inactivated
Rubella	Subcutaneous	Live attenuated
Tetanus	Subcutaneous	Inactivated
Tuberculosis (BCG)	Intradermal	Live attenuated
Typhoid	Subcutaneous	Inactivated
Typhoid (oral)	Oral	Live attenuated
Varicella-zoster virus	Subcutaneous	Live attenuated
Yellow fever	Subcutaneous	Live attenuated

Fármacos

- Evitar el ácido acetil salicílico.
- Restringir el uso de los AINEs *
 - recomendada la protección gástrica cuando se administran de forma prolongada.
- Paracetamol en dosis habituales.
- Evitar la administración intramuscular
 - riesgo de hematomas musculares severos.



* Eyster ME, Asaad SM, Gold BD, Cohn SE, Goedert JJ, Second Multicenter Hemophilia Study Group. Upper gastrointestinal bleeding in haemophiliacs: incidence and relation to use of non-steroidal anti-inflammatory drugs. *Haemophilia* 2007; 13: 279–86.

Ejercicio físico

- Forma amena de mantener el **tono muscular**
 - protege las articulaciones.
- Excelente forma de **relación social**
- Escoger una actividad satisfactoria **individualizada**
 - que no suponga un riesgo superior al posible beneficio.
- **No sobrecargar articulaciones** con lesiones previas.
- Potenciación muscular mediante **ejercicios isométricos**
 - contraen el músculo sin movilizar la articulación adyacente.



REVIEW ARTICLE

Exercise and sport in the treatment of haemophilic patients: a systematic review

M. GOMIS,* F. QUEROL,†,‡ J. E. GALLACH,* L. M. GONZÁLEZ* and J. A. AZNAR‡

**Departments of Physical Education and †Physiotherapy, University of Valencia; and ‡Coagulopathy Unit, University Hospital LA FE, Valencia, Spain*

Haemophilia (2009), 15, 43–54

Haemophilia: exercise and sport

Felipe Querol^{a,b,*}, Sofía Pérez-Alenda^{a,b}, José Enrique Gallach^c, José Devís-Devís^c,
Alejandra Valencia-Peris^c, Luis Millán González Moreno^c

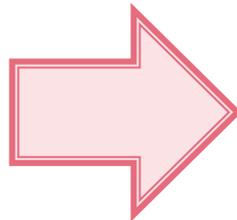
^a*Department de Fisioteràpia, Universitat de València, València, Spain*

^b*Unitat d'Hemostàsia i Trombosis, Hospital Universitari La Fe, Valencia, Spain*

^c*Department d'Educació Física, Universitat de València, València, Spain*

Received on May 9, 2010; accepted on September 9, 2010

Apunts Med Esport. 2011;46(169):29-39



Problemas:

- Sesgos
- Opinión de expertos
- Diseño?

Deporte

- Se consideran peligrosos:
 - todos los deportes que conllevan una cierta violencia (boxeo, motociclismo) o contacto físico (balonmano, baloncesto).
- Fútbol:
 - no es recomendable dado el riesgo de contacto
- Calentamiento y suaves ejercicios de estiramiento al finalizar
 - para prevenir lesiones musculares
- Utilizar un calzado adecuado que controle bien el pie y el impacto del talón.
- En caso de molestias: interrumpir inmediatamente la actividad.
- Si existen lesiones articulares o musculares, esperar a su completa resolución
- Los enfermos que están en tratamiento profiláctico:
 - coordinar de manera que la máxima actividad coincida con los niveles más altos de factor.





NATIONAL HEMOPHILIA FOUNDATION
for all bleeding and clotting disorders

Playing It Safe

BLEEDING DISORDERS,
SPORTS AND EXERCISE



Table 5. Sports Ratings by Activity

Activities have been divided into five ratings:



Activity	Category
Aerobics	2
Archery	1
Aquatics	1
Baseball	2.5
Basketball	2.5
Bicycling	1.5
BMX Racing	3
Bowling	2
Boxing	3
Canoeing	2.5
Cardiovascular Training Equipment	
Elliptical Machine	1
Rowing Machine	1.5
Ski machine	1.5
Stationary Bike	1
Stepper	2
Treadmill	1.5
Cheerleading	2.5
Circuit Training	1.5
Dance	2
Diving/Competitive	3
Diving/Recreational	2
Exercise Classes	
Body Sculpting	1.5
Cardio Kick-Boxing	2
Physioball	1.5
Spinning	1.5
Fishing	1
Football	3
Frisbee	1
Frisbee Golf	1.5
Ultimate Frisbee	2
Golf	1
Gymnastics	2.5
Hiking	1
Hockey (Field, Ice, Street)	3
Horseback Riding	2.5
Ice-Skating	2.5

Activity	Category
Inline Skating	2.5
Jet Skiing	2.5
Jumping Rope	2
Kayaking	2.5
Lacrosse	3
Martial Arts – Karate/ Kung Fu/Tae Kwon Do	2.5
Martial Arts/Tai Chi	1
Motorcycling/ Motor Cross Racing	3
Mountain Biking	2.5
Pilates	1.5
Power Lifting	3
Racquetball	2.5
River Rafting	2.5
Rock Climbing (Indoor/Challenge Course)	2
Rock Climbing (Natural Setting)	3
Rodeo	3
Roller-skating	2
Rowing/Crew	2
Rugby	3
Running and Jogging	2
Scooter (motorized)	3
Scooter (non-motorized)	2.5
Scuba Diving	2.5
Skateboarding	2.5
Skiing/Cross Country	2
Skiing/Downhill	2.5
Skiing/Telemark	2.5
Snorkeling	1
Snowboarding	2.5
Snowmobiling	3
Soccer	2.5
Softball	2.5
Surfing	2.5
Swimming	1
T-Ball	2
Tennis	2
Track and Field	2.5
Trampoline	3
Volleyball	2.5
Walking	1
Water-skiing	2.5
Weight Lifting/Resistance Training	1.5
Weight Lifting/Power Lifting	3
Wrestling	3
Yoga	2

Deporte

- En la vida cotidiana existen situaciones que comportan mucho más riesgo que la práctica deportiva.
- Un niño bien musculado podrá evitar los accidentes diarios o recuperarse más fácilmente de ellos.
- Efecto positivo del deporte en la hemofilia
 - no sólo a nivel del aparato locomotor y cardio-respiratorio, sino también, a nivel psicológico.

Como conclusión:

- **La actividad física, la motricidad, todo ello integrado a través del deporte ha de formar parte de las fases educativas y terapéuticas del niño hemofílico.**

Juguetes

- **Lo ideal:**
 - juguetes blandos de cantos redondeados,
 - sin aristas ni piezas cortantes.
 - evitar el juego con objetos pesados.
- El niño hemofílico debe **jugar normalmente**
 - Como el resto de los niños.
 - Es importante que no se vea como alguien diferente.
- Limitar juegos colectivos que impliquen contacto físico.



Juguetes

- **Usar casco siempre** que monte en bicicleta.
- Utilizar **métodos de protección** (rodilleras, muñequeras, coderas)
 - cuando juegue con monopatines, patines o patinetes



Cuidado dental

- Un sangrado importante con la salida o caída de piezas dentarias
 - Puede suponer formas de **debut** de la hemofilia.
- Las prácticas odontológicas comunes (extracciones ...)
 - Pueden tener una **morbilidad importante**
- Importante: **cuidado primario** dental



Chupete

- En niños con hemofilia grave sin un adecuado tratamiento
 - **El traumatismo del roce del chupete puede causar gingivorragias.**
 - La presencia de éstas debe hacernos sospechar una coagulopatía.



Ropa y calzado

- La presión de botones, hebillas, gomas o cremalleras
 - equimosis y/o nódulos equimóticos
- Cuando el niño comienza a andar:
 - puede ser recomendable que use ropa acolchada.
 - Importante ropa **comoda**
 - Asegurar libertad en sus movimientos
 - No deben suponer un obstáculo facilitándoles las caídas.
 - Calzado cómodo, moldeable, de horma ancha.

Rendimiento escolar

- **La hemofilia puede alterar la escolarización normal**
 - Correlación lineal entre el número de episodios de sangrado y el desarrollo de fracaso escolar
- Importante un programa adecuado de profilaxis
 - beneficio sobre las complicaciones musculoesqueléticas,
 - mejora el rendimiento, las cifras de absentismo y la socialización.

Defining the Impact of Hemophilia: The Academic Achievement in Children With Hemophilia Study

Amy D. Shapiro, MD*; Sharyne M. Donfield, PhD†; Henry S. Lynn, PhD‡; Valerie A. Cool, PhD§; James A. Stehbens, PhD§; Scottie L. Hunsberger‡; Sharon Tonetta, PhD||; Edward D. Gomperts, MD||; and the Academic Achievement in Children with Hemophilia Study Group

Pediatrics 2001;108(6):105.

Conclusiones:

- Cada niño debería tener la oportunidad de alcanzar su potencial.
- Incluir también este objetivo en el control de una enfermedad crónica.
- Asociación importante entre el número de hemorragias y los logros académicos en los niños con hemofilia severa.
- Los programas terapéuticos no sólo deben ser evaluados en términos de costes para conseguir adecuados objetivos musculoesqueléticos.
- También deberán ser importantes los objetivos individuales y sociales en el área académica

Bibliografía

- **Guías para el tratamiento de la hemofilia.** 2ª edición. Federación Mundial de Hemofilia.
- **Hemofilia. Guía Terapéutica.** *Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad. Noviembre 2012.*
- **Hemofilia: perspectiva y consejos desde Atención Primaria.** I. Carabaño Aguadoa, L. Llorente Otones. *Rev Pediatr Aten Primaria.* 2007;9:465-74
- Haemophilia management: optimizing treatment based on patients needs. Manco-Johnson M. *Curr Opin Pediatr.* 2005;17:13-6.
- Advances in care of children with haemophilia. Manco-Johnson MJ, Riske B, Kasper CK. *Semin Thromb Hemost.* 2003;29:585-94.
- Paediatric care of the child with haemophilia. Ljung R. *Haemophilia.* 2002;8:178-82.
- **Protocolos tratamiento antimicrobiano domiciliario endovenoso** (*Sociedad Española de Medicina Interna*)



GRACIAS