

Impacto y carga de la enfermedad en hemofilia moderada y grave desde la perspectiva del paciente y de enfermería. Estudio NURSES-WHO-CARE

Impact and disease burden in moderate and severe hemophilia from patient and nursing perspective. The NURSES-WHO-CARE study

Sara García-Barcenilla^{1*}, Eva Álvarez-Martínez², Francisco J. López-Jaime³, Montserrat Rambla-Pérez⁴, Yolanda Echarte-Buil⁵, Pau Bosch⁶, Pilar Gonzalez-Álvarez⁷, Carmen Álvarez⁸, Itziar Guerra⁸ y Ana Torres-Ortuño^{9†} en representación del grupo de estudio NURSES-WHO-CARE

¹Instituto de Investigación Sanitaria del Hospital La Paz-IdiPAZ, Hospital Universitario La Paz-Universidad Autónoma de Madrid, Madrid; ²Unidad de Hemofilia, Hospital Universitario Vall d'Hebron, Barcelona; ³Hospital Regional Universitario de Málaga, Málaga; ⁴Unidad de Hemostasia y Trombosis, Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Barcelona; ⁵Departamento de Hematología y Hemoterapia, Hospital Universitario Miguel Servet, Zaragoza; ⁶Unidad de Hemostasia y Trombosis, Hospital Universitario y Politécnico La Fe, Valencia; ⁷Unidad de Hemostasia y Trombosis, Hospital Universitario Central de Asturias, Oviedo; ⁸Experto Médico en Hemofilia y Trastornos Hematológicos Raros, Roche Farma, Madrid; ⁹Departamento de Psiquiatría y Psicología Social, Universidad de Murcia, Murcia. España

[†]In memoriam.

Resumen

Introducción: El dolor, la frecuencia de hemorragias y el estado funcional son preocupaciones importantes para los pacientes con hemofilia y sus cuidadores. **Objetivo:** Evaluar la carga de la enfermedad en pacientes y cuidadores, el conocimiento de los pacientes sobre su enfermedad y tratamiento, y el papel del profesional de enfermería especializado en el cuidado de estos pacientes en España. **Material y método:** Estudio no intervencionista, transversal y multicéntrico. Participaron 103 pacientes con hemofilia A moderada/grave (89 adultos y 14 niños), 14 cuidadores y 16 enfermeras (Estudio NURSES-WHO-CARE). **Resultados:** El 32,6% de los pacientes adultos afirmó pensar raramente en la hemofilia. La mayoría de pacientes (99%) afirmó conocer sus signos y síntomas. Respecto al profesional de enfermería, todos señalaron participar en la educación de los pacientes y/o cuidadores en términos de enfermedad, tratamiento, adherencia, entre otros. **Conclusión:** La hemofilia tiene un impacto en la vida diaria del paciente y del cuidador pese a las mejoras en el cuidado y nuevos tratamientos. El conocimiento que tiene el paciente sobre su enfermedad y tratamiento sigue siendo un aspecto importante que influye en su cuidado. El profesional de enfermería es una figura central en esta educación y en la atención integral del paciente, especialmente en casos moderados y graves.

Palabras clave: Hemofilia. Carga. Conocimiento. Enfermería. Cuidado. CATCH.

Abstract

Introduction: Pain, bleeding frequency, and functional status are major concerns for patients with hemophilia and caregivers. **Objective:** The study aimed to evaluate the disease burden in patients, the knowledge of patients on their disease and treatment, and the role of the specialized nurses in the care of these patients in Spain. **Material and method:** This was a

*Correspondencia:

Sara García-Barcenilla
E-mail: sarag.barcenilla@gmail.com

Fecha de recepción: 08-04-2024

Fecha de aceptación: 16-09-2024

DOI: 10.24875/SANGRE.M24000051

Disponible en internet: 20-03-2025

Sangre. 2024;43(3):106-115

www.revistasangre.com

0036-4355 / © 2024 Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia. Publicado por Permanyer. Éste es un artículo open access bajo la licencia CC BY-NC-ND (<https://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/>).

non-interventional, cross-sectional, multicenter study. A total of 103 patients with moderate or severe hemophilia A (89 adults and 14 children), 14 caregivers, and 16 nurses from Spain (NURSES-WHO-CARE study) participated in the study. Results: About 32.6% of adult patients stated to rarely think about hemophilia. Most of the patients (99%) stated to know its signs and symptoms. Regarding nurses, all of them pointed out to participate in the education of patients and/or caregivers in terms of disease, treatment, and adherence, among others. Conclusion: Hemophilia has an impact on patient's and caregiver's daily lives despite care improvements and new treatments. Patient's knowledge on their disease and treatment remains an important aspect influencing their care. The specialized nurse is a central figure in this education and comprehensive care, especially in moderate and severe cases.

Keywords: Hemophilia. Burden. Knowledge. Nursing. Care. CATCH.

Introducción

La hemofilia es una patología rara caracterizada por la deficiencia del factor de coagulación VIII (hemofilia A) o del factor IX (hemofilia B)¹. La hemofilia A es el tipo más frecuente de la enfermedad y representa el 80-85% de los casos². Su gravedad se basa en los niveles plasmáticos del factor VIII, es decir, leve (si > 5% del normal), moderada (1-5%) y grave (< 1%)³. Los pacientes con hemofilia A leve suelen experimentar episodios hemorrágicos solo después de cirugías mayores, lesiones o traumas; mientras que los casos moderados suelen sobrevenir tras cualquier lesión². Los casos graves suelen presentar episodios hemorrágicos espontáneos, sobre todo, en músculos y articulaciones. Además del dolor y la limitación que sobrevienen durante los episodios hemorrágicos, las complicaciones pueden acarrear dolor crónico, daño articular grave y discapacidad⁴. A pesar de los notables avances hechos en materia de tratamiento, la enfermedad sigue provocando un importante impacto tanto en las actividades diarias como en la calidad de vida (QoL) de los pacientes⁴. Tanto la identificación como la priorización de los resultados de salud relevantes para el paciente (PROs) se han hecho necesarios para optimizar e individualizar el manejo de pacientes con hemofilia⁵. Estudios ya publicados también revelan que pacientes con hemofilia A grave y moderada tienen un cierto nivel de desconocimiento en torno a su enfermedad y tratamientos^{6,7}. Además, la adherencia al tratamiento suele ser menor en pacientes que tienen cierto desconocimiento sobre esta cuestión razón por la cual, su riesgo de episodios hemorrágicos y complicaciones suele ser mayor que el de aquellos que sí tienen un cierto conocimiento al respecto⁸. El manejo óptimo de la hemofilia, sobre todo, de los casos graves, requiere una atención integral por parte de un equipo multidisciplinario de profesionales de la salud⁹. Entre ellos, las enfermeras especializadas juegan un papel clave y coordinador en el manejo de estos pacientes

participando en el tratamiento/suministros, seguimiento de las complicaciones, formación a efectos de tratamiento domiciliario y muchas otras cuestiones^{10,11}. Las enfermeras especializadas también juegan un papel esencial en la formación de pacientes y las familias al tiempo que fomentan la adherencia a regímenes profilácticos¹². Hasta donde nosotros sabemos, son pocas las publicaciones que describen el papel que juegan las enfermeras especializadas en el manejo de pacientes con hemofilia A. De hecho, ninguna de estas publicaciones^{10,11} se han abordados en España. Además, ninguno de los estudios ya publicados ha analizado, al mismo tiempo, 3 aspectos importantes asociados a la hemofilia A y al manejo de los pacientes: la carga de la enfermedad, los conocimientos del paciente al respecto y el papel que juega el manejo especializado de enfermería. En este sentido, el objetivo del estudio fue analizar la carga de la enfermedad (PRO) en pacientes con hemofilia A moderada y grave y sus cuidadores y determinar el nivel de alfabetización en materia sanitaria de nuestra población, así como sus percepciones sobre el papel que juega el servicio de enfermería especializada en el manejo de la hemofilia.

Métodos

Diseño del estudio y participantes

El NURSES-WHO-CARE fue un estudio no intervencionista, transversal y multicéntrico de pacientes con hemofilia A moderada y grave, sus cuidadores (es decir, padres/personas que atienden a niños con hemofilia) y enfermeras que atienden a pacientes en España. Los criterios de inclusión de los pacientes fueron edad ≥ 12 años y diagnóstico de hemofilia A moderada o grave, con independencia del desarrollo de inhibidores contra el factor VIII. Los pacientes que no lograron entender ni completar los cuestionarios (según el criterio de la enfermera) fueron considerados no elegibles. No hubo criterios de inclusión para las enfermeras.

Los pacientes fueron reclutados consecutivamente en cada hospital para reducir los sesgos de selección. El estudio consistió en una única visita que coincidió con una de las revisiones rutinarias del paciente. El estudio se llevó a cabo de conformidad con la Declaración de Helsinki y la legislación nacional y fue aprobado por el Comité de Ética de cada uno de los 16 centros participantes. Todos los pacientes dieron su consentimiento informado por escrito previo a su participación en el estudio.

Evaluaciones del estudio

El objetivo primario fue analizar el impacto de la hemofilia (PRO) en pacientes y cuidadores empleando el cuestionario de autoinforme específico para hemofilia denominado Herramienta de Evaluación Integral de Desafíos en Hemofilia (CATCH)¹³. Consta de 7 dominios: preocupación por la enfermedad; el impacto de la enfermedad en las actividades diarias, actividades sociales y recreativas; el impacto de la enfermedad en el trabajo/universidad/escuela; el impacto del tratamiento de la enfermedad y el dolor. Los ítems se califican cualitativamente empleando escalas ordinales (4-5 puntos para adultos/cuidadores y 3-4 para niños) y cuantitativamente empleando escalas de calificación numérica de 11 puntos. El cuestionario CATCH también proporciona puntuaciones para dominios e ítems que van de 0 a 100. El cálculo de las puntuaciones obtenidas en el cuestionario CATCH se explica, con detalle, en el material adicional (Tablas suplementarias 1-4). El cuestionario CATCH ha sido validado en pacientes con hemofilia A y B y sus cuidadores¹³. Los objetivos secundarios incluyeron los conocimientos de los pacientes sobre su enfermedad y tratamientos, así como el papel desempeñado por las enfermeras en el cuidado del paciente hemofílico. Estos análisis secundarios se evaluaron empleando 2 cuestionarios adaptados, diseñados específicamente por los investigadores principales (en base a su experiencia y literatura ya publicada)^{6,9,10,14}. Las traducciones al inglés de los cuestionarios adaptados se muestran en el material adicional. Las enfermeras que participaron en el estudio completaron el cuestionario adaptado sobre el papel de estas en el cuidado de pacientes con hemofilia tanto electrónica como individualmente para evitar cualquier injerencia en sus respuestas. Asimismo, como cuestionarios autoadministrados, se pidió a las enfermeras que permitieran a los pacientes completar el CATCH y el relativo a sus conocimientos de la enfermedad y tratamiento de manera individual y sin la presencia de la enfermera para evitar interferencias.

Análisis estadístico

Las variables continuas se expresan como media, DE, mediana y rango intercuartílico (RIC), según corresponda y las categóricas como frecuencias absolutas y relativas. La determinación del tamaño de la muestra se muestra en el material adicional. Los datos faltantes no fueron tenidos en cuenta en los análisis. Todos los análisis se realizaron empleando el Paquete de *software* Estadístico para las Ciencias Sociales (SPSS) versión 22.0 (SPSS Inc., Chicago, IL, Unidos Unidos).

Resultados

Participantes

Desde septiembre de 2021 hasta abril de 2022, un total de 103 pacientes fueron incluidos en el estudio. Ninguno de ellos fue excluido. De los pacientes, 89 eran adultos y 14, niños, respectivamente. Además, 14 cuidadores y 16 enfermeras también participaron en el estudio. Los pacientes eran predominantemente masculinos con una media de edad de 33,9 años (DE = 14,2; **Tabla 1**). De ellos, el 83,5 y 16,5%, respectivamente, tenían hemofilia A grave o moderada, respectivamente. Las características clínicas de los pacientes en relación con el tipo de hemofilia se informan en la tabla suplementaria 5. La mayoría de los pacientes (93,2%) estaban a tratamiento profiláctico.

El cuestionario CATCH

Los pacientes adultos calificaron las limitaciones de la enfermedad en actividades de la vida diaria con una media de 4,8 (DE = 2,4, escala 1-10; valores que van de 1, "sin restricciones en absoluto", a 10, "extremadamente restringido"). Además, el 61,8, 49,4 y 43,2% de los pacientes refirieron un riesgo bajo de sangrado en actividades diarias, sociales y recreativas (Tabla suplementaria 6). Además, el 64,3, 78,6 y 28,6% de los niños indicaron dijeron no percibir el riesgo de sangrado en tales actividades. En lo referente a la percepción del dolor, el 14,6% de los pacientes adultos dijo haber experimentado algún tipo de sangrado durante los últimos 7 días (Tabla suplementaria 7). En los niños, la tasa media de peor dolor experimentado durante los últimos 7 días fue de 2,5 (DE = 0,6). Todas las puntuaciones medias obtenidas en el cuestionario CATCH fueron numéricamente más altas en pacientes adultos que en niños, salvo la percepción del riesgo recreativo

Tabla 1. Características sociodemográficas y clínicas de los pacientes

Características	Pacientes (n = 103)
Sexo, masculino, n (%)	102 (99,0)
Edad, media (DE), años	34,0 (21,0-43,0)
Comorbilidades más frecuentes/enfermedades concomitantes relevantes*	
Hepatitis C virus	28 (27,2)
Artritis	24 (23,3)
Infección por VIH	22 (21,4)
Hipertensión	8 (7,8)
Tiempo de diagnóstico de hemofilia, n (%)†	
Dentro de los primeros 3 meses de vida	21 (20,4)
Entre los 3 y 9 meses de vida	29 (28,2)
Más allá de los 9 meses de vida	45 (43,7)
Episodios hemorrágicos tratados con factor VIII en los últimos 12 meses, n (%)	50 (48,5)
Número de episodios hemorrágicos tratados con factor VIII en los últimos 12 meses, mediana (RIC)†	2,0 (1,0-4,0)
Tipo de tratamiento contra la hemofilia en la actualidad, n (%)	
Profiláctico	96 (93,2)
Bajo demanda	7 (6,8)
Número de visitas al especialista programadas por año para el manejo de la hemofilia A, mediana (RIC)†	3,0 (2,0-6,0)
Número de visitas al especialista realizadas en el último año para el manejo de la hemofilia A, mediana (RIC)	6,0 (3,0-10,0)

*Opción múltiple.

Datos faltantes: n = 8†, n = 6‡.

DE: desviación estándar; RIC: rango intercuartílico; VIH: virus de inmunodeficiencia humana.

(31,4 frente a 33,8, respectivamente; Fig. 1). En lo referente a las preocupaciones en torno a la hemofilia, el 32,6% de los pacientes adultos afirmaron que rara vez piensan en la hemofilia, el 50% de los niños dijeron haber pensado en la hemofilia la semana pasada y el 35,7% de los cuidadores dijeron pensar siempre en la hemofilia de su hijo (Tabla 2).

Conocimientos de los pacientes sobre su enfermedad y tratamiento

Según los pacientes, el 81,6 y 16,5% presentaban hemofilia A grave o moderada, respectivamente (Tabla 3). La mayoría de ellos (99,0%) dijeron conocer los signos y síntomas asociados a la hemofilia, sobre todo, gracias a los profesionales sanitarios con los que interactúan (69,9%) o a propia experiencia (52,4%). El 57,3% del total de pacientes dijo conocer los riesgos asociados a la hemofilia, principalmente, gracias a hematólogos (100,0%), enfermeras (88,3%) y farmacéuticos (62,1%). Todos los pacientes dijeron conocer lo importante que es seguir correctamente el tratamiento e indicaciones para el manejo de su hemofilia que dados por su médico. La mayoría de los pacientes (96,1%) dijeron sentirse capacitados y tener suficientes conocimientos como para continuar su tratamiento de

manera segura y efectiva desde casa y el 94,9% (94 de 99 pacientes) dijo que esto fue resultado de la comunicación y relación con las enfermeras. En cuanto a la experiencia de los pacientes con las enfermeras especializadas, todos los pacientes consideraron necesario el papel de la enfermera especialista dentro del equipo médico. Los pacientes calificaron la importancia del papel de la enfermera especialista dentro del equipo médico con una mediana de 10,0 (RIC: 9,0-10,0, con valores que van de 0 “nada necesario” a 10 “extremadamente necesario”).

Papel de las enfermeras especializadas en el cuidado del paciente hemofílico

De las enfermeras que completaron el cuestionario (n = 16), el 43,8% tenía de 3 a 5 años de experiencia en el manejo de coagulopatías (Tabla 4). La mayoría (93,8%) dijeron trabajar en un centro con consultas regulares para el manejo de las coagulopatías, sobre todo, a diario o 4 veces a la semana (80%) y como parte de un equipo multidisciplinar formado, principalmente, por las unidades de farmacia (87,5%), fisioterapia (87,5%), hematología (87,5%), rehabilitación (75%) y traumatología (75%). Todas las enfermeras dijeron participar en la formación de pacientes y/o cuidadores en

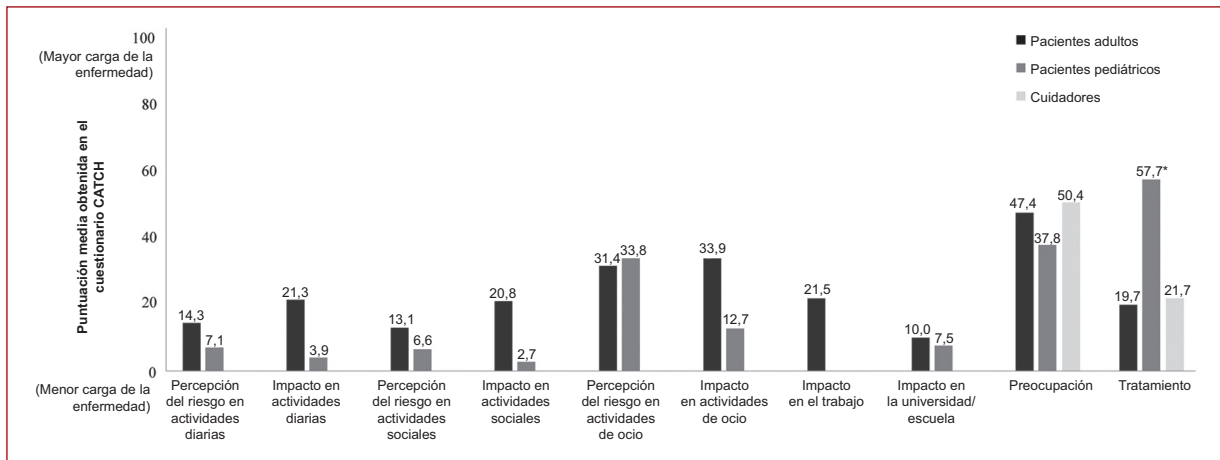


Figura 1. Carga de la enfermedad (puntuaciones CATCH) en pacientes y cuidadores.

*En lo referente a la puntuación obtenida en el cuestionario CATCH sobre el tratamiento en niños, los valores más altos representan una menor carga percibida del tratamiento de la hemofilia. CATCH: Herramienta de Evaluación Integral de Desafíos en Hemofilia.

todo lo relacionado a su enfermedad, tratamiento y adherencia, entre otras cuestiones. Otras características de las enfermeras y su papel en el manejo de pacientes hemofílicos se muestran en la tabla 8 suplementaria. El 50,0% de las enfermeras dijeron tener interacciones regularmente con pacientes y/o cuidadores, intercambiando experiencias relacionadas con su salud y tratando de seguir su estado y evolución incluso si están en casa. Además, el 87,5% dijeron participar en el proceso de la enfermedad y facilitar la enseñanza que les permite continuar con el tratamiento en el hogar.

Discusión

Este estudio tuvo como objetivo mostrar tres aspectos asociados al manejo de pacientes con hemofilia A, a saber, la carga de la enfermedad en la vida diaria de pacientes y cuidadores, los conocimientos de los pacientes sobre su propia enfermedad y tratamiento (con posibles consecuencias en el manejo del paciente) y, por último, el papel que juegan las enfermeras especializadas a la hora de afrontar la formación del paciente y otras competencias. El dolor, la frecuencia de sangrados y el estado funcional son preocupaciones principales de los pacientes con hemofilia y sus cuidadores, afectando su estilo y calidad de vida (CV)¹⁵. El presente estudio es el primero jamás publicado sobre el impacto de la hemofilia y su tratamiento en pacientes con hemofilia y sus familias (como un resultado relevante para el paciente, PRO) en la práctica clínica rutinaria en España. Hasta la fecha, solo dos estudios previos (todavía sin publicar) han utilizado el nuevo cuestionario CATCH,

principalmente para describir su exhaustividad y fiabilidad^{13,16}. Solo un reciente estudio de fase III con emicizumab mostró una mejora en la carga del tratamiento en pacientes con hemofilia A utilizando el cuestionario CATCH¹⁷. Nuestros resultados destacan la carga de la enfermedad presente en pacientes adultos y pediátricos, así como en cuidadores. Según los pacientes, su impacto es evidente en las actividades diarias más simples como, por ejemplo, estar de pie durante mucho tiempo, subir un tramo de escaleras o jugar de manera brusca con niños en el caso de los pacientes adultos o cepillarse los dientes, ponerse calcetines y zapatos, o al bajar un tramo de escaleras en el caso de los niños. Además, según los pacientes adultos, la hemofilia no provoca un impacto notable en el trabajo ni en la vida universitaria, aunque se hace más evidente al realizar tareas físicas. A pesar del riesgo percibido en las actividades diarias, casi 1 de cada 2 pacientes intentan vivir sus vidas con normalidad y solo 1 de cada 5 piensa, a menudo, en su enfermedad. Además, la preocupación de los cuidadores por la enfermedad del niño suele ser algo habitual. Al comparar poblaciones, los pacientes adultos mostraron mayor preocupación por la enfermedad que los niños; No obstante, los cuidadores mostraron una preocupación incluso mayor que los pacientes. Los niños aseguraron que la hemofilia influía menos en la escuela que lo que decían los adultos que influía en sus trabajos o la universidad. Todos estos resultados coinciden con los descritos en estudios previos y muestran cómo influyen las mejoras en el tratamiento¹⁵. Los conocimientos de los pacientes sobre su propia enfermedad y tratamiento es un factor importante que influye

Tabla 2. Impacto de la hemofilia en la preocupación, actividades laborales/colegio/escuela y tratamiento de hemofilia en pacientes y cuidadores

	Nunca	Rara vez	A veces	A menudo	Siempre
Preocupación (Pregunta CATCH: "En general, en un día normal, ¿con qué frecuencia piensas en la hemofilia?", n (%))*					
Adultos (n = 89)	15 (16,9)	29 (32,6)	25 (28,1)	15 (16,9)	5 (5,6)
Niños (n = 14)	4 (28,6)	-	7 (50,0)	3 (21,4)	0 (0,0)
Cuidadores (n = 14)	0 (0,0)	2 (14,3)	3 (21,4)	4 (28,6)	5 (35,7)
	Nunca	Rara vez	A veces	La mayor parte del tiempo	-
Actividades laborales/colegio/escuela (Pregunta CATCH: "¿Con qué frecuencia la hemofilia influye en tu capacidad para trabajar/ir a la escuela y/o hacer los deberes?", n (%))*					
Adultos: Trabajo (n = 89)	14 (21,9)	30 (46,9)	19 (29,7)	1 (1,6)	-
Adultos: Universidad/escuela (n = 89)	10 (52,6)	9 (47,4)	0 (0,0)	0 (0,0)	-
Niños: Escuela (n = 14)	8 (57,1)	-	6 (42,9)	0 (0,0)	†
	En absoluto	Un poco	Moderadamente	Bastante	Extremadamente
Tratamiento de la hemofilia					
Adultos (n = 89): Pregunta CATCH: "En líneas generales, ¿hasta qué punto te molesta tu tratamiento contra la hemofilia?", n (%)*					
	33 (37,1)	30 (33,7)	17 (19,1)	8 (9,0)	1 (1,1)
Niños (n = 14): Pregunta CATCH: "En líneas generales, ¿hasta qué punto te gusta o no tu tratamiento contra la hemofilia?", n (%)*					
	No me gusta nada	No me gusta un poco	Me gusta un poco	Me gusta mucho	-
	1 (7,1)	2 (14,3)	5 (35,7)	6 (42,9)	-
Cuidadores (n = 14): Pregunta CATCH: "En líneas generales, ¿hasta qué punto es un problema el tratamiento contra la hemofilia de tu hijo?", n (%)*					
	En absoluto	Un poco	Moderadamente	Bastante	Extremadamente
	9 (64,3)	3 (21,4)	1 (7,1)	1 (7,1)	0 (0,0)

*En cursiva y entre comillas se muestran las preguntas para cada ítem tal y como aparecen redactadas en el cuestionario CATCH.

†Para los niños, en lugar de "la mayor parte del tiempo", las respuestas fueron "a menudo" y "siempre". Ambas respuestas fueron 0,0 %.

en la adherencia al tratamiento y, a su vez, en el cuidado del paciente⁶. Varios estudios han encontrado que existe una asociación positiva entre los conocimientos sobre la enfermedad, la adherencia al tratamiento y la consecución de mejores resultados (como en calidad de vida y manejo de episodios de sangrado)^{6,18}. Además de esto, estudios publicados revelan que los pacientes con hemofilia grave y moderada tienen lagunas de conocimiento en determinadas áreas específicas^{6,7}. En nuestro estudio, los pacientes tenían un nivel adecuado de conocimiento ya que prácticamente todos ellos (99%) dijeron conocer los signos y síntomas asociados tanto a la hemofilia como al tipo de esta (98,1%). Se debe mencionar que 2 de nuestros pacientes (1,9%) dijeron tener enfermedad leve cuando, en realidad fueron diagnosticados de enfermedad moderada (un caso) y grave

(el otro). Esta observación resalta la necesidad de reforzar la formación de los pacientes sobre su enfermedad, los riesgos de complicaciones, los beneficios de los tratamientos y la importancia del autocuidado. Los tipos de tratamiento que indicaron los pacientes también iban en consonancia con la información proporcionada por los investigadores (enfermeras). Según los pacientes, los conocimientos sobre la enfermedad y el tratamiento se obtuvieron, principalmente, de la información proporcionada por los profesionales sanitarios (69,9%) o de su propia experiencia (tras múltiples episodios hemorrágicos, 52,4%). Todos los pacientes dijeron conocer la importancia de seguir correctamente el tratamiento y las indicaciones del médico. La mayoría de los pacientes señalaron la figura de las enfermeras a la hora de recibir formación sobre el impacto e implicaciones de la hemofilia.

Tabla 3. Conocimientos de los pacientes sobre su enfermedad, tratamiento y profesionales sanitarios

Variables	Pacientes (n = 103)
Enfermedad*	
Tipo de hemofilia, n (%)	
Leve (Factor VIII entre 5 y 30%)	2 (1,9)
Moderada (Factor VIII entre 1 y 5%)	17 (16,5)
Grave (Factor VIII < 1%)	84 (81,6)
Tener conocimiento de los signos y síntomas asociados a la hemofilia, n (%)	102 (99,0)
Cómo se adquirieron los conocimientos sobre los signos y síntomas, n (%)	
“Gracias a los profesionales sanitarios con los que interactúo”	72 (69,9)
“Tras muchos episodios/sangrados, he aprendido a reconocerlos”	54 (52,4)
“Siempre he tenido interés y suelo buscar información actualizada sobre mi enfermedad”	36 (35,0)
“Estoy en contacto con asociaciones de pacientes y asisto a charlas o congresos sobre mi enfermedad”	30 (29,1)
Tener conocimientos sobre los riesgos asociados a la hemofilia, n (%)	
“Sí, trato de minimizarlos en la medida de lo posible”	36 (35,0)
“Sí, aunque trato de llevar una vida lo más normal posible, como si no tuviera la enfermedad”	59 (57,3)
“No todos (los riesgos), por esta razón, prefiero evitar cualquier situación que pueda comprometer mi salud”	7 (6,8)
“No tengo muchos conocimientos al respecto, hago todo tipo de actividades y nunca he tenido ningún problema”	1 (1,0)
Tener la formación y conocimientos para seguir el tratamiento de manera segura y efectiva desde casa, n (%)	99 (96,1)
Lograr la formación y conocimientos necesarios para seguir el tratamiento de manera segura y efectiva desde casa es resultado de la comunicación y relación que mantengo con las enfermeras, n (%) [¶]	94 (94,9)
Familia, amigos y/o compañeros de trabajo	
Familia, amigos y/o compañeros de trabajo con conocimiento sobre su enfermedad, n (%)	99 (96,1)
Familia, amigos y/o compañeros de trabajo con conocimiento adecuado para manejar un episodio de sangrado, n (%) [†]	78 (78,8)
Tratamiento	
Tipo de tratamiento actual, n (%) [‡]	
A demanda	7 (6,8)
Profiláctico	95 (92,2)
Duración del tratamiento, n (%) [‡]	
< 6 meses	11 (10,7)
Entre 6 meses y 1 año	3 (2,9)
Entre 1 y 3 años	16 (15,5)
Entre 3 y 5 años	10 (9,7)
Más de 5 años	62 (60,2)
Profesionales sanitarios*	
Profesionales sanitarios con los que interactúan los pacientes con mayor frecuencia en lo referente a su enfermedad, n (%)	
Hematólogos	103 (100,0)
Enfermeras	91 (88,3)
Farmacéuticos	64 (62,1)
Rehabilitadores	41 (39,8)
Traumatólogos	38 (36,9)
Fisioterapeutas	35 (34,0)
Dentistas	34 (33,0)
Características de las enfermeras, n (%) [§]	
“Se reúnen y te forman sobre el impacto y las implicaciones de la hemofilia”	72 (70,0)
“Sientes que te escuchan, puedes hablar abiertamente sobre las dificultades que tienes con respecto al tratamiento o la enfermedad y colaborar en la búsqueda de soluciones”	69 (67,0)
“Promueven la adherencia al tratamiento y conocen su grado de cumplimiento y su evolución, participan en el proceso de la enfermedad y facilitan la formación que te permite seguir con el tratamiento en casa”	67 (65,0)
“Influyen positivamente en su percepción de la enfermedad y motivan el logro de objetivos”	59 (57,0)

(Continúa)

Tabla 3. Conocimientos de los pacientes sobre su enfermedad, tratamiento y profesionales sanitarios (*continuación*)

Variables	Pacientes (n = 103)
Enfermedad*	
Posibilidad de interactuar con las enfermeras, n (%)	
“Solo cuando voy al hospital y necesito cuidados de enfermería”	39 (37,9)
“Habitualmente. Intercambiamos experiencias asociadas a mi salud y trato de seguir mi enfermedad y evolución, incluso aunque esté en casa”	38 (36,9)
“Ocasionalmente, si experimento un empeoramiento de mi estado de salud y cuando voy al hospital y necesito tratamiento”	26 (25,2)
Importancia de la figura de la enfermera especialistas dentro del equipo sanitario, mediana (RIC)**	10,0 (9,0-10,0)

*En cursiva y entre comillas se muestran las respuestas tal como están redactadas en el cuestionario CATCH.

Datos faltantes: n = 4[†], n = 1[‡].

[§]Opción múltiple.

[†]Calculado sobre los 99 participantes que respondieron “Sí” a “Tener la formación y conocimientos necesarios para seguir el tratamiento de manera segura y efectiva desde casa”.

^{**}Valores que van de 0 “nada necesario” a 10 “extremadamente necesario”.

Tabla 4. Características de las enfermeras y el papel que juegan cuidado de pacientes con hemofilia (*continuación*)

Características	Enfermeras (n = 16)
Años de experiencia en el manejo de coagulopatías, n (%)	
Más de 15 años	2 (12,5)
Entre 10 y 15 años	1 (6,2)
Entre 5 y 10 años	3 (18,8)
Entre 3 y 5 años	7 (43,8)
Entre 1 y 2 años	3 (18,8)
2-3 veces por semana	2 (13,3)
1 vez por semana	1 (6,7)
Enfermeras que trabajan en un centro con protocolos específicos para el manejo de hemofílicos	13 (81,2)
Enfermeras que trabajan en un centro con un equipo multidisciplinario para el manejo de las coagulopatías, n (%)	15 (93,8)
Especialidades más frecuentes incluidas en el equipo multidisciplinario, n (%)*	
Farmacia	14 (87,5)
Fisioterapia	14 (87,5)
Hematología	14 (87,5)
Rehabilitación	12 (75,0)
Traumatología	12 (75,0)
Número de pacientes con coagulopatías que suelen acudir a las consultas de coagulopatías, n (%)	
Más de 500	5 (31,2)
Entre 200 y 500	4 (25,0)
Entre 50 y 200	5 (31,2)
< 50	2 (12,5)
Descripción del rol de la enfermería, n (%) [†]	
“Entiendo los principios y objetivos de los procedimientos, manejo situaciones complejas pero predecibles. Reconozco problemas reales y potenciales y priorizo de manera efectiva”	5 (31,2)
“Interactúo en situaciones complejas y exigentes. Tengo habilidades prácticas adecuadas y específicas para las necesidades del paciente y aplico la toma de decisiones intuitiva”	5 (31,2)
“Inicio prácticas innovadoras. Demuestro excelencia y actúo como modelo/guía para mis compañeros. Puedo manejar la complejidad y evaluar críticamente el uso de teoría/investigación en la práctica”	3 (18,8)
“Sigo los procedimientos de las políticas y principios, enfocándome en un solo aspecto del cuidado a la vez”	2 (12,5)
“Reconozco y priorizo la necesidad de acciones. Tomo decisiones limitadas cuando soy consciente/experimentada/segura de la situación”	1 (6,2)
Interacción con pacientes y/o sus cuidadores, n (%) [†]	
“Solo cuando van al hospital y necesitan cuidados de enfermería”	4 (25,0)

(Continúa)

Tabla 4. Características de las enfermeras y el papel que juegan cuidado de pacientes con hemofilia (*continuación*)

Características	Enfermeras (n = 16)
"Ocasionalmente, si hay un empeoramiento de su estado de salud, además de cuando van al hospital y necesitan cuidados de enfermería"	4 (25,0)
"Regularmente. Intercambiamos experiencias relacionadas con su salud e intento seguir su condición y evolución, incluso si están en casa"	8 (50,0)
Enfermeras que fomentan o participan en el proceso de aprendizaje de pacientes y/o cuidadores, n (%)	16 (100,0)
Formas de fomentar y participar en dicho aprendizaje, n (%) ^{*†}	
"Participo en el proceso de la enfermedad y les doy formación que les permite continuar con el tratamiento en casa"	14 (87,5)
"Fomento la adherencia al tratamiento y me mantengo al tanto de su grado de cumplimiento y evolución"	11 (68,8)
"Puedo influir positivamente en su percepción de la enfermedad y motivar la consecución de objetivos"	8 (50,0)
"Conozco y divulgo el impacto social/económico e implicaciones de la hemofilia en los pacientes y sus familias"	6 (37,5)
Otros	3 (18,8)

*Opción múltiple.

†Entre comillas se muestran las respuestas tal como están escritas en el cuestionario adaptado.

En consecuencia, las directrices de la Federación Mundial de Hemofilia recomiendan que los pacientes con hemofilia reciban tratamiento en centros de atención integral especializados a través de un equipo de atención especializado y multidisciplinar⁹. Las enfermeras especializadas en el manejo de la hemofilia son, de hecho, fundamentales a la hora de implementar estos cuidados¹⁹. A excepción de los limitados informes que nos llegan del Reino Unido^{10,11,19}, la evidencia sobre el papel y competencia de las enfermeras especializadas en el manejo de la hemofilia es prácticamente inexistente. En nuestro estudio, los resultados retratan a las enfermeras como profesionales sanitarios con experiencia en el manejo de las coagulopatías, que asumen y promueven la formación sanitaria, colaboran con otros centros sanitarios en materia de investigación e intercambio de mejores prácticas, ofrecen servicios de laboratorio con cobertura de 24 horas y dan seguimiento y tratamiento regular en casa, si es necesario, entre otras cualidades. Ellas suelen participar en el proceso de la enfermedad, animan a los pacientes no dejar el tratamiento e influyen positivamente en la percepción de la enfermedad que tienen estos pacientes.

La principal limitación del estudio fue el número relativamente bajo y, en consecuencia, la heterogeneidad en el tamaño entre las poblaciones de adultos, niños y cuidadores (89:14:14). Tampoco se recopiló información sobre los conocimientos de los cuidadores en torno a su enfermedad. En lo referente a los conocimientos de los pacientes y al papel de las enfermeras especializadas, los datos se proporcionaron a partir de cuestionarios limitados, sin inferir ninguna correlación. Por ejemplo, incluir elementos capaces de correlacionar el nivel de conocimientos del paciente con la carga de la enfermedad del paciente/cuidadores o el papel educativo que juegan las enfermeras especializadas en relación con los

conocimientos del paciente habría fortalecido considerablemente las conclusiones. Otra limitación deriva del hecho de que los dos cuestionarios adaptados aún no han sido validados en pacientes con hemofilia moderada o grave. No obstante, fueron creados y utilizados porque, tras una búsqueda bibliográfica, ninguno de los cuestionarios validados disponibles pudo satisfacer plenamente los objetivos del presente estudio. A pesar de estas limitaciones, este estudio proporciona una visión actualizada del importante impacto que tiene la hemofilia en la vida diaria de los pacientes y cuidadores, los conocimientos de los pacientes sobre su enfermedad y tratamiento al tiempo que destaca el papel de las enfermeras especializadas en el cuidado de estos pacientes.

Conclusiones

Este estudio muestra que la hemofilia tiene un impacto en la vida diaria de pacientes y cuidadores a pesar de las mejoras y los nuevos tratamientos. Los conocimientos de los pacientes sobre su enfermedad y tratamiento siguen siendo un aspecto importante que influye en su tratamiento. Las enfermeras especializadas son una figura clave en este proceso de formación y cuidados integrales, sobre todo, en casos moderados y graves. Aunque nuestro estudio es un primer paso en el uso del cuestionario CATCH, se requieren más estudios que involucren cohortes más grandes de pacientes y cuidadores para confirmar los resultados presentes.

Material suplementario

El material suplementario está disponible en DOI: 10.24875/SANGRE.M24000051. Estos datos han sido proporcionados por el autor correspondiente y

publicados online para el beneficio del lector. El contenido del material adicional es, solo, responsabilidad de los autores.

Agradecimientos

Los autores desean agradecer a los pacientes hemofílicos y sus familias la participación en estudios de investigación como este

Financiamiento

Este trabajo ha sido financiado por Roche Farma. El apoyo para la redacción médica ha sido proporcionado por Evidenze Health España S.L.U. y financiado por Roche Farma.

Conflicto de intereses

S. García-Barcenilla ha participado como ponente en juntas asesoras y simposios patrocinados con Roche, NovoNordisk, CSL Behring, Takeda, Sobi, Biomarin, Novartis, Bayer y Pfizer. E. Álvarez-Martínez ha participado como ponente en juntas asesoras y simposios patrocinados con Bayer, CSL Behring, Pfizer, Octapharma, Roche, Sobi y Takeda. F.J. López-Jaime ha recibido financiamiento para investigación de Roche y Sobi, y ha participado como ponente en juntas asesoras y simposios patrocinados con Amgen, Bayer, CSL Behring, Novartis, Novo Nordisk, Pfizer, Roche, Sobi y Takeda. M. Rambla-Pérez y Y. Echarte-Buil han recibido apoyo para asistir a reuniones y/o viajes de Roche y Sobi y honorarios como consultor de Roche. P. Bosch ha recibido pagos/honorarios de Roche, Pfizer y Bayer. P. González-Álvarez ha recibido honorarios y pagos como consultor de Roche. C. Álvarez e I. Guerra trabajan para Roche Farma España. A. Torres-Otuño ha recibido honorarios como consultor de Roche y Biomarin y pagos/honorarios de Roche.

Consideraciones éticas

Protección de personas y animales. Los autores declaran que los procedimientos seguidos se conformaron a las normas éticas del comité de experimentación humana responsable y de acuerdo con la Asociación Médica Mundial y la Declaración de Helsinki. Los procedimientos fueron autorizados por el Comité de Ética de la institución.

Confidencialidad, consentimiento informado y aprobación ética. Los autores han seguido los

protocolos de confidencialidad de su institución, han obtenido el consentimiento informado de los pacientes, y cuentan con la aprobación del Comité de Ética. Se han seguido las recomendaciones de las guías SAGER, según la naturaleza del estudio.

Declaración sobre el uso de inteligencia artificial.

Los autores declaran que no utilizaron ningún tipo de inteligencia artificial generativa para la redacción de este manuscrito.

Bibliografía

1. Srivastava A, Brewer AK, Mauser-Bunschoten EP, Key NS, Kitchen S, Llinas A, et al. Guidelines for the management of hemophilia. *Haemophilia*. 2013;19:e1-47.
2. Sarmiento Doncel S, Díaz Mosquera GA, Cortes JM, Agudelo Rico C, Meza Cadavid FJ, Peláez RG. Haemophilia A: a review of clinical manifestations, treatment, mutations, and the development of inhibitors. *Hematol Rep*. 2023;15:130-50.
3. Blanchette VS, Key NS, Ljung LR, Manco-Johnson MJ, Van den Berg HM, Srivastava A. Definitions in hemophilia: communication from the SSC of the ISTH. *J Thromb Haemost*. 2014;12:1935-9.
4. Brod M, Bushnell DM, Neergaard JS, Waldman LT, Busk AK. Understanding treatment burden in hemophilia: development and validation of the Hemophilia Treatment Experience Measure (Hemo-TEM). *J Patient Rep Outcomes*. 2023;7:17.
5. Van Balen EC, O'Mahony B, Cnossen MH, Dolan G, Blanchette VS, Fischer K, et al. Patient-relevant health outcomes for hemophilia care: development of an international standard outcomes set. *Res Pract Thromb Haemost*. 2021;5:e12488.
6. Lindvall K, Colstrup L, Loogna K, Wollter I, Grønhaug S. Knowledge of disease and adherence in adult patients with haemophilia. *Haemophilia*. 2010;16:592-6.
7. Nossair F, Thornburg CD. The role of patient and healthcare professionals in the era of new hemophilia treatments in developed and developing countries. *Ther Adv Hematol*. 2018;9:239-49.
8. Torres-Ortuño A, Cuesta-Barriuso R, Nieto-Munuera J, Castiello-Munuera Á, Moreno-Moreno M, López-Pina JA. Haemo-adherence: a new measure of adherence for adolescent and adult patients with haemophilia. *Patient Prefer Adherence*. 2020;14:455-65.
9. Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, Kitchen S, Sutherland M, Pipe SW, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia. 3rd edition. *Haemophilia*. 2020;26:1-158.
10. Harrington C, Bedford M, Andritschke K, Barrie A, Elfvinge P, Grønhaug S, et al. A European curriculum for nurses working in haemophilia. *Haemophilia*. 2016;22:103-9.
11. Pollard D, Harrison C, Dodgson S, Holland M, Khair K. The UK haemophilia specialist nurse: competencies fit for practice in the 21st century. *Haemophilia*. 2020;26:622-30.
12. Khair K. Minimizing joint damage: the role of nurses in promoting adherence to hemophilia treatment. *Orthop Nurs*. 2010;29:193-200; quiz 201-192.
13. Regnault A, Raimundo K, Patel A, Markowitz J, Marquis P, Shapiro A, et al. Is the comprehensive assessment tool of challenges in hemophilia (CATCH) appropriate to measure the impact of hemophilia and its treatment? First quantitative survey. *Haemophilia*. 2019;25:3-77.
14. Colvin BT, Astermark J, Fischer K, Gringeri A, Lassila R, Schramm W, et al. European principles of haemophilia care. *Haemophilia*. 2008;14:361-74.
15. Humphries TJ, Kessler CM. The challenge of pain evaluation in haemophilia: can pain evaluation and quantification be improved by using pain instruments from other clinical situations? *Haemophilia*. 2013;19:181-7.
16. Markowitz J, Patel A, Raimundo K, Marquis P, Shapiro A, Konkle B. Early Patient Experiences with Efficizumab in the United States: A Qualitative Study. In: International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH) Congress 6-10 July 2019, Melbourne, Australia.
17. Négrier C, Mahlangu J, Lehle M, Chowdary P, Catalani O, Jiménez-Yuste V, et al. Efficizumab prophylaxis in persons with mild or moderate hemophilia A: results from the interim analysis of the haven 6 study. *Blood*. 2021;138:34.
18. Krishnan S, Vietri J, Furlan R, Duncan N. Adherence to prophylaxis is associated with better outcomes in moderate and severe haemophilia: results of a patient survey. *Haemophilia*. 2015;21:64-70.
19. Khair K. The changing role of the specialist haemophilia nurse. *Nursing Times*. 2021;117:50-52.