

Nuria Caballero Mencía

**COAGULOPATÍAS CONGÉNITAS, PROFILAXIS Y ADOLESCENCIA
TEMPRANA: IMPACTO DE UN PROGRAMA DE FORMACIÓN DIRIGIDO
POR ENFERMERAS GESTORAS**

TRABAJO DE FIN DE MÁSTER

Dirigido por la Dra. Leticia Bazo Hernández

MÁSTER EN INVESTIGACIÓN EN CIENCIAS DE LA ENFERMERÍA



Barcelona

2023

“Podemos decir con seguridad que no es que el hábito de la correcta observación por sí misma lo que nos hará enfermeras útiles, sino que sin ella seremos inútiles aun con toda nuestra devoción.”

Florence Nightingale

Agradecimientos

A mi tutora del TFM, Leticia Bazo Hernández, por guiarme en este camino y poner luz. Por cada palabra de apoyo y por el tiempo dedicado, gracias.

A ti Rubén y al resto de mis compañeros de la unidad de hemofilia del Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona. Por haberme acompañado durante estos meses. Por la paciencia y los ánimos.

A mis compañeras de Master Cris, Laura, Carol y Patricia. Sin vosotras no hubiera sido posible. Hemos llorado y hemos reído, pero lo hemos logrado.

A mi familia, Ponci y Nacho, por estar siempre ahí, sois el motor de mi vida. Gracias por la paciencia, perdonar las ausencias y el apoyo incondicional cuando ni yo creía en mí misma. Os quiero.

A mi madre, simplemente por ser eso “madre”. Por su amor incondicional y estar siempre ahí. Por la paciencia y por apoyarme en todos los momentos de mi vida.

A mi hermana, que, aunque no lo entienda, sé que en el fondo se siente orgullosa.

A mi Abuela, referente en mi vida y espejo en el que me miro.

A mis amigas, las de la Laguna Seca, porque a pesar de los años y la distancia siempre estáis ahí, en lo bueno y en lo no tan bueno. Y a ti Ana, porque todo pasa y en nada volveremos a tomar café en nuestro lugar favorito “el paraíso”.

Índice de Contenido

Resumen	1
Abstract	2
1 Introducción	3
1.1 Justificación	4
2 Marco conceptual y estado actual del tema:	8
2.1 Coagulopatías congénitas (CC)	8
2.1.1 Hemofilia.....	8
2.1.2 Enfermedad de Von Willebrand	11
2.1.3 Déficits graves de otros factores de la coagulación:	12
2.2 Tratamiento de las CC	13
2.2.1 Concentrados de factores de coagulación (CFC)	13
2.2.2 Tratamiento profiláctico de las CC	14
2.2.3 Inhibidores	15
2.2.4 Emicizumab: Agente hemostático para el tratamiento profiláctico con HA.....	15
2.3 Centros de Tratamiento integral de las CC.....	16
2.4 Currículum de la Enfermera experta en CC.....	17
2.5 Programas de Educación Sanitaria/Capacitación	18
3 Revisión bibliográfica.....	20
4 Aportaciones de interés.....	21
5 Objetivos.....	22
5.1 Objetivo general	22
5.2 Objetivos específicos.....	22
5.3 Hipótesis.....	23
6 Método.....	24
6.1 Diseño y metodología.....	24
6.1.1 Ámbito de estudio.....	24
6.2 Población y muestra	24
6.2.1 Selección de la muestra	24
6.2.2 Diseño del muestreo.....	25
6.2.3 Criterios de inclusión	25

Índice de Contenido

6.2.4	Criterios de exclusión	25
6.3	Variables.....	25
6.3.1	variables independientes:.....	25
6.3.2	Variables dependientes:	26
6.4	Instrumentos de medida	26
6.4.1	Metodología de Recogida de datos.....	27
6.5	Análisis de datos	29
7	Cronograma.....	30
8	Consideraciones éticas y legales	31
9	Presupuesto	32
10	Implicaciones para la práctica clínica y líneas futuras de investigación	33
11	Limitaciones del estudio	34
12	Bibliografía.....	35
13	Anexos.....	38

Lista de siglas y abreviaturas

CC: coagulopatías congénitas

CFC: Concentrado de Factores de coagulación

CSUR: Centro, Servicios o Unidades de referencia del Sistema Nacional de Salud

EAHAD: European Association of hemophilia and allied disorders

EVW: Enfermedad de Von Willebrand

FMH: Federación Mundial de Hemofilia

HA: Hemofilia A

HB: Hemofilia B

HSJD: Hospital Sant Joan de Déu

HSP: Hospital de Sant Pau

XUEC: Xarxa d'unitats d'expertesa Clínica

Índice de figuras

Figura 1. Patient Journey Map.

Experiencia del paciente con hemofilia grave HSJD..... 7

Figura 2. Patrón de herencia en hemofilia.....9

Figura 3. Tratamiento de la hemofilia y terapias innovadoras..... 14

Figura 4. Algoritmo procedimiento recogida de datos.....28

Resumen

Introducción: Las Coagulopatías Congénitas (CC) son trastornos complejos, poco frecuentes y de carácter crónico caracterizados por presentar una mayor tendencia hemorrágica (espontánea o ante mínimos traumatismos). Por su baja prevalencia en la población general la mayoría están tipificadas como enfermedades minoritarias. La esperanza de vida de estos pacientes, en sus formas más graves, se ha equiparado al resto de la población sana. Esto se debe a diagnósticos cada vez más tempranos y al inicio de tratamiento profiláctico desde la primera infancia. Para una atención integral de estos pacientes es necesario un abordaje multidisciplinar dentro de unidades especializadas. La educación sanitaria impartida por enfermeras expertas durante la infancia/adolescencia debe realizarse de forma dinámica y cambiante según las etapas de crecimiento del niño. En la adolescencia temprana se inicia la educación sanitaria en el automanejo con respecto al tratamiento y la autoadministración, por lo que las intervenciones de capacitación y educación sanitaria realizadas en la consulta enfermera pueden mejorar los conocimientos del niño en su patología, influir en la adherencia al tratamiento y en la calidad de vida.

Objetivos: Evaluar el impacto de la educación sanitaria dirigida a adolescentes, en edades comprendidas entre 8 y 12 años, en tratamiento profiláctico en la Unidad de Hemofilia y Coagulopatías Congénitas del Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona.

Metodología: Estudio cuantitativo cuasi-experimental de un solo grupo. Los pacientes completarán cuestionarios *ad.hoc* para evaluar conocimientos previos. Acudirán a la consulta de enfermería para recibir sesiones de capacitación en el automanejo de la profilaxis (un mínimo de 4 sesiones). Finalizado el proceso los pacientes completarán cuestionarios *ad.hoc* para evaluar los conocimientos adquiridos y cuestionarios Haemo-Qol para evaluar calidad de vida. Se realizará un análisis descriptivo bivariado de las variables mediante chi cuadrado, t de Student, o Fisher. Se utilizará un nivel de significación de 0.05. Los análisis estadísticos serán realizados mediante el paquete informático SPSS v23.0.

Palabras Clave: Coagulopatías Congénitas, hemofilia, pacientes pediátricos, educación sanitaria, enfermería, calidad de vida.

Abstract

Introduction: Congenital Coagulopathies (CC) are complex, rare, and chronic disorders characterized by an increased tendency to bleed (spontaneously or with minimal trauma). Due to their low prevalence in the general population, most of them are rare diseases. Early diagnosis and prophylactic treatment in children has led to an increase of life expectancy in this population. In fact, nowadays it is similar to general healthy population. A multidisciplinary approach within specialized units is necessary for the comprehensive care of these patients. Health education provided by expert nurses during childhood/adolescence should be dynamic and adapted to different stages of growth. In early adolescence, self-management education regarding treatment and self-administration begins. Therefore, training and health education interventions carried out by nurses can improve the child's knowledge of their condition, influence treatment adherence, and improve quality of life.

Objectives: To evaluate the impact of health education targeted at adolescents, aged 8 to 12 years, receiving prophylactic treatment at the Hemophilia and Congenital Coagulopathies Unit of the Hospital Sant Joan de Déu in Barcelona.

Methodology: A quasi-experimental single-group quantitative study will be conducted. Patients will complete *ad hoc* questionnaires to assess their prior knowledge. They will attend nursing consultations to receive self-management training for prophylaxis (a minimum of 4 sessions). After the process is completed, patients will complete *ad hoc* questionnaires to evaluate the acquired knowledge and Haemo-Qol questionnaires to assess quality of life. A bivariate descriptive analysis of the variables will be conducted using chi-square, Student's t-test, and Fisher's test. A significance level of 0.05 will be applied. The statistical analyses will be performed using the SPSS software package v23.0.

Keywords: Congenital Coagulopathies, hemophilia, pediatric patients, health education, nursing, quality of life.

1 Introducció

Las Coagulopatías Congénitas (CC) son un grupo de enfermedades hemorrágicas que afectan los diferentes factores de la coagulación necesarios para producir un coágulo con normalidad. En muchas ocasiones, presentan una historia familiar conocida.

Se caracterizan por ser trastornos complejos, poco frecuentes y de carácter crónico con una mayor tendencia hemorrágica ya sean de carácter espontáneo o ante mínimos traumatismos (1).

Por su baja prevalencia en la población general la mayoría están tipificadas como enfermedades minoritarias, es decir afectan a menos de 5 personas por cada 10.000 habitantes. Además, son enfermedades crónicas que generan discapacidad (2).

Las CC más prevalentes son por déficit de factor VIII: Hemofilia A (HA), déficit de factor IX: Hemofilia B (HB) y la enfermedad de Von Willebrand (EVW). También existen otros déficits graves de otros factores de la coagulación mucho menos frecuentes.

El diagnóstico suele ser en la infancia y se realiza mediante pruebas funcionales, inmunológicas y test genéticos. El tratamiento dependerá del fenotipo hemorrágico. En su forma más grave, con sangrados espontáneos de repetición, el tratamiento estará basado principalmente en terapias sustitutivas del factor deficitario con estrategias de profilaxis primaria, mientras que los pacientes con fenotipo hemorrágico menos grave tenderán a recibir tratamiento a demanda(1,3).

La esperanza de vida en pacientes afectos de hemofilia y otras coagulopatías ha aumentado exponencialmente en los últimos cincuenta años equiparándose al resto de la población general. Para ello, han sido fundamentales diagnósticos cada vez más tempranos, acceso a medicación y en pacientes con fenotipos hemorrágicos graves iniciar tratamientos profilácticos en la primera infancia bajo la supervisión de un equipo multidisciplinar con la participación activa del paciente y su entorno familiar(4).

Actualmente, a nivel nacional se han creado unidades acreditadas de atención integral interdisciplinar para poder dar respuesta a los pacientes afectos de CC especialmente en sus presentaciones más graves, con sangrados espontáneos de repetición (3,5,6).

Dentro de estas unidades la figura de la “enfermera gestora de casos” es un pilar fundamental para garantizar una atención de calidad e integral de estos pacientes. El perfil de estas profesionales requiere de un alto grado de especialización y manejo del paciente afecto de CC dentro de las unidades (7). Las enfermeras que cuidan a estos pacientes con hemofilia y CC identifican como aspectos más importantes de su rol los referentes al ámbito del tratamiento, la educación y el apoyo a los pacientes y sus familias, la coordinación de los cuidados, y la contribución a la investigación (8).

1.1 Justificación

En 2019, con el objetivo de garantizar la continuidad asistencial con una atención integral a los pacientes con CC durante todas las etapas de su vida, se creó la “Unitat Integrada de Hemofilia i Malalties afins Hospital Sant Joan de Deú (HSJD sede pediátrica) - Hospital de Sant Pau (HSP sede adultos)”.

Dicha unidad, cuenta con la acreditación a nivel regional (XUEC) y por la red europea (EuroBloodNet) y en la actualidad está en proceso de acreditación nacional (CSUR).

La sede pediátrica HSJD cuenta desde enero de 2020 con la incorporación de dos enfermeras gestoras, con más de seis años de experiencia en el manejo de pacientes pediátricos con CC.

Actualmente, siguiendo las recomendaciones de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) el tratamiento de elección para el paciente con CC con fenotipos hemorrágicos graves es la profilaxis. Consiguiendo con ello prevenir la artropatía, mejorar la calidad de vida e igualar la esperanza de vida para este grupo de pacientes al resto de la población sana (3).

Las intervenciones en educación sanitaria dirigida a pacientes con CC durante la infancia y adolescencia se convierten en todo un reto para enfermería dentro de las unidades especializadas, ya que debe estar dirigida a satisfacer las necesidades cambiantes en el curso de la enfermedad y la vida del niño para que sea eficaz. El apoyo educativo requiere de una atención especial para hacer frente a transiciones críticas, cómo empoderar en la primera infancia a los padres/cuidadores con el manejo de la enfermedad y tratamientos de sus hijos o en qué momento dirigir las intervenciones al propio paciente para iniciarse en el autocuidado (9).

Actualmente no encontramos estándares definidos de práctica para la educación sanitaria del paciente dirigidas por enfermeras en el cuidado de pacientes con CC que puedan proporcionar alguna orientación a las enfermeras en la educación del paciente(10,11).

Existe un plan de estudios europeo dirigido a enfermeras, para el cuidado de pacientes con CC que proporciona métodos educativos, pero no un modelo o guía didáctica (10). Los pocos conceptos de educación y apoyo para el autocontrol en el cuidado de la hemofilia y CC disponibles en la actualidad rara vez están guiados por la teoría o se basan en la evidencia. La información y los materiales didácticos utilizados en esta área casi nunca se someten a evaluación (12).

La educación sanitaria impartida durante la infancia/adolescencia puede determinar la adherencia terapéutica y evolución de la enfermedad en la edad adulta, generando la necesidad de evaluar los programas formativos de capacitación/educación sanitaria dirigidos a familias/pacientes impartidas por las enfermeras gestoras de nuestro centro con la finalidad de conocer su efectividad.

El Hospital Sant Joan de Déu cuenta con el área de experiencia del paciente. Este departamento se encuentra dentro de la dirección de calidad y experiencia. Su función es detectar, investigar e integrar las necesidades y la voz, del paciente y su familia, en las mejoras y cambios que desarrolla el centro. El área está compuesta por antropólogos, ingenieros y diseñadores con un perfil investigador.

Recientemente el equipo de Experiencia del Paciente y la Unidad de Hemofilia del HSJD, han trabajado conjuntamente para entender toda la experiencia que el paciente hemofílico vive en el centro y en su cotidianidad; desde el diagnóstico hasta la transición a un hospital de adultos.

Para ello, se ha llevado a cabo un trabajo de campo en el cual se han realizado:

- 6 entrevistas a profesionales del área y personal implicado en el cuidado y trato con el paciente y la familia.
- 11 entrevistas a paciente y familia en el hogar y en el hospital. Debido al modo de suministro del tratamiento y la cronicidad de la enfermedad, es importante entender aquellas necesidades que se encuentran en su cotidianidad que dificultan la gestión de la Hemofilia.
- 2 entrevistas con entidades que tienen relación con los pacientes en entornos no hospitalarios; Asociación de hemofilia y Escuela.
- 3 observaciones en consulta. Los profesionales de Experiencia del Paciente al cargo del proyecto, han asistido a las consultas de los profesionales en modo observacional para entender las dinámicas, relaciones, consultas, información que se comparte entre profesional y familia/paciente.

Toda esta investigación ha permitido mapear la experiencia actual del paciente y detectar los momentos clave, en los que se podrían idear acciones que mejorasen esta experiencia que viven, familia y paciente, con la Hemofilia.

Para plasmar de manera visual esta experiencia, el equipo de *Experiencia del Paciente* ha definido un *Journey Map* (figura 1): una herramienta que ha permitido entender gráficamente las etapas de todo el proceso, desde la visión familia y paciente, y detectar aquellos momentos que necesitan un abordaje desde el hospital para mejorar la experiencia.

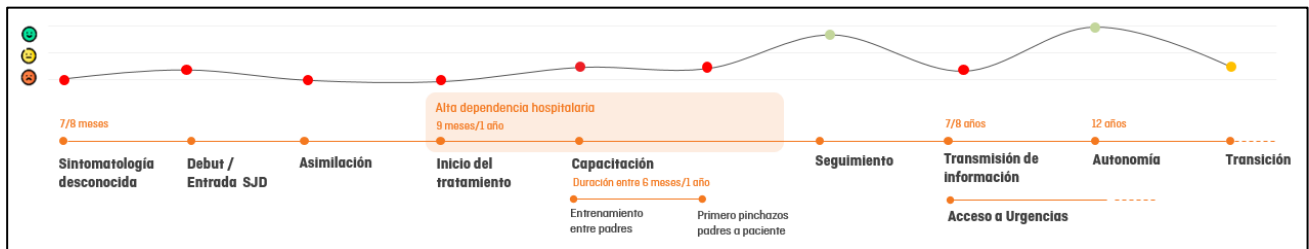


Figura 1. Journey Map. Experiencia del paciente con hemofilia grave HSJD. Datos extraídos de la propia experiencia del centro. Elaboración propia

Se ha observado, que las familias/pacientes viven los dos primeros años tras el diagnóstico cómo experiencias de gran impacto, mejorando cuando están capacitados para el automanejo en domicilio, pero entre los 7-8 años, momento en qué se produce el traspaso de información de padres a hijos, las familias lo identifican cómo una experiencia difícil de manejar, así como la transición al hospital de adultos.

2 Marco conceptual y estado actual del tema:

2.1 Coagulopatías congénitas (CC)

Las CC son trastornos complejos, poco frecuentes y de carácter crónico, caracterizados por presentar una mayor tendencia hemorrágica. Por su baja prevalencia en la población general la mayoría son tipificados como enfermedades minoritarias. Las principales CC son: La hemofilia, Enfermedad de Von Willebrand y déficits graves de otros factores de la coagulación (1).

Se diferencian dos grupos de pacientes según su fenotipo hemorrágico. Siendo la gravedad del mismo determinante para establecer las líneas de tratamiento.

- **Fenotipo hemorrágico grave:** generalmente son pacientes con déficits graves, aunque no siempre es así. Se caracterizan por sangrados en cualquier localización, con mucha avidez por el sistema osteo-articular. Se recomienda que reciban tratamiento profiláctico, cuyos beneficios han sido ampliamente demostrados. De hecho, la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) recomienda la profilaxis primaria precoz con los objetivos de evitar los sangrados y que los pacientes tengan una calidad de vida similar a las de personas sin coagulopatías congénitas (1,13,14).

- **Fenotipo hemorrágico no grave:** Estos pacientes, por lo general, presentan sangrados en piel y mucosas (epistaxis, hematomas, sangrado menstrual abundante...) y, por lo general, son candidatos a recibir tratamiento a demanda. No obstante, aunque el número de complicaciones hemorrágicas en este grupo de pacientes es menor, se ha demostrado que presentan una disminución de su calidad de vida en relación a los sangrados (1,13,14).

2.1.1 Hemofilia

La hemofilia es el trastorno hemorrágico hereditario más común, ligado al cromosoma X, en el cual la sangre no coagula de manera adecuada. Esto puede causar hemorragias tanto espontáneas como de carácter traumático.

Los factores de coagulación son proteínas necesarias para activar el proceso hemostático. Se diferencia la Hemofilia A (déficit de factor VIII de la coagulación)

y la Hemofilia B (déficit de factor IX de la coagulación). Según los niveles de factor en plasma se clasifican en: grave (< 1%), moderada, (1-5%) y leve (5- <40%). El fenotipo hemorrágico, generalmente, va de la mano del nivel de factor, pero esto no coincide en todos los casos (1).

La HA representa el 80-85% de los casos, siendo su prevalencia estimada 24,6 casos de todas las formas clínicas de HA por 100 000 nacimientos varones (9,5 casos de HA severa) y para la HB es 5 por 100 000 nacimientos varones (1,5 casos de HB severa) (15).

Según la herencia clásica mendeliana, para un varón hemofílico (cromosoma X afecto) todas sus hijas serán portadoras, pero tendrá hijos varones sanos. Una mujer portadora de hemofilia tendrá un riesgo del 25 % de concebir un hijo varón hemofílico, otro 25 % de tener una hija portadora y el 50 % de probabilidades de tener un hijo o hija sanos (Figura 2) (16).

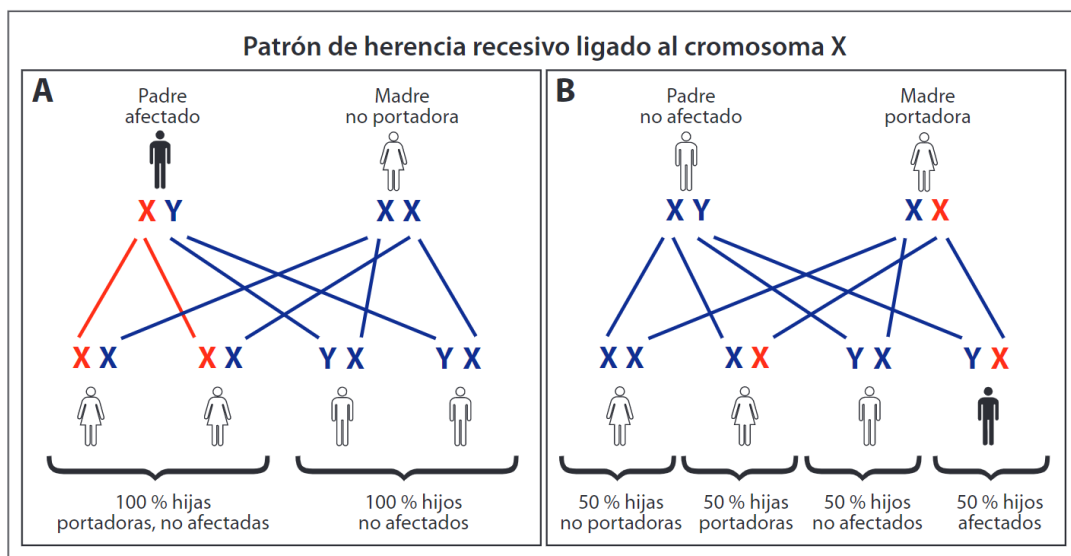


Figura 2. Patrón de herencia en hemofilia A. Se trata de una herencia recesiva ligada al cromosoma X: A. Patrón de herencia en caso de padre hemofílico y madre no portadora. B. Patrón de herencia en caso de madre portadora y padre no hemofílico. Extraído de Guías Españolas para el Manejo del paciente con Hemofilia. Álvarez, M.T et al. 2022.

Para el abordaje diagnóstico de la hemofilia se deben estudiar los antecedentes familiares y personales, las manifestaciones clínicas y el estudio de laboratorio.

Se sospecha por la presencia de un tiempo parcial de tromboplastina activado (TTPa) prolongado y se confirma con la disminución de la actividad coagulante

del factor VIII (FVIII), factor IX (FIX). En la actualidad es posible realizar el diagnóstico prenatal y de portadora de hemofilia por técnicas de análisis del ADN en las embarazadas de riesgo (17).

2.1.1.1 Clínica

La principal manifestación clínica de la hemofilia es la hemorragia. La gravedad de los sangrados suele estar relacionada con los niveles de factor en plasma y su fenotipo hemorrágico.

En su forma más grave, es decir inferior al 1%, habitualmente encontraremos pacientes con sangrado espontáneo antes de los 6-9 meses de edad o hemorragia intracraneal en el parto. En un estudio realizado por Kulkarni R et al. (18) en 580 neonatos entre los 0 y los 24 meses de edad, se encontró que el 75 % de los infantes fueron diagnosticados en el primer mes de edad, y el 90 %, antes de los 8 meses de edad.

En los casos moderados, con niveles de factor entre el 1 y el 5%, el sangrado aparece generalmente antes de los dos años de edad tras producirse traumas mínimos o post técnicas invasivas y cirugías. En los casos leves, con niveles de factor VIII o IX superiores al 5% e inferiores al 40%, el sangrado es raro y puede aparecer ante traumatismos importantes o post cirugía (3,13,19,20).

En líneas generales, la clínica hemorrágica de los pacientes con hemofilia se resume en:

- Sangrados articulares: hemartrosis, son las manifestaciones clínicas más frecuentes (65-90%). La localización suele ser en grandes articulaciones sinoviales como rodilla, codo, tobillo, hombro y cadera. Los sangrados articulares de repetición en una misma articulación pueden evolucionar hacia un daño articular conocido como artropatía hemofílica. Este se caracteriza por hipertrofia sinovial, desaparición de cartílago y atrofia muscular (1,13,17).
- Los hematomas musculares son la segunda causa más frecuente de hemorragias con una incidencia alrededor del 30%. Pueden complicarse con síndromes compartimentales e incluso shock hemorrágico. A largo plazo pueden producir atrofia muscular (17).

- La hemorragia intracraneal es la complicación más grave, constituye entre el 2 y 13% de las complicaciones hemorrágicas. Si no hay un tratamiento rápido puede causar la muerte (17).

También se pueden dar sangrados en otras localizaciones. Destacan la hematuria, la hemorragia gastrointestinal y orofaríngea (17).

2.1.2 Enfermedad de Von Willebrand

La EVW, es la coagulopatía hemorrágica más frecuente, con una prevalencia de 1-3% y 125 casos graves por 1.000.000 de habitantes (21). Las mejores estimaciones sobre la prevalencia de la hemofilia a nivel mundial se basan en los datos aportados por los registros nacionales y en las encuestas anuales recopiladas por la Federación Mundial de la Hemofilia (FMH).

El factor de von willebrand se sintetiza en las células endoteliales y en los megacariocitos, existiendo también una parte que se sintetiza a nivel plaquetario. La función del FVW es facilitar la adhesión de las plaquetas al subendotelio mediante la unión a las glicoproteínas de la membrana plaquetaria, siendo además la molécula transportadora del factor VIII, ya que lo protege de la degradación.

Como el FVW es la proteína transportadora del factor VIII de la coagulación, un descenso de FVW se acompaña de un descenso proporcional de factor VIII, de ahí que el bajo nivel de factor VIII contribuya a la expresión y gravedad del cuadro hemorrágico.

Existen distintos tipos de enfermedad dependiendo de la calidad/cantidad de FVW presente en plasma y/o plaquetas: (Tabla 1). (1, 2A, 2B, 2N, 2M y 3) con un diferente grado de afectación clínica y diversas peculiaridades diagnósticas (1).

Características de los diferentes subtipos de la enfermedad de von Willebrand					
EvW	FVIII	FvW: Ag	FvW: rico	RIPA	Estructura multimérica
Tipo 1	Disminuido	Disminuido	Disminuido	Disminuido	Normal en plasma y plaquetas
Tipo 2A	Disminuido o normal	Disminuido o normal	Disminuido	Disminuido	Ausencia de multímeros altos e intermedios en plasma
Tipo 2B	Disminuido o normal	Disminuido o normal	Disminuido o normal	Aumentado	Ausencia de multímeros altos e intermedios en plasma
Tipo 2M	Disminuido o normal	Disminuido o normal	Disminuido	Disminuido	Presencia de multímeros altos e intermedios en plasma y plaquetas
Tipo 2N	Moderada disminución	Normal	Normal	Normal	Normal en plasma y plaquetas
Tipo 3	Disminuido	Ausente	Ausente	Ausente	Ausente o trazas

EvW: enfermedad de von Willebrand; FvW Ag: factor Willebrand antigeno; FvW: RiC; FvW cofactor ristocetina; RIPA: agregación plaquetar inducida por ristocetina.

Tabla 1. Características de los diferentes subtipos de la enfermedad de von Willebrand. Extraído de Coagulopatías Congénitas. Páramo, J.A et al. 2012.

2.1.2.1 Clínica

La EVW presenta una gran variabilidad en cuanto a manifestaciones clínicas, caracterizada por hemorragias cutáneo-mucosas espontáneas, y/o tras intervenciones quirúrgicas y traumatismos. Merece la pena destacar las menorragias que con frecuencia son el signo revelador de formas leves y moderadas de la enfermedad. Le siguen en frecuencia: epistaxis, gingivorragias, hematurias, hematemesis y melenas (1,13).

2.1.3 Déficits graves de otros factores de la coagulación:

Son mucho menos frecuentes, pero también se pueden producir hemorragias por alteraciones de otros factores de coagulación: fibrinógeno, factor XIII, protrombina, factores V, X y XI (Tabla 2). Su espectro clínico es muy variable, por lo que su control exige un alto grado de especialización (1).

Defectos congénitos raros de factores de coagulación				
Deficiencia	Prevalencia	Clínica	Pruebas de coagulación	Tratamiento
Fibrinógeno (factor I)	1/1000.000	Hemorragia umbilical, mucosas y craneal	TT, TP y TTPA prolongados	Crioprecipitado, concentrado de fibrinógeno
Protrombina (factor II)	1/2000.000	Hemorragia mucosas, hemartrosis	TP y TTPA prolongados	CCP
Factor V	1/1000.000	Hemorragia mucosa moderada, hemartrosis y hematomas musculares	TP y TTPA prolongados	PFC
Deficiencia V y VIII	1/1000.000	Epistaxis y hemorragia postoperatoria	TP prolongado y desproporción en TTPA	PFC, concentrado FVIII y factor V
Factor VII	1/500.000	Espectro variable, hemorragia mucosa a intracraneal	TP y TTPA prolongados	Concentrado FVII, PFC
Factor X	1/1000.000	Hemorragia mucosa	TP y TTPA prolongados	PFC, CCP, ácido tranexámico
Factores dependientes de vitamina K	< 20 familias	Fenotipo variable, intracraneal, hemartrosis, gastrointestinal	TP y TTPA prolongados	Vitamina K, PFC, CCP
Factor XI	1/1000.000; en asquenazi 8%	Hemorragia moderada, dependiendo nivel de factor	TTPA prolongado	Ácido tranexámico, concentrado FXI
Factor XIII	1/1000.000	Hemorragia umbilical, intracraneal, hematomas, hemartrosis, alteración en la cicatrización	TP y TTPA normales, anomalía en la solubilidad del coágulo	Concentrado de FXIII, crioprecipitado

CCP: concentrado de complejo protrombinico; PFC: plasma fresco congelado; TP: tiempo de protrombina; TT: tiempo de trombina; TTPA: tiempo de tromboplastina parcial activado.

Tabla 2. Defectos congénitos raros de factores de coagulación. Extraído de Coagulopatías Congénitas. Páramo J.A et al. 2012.

2.1.3.1 Clínica

Todas estas deficiencias tienen una herencia autosómica recesiva. Clínicamente se expresan con hemorragias de mayor o menor intensidad, las manifestaciones clínicas más importantes aparecen en homocigotos, pero existe un número importante de individuos heterocigotos asintomáticos que pueden presentar hemorragias en caso de intervenciones quirúrgicas. En las mujeres, además, pueden aparecer menstruaciones abundantes que provocan anemia ferropénica crónica (22).

2.2 Tratamiento de las CC

La base del tratamiento de las hemorragias en pacientes con CC es la terapia sustitutiva con concentrados de factor para obtener una hemostasia adecuada. En el caso de las hemofilias existen en el mercado concentrados específicos de factor VIII y IX. En el caso de la Hemofilia A también se dispone de terapia sustitutiva con emicizumab en contraposición a la terapia de reemplazo (3,17,22,23).

Para el tratamiento específico de la EVW los concentrados, denominados de FVIII de pureza intermedia de origen plasmático, sometidos a inactivación vírica, producen un incremento importante e instantáneo de los niveles plasmáticos de FVW (13).

Para el tratamiento de otros déficits graves de la coagulación no se dispone en todos los casos de concentrado del factor deficitario, y hay que recurrir a concentrado de complejo protrombínico y plasma fresco congelado (tabla 2) (1).

2.2.1 Concentrados de factores de coagulación (CFC)

Desde los años 70 se dispone de concentrados de FVIII y FIX, inicialmente de origen plasmático. En la década de los 80, estos concentrados de origen plasmático fueron devastadores para los pacientes con hemofilia ya que provocaron la transmisión del Virus de la Inmunodeficiencia Humana y de la Hepatitis C. Actualmente encontramos en el mercado concentrados seguros de origen plasmático y recombinantes inactivados frente a virus (Figura 3) (4).

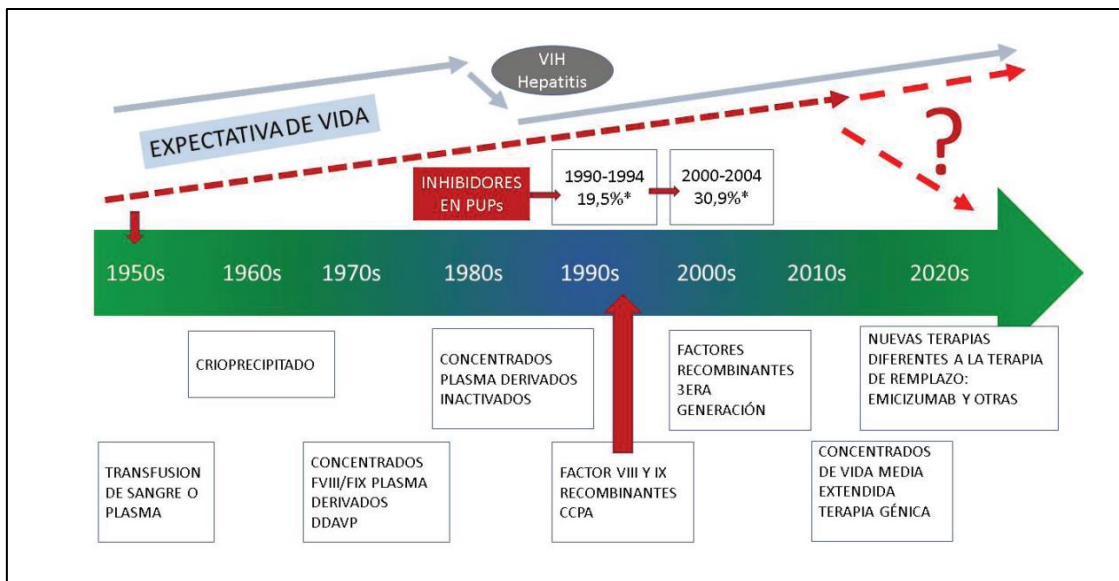


Figura 3: Tratamiento de la hemofilia y terapias innovadoras. Extraído de Tratamiento moderno de la hemofilia y el desarrollo de terapias innovadoras. Ruiz-Sáez A, 2021.

El tratamiento con concentrados de factores de coagulación (CFC) puede administrarse cuando se produce un episodio hemorrágico y/o de forma profiláctica (en los fenotipos hemorrágicos graves) que consiste en tratar con dosis fijas sin que haya un proceso agudo. El objetivo es mantener niveles de factor en plasma y así prevenir los sangrados. Un estudio publicado por Manco-Johnson en 2007 demostró que la profilaxis es más eficaz que el tratamiento a demanda en la prevención de la artropatía hemofílica (24).

La mayor dificultad de la profilaxis con CFC es la administración endovenosa, sobre todo en población pediátrica. De hecho, el primer año de profilaxis genera una alta dependencia hospitalaria dado que se ha de capacitar a los padres/cuidadores para la administración endovenosa en domicilio.

2.2.2 Tratamiento profiláctico de las CC

Actualmente, siguiendo las recomendaciones de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) el tratamiento de elección para el paciente con CC con fenotipos hemorrágicos graves es la profilaxis. Esto consigue prevenir la artropatía, mejorar la calidad de vida e igualar la esperanza de vida para este grupo de pacientes al resto de la población sana (3).

Se distinguen cuatro tipos de profilaxis(25):

- Profilaxis primaria: tratamiento regular y continuado. Se comienza antes del inicio de la lesión articular, después de la primera hemorragia articular y antes de los 3 años de edad.
- Profilaxis secundaria: tratamiento regular y continuado. Se comienza después de dos o más hemorragias articulares y antes del inicio de una lesión articular.
- Profilaxis terciaria: tratamiento regular y continuo. Se inicia después de que se han producido lesiones articulares.
- Profilaxis intermitente o periódica: se aplica para prevenir hemorragias durante periodos cortos.

2.2.3 Inhibidores

Una manera en la que nuestro sistema inmunológico está diseñado para protegernos de elementos ajenos es con la producción anticuerpos. Una persona con hemofilia no produce factor de coagulación, o produce un factor alterado y disfuncional. Cuando estas personas son expuestas a concentrados de factor para reemplazar el factor de coagulación (FVIII o FIX) que no tienen o que tienen en forma alterada, el sistema inmunológico podría percibir a los concentrados como una proteína ajena al cuerpo y desarrollar aloanticuerpos neutralizantes, llamados inhibidores, contra los primeros. Esto, a su vez, hace que el concentrado de factor de reemplazo resulte ineficaz para el tratamiento o la prevención de hemorragias. La aparición de inhibidores es un problema mucho más común en personas con hemofilia A que con hemofilia B (26).

2.2.4 Emicizumab: Agente hemostático para el tratamiento profiláctico con HA

Se conoce cómo la terapia no sustitutiva en hemofilia, en la cual el agente hemostático alternativo sustituye la función del factor de coagulación deficitario, en contraposición a la terapia de reemplazo o sustitutiva en la que se administra el factor de coagulación deficitario (3).

El emicizumab es un anticuerpo biespecífico quimérico que se une a los FIXa y FX, mimetizando la función de cofactor del FVIII en paciente con hemofilia A. lo cual resulta en la activación del FX (producción de FXa) sin necesidad de la

intervención del FVIII, iniciando así la vía final común que da lugar a la generación de trombina (23).

Los principales beneficios del emicizumab son su vía de administración subcutánea, la vida media prolongada, que permite una posología de mantenimiento de hasta cada 4 semanas; así como la alta eficacia en la prevención de sangrados en pacientes con hemofilia A.

2.3 Centros de Tratamiento integral de las CC

Dada la baja prevalencia y la complejidad del manejo de pacientes con CC es esencial que los pacientes tengan acceso a una atención integral formada por equipos multidisciplinares de especialistas, tanto enfermeras como hematólogos, rehabilitadores, traumatólogos, psicólogos, cirujanos y resto de profesionales del ámbito sanitario (27).

Ofrecer una asistencia de calidad a las personas con hemofilia requiere cierto grado de experiencia y capacitación. Dicha asistencia se inicia desde el mismo momento del diagnóstico y se prolonga durante toda la vida del paciente.

La FMH en sus últimas recomendaciones, publicadas en 2020, describe los elementos fundamentales de un programa coordinado de atención a los pacientes con hemofilia. La existencia de un manejo integral de los pacientes por parte de un equipo multidisciplinar, una red nacional o regional de centros de tratamiento de la hemofilia, un registro nacional de pacientes con hemofilia, procesos consolidados para la adquisición y distribución de terapias seguras y eficaces, acceso equitativo a estos servicios y reconocimiento de las diferencias socioeconómicas y culturales dentro de cualquier comunidad, región o país son los pilares que sustentan el cuidado integral de los pacientes con hemofilia (14). Asimismo, se especifica que este tratamiento multidisciplinario se debe realizar a través una red de centros de hemofilia capaces de ofrecer esta visión integradora. Las prioridades para garantizar los mejores resultados de salud y calidad de vida deben incluir:

- Prevención de los sangrados y de los daños articulares.
- Atención rápida de los episodios de hemorragia, incluida la fisioterapia y la rehabilitación en el seguimiento.
- Una atención de urgencia adecuada.
- Manejo del dolor.
- Gestión de las complicaciones musculoesqueléticas y de los pacientes que desarrollen inhibidor.
- Manejo de las comorbilidades.
- Evaluación psicosocial periódica y apoyo según las necesidades específicas.
- Educación continua sobre el tratamiento y el autocuidado para las personas y las familias que viven con hemofilia.(3,28).

2.4 Currículum de la Enfermera experta en CC

A pesar de que no existe un consenso claro sobre las competencias que deben tener las enfermeras que se dedican a la atención de personas con CC, instituciones como la FMH, en la tercera edición de las Guías para el manejo de la hemofilia (2020), incluye a enfermería en los cuidados del paciente con hemofilia, incluyendo al colectivo enfermero dentro del equipo multidisciplinar. Las enfermeras deben formar parte de este equipo para la consideración de centro de tratamiento integral para el cuidado de la hemofilia, considerándolas el núcleo del equipo multidisciplinar junto con el resto de profesionales médicos, rehabilitadores o fisioterapeutas, el/la especialista de laboratorio y los/las trabajadores sociales. Además, insisten en que los/las profesionales de enfermería deben tener una formación específica en el manejo de coagulopatías congénitas (3,14).

Por otro lado, la European Association of Hemophilia and Allied Disorders (EAHAD) ha diseñado un currículum con el objetivo de definir el conocimiento y las habilidades necesarias para desarrollar la práctica asistencial. El grupo de trabajo de enfermería de la EAHAD decidió preparar un catálogo de las habilidades y conocimientos que debe poseer una enfermera para trabajar con pacientes con hemofilia ya que el conocimiento adquirido en el entorno laboral

es apreciado, pero debe estructurarse para lograr un efecto óptimo y realizar programas educativos coordinados. Según el modelo de Dreyfus, para alcanzar el nivel de experto se distinguen cinco etapas de conocimientos técnicos (14,29).

- Nivel 1. Principiante: sigue las políticas, los procedimientos y los principios, centrándose en un aspecto de la atención en cada momento, y tiene poca percepción de la situación en general.
- Nivel 2. Principiante avanzado: comienza a reconocer y priorizar la necesidad de realizar acciones. Toma decisiones limitadas a medida que aumentan el conocimiento de la situación y la experiencia.
- Nivel 3. Competente: comprende los principios y objetivos de las políticas y los procedimientos y se enfrenta a situaciones incompletas pero predecibles. Reconoce los problemas reales y potenciales y responde adecuadamente seleccionando y priorizando las acciones con eficacia.
- Nivel 4. Capaz/cualificado: demuestra una sólida racionalidad en la atención a situaciones complejas y exigentes, muestra amplias habilidades prácticas adecuadas a las necesidades de la persona con hemofilia y su familia y aplica una toma de decisiones intuitiva.
- Nivel experto: inicia prácticas innovadoras y es proactivo a la hora de influir en la política y los procedimientos, demuestra la excelencia y actúa como un modelo a seguir. Puede hacer frente a la complejidad y las contradicciones en el conocimiento especializado y evalúa críticamente el uso de la teoría y la investigación en la práctica.

El grupo de enfermeras de la EAHAD ha determinado que el punto de referencia para considerar a una enfermera “de hemofilia” se establece en el nivel 3, competente, con indicadores de progresión al nivel 4, capaz/cualificado.

2.5 Programas de Educación Sanitaria/Capacitación

Para un buen manejo de la enfermedad, es necesario realizar intervenciones educativas eficaces. Esto requiere de enfermeras altamente capacitadas(10). Las intervenciones educativas deben basarse en estándares conceptuales.

Siguiendo las pautas internacionales las enfermeras desempeñan un papel crucial en el apoyo a las personas con CC para el automanejo de la enfermedad (30).

Dado que el diagnóstico suele darse en la primera infancia(3) la educación del niño y sus cuidadores es competencia de enfermería. Esta educación debe realizarse de una forma dinámica y cambiante según las etapas de crecimiento del niño. Aunque la educación del paciente se considera una tarea esencial para las enfermeras en el cuidado de la hemofilia(3,28), en la mayoría de los casos se realiza de manera secundaria durante las visitas de rutina.

A menudo no está claro qué necesidades educativas tienen las personas con discapacidad y sus cuidadores y qué intervenciones educativas se necesitan para abordarlas. Además, se sabe poco sobre qué tareas educativas realizan las enfermeras en su práctica clínica, cómo y con qué efectos las realizan y en qué conceptos didácticos se basan realmente.

En la reciente revisión bibliográfica de Ballmann y Ewers, con el objetivo de obtener conocimientos más profundos sobre la educación de la paciente dirigida por enfermeras en el cuidado de la hemofilia reflejaron que las necesidades educativas de los pacientes con CC y sus familias son amplias, multifacéticas y variables, pero rara vez se evalúan sistemáticamente.

Por último, en un estudio multicéntrico en tres centros de tratamiento de hemofilia en Holanda centrado en cómo los adolescentes logran el autocontrol en tratamiento y manejo de la hemofilia concluye que, aunque los primeros pasos en el autocontrol con respecto a la autoadministración se dan en la adolescencia temprana alrededor de los 9-11 años, el autocontrol completo en las habilidades de autogestión se logran durante la adolescencia tardía (detectar hemorragias, tomar decisiones de dosificación, comunicación con equipo multidisciplinar de salud, gestión de las existencias y materiales de medicación, etc.). Estiman en una media de 21,9 años la edad en la que los pacientes están completamente capacitados y manejan su enfermedad de forma autónoma (31).

3 Revisión bibliográfica

La búsqueda bibliográfica se ha realizado en las bases de datos: Cuiden, Cinahl, Dialnet, Pubmed/Medline. En la Tabla 3, se pueden observar los descriptores utilizados. Se utilizaron los operadores booleanos OR/AND.

Palabras Clave	Sinónimos en Castellano	Inglés
Coagulopatías Congénitas	Coagulopatías hereditarias Trastornos hemostáticos congénitos	Congenital Coagulopathies
Hemofilia	Diátesis hemorrágica	Hemophilia
Pacientes pediátricos	Población pediátrica	Pediatric patients
Educación sanitaria	Capacitación sanitaria Educación para la salud	Health education
Enfermería	Enfermera	Nurse, Nursing
Calidad de vida	Nivel de bienestar	Quality of life

Tabla 3. *Descriptores usados en la búsqueda*

Tras la búsqueda se han tenido en cuenta publicaciones en revistas especializadas en coagulopatías congénitas como Haemophilia, (official journal of both the World Federation of Hemophilia and the European Association for Haemophilia and Allied Disorders) y a las guías de expertos como la de la Federación Mundial de Hemofilia, Guías españolas para el manejo de pacientes con hemofilia y la Real Fundación Victoria Eugenia.

Cómo criterios de inclusión se han seleccionado artículos publicados en los últimos 10 años, aunque se han hecho algunas excepciones en casos donde su importancia es relevante para el área de investigación. Además, se han incluido únicamente aquellos escritos en castellano o inglés. Se ha descartado cualquier estudio que, tras su revisión, no proporcionara información pertinente al proyecto. Después de llevar a cabo la búsqueda de información, comenzando desde conceptos generales, se ha procedido a afinar la búsqueda dentro de los temas de interés específicos, con el objetivo de obtener datos más precisos. La selección de artículos se ha realizado en función del título y del resumen y exclusivamente se ha leído el texto completo en aquellos que cumplían los criterios de inclusión. Se han seleccionado 33 artículos.

4 Aportaciones de interés

La educación sanitaria dirigida a pacientes con CC durante la infancia y adolescencia presenta un desafío para los profesionales de enfermería que trabajan en unidades especializadas. Esta educación debe adaptarse a las necesidades cambiantes del niño a lo largo del curso de la enfermedad y de su vida, a fin de lograr resultados efectivos.

Uno de los objetivos más importantes a los que debe dar respuesta el equipo enfermería de la Unidad de Hemofilia es el de capacitar a los pacientes con CC enseñándoles a manejar su atención en el hogar y, por lo tanto, deberían poder demostrar comprensión sobre cómo reconocer hemorragias y su habilidad para infundir o auto administrarse la medicación. Así lo refleja la guía de la Federación Mundial de Hemofilia en su recomendación 2.5.1 (3).

La educación sanitaria impartida durante la infancia y adolescencia puede tener un impacto significativo en la adherencia al tratamiento y en la evolución de la enfermedad en la edad adulta. Por lo tanto, es necesario evaluar la efectividad de los programas formativos y de educación sanitaria dirigidos al propio niño, impartidos por las enfermeras gestoras de nuestro centro, con el fin de obtener información sobre su eficacia.

Actualmente, existe una falta de estudios de investigación previos de este tema. La finalidad de este trabajo es identificar y evaluar el empoderamiento del niño en el autocuidado. Los resultados de este trabajo van a objetivar el aprendizaje, así como la percepción de la calidad de vida de los pacientes con CC para el grupo de edad estudiado.

Los resultados que nos aporte este estudio servirán de guía teórica, basada en la evidencia, para el desarrollo y la implementación de futuras capacitaciones y educaciones sanitarias dirigidas a adolescentes hasta llegar a la etapa adulta.

5 Objetivos

5.1 Objetivo general

Evaluar el impacto de la educación sanitaria dirigida a adolescentes en edad comprendida entre 8 y 12 años en tratamiento profiláctico, en la consulta enfermera de la Unidad Hemofilia y Coagulopatías Congénitas del Hospital Sant Joan de Déu.

5.2 Objetivos específicos

- Identificar el grado de conocimiento por parte del niño/adolescente relacionado con su coagulopatía previo a la formación. La evaluación de será a través de un cuestionario *ad.hoc* de elaboración propia.
- Evaluar la capacidad de autotratamiento por parte del adolescente en la administración de la medicación. Para la evaluación de esta formación se comprobará que ha adquirido todos los conocimientos detallados en el Check-list de capacitación para la autoadministración de factor endovenoso.
- Evaluar la tasa de adherencia al tratamiento calculada mediante el porcentaje de registro de administración de medicación a través de la aplicación FlorioHaemo®.
- Identificar el impacto en la calidad de vida de los pacientes con CC. Mediante la cumplimentación del cuestionario de calidad de vida para niños de 8-12 años con hemofilia validado.
- Identificar las necesidades formativas de los pacientes. Tras las sesiones de capacitación/formación. La evaluación de la formación será a través del mismo cuestionario *ad.hoc* de elaboración propia que se les pasó previo a la formación.
- Evaluar el grado de satisfacción con la formación recibida por parte de las enfermeras gestoras. El cuestionario *ad.hoc* que cumplimentarán tras la formación constará de 3 preguntas más para evaluar este ítem.

5.3 Hipótesis

Las intervenciones de educación sanitaria realizadas en la consulta de CC por una enfermera gestora de casos a pacientes adolescentes en edad temprana mejoran los conocimientos de su patología, el automanejo de tratamiento, la adherencia terapéutica y tienen una buena percepción de su calidad de vida.

6 Método

6.1 Diseño y metodología

Estudio cuantitativo cuasiexperimental pretest posttest de un solo grupo. Muestreo intencionado no probabilístico. Para este estudio se incluirán a todos los pacientes que cumplan los criterios de inclusión, siendo estos pacientes con CC en profilaxis entre 8 y 12 años del Hospital Sant Joan de Déu (HSJD), en el periodo de enero de 2024 a diciembre 2026.

6.1.1 Ámbito de estudio

La unidad forma parte de La Unitat Integrada d'Hemofilia y Malalties afins Hospital San Joan de Déu (SJD) – Hospital Sant Pau (HSP), acreditada como Unitat de Expertesa Clínica a nivel regional (XUEC) y por la Red Europea (EuroBloodNet) y actualmente está en proceso de acreditación nacional como unidad de referencia del Sistema Nacional de Salud que proporcionan asistencia a personas afectadas de coagulopatías congénitas (CSUR). Nuestro centro atiende a pacientes pediátricos hasta la mayoría de edad y se encarga de su transición al centro de adultos.

Este estudio se llevará a cabo en la consulta enfermera de la Unidad Integral de Hemofilia y CC del Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona.

6.2 Población y muestra

6.2.1 Selección de la muestra

En este estudio se incluirán a todos los pacientes con CC en tratamiento con profilaxis entre 8 y 12 años que cumplan los criterios de inclusión.

6.2.2 Diseño del muestreo

Para este estudio, se realizará un enfoque de selección de muestra no probabilística, en el que se incluirán todos los pacientes que cumplan los criterios de inclusión y accedan a participar durante el período de estudio.

En la actualidad, se atiende a más de 150 pacientes con CC. De ellos, 60 presentan un fenotipo hemorrágico grave y reciben tratamiento profiláctico. La muestra final consistirá en 15-20 pacientes. Estos serán los que estarán en ese momento en edades comprendidas entre 8 y 12 años, en tratamiento profiláctico, y podrán recibir la educación sanitaria para el automanejo de su enfermedad.

6.2.3 Criterios de inclusión

Pacientes entre 8 y 12 años, diagnosticados de CC, con un fenotipo hemorrágico grave y que reciben tratamiento profiláctico durante el periodo de estudio (enero 2024 - diciembre 2026).

6.2.4 Criterios de exclusión

Pacientes con problemas cognitivos y/o de aprendizaje que no les permita asumir los conocimientos.

Pacientes que no deseen participar.

6.3 Variables

6.3.1 variables independientes:

- Sociodemográficas:
 - Edad Cuantitativa continua discreta
 - Sexo Cuantitativa nominal dicotómica
 - nivel de estudios Cualitativa ordinal
 - progenitores (convivientes) Cuantitativa discreta
 - número de hermanos/as Cuantitativa discreta

- Variables Clínicas
 - Tipo de CC Cualitativa nominal
 - Características de la profilaxis Cualitativa nominal

6.3.2 Variables dependientes:

- Adherencia terapéutica Cuantitativa nominal
- Evaluación formación Cuantitativa discreta
- Impacto calidad de vida Cuantitativa discreta

La recogida de datos de las variables sociodemográficas y clínicas se obtendrán a través de la historia clínica del paciente.

6.4 Instrumentos de medida

El objetivo de las intervenciones capacitaciones/educación sanitaria es empezar a empoderar al propio paciente en el manejo de su enfermedad. Objetivar el aprendizaje y valorar la percepción de calidad de vida del niño/adolescente permitirá valorar y planificar los cuidados basados en las necesidades observadas.

- Adherencia Terapéutica:
 - Mide en % la adherencia al tratamiento entre otros parámetros. La aplicación florio HAEMO® (32) está diseñada para empoderar y apoyar las vidas activas de las personas con hemofilia en tratamiento profiláctico con productos de reemplazo de factor. Permite realizar un seguimiento sin esfuerzo de eventos que incluyen inyecciones, hemorragias, dolor y actividad física y control de stock de medicación. La plataforma florio HAEMO® proporciona a los equipos de atención médica acceso en tiempo real a los datos contextualizados de los pacientes, para obtener información registrada por el paciente cómo es la administración de profilaxis en domicilio (Anexo1).

- **Evaluación Formación:**
Cuestionario *ad.hoc* de elaboración propia, se parará al iniciar y finalizar la capacitación formación (Anexo 2 y 3).

- **Impacto en la calidad de vida:**
Cuestionario HAEMO-QoL. Cuestionario para niños y adolescentes Versión larga para niños edad: 8-12 (33).
Cuestionario de Calidad de vida para niños con hemofilia. El objetivo es examinar aspectos de calidad de vida en campos específicos de la hemofilia. Es una medida de autoinforme con 64 ítems en 4 dominios: Físico, social, emocional, psicosocial.
Haemo- Qol utiliza escala Likert de 5 puntos que van del 1 al 5 en todas las respuestas. Las puntuaciones más bajas sugieren mejor calidad de vida. El cuestionario también incluye dos preguntas abiertas en las que los pacientes pueden comentar cualquier aspecto que consideren importante (Anexo 4). Se han solicitado los permisos pertinentes a los autores para el uso de la misma (Anexo 5).

6.4.1 Metodología de Recogida de datos

La recogida de datos la realizarán las enfermeras gestoras de la unidad de CC dentro de las diferentes visitas.

Cuando acudan los pacientes a visitas de control multidisciplinar (de carácter semestral), si el paciente cumple los criterios de inclusión se le explicarán los objetivos, métodos e implicaciones del estudio de forma oral y escrita (Anexo 5), se solicitará la firma de consentimiento informado por parte de los padres y/o tutores legales (ANEXO 7), así como el asentimiento por parte del menor (Anexo 8).

Los pacientes que accedan a participar en el ensayo se les pasará un cuestionario de conocimientos previos a la formación (Anexo 2). Seguidamente, en las visitas de control, se realizarán las sesiones de capacitación/educación sanitaria dirigidas al niño. Para completar la formación, se realizarán un mínimo de 4 sesiones, con una duración estimada de 1 hora por sesión.

Por un lado, en la primera sesión la educación sanitaria se centrará en el conocimiento general de la patología, para ello se utilizará material de soporte de elaboración propia del centro (Anexo 9). El resto de sesiones se destinarán a la capacitación para la autoadministración de factor endovenoso (Anexo 10).

Finalizado el proceso de formación volveremos a pasar el cuestionario *ad.hoc* para evaluar los conocimientos tras la formación recibida. Este cuestionario además cuenta con 3 preguntas que valorarán la formación recibida por parte de las enfermeras gestoras de la unidad (Anexo 3).

Además, cumplimentarán el cuestionario HAEMO – QoL para niños y adolescentes Versión larga para niños edad: 8-12 (Anexo 4).

En la figura 4 se puede observar el algoritmo de procedimiento de la recogida de datos:

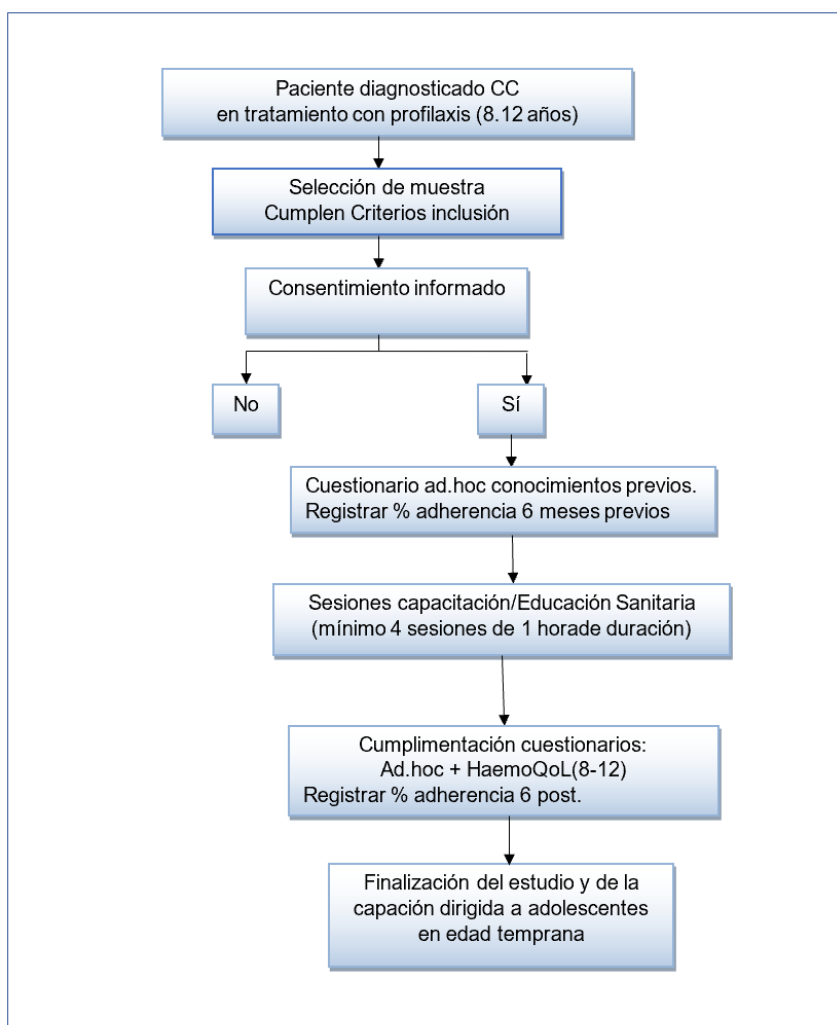


Figura 4. Algoritmo de recogida de datos

6.5 Análisis de datos

Para las variables cualitativas los resultados se expresarán en frecuencias, porcentajes e intervalos de confianza. Para variables cuantitativas, los resultados se expresarán mediante: medias y desviaciones estándar; mediana y rangos intercuartiles.

Los análisis estadísticos incluirán la comparación de frecuencias de variables categóricas entre grupos mediante el test de chi-cuadrado o el test exacto de Fisher. Para la comparación de variables cuantitativas entre grupos se utilizará el test t de Student en caso de distribución normal, y en caso de distribución no normal se utilizará el test no paramétrico U de Mann-Whitney. Para comparar 5 variables cuantitativas dentro de los mismos sujetos en momentos diferentes de tiempo, se utilizará el test de t de Student para muestras apareadas en caso de distribución normal, y el test no paramétrico de Wilcoxon en caso de distribución no-normal. Se considerarán significativos los resultados de los test estadísticos con p-valor por debajo de 0.05. Los análisis serán realizados mediante el paquete informático SPSS v23.0 (Armonk, NY: IBM Corp.)

7 Cronograma

Se elabora un plan de trabajo mediante la temporalización del estudio que permitirá una utilización y desarrollo en el tiempo más flexibles.

Plan de trabajo:

Duración: 36 meses (enero 2024-diciembre 2026)

Fase 1: Reunión y presentación del equipo investigador y clínico. Presentación del protocolo del proyecto al Comité ético: 1 mes

Fase 2: Selección de participantes: 6 meses

Fase 3: Educación sanitaria/capacitaciones: entrega/recogida de cuestionarios: 30 meses

Fase 4: Introducción de datos: 27 meses

Fase 5: Análisis de datos: 2 meses

Fase 6: Redacción de resultados: 2 meses

Fase 7: Redacción de Conclusiones: 2 meses

Fase 8: Difusión de Resultados: 2 meses

Las diferentes fases se pueden observar en el siguiente diagrama de Gantt (Tabla 4):

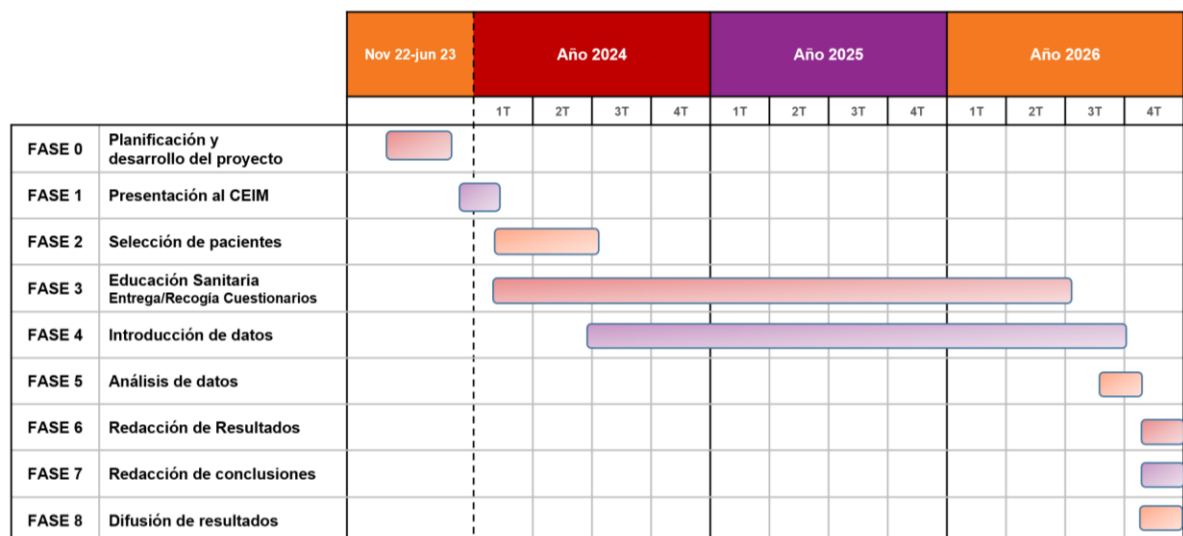


Tabla 4. Diagrama de Gantt

8 Consideraciones éticas y legales

El estudio se iniciará tras la obtención de idoneidad del protocolo por parte del Comité de Ética e Investigación (CEIm) del Hospital Sant Joan de Déu (Anexo 11). Este estudio se realizará en cumplimiento de los principios éticos básicos en investigación clínica establecidos por la Declaración de Helsinki (versión en vigor; actualmente Fortaleza, Brasil, octubre 2013) y la ley 14/2007, del 3 de julio, de Investigación biomédica. El tratamiento, la comunicación y la cesión de los datos de carácter personal de todos los participantes se ajustará al cumplimiento del Reglamento UE 2016/679 del Parlamento Europeo y del Consejo de 27 de abril de 2016 relativo a la protección de las personas físicas en cuanto al tratamiento de datos personales y la libre circulación de datos, siendo de obligado cumplimiento a partir del 25 de mayo del 2018. La base legal que justifica el tratamiento de sus datos es el consentimiento informado (Anexo 7) que se da en este acto, conforme a lo establecido en el artículo 9 del Reglamento UE 2016/679. La identidad de los participantes no estará al alcance de ninguna otra persona a excepción de un requerimiento legal. Podrán tener acceso a la información personal identificada, las autoridades sanitarias, el Comité de Ética de Investigación y personal autorizado por el promotor del estudio, cuando sea necesario para comprobar datos y procedimientos del estudio, siempre manteniendo la confidencialidad de acuerdo con la legislación vigente. Además de los derechos que ya contemplaba la legislación anterior, ahora los participantes también pueden limitar el tratamiento de datos recogidos para el proyecto que sean incorrectos, solicitar una copia o que se trasladen a un tercero (portabilidad). Para ejercitar estos derechos deberán dirigirse al investigador principal del estudio. El protocolo de este proyecto está basado en la práctica clínica habitual, el paciente no será sometido a ninguna intervención experimental adicional. Será presentado y estará pendiente de aprobación por parte del comité de ética del Hospital Sant Joan de Déu.

9 Presupuesto

El coste total de la investigación se estima en 4300 euros. En la tabla 5 se puede observar el desglose de conceptos.

CONCEPTO	Importe
Gastos de personal	0 €
Análisis Estadístico estudio	600 €
Material Oficina	200 €
Presentación a Congresos	2000 €
Traducción de artículos	1500 €
Total, Presupuesto	4300 €

Tabla 5. Presupuesto

10 Implicaciones para la práctica clínica y líneas futuras de investigación

Las nuevas líneas de tratamiento y el uso de profilaxis en pacientes con CC ha equiparado la esperanza de vida al resto de la población sana. La atención de estos pacientes debe realizarse desde unidades especializadas de atención integral a través de equipos multidisciplinares.

Dadas las características de la profilaxis la educación sanitaria durante la infancia y el empoderamiento en el automanejo del niño es uno de los retos de enfermería.

En la adolescencia temprana es cuando la mayoría de los niños con CC en tratamiento profiláctico empiezan hacerse preguntas sobre su enfermedad, y a mostrar interés en el automanejo de la misma.

Existe una falta de estudios de investigación previos de este tema. La finalidad de este trabajo es identificar y evaluar el empoderamiento del niño en el automanejo. Los resultados de este estudio van a objetivar el aprendizaje, así como la percepción de la calidad de vida de los pacientes con CC para el grupo de edad estudiado. Esto será de gran interés para la continuidad en los cuidados durante la adolescencia y para la planificación de las futuras intervenciones de educación sanitaria hasta llegar a la edad adulta. Por otro lado, mostrar los resultados de este estudio servirán como guía y ayudará a la planificación y elaboración de materiales didácticos para futuras capacitaciones/educaciones sanitarias realizadas por las enfermeras gestoras de casos expertas en CC.

Es necesario seguir investigando en este campo, así como la publicación de los resultados en revistas científicas especializadas en el ámbito de estudio.

11 Limitaciones del estudio

Este proyecto se ve sometido diversas limitaciones:

- El tamaño de la muestra debido a que las CC por su baja prevalencia en la población general están tipificadas como enfermedades minoritarias.
- Pérdida del tamaño muestral: Puede darse el caso de que no todos los padres/pacientes estén dispuestos a participar en el estudio, en este caso, está previsto alargar el periodo de estudio 1 año más con la finalidad de conseguir el máximo de participantes posibles.
- Al tratarse de un estudio únicéntrico las conclusiones derivadas de este no podrán generalizarse al resto siendo solo válidas para nuestra población de estudio o los de similares características. Estudiar este tipo de intervención en otros centros podría servir para comparar resultados y tener un conocimiento más profundo de este tema.
- Falta de estudios previos sobre el tema a investigar.

12 Bibliografía

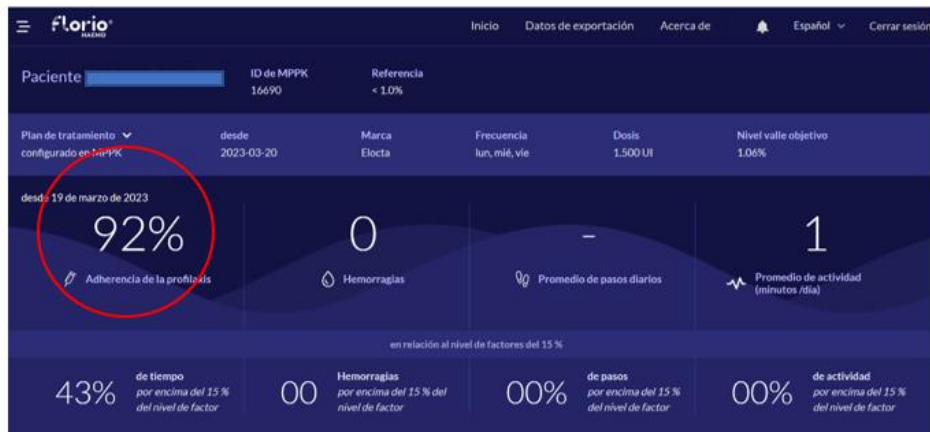
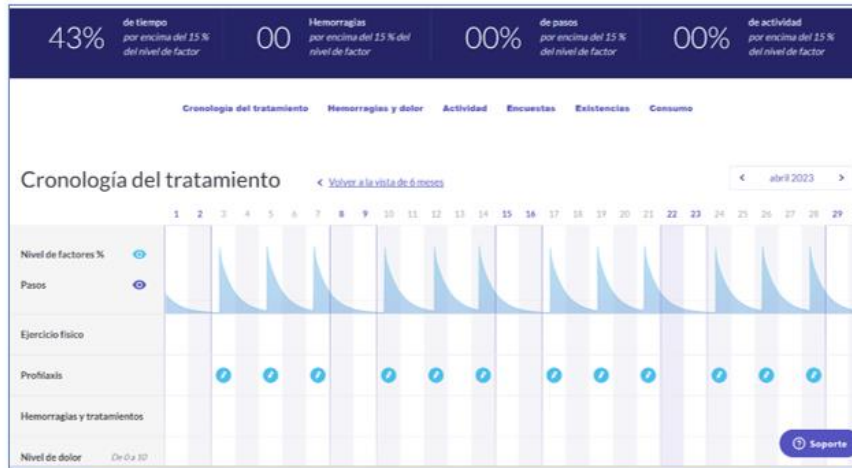
1. Páramo Fernández JA, Fernández Del Carril A, Martínez-Calle N. Coagulopatías congénitas. *Medicine - Programa de Formación Médica Continuada Acreditado*. 2012 Nov 1;11(22):1353–8.
2. Baxter P. Rare or orphan diseases - a useful political concept. *Dev Med Child Neurol*. 2012 Jul;54(7):579.
3. Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, Kitchen S, Sutherland M, Pipe SW, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. *Haemophilia*. 2020 Aug 1;26(S6):1–158.
4. Ruiz-Sáez A. Tratamiento moderno de la hemofilia y el desarrollo de terapias innovadoras. *Invest Clin*. 2021;62(1):73–95.
5. Dunkley S, Lam JCM, John MJ, Wong RSM, Tran H, Yang R, et al. Principles of haemophilia care: The Asia-Pacific perspective. *Haemophilia*. 2018 May 1;24(3):366–75.
6. Pai M, Key NS, Skinner M, Curtis R, Feinstein M, Kessler C, et al. NHF-McMaster Guideline on Care Models for Haemophilia Management. *Haemophilia*. 2016 Jul 1;22:6–16.
7. Harrington C, Bedford M, Andritschke K, Barrie A, Elfvinge P, Grønhaug S, et al. A European curriculum for nurses working in haemophilia. *Haemophilia*. 2016 Jan 1;22(1):103–9.
8. Schrijvers L, Bedford M, Elfvinge P, Andritschke K, Leenders B, Harrington C. The role of the European haemophilia nurse. *The Journal of Haemophilia Practice*. 2013 Jan 1;1(1):24–7.
9. Schrijvers LH, Schuurmans MJ, Fischer K. Promoting self-management and adherence during prophylaxis: evidence-based recommendations for haemophilia professionals. *Haemophilia*. 2016 Jul 1;22(4):499–506.
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 Jan 1;22(1):103–9.
11. Khair K, Barker C, Bedford M, Elliot D, Harrington C, Lawrence K, et al. A core competency framework for haemophilia nurses in the UK. *The Journal of Haemophilia Practice*. 2013 Jan 1;1(1):32–6.
12. Ballmann J, Ewers M. Nurse-led education of people with bleeding disorders and their caregivers: A scoping review. *Haemophilia*. 2022 Nov 1;
13. Roldán V, Pérez-Andreu V, López-Poveda MJ, Vicente V. Congenital coagulopathy. *Medicine*. 2008;10(22):1483–7.
14. Álvarez MT, Gutiérrez A, Berruero R, et al. Guías españolas para el manejo del paciente con hemofilia. Monografía en Internet. Arán Ediciones. Madrid; 2022:1-190

15. Iorio A, Stonebraker JS, Chambost H, Makris M, Coffin D, Herr C, et al. Establishing the prevalence and prevalence at birth of hemophilia in males a meta-analytic approach using national registries. *Ann Intern Med*. 2019 Oct 15;171(8):542–6.
16. Radic CP, Rossetti LC, Abelleiro MM, Tetzlaff T, Candela M, Neme D, et al. Phenotype-genotype correlations in hemophilia A carriers are consistent with the binary role of the phase between F8 and X-chromosome inactivation. *Journal of Thrombosis and Haemostasis*. 2015 Apr 1;13(4):530–9.
17. María Martínez-Sánchez L, Felipe Álvarez-Hernández L, Ruiz-Mejía C, Jaramillo-Jaramillo LI, Natalia Builes-Restrepo L, Villegas-Álzate JD. Hemofilia: abordaje diagnóstico y terapéutico. Revisión bibliográfica Hemophilia: Diagnostic and Therapeutic Approach. A Literature review Hemofilia: aproximação diagnóstica e terapêutica. Revisão bibliográfica. *Rev Fac Nac Salud Pública*. 2018;36(2):85–93.
18. Kulkarni R, Soucie JM, Lusher J, Presley R, Shapiro A, Gill J, et al. Sites of initial bleeding episodes, mode of delivery and age of diagnosis in babies with haemophilia diagnosed before the age of 2 years: A report from The Centers for Disease Control and Prevention's (CDC) Universal Data Collection (UDC) project. *Haemophilia*. 2009 Nov;15(6):1281–90.
19. Connell NT, Flood VH, Brignardello-Petersen R, Abdul-Kadir R, Arapshian A, Couper S, et al. ASH ISTH NHF WFH 2021 guidelines on the management of von Willebrand disease. 2021;
20. Carcao M. The diagnosis and management of congenital hemophilia. *Semin Thromb Hemost*. 2012;38(7):727–34.
21. Batlle J, Perez-Rodriguez A, Pinto JC, Esther EL, Rodriguez-Trillo Tch A, Fernanda Lopez-Fernandez M. Diagnosis and management of von Willebrand disease in Spain. *Semin Thromb Hemost*. 2011;37(5):503–10.
22. Lucía JF, Aznar JA, Abad-Franch L, Escuin RR, Jiménez-Yuste V, Pérez R, et al. Prophylaxis therapy in haemophilia A: Current situation in Spain. *Haemophilia*. 2011 Jan;17(1):75–80.
23. Blair HA. Emicizumab: A Review in Haemophilia A. Vol. 79, *Drugs*. Springer International Publishing; 2019. p. 1697–707.
24. Manco-Johnson MJ, Abshire TC, Shapiro AD, Riske B, Hacker MR, Kilcoyne R, et al. Prophylaxis versus Episodic Treatment to Prevent Joint Disease in Boys with Severe Hemophilia. *n engl j med* [Internet]. 2007;357:535–79. Available from: www.nejm.org
25. Iruin Irulegui G, Sierra Aisa C, Moretó Quintana A, Martín Martitegui X, García-Ruiz JC. Alteraciones del sistema hemostático. Estrategias diagnósticas de la patología hemorrágica. *Coagulopatías congénitas*. *Medicine (Spain)*. 2016 Nov 1;12(22):1255–66.
26. Carcao M, Goudemand J. LOS INHIBIDORES EN LA HEMOFILIA: INFORMACIÓN BÁSICA Quinta edición [Internet]. Available from: www.wfh.org
27. Colvin BT, Astermark J, Fischer K, Gringeri A, Lassila R, Schramm W, et al. European principles of haemophilia care. *Haemophilia*. 2008 Mar;14(2):361–74.

28. Álvarez Román MT, Bernardo Gutiérrez Á, Berrueco Moreno R, Boronad Boix S, Butta Coll N, de la Corte-Rodríguez H, et al. Guías españolas para el manejo del paciente con hemofilia. Real Fundación Victoria Eugenia, Álvarez MT, Arán Ediciones S, editors. Madrid; 2022. 1–190 p.
29. Harrington C, Bedford M, Andritschke K, Barrie A, Elfvinge P, Grønhaug S, et al. A European curriculum for nurses working in haemophilia. *Haemophilia*. 2016 Jan 1;22(1):103–9.
30. Ratajová K, Blatný J, Poláčková Šolcová I, Meier Z, Horňáková T, Brnka R, et al. Social support and resilience in persons with severe haemophilia: An interpretative phenomenological analysis. *Haemophilia*. 2020 May 1;26(3):e74–80.
31. Schrijvers L, Beijleveldt-Van der Zande M, Peters M, Lock J, Cnossen M, Schuurmans M, et al. Achieving self-management of prophylactic treatment in adolescents: The case of haemophilia. *Patient Educ Couns*. 2016 Jul 1;99(7):1179–83.
32. Zapotocka E, Batorova A, Bilic E, Boban A, Escuriola Ettingshausen C, Faganel Kotnik B, et al. First experience of a hemophilia monitoring platform: florio HAEMO. *Res Pract Thromb Haemost*. 2022 Feb 1;6(2).
33. Mercan A, Sarper N, Nanir M, Mercan HR, Zengin E, Kiliç SÇ, et al. Hemophilia-specific quality of life index (Haemo-QoL and Haem-A-QoL Questionnaires) of children and adults: Result of a single center from Turkey. *Pediatr Hematol Oncol*. 2010 Aug 27;27(6):449–61.

13 Anexos

Anexo 1. Plataforma FlorioHaemo®



	A	B	C	D	E	F	G	H	I	J
1										
2	Paciente y periodo	ID del paciente								
3		Inicio del periodo		20/03/2023						
4		Final del periodo		15/05/2023						
5		Duración del periodo (días)		56						
6										
7	Plan de tratamiento	Producto		Elocta®						
8		Dosis (UI)		1.500 UI						
9		Frecuencia (días)		lunes, miércoles, viernes						
10		Nivel valle objetivo		1,06%						
11		Referencia		< 1,0%						
12										
13	Inyecciones	Cantidad de inyecciones de profiltaxis		24						
14		Cantidad de otras inyecciones		0						
15		Inyecciones a tiempo		24						
16		Adherencia		92,00%						
17		Profiltaxis prescrita UI		36.000						
18		Prophylaxis IU		36.000						
19		Bleed Treatment IU		0						
20		Total UI		36.000						
21										
22	Hemorragia, dolor y pasos	Recuento de hemorragias		0						
23		TAH calculada	ABR precisa de 365 días de datos							
24		Recuento de dolores		0						
25		Promedio diario de pasos		0						
26										
27										
28										
29										
30										
31										

Anexo 2. Cuestionario *ad-hoc* de Conocimientos previos.

<p>SJD Sant Joan de Déu Barcelona · Hospital</p> <p>Cuestionario de conocimientos Previos</p> <p>NÚMERO DE IDENTIFICACIÓN: <input type="text"/></p> <p>FECHA: <input type="text"/></p> <p>Te estás haciendo mayor y queremos acompañarte y ayudarte para que poco a poco vayas cogiendo confianza con tu enfermedad y tu tratamiento.</p> <p>Responde a las siguientes preguntas y nos ayudarás planificar las próximas visitas</p> <p>Responde las siguientes preguntas marcado con una X la respuesta.</p> <p>1- ¿Conoces cómo funciona la coagulación?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>2- ¿Conoces que es la hemofilia?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>3- ¿Conoces por qué tienes hemofilia?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>4- ¿Sabes qué tipo de Hemofilia tienes?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>5- ¿Sabes el nombre de tu tratamiento para la hemofilia?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>6- ¿Sabes por qué es importante pincharte, por las mañanas, varias veces a en semanas?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p>	<p>SJD Sant Joan de Déu Barcelona · Hospital</p> <p>7- ¿Sabes preparar la medicación?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>8- ¿Conoces cómo te la tienes que poner?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>9- ¿Te pinchas tu solo la medicación?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>10- Contesta sólo si te administran la medicación tus padres ¿Estas interesado en aprender?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>¡MUCHAS GRACIAS POR TUS RESPUESTAS, NOS VA A AYUDAR MUCHO!</p>
---	--

Anexo 3. Cuestionario *ah-hoc* de Conocimientos Post educación sanitaria.

<p>SJD Sant Joan de Déu Barcelona · Hospital</p> <p>Cuestionario de Conocimientos Post</p> <p>NÚMERO DE IDENTIFICACIÓN: FECHA:</p> <p>Te estás haciendo mayor y queremos acompañarte y ayudarte para que poco a poco vayas cogiendo confianza con tu enfermedad y tu tratamiento.</p> <p>Responde a las siguientes preguntas y nos ayudarás planificar las próximas visitas</p> <p>Responde las siguientes preguntas marcado con una X la respuesta.</p> <p>1- ¿Conoces cómo funciona la coagulación?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>2- ¿Conoces que es la hemofilia?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>3- ¿Conoces por qué tienes hemofilia?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>4- ¿Sabes qué tipo de Hemofilia tienes?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>5- ¿Sabes el nombre de tu tratamiento para la hemofilia?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>6- ¿Sabes por qué es importante pincharte, por las mañanas, varias veces a en semanas?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p>	<p>SJD Sant Joan de Déu Barcelona · Hospital</p> <p>7- ¿Sabes preparar la medicación?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <input type="checkbox"/> Me gustaría tener más información</p> <p>8- ¿Conoces cómo te la tienes que poner?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>9- ¿Te pinchas tu solo la medicación?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>10- Contesta sólo si te administran la medicación tus padres (Estas interesado en aprender?)</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>11- Tras las visitas a la consulta de enfermería ¿Te administras tu solo la medicación en casa?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>12- Los materiales informativos que se han utilizado durante las visitas ¿te han resultado interesantes y fáciles de entender?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>13- En tu opinión, ¿El tiempo que te dedicó la enfermera fue suficiente?</p> <p><input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO</p> <p>¡MUCHAS GRACIAS POR TUS RESPUESTAS, NOS VA A AYUDAR MUCHO!</p>
---	--

Anexo 4. Cuestionario Haemo-QoL® (8-12 años)

Page 1/12
Page 2/12

HAEMO - QOL

Cuestionario para niños y adolescentes
Versión larga para niños
edad: 8-12

¡Hola!

Nos gustaría saber cómo te has encontrado estas últimas semanas. Por eso, hemos pensado en una serie de preguntas y te pedimos que las respondas. Este cuestionario se ha hecho para niños que tienen hemofilia.

⇒ Lee con atención cada una de las preguntas.
⇒ Piensa en cómo te ha ido todo en las últimas semanas.
⇒ Marca con una cruz la respuesta más acertada para ti.

No hay respuestas correctas ni respuestas incorrectas. Lo importante para nosotros es tu opinión.

Por ejemplo:	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
En los últimos 7 días he tenido ganas de comer helado	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input checked="" type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Rellén el cuestionario el día: / /
(día/mes/año)

País: /

Prohibida su reproducción sin permiso, derechos de autor © Haemo-QoL Study Group. Todos los derechos reservados.
[II, niños, versión larga]

Haemo-QoL - Children II - Spain/Spanish - Version of 11 Sep 2017 - Map1.
©2016/15 Haemo-QoL-CRAUI2.0 spa-ES.doc

Nos gustaría saber algo sobre la salud de tu cuerpo...

En los últimos 7 días...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... me he sentido enfermo	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... he tenido dolor de cabeza o dolor de barriga	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... he estado cansado y agotado	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... he tenido mucha fuerza y energía	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... he tenido miedo de ponerme más enfermo	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

... ahora algo sobre cómo te has sentido en general...

En los últimos 7 días...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... me he divertido y me he reído mucho	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... me he aburrido	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... me he sentido solo	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... me he sentido asustado	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... he estado triste debido a mi enfermedad	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Prohibida su reproducción sin permiso, derechos de autor © Haemo-QoL Study Group. Todos los derechos reservados.
[II, niños, versión larga]

Haemo-QoL - Children II - Spain/Spanish - Version of 11 Sep 2017 - Map1.
©2016/15 Haemo-QoL-CRAUI2.0 spa-ES.doc

Page 3/12
Page 4/12

... y sobre cómo te has sentido contigo mismo.

En los últimos 7 días...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... me he sentido orgulloso de mí mismo	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... me he sentido superbién	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... me he sentido feliz conmigo mismo	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... he tenido muchas ideas buenas	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... he sabido qué hacer cuando he tenido problemas por mi enfermedad	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Las siguientes preguntas tratan sobre tu familia...

En los últimos 7 días...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... me he llevado bien con mis padres	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... me he sentido bien en casa	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... hemos discutido en casa	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... mis padres me han prohibido hacer algunas cosas	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... mis padres me han tratado como a un bebé debido a mi enfermedad	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

... y ahora sobre tus amigos.

En los últimos 7 días...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... he jugado con amigos	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... les he caldo bien a los otros niños	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... me he llevado bien con mis amigos	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... me he sentido distinto a los demás niños	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... he intentado que los demás no se dieran cuenta de mi enfermedad	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Ahora nos gustaría saber algo sobre el colegio.

En los últimos 7 días...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... he hecho bien las tareas del colegio	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... me lo he pasado bien en clase	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... he deseado que llegasen los siguientes días	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... he tenido miedo de sacar malas notas	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... no he podido ir a algunas clases o actividades del colegio debido a mi enfermedad	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Prohibida su reproducción sin permiso, derechos de autor © Haemo-QoL Study Group. Todos los derechos reservados.
[II, niños, versión larga]

Haemo-QoL - Children II - Spain/Spanish - Version of 11 Sep 2017 - Map1.
©2016/15 Haemo-QoL-CRAUI2.0 spa-ES.doc

Anexo 4. Continuación: Cuestionario Haemo-QoL® (8-12 años)

Page 5/12

AHORA NOS GUSTARÍA HACERTE ALGUNAS PREGUNTAS SOBRE TU HEMOFILIA

Ahora nos gustaría saber algo sobre las veces que te ha **SALIDO SANGRE** (EN LAS RODILLAS, CODO...).
 1. ¿Cuántas veces has tenido sangrados en el último mes?
 ninguna 1 2 más de 2 ¿Cuántas? _____

Contesta a las siguientes preguntas sólo si has tenido sangrados.

2. Si has tenido sangrados en el último mes, ¿cuánto te han molestado?
 nada algo moderadamente mucho

3. Si has tenido sangrados en el último mes, ¿cómo han sido? (Si has tenido más de un sangrado, por favor piensa en el más fuerte)
 leves medianos fuertes muy fuertes

4. ¿Has tenido una sensación rara en tus articulaciones antes de tener un sangrado?
 nunca pocas veces a veces a menudo siempre

5. ¿Has tenido que permanecer en reposo (por ejemplo, en la cama) al tener un sangrado?
 nunca pocas veces a veces a menudo siempre

6. Cuando has tenido un sangrado, ¿se lo has dicho inmediatamente a tus padres?
 nunca pocas veces a veces a menudo siempre

Ahora nos gustaría saber quién te ha puesto las INYECCIONES.

En el último mes...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... me he puesto yo solo las inyecciones	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... mi madre me ha puesto las inyecciones	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... mi padre me ha puesto las inyecciones	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... una enfermera me ha puesto las inyecciones	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... un médico me ha puesto las inyecciones	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Prohibida su reproducción sin permiso, derechos de autor © Haemo-QoL Study Group. Todos los derechos reservados.
 [II, niños, versión larga]
 Haemo-QoL - Children II - Spain/Spanish - Version of 11 Sep 2017 - Map.
 8098201 | Haemo-QoL-GR-A10-3_Spanish.pdf

Page 6/12

Aquí nos gustaría saber algo sobre la hemofilia y tu SALUD DE CUERPO

En el último mes...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... me han dolido las hinchazones	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... he sentido dolor en las articulaciones	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... me ha resultado doloroso moverme	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... he notado que mis articulaciones estaban tiesas	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... me ha costado mover bien los brazos o las piernas	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
6. ... me ha costado andar toda la distancia que quería	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
7. ... he tenido miedo de hacerme daño	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Y ahora algunas preguntas sobre cómo te has SENTIDO debido a tu hemofilia

En el último mes...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... he estado de mal humor debido a mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... he estado triste debido a mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... la hemofilia ha sido una auténtica carga (problema) para mí	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... he estado enfadado debido a mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... he estado preocupado debido a mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
6. ... me he sentido solo debido a mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
7. ... he tenido miedo a los sangrados	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Prohibida su reproducción sin permiso, derechos de autor © Haemo-QoL Study Group. Todos los derechos reservados.
 [II, niños, versión larga]
 Haemo-QoL - Children II - Spain/Spanish - Version of 11 Sep 2017 - Map.
 8098201 | Haemo-QoL-GR-A10-3_Spanish.pdf

Page 7/12

¿Cómo hace la hemofilia que te VEAS A TI MISMO?

En el último mes...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... quería ser como los niños de mi edad que no están enfermos	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... me he sentido físicamente más débil que otros niños	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... me he sentido tan bien como otros niños de mi edad	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... me he sentido bien con mi cuerpo	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... la hemofilia me ha complicado la vida	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
6. ... he sentido vergüenza de tener hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
7. ... me ha costado hacer cosas con otros niños de mi edad	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
8. ... me ha sido imposible hacer todo lo que hubiera querido con mis amigos debido a mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
9. ... me he sentido sano a pesar de mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Prohibida su reproducción sin permiso, derechos de autor © Haemo-QoL Study Group. Todos los derechos reservados.
 [II, niños, versión larga]
 Haemo-QoL - Children II - Spain/Spanish - Version of 11 Sep 2017 - Map.
 8098201 | Haemo-QoL-GR-A10-3_Spanish.pdf

Page 8/12

Las siguientes preguntas tratan sobre la hemofilia y tu FAMILIA

En el último mes...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... mi madre me ha protegido demasiado	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... mi padre me ha protegido demasiado	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... ha habido problemas en casa debido a mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... he tenido la sensación de crear problemas a mi familia debido a mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... mis padres han tenido que reducir su trabajo o sus actividades de ocio porque tenían que ocuparse de mí	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Y ahora sobre la hemofilia y tus AMIGOS

En el último mes...	nunca	pocas veces	a veces	a menudo	siempre
1. ... he sido capaz de hablar con mis amigos sobre mi hemofilia	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... mi mejor amigo se ha preocupado por saber cómo me sentía	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... me he sentido muy cercano a mi mejor amigo	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... mis amigos se han ocupado de mí cuando me encontraba mal	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Prohibida su reproducción sin permiso, derechos de autor © Haemo-QoL Study Group. Todos los derechos reservados.
 [II, niños, versión larga]
 Haemo-QoL - Children II - Spain/Spanish - Version of 11 Sep 2017 - Map.
 8098201 | Haemo-QoL-GR-A10-3_Spanish.pdf

Anexo 5. Solicitud a los autores del cuestionario Haemo-QoL®

De: Haemo-Qol <wordpress@haemoqol.de>
Enviado: Monday, April 24, 2023 5:42:02 PM
Para: Nuria Caballero Mencia <nuria.caballero@sjd.es>
Asunto: Your registration on haemoqol.de

Dear Nuria Caballero,
thank you for your registration on haemoqol.de!
Your information will be validated and you will soon be provided with a password for the
Haemo-QoL-Questionnaire download area.

Your submitted Information:

Title: Sra.

Name: Nuria

Surname: Caballero

Email: <nuria.caballero@sjd.es>

Institute/Department: Hospital Sant Joan de Déu Barcelona

Email: nuria.caballero@sjd.es

Phone: 600696230

Street: Passeig Sant Joan de Déu 2

City: Esplugues de Llobregat. Barcelona

Anexo 6. Hoja de Información familias

FULL D'INFORMACIÓ AL PACIENT /PROGENITOR O TUTOR LEGAL

TÍTOL DE L'ESTUDI:

COAGULOPATIAS CONGÈNITES. PROFILAXIS Y ADOLESCENCIA TEMPRANA:
IMPACTO DE UN PROGRAMA DE FORMACIÓN DIRIGIDO POR ENFERMERAS
GESTORAS

INVESTIGADOR PRINCIPAL :

Sra. Nuria Caballero Mencía. Enfermera Gestora de Casos. Unitat Integrada Hemofília CC
CENTRE: Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona. Tef: 932532130 Ext: 80483

Si esteu llegint aquest document com a pare/mare o tutor d'un menor, tingueu en compte que on diu "vostè", "seu", etc, es refereix al vostre fill/a o tutelat/da.

INTRODUCCIÓ

Ens dirigim a vostè per informar-lo sobre un estudi de recerca en què us convidem a participar. L'estudi l'ha aprovat un Comitè d'Ètica de la Investigació, d'acord amb la legislació vigent.

La nostra intenció és que vostè rebri la informació correcta i suficient perquè pugui avaluar i jutjar si vol o no participar en aquest estudi. Per això, cal que llegiu aquest full informatiu amb atenció i nosaltres us aclarim els dubtes que us puguin sorgir. A més, podeu consultar amb les persones que considereu oportú.

PARTICIPACIÓ VOLUNTÀRIA

Ha de saber que la seva participació en aquest estudi és voluntària i que pot decidir no participar o canviar la seva decisió i retirar el consentiment en qualsevol moment, sense que per això alteri la seva relació amb el metge ni es produeixi cap perjudici en el seu tractament habitual.

DESCRIPCIÓ GENERAL DE L'ESTUDI:

Les Coagulopaties Congènites (CC) són trastorns complexos, poc freqüents i de caràcter crònic caracteritzats per presentar una major tendència hemorràgica (espontània o davant de mínims traumatismes). Per la seva baixa prevalença a la població general la majoria estan tipificades com a malalties minoritàries. L'esperança de vida d'aquests pacients, en les formes més greus, s'ha equiparat a la resta de la població sana. Això és degut a diagnòstics cada cop més primerencs i a l'inici de tractament profilàctic des de la primera infància. Per a una atenció integral d'aquests pacients és necessari un abordatge multidisciplinari dins

dunitats especialitzades. L'educació sanitària impartida per infermeres expertes durant la infància/adolescència s'ha de fer de manera dinàmica i canviant segons les etapes de creixement del nen. A l'adolescència primerenca s'inicia l'educació sanitària en l'automanegament pel que fa al tractament i autoadministració, per això, les intervencions de capacitació i educació sanitària realitzades a la consulta infermera poden millorar els coneixements del nen en la seva patologia, influir en l'adherència al tractament i en la qualitat de vida.

Objectius: Amb aquest estudi es vol avaluar l'impacte de l'educació sanitària adreçada a adolescents, en edats compreses entre 8 i 12 anys, en tractament profilàctic.

Se us ha convidat a participar en aquest estudi, ja que té 8 i 12 anys, està diagnosticat amb alguna CC amb un fenotip hemorràgic greu i està rebent tractament profilàctic. En poc temps començarà a acudir a visites de la consulta d'infermeria de la unitat d'Hemofília per conèixer una mica més aspectes de la malaltia i aprendre a autoadministrar-se el factor.

Tant si decideix participar com si no, les visites es faran de la mateixa manera.

En cas d'acceptar participar a l'estudi us demanarem que ens empleueu uns qüestionaris abans i en finalitzar la capacitació/educació sanitària per conèixer com ha anat la seva capacitació.

BENEFICIS I RISCOS DERIVATS DE LA SEVA PARTICIPACIÓ A L'ESTUDI

vostè no obtindrà cap benefici per la seva participació.

DESPESES DERIVADES DE LA SEVA PARTICIPACIÓ

No tindrà cap tipus de despeses adicional, ja que es durà a terme durant la visita de control.

CONFIDENCIALITAT

L'Hospital Sant Joan de Déu (Carrer Sant Joan de Déu núm. 2 08950 Esplugues de Llobregat, Barcelona) com a responsable del tractament de les seves dades, l'informa que el tractament, la comunicació i la cessió de les dades de caràcter personal de tots els participants s'ajustarà a la legislació vigent (Reglament Europeu UE 2016/679 i Llei Orgànica 3/2018 del 5 de desembre de Protecció de Dades Personals).

Les dades per a aquest estudi es recolliran identificades únicament amb un codi, per la qual cosa no s'hi inclourà cap tipus d'informació que permeti identificar els participants. Només el metge de l'estudi i els seus col·laboradors podran relacionar les dades recollides a l'estudi amb la seva història clínica.

La seva identitat no estarà a l'abast de cap altra persona excepte en cas d'una urgència mèdica o requeriment legal. Podran tenir accés a la seva informació personal identificada, les autoritats sanitàries, el Comitè d'Ètica d'Investigació i el personal autoritzat pel promotor de l'estudi, quan sigui necessari per comprovar les dades i els procediments de l'estudi, però sempre mantenint la confidencialitat d'acord amb la legislació vigent.

mateixa finalitat de l'estudi descrit i garantint-ne la confidencialitat. No es prendran decisions automatitzades de les seves dades ni s'elaboraran perfils.

Si es realitza una transferència de dades codificades fora de la UE, ja sigui a entitats relacionades amb el centre hospitalari on vostè participa, a prestadors de serveis o a investigadors que col·laborin amb el seu metge, les seves dades quedaran protegides per salvaguardes com contractes o altres mecanismes establerts per les autoritats de protecció de dades.

Pot exercir els drets d'accés, modificació, oposició, supressió, limitació del tractament i portabilitat (sol·licitar una còpia o que es traslladin a un tercer) de les dades que ha facilitat per a l'estudi. Per exercir aquests drets, o si vol saber-ne més sobre la confidencialitat, s'ha d'adreçar a l'investigador principal de l'estudi o al Delegat de Protecció de Dades de l'Hospital Sant Joan de Déu a través de l'adreça de correu electrònic dpd@sjdhospitalbarcelona.org. Si, tot i així, no quedés satisfet pot adreçar-se a l'Autoritat Catalana de Protecció de dades (<http://apdcat.gencat.cat/ca/contacte/apdcat@gencat.cat>) o a la Agencia de Protección de Datos (<http://www.agpd.es/portalwebAGPD/CanalDelCiudadano/index-ides-idphp.php>)

Per tal de garantir la validesa de la investigació, les dades que ja s'han recollit no es poden eliminar, encara que abandoni l'estudi, però si decideix deixar de participar no se'n recolliran de noves.

Si vostè ho demana, les seves dades s'eliminaran del registre i no s'utilitzaran per a estudis futurs, però no es poden eliminar les dades que ja s'han fet servir en estudis realitzats, per garantir la validesa de la investigació. Tampoc no es recolliran noves dades si decideix deixar de participar.

L'investigador i el promotor conservaran les dades recollides per a l'estudi com a mínim durant 5 anys després de la seva finalització. Posteriorment, la informació personal només es conservarà al centre per a la cura de la seva salut. Si vostè dona el seu consentiment i si ho permet la llei i els requisits ètics aplicable, també les conservarà l'investigador o promotor per a fer-les servir en altres projectes o per altres finalitats científiques.

Si dona el seu consentiment, les dades recollides durant aquest estudi, podrien fer-se servir per a futurs projectes de recerca relacionats amb aquest, sempre mantenint la confidencialitat tal com s'ha exposat.

Si les dades obtingudes es volguessis fer servir per a estudis diferents o no relacionats amb l'actual, se li demanarà un altre consentiment.

Anexo 7. Hoja de Consentimiento Informado de participación en el estudio

<p style="text-align: center;">SJD Sant Joan de Déu <small>Barcelona - Hospital</small></p> <p style="text-align: center;">Consentiment pels progenitors o tutor legal del menor participant</p> <p>Títol de l'estudi: COAGULOPATÍAS CONGÉNITAS, PROFILAXIS Y ADOLESCENCIA TEMPRANA: IMPACTO DE UN PROGRAMA DE FORMACIÓN DIRIGIDO POR ENFERMERAS GESTORAS</p> <p>Codi del protocol:</p> <p>Jo, <small>(nom i cognoms del progenitor /tutor)</small></p> <p>en qualitat de de <small>(relació amb el menor) (nom del menor)</small></p> <ul style="list-style-type: none"> - He llegit el full d'informació sobre l'estudi que m'han entregat. - He pogut fer preguntes sobre l'estudi. - He rebut prou informació sobre l'estudi. - He parlat amb: <small>(nom de l'investigador)</small> - Entenc que la seva participació és voluntària. - Entenc que es pot retirar de l'estudi: <ul style="list-style-type: none"> - Quan vulgui. - Sense haver de donar explicacions. - Sense que això repercuteixi en les seves cures mèdiques. <p>De conformitat amb el que estableix el Reglament UE 2016/679 del Parlament Europeu i del Consell de 26 d'abril de 2016 relatiu a la protecció de les persones físiques pel que fa al tractament de dades personals i la lliure circulació de dades, declaro haver estat informat de l'existència d'un fitxer o tractament de dades de caràcter personal, de la finalitat de la recollida d'aquestes i dels destinataris de la informació.</p> <p>Havent entès la informació, dono el meu consentiment per a:</p> <ul style="list-style-type: none"> - L'ús de les seves dades personals per realitzar el projecte del qual se <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO - L'ús de les seves dades personals per dur a terme futurs projectes de recerca que tinguin relació amb l'actual estudi o de la mateixa àrea de recerca. <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <p style="text-align: right;"><small>DIÀRIA 1 de 2</small></p>	<p style="text-align: center;">SJD Sant Joan de Déu <small>Barcelona - Hospital</small></p> <ul style="list-style-type: none"> - Vull que em comuniquin la informació derivada de la investigació que pugui ser rellevant per a la seva salut o la dels seus familiars. <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO - Dono lliurement la meua conformitat per a la seva participació a l'estudi. <ul style="list-style-type: none"> <input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO <p>Data de naixement del menor: / /</p> <p><input type="checkbox"/> Ambdós progenitors</p> <p>Nom i cognoms del progenitor/a 1</p> <p>Data / / Signatura:</p> <p><small>(Manuscrita pel progenitor/a 1)</small></p> <p>Nom i cognoms del progenitor /a 2</p> <p>Data / / Signatura:</p> <p><small>(Manuscrita pel progenitor/a 2)</small></p> <p>Quan és només un dels progenitors el que autoritza, haurà de declarar una de les condicions següents:</p> <p><input type="checkbox"/> Confirmo que l'altre progenitor/a no s'oposa a la seva participació a l'estudi.</p> <p>Nom i cognoms del progenitor/a que signa</p> <p>Data / / Signatura:</p> <p><small>(Manuscrita pel progenitor/a)</small></p> <p><input type="checkbox"/> El signant és l'únic progenitor/a o tutor/a legal.</p> <p>Nom i cognoms del progenitor /a o tutor/a legal</p> <p>Data / / Signatura:</p> <p><small>(Manuscrita pel signant)</small></p> <p>Nom i cognoms de qui demana el consentiment:</p> <p>Data de la signatura / / Signatura:</p> <p style="text-align: right;"><small>DIÀRIA 2 de 2</small></p>
--	---

Anexo 8. Hoja de Asentimiento de menores de 8-12 años

<p>FORMULARIO DE ASENTIMIENTO PARA LOS NIÑOS PARTICIPANTES EN EL ESTUDIO (8-12 AÑOS)</p> <p>COAGULOPATÍAS CONGÉNITAS, PROFILAXIS Y ADOLESCENCIA TEMPRANA. IMPACTO DE UN PROGRAMA DE FORMACIÓN DIRIGIDO POR ENFERMERAS GESTORAS</p> <p>Querido/a _____:</p> <p>Tienes Hemofilia y desde hace años tus padres/cuidadores te administran el tratamiento en casa. Has hablado con tu enfermera y te sientes con ganas de empezar a administrarte tu solo la medicación por este motivo te invitamos a que participes en este estudio.</p> <p>1. ¿QUÉ SUCEDERÁ DURANTE ESTE ESTUDIO?</p> <p>Durante este estudio, vas a acudir a consulta con tu enfermera para resolver tus dudas sobre la hemofilia y para aprender a pincharte el factor tu solo.</p> <p>Vendrás a consulta un mínimo de 4 días y más si tu consideras que lo necesitas hasta que te sientas seguro de pincharte en casa.</p> <p>En la primera una de las consultas, se te pedirá que rellenes un cuestionario muy sencillo. No hay respuestas correctas o incorrectas, sólo queremos saber que conoces acerca de la hemofilia. No te pedirá hacer otras pruebas o más procedimientos y no tendrás que venir más a menudo que para tus consultas habituales.</p> <p>Finalizadas las 4 visitas a la consulta de enfermería te pediremos que nos vuelvas a rellenar el cuestionario del primer día y uno un poco más completo para saber como te sientes en relación con tu hemofilia.</p> <p>Todas las historias clínicas de tu participación en el estudio son confidenciales, al igual que el resto de la información médica que se encuentra en el hospital. Los médicos no podrán decirle a nadie que estás participando en el estudio sin pedirles antes permiso a tus padres.</p> <p>Existen normativas muy estrictas para garantizar que la información personal sea confidencial.</p> <p>2. ¿CUÁL ES LA FINALIDAD DE ESTE ESTUDIO?</p> <p>Este estudio se lleva a cabo solo con fines de investigación. Puedes ayudar a mejorar las visitas de educación sanitaria, de chicos con hemofilia como tú, que empiezan a administrarse el factor.</p> <p>Página 1 de 2</p>	<p>3. ¿TENGO QUE PARTICIPAR EN ESTE ESTUDIO?</p> <p>No. Tu participación en este estudio y compartir tu información sobre ti es completamente voluntario. Puedes negarte a participar o retirarte en cualquier momento sin dar ninguna explicación. Tu enfermera no te tratará de forma diferente después de esta decisión.</p> <p>Si decides retirarte del estudio, no recopilaremos más información sobre ti. Informa a tu enfermera si crees que quieres dejar de participar en el estudio.</p> <p>4. ¿QUIERES PARTICIPAR?</p> <p>Si deseas participar, te pedimos que rellenes la siguiente información. Con ello, declaras que deseas participar en este estudio y que sabes que siempre puedes decidir dejar de participar en el estudio.</p> <p>Menor: _____ Nombre completo del menor (en mayúsculas)</p> <p>Fecha _____ Firma del menor _____</p> <p>Representantes legales (padres o personas legalmente autorizadas, como representantes legales del paciente que firman): _____</p> <p>Lea y firme la información específica del paciente y el formulario de consentimiento informado para los padres.</p> <p>Persona que recoge el formulario de asentimiento: <u>He realizado la conversación sobre el consentimiento y estoy convencido de que el menor ha entendido la información del estudio y no tiene más preguntas y desea participar.</u></p> <p>Médico: _____ Fecha _____ Firma _____ Nombre/sello, dirección, teléfono del médico _____</p> <p>Página 2 de 2</p>
---	--

Anexo 9. Material educativo de soporte



SJD Sant Joan de Déu
Barcelona · Hospital

LA HEMOFILIA: GUÍA PARA FAMILIAS


Información para pacientes y familias

Consulta más información en:
<https://faros.hsjdbcn.org>
<https://www.sjdhospitalbarcelona.org>

Unidad de Hematología Pediátrica
Escuela de Salud SJD




Anexo 10. Registro Educación Sanitaria: Autoadministración factor por vía periférica

	<p>Diagnòstic : Nom: Núm. Hist.:</p>	<p>Edat: Hab:</p>	
Registre Educació Sanitària: Programa de Capacitació nen /família en Administració de Factor de Coagulació per via perifèrica (Palometa)			
PRIMERA SESSIÓ Infermera educadora:			
<p>Valoració infermera :</p> <ul style="list-style-type: none"> • El cuidador principal /pacient coneix el problema i la importància de l'administració de la profilaxi amb Factor de coagulació?: <input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> NO • L' educació sanitària està dirigida a: <input type="checkbox"/> Mare <input type="checkbox"/> Pare <input type="checkbox"/> Pacient <input type="checkbox"/> Altres: _____ • Estat emocional del pacient: <input type="checkbox"/> Esperçant /Tranquil <input type="checkbox"/> Preocupat /Inquiet <input type="checkbox"/> Espantat /Angoixat <input type="checkbox"/> Preocupat /Inquiet <input type="checkbox"/> Esperçant /Tranquil <input type="checkbox"/> Preocupat /Inquiet <input type="checkbox"/> Espantat /Angoixat <p style="text-align: center;">Estat emocional del cuidador: <input type="checkbox"/> Esperçant /Tranquil <input type="checkbox"/> Preocupat /Inquiet <input type="checkbox"/> Espantat /Angoixat</p>			
<p style="text-align: center;">ENTREGA DE MATERIAL DE SUPORT: <input type="checkbox"/> Full continuat cures</p>			
<p>Continguts educatius: CONTINGUTS BASICS</p> <input type="checkbox"/> Tipus de Factor de Coagulació a administrar que ha de portar el pacient _____	<p>Activitats: Infermera explica tècnica de preparació de factor / Cuidador realitza tècnica amb supervisió de la infermera / Infermera realitza demostració de venopunció i administració de factor de coagulació.</p> <input type="checkbox"/> El cuidador/pacient coneix el factor de coagulació i la dosi a administrar. <input type="checkbox"/> El cuidador/pacient coneix les mesures adequades de la conservació del factor de coagulació <input type="checkbox"/> El cuidador/pacient coneix tot el material necessari per la preparació del factor de coagulació <input type="checkbox"/> El cuidador /pacient prepara correctament el factor de coagulació <input type="checkbox"/> El cuidador /pacient realitza una correcta higiene de mans.	<p>Comentaris:</p>	<p>Resultat esperat: Utilitzar terminologia NOC</p> <p style="text-align: right;">Descripció/ Execució substancial del procediment terapèutic <input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> CAL REFORÇ <input type="checkbox"/> NO</p>
<input type="checkbox"/> Conservació de Factor: <ul style="list-style-type: none"> o Conservació en nevera (min 2-8°C / no superar 25°C) o Sense reconstituir a temperatura ambient màxim de: _____ d o h o Reconstituit administrat en un màxim de: _____ h o Protegir de la llum <input type="checkbox"/> Dosi de Factor de Coagulació a administrar _____ UI	<p>Dependència del tipus de Factor, habitualment:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Diluent (en xeringa) • Pols per dilució • Filtre • Tovallolletes per desinfecció del vial i pell • Palometa Taronja o blava • Tireres • Gases 	<p>Material necessari per la preparació de Factor de Coagulació, en camp net.</p> <ul style="list-style-type: none"> • Diluent (en xeringa) • Pols per dilució • Filtre • Tovallolletes per desinfecció del vial i pell • Palometa Taronja o blava • Tireres • Gases 	<p>Preparació de Factor de coagulació</p> <ul style="list-style-type: none"> • Retirar el vial de la nevera 10 minuts abans de la seva administració • Netjar vial amb tovallola desinfectant. • Punxar filtre al vial (pols) i introduir el diluent. • No agitar dilució, moure dilució suauement en cercles. • Retirar el factor reconstituit del vial amb la xeringa que venia el diluent. • Mesures d'asèpsia: Rentat de mans higiènic (aigua i sabó).

Anexo 10. (Continuación)

<p>SJD Sant Joan de Déu Barcelona · Hospital</p>	<p>Diagnòstic : Nom: Núm. Hist.:</p>	<p>Estat: Data:</p>	<p>Hab:</p>
<p>SEGONA SESSIÓ Infermera educadora:</p>			
<p>Continguts educatius: Preparació del material per administració i venopunció de factor de coagulació</p> <p><input type="checkbox"/> Material necessari per la venopunció, en camp net :</p> <ul style="list-style-type: none"> • Xeringa (3 cossos) de 5ml • Suero fisiològic ClNa 0.9% 10% • Palometa taronjablava • Gasses • Antiséptic (Clorhexidina alcohòlica al 2%) • Banda compressiva • Empapador <p><input type="checkbox"/> Purga de la línia de la palometa: 1ml de SF. (Si al punxar sospita de que no ha purgat la línia deixar refluir la sang fins al final de la línia)</p>	<p>Activitats: El cuidador/pacient realitza la preparació del factor de coagulació, del material per l'administració i realitza venopunció supervisat per infermera. Administració de factor per part d'infermera.</p> <p>El cuidador/pacient prepara tot el material necessari en un camp net</p> <p>El cuidador/pacient coneix la importància de la purga de la línia de la palometa i la realitza</p> <p>El cuidador/pacient realitza de manera correcta el rentat de mans previ a la venopunció.</p> <p>El cuidador/pacient col·loca la banda compressiva de manera correcta.</p> <p>El cuidador/pacient detecta les zones de venopunció.</p> <p>El cuidador/pacient realitza la punxada per l'accés venós</p> <p>El cuidador/pacient verbalitza entenedre que es una tunelització i que fer per a realitzar-la</p>	<p>Comentaris:</p>	<p>Resultat esperat: NOC</p> <p><i>Descripció/ Execució substancial del procediment terapèutic</i> <input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> CAL REFORÇ <input type="checkbox"/> NO</p>
<p>Continguts educatius: Tècnica de punció</p> <p><input type="checkbox"/> Mesures d'asèpsia</p> <ul style="list-style-type: none"> • Rentat de mans higiènic • Desinfecció de la zona de venopunció amb Clorhexidina alcohòlica al 2%. <p><input type="checkbox"/> Col·locació banda compressiva (retirar momentàniament si cianosi de l'extremitat)</p> <p><input type="checkbox"/> Reconeixement de vena per venopunció .</p> <ul style="list-style-type: none"> • Reconèixer 2/3 zones de venopunció. <p><input type="checkbox"/> Venopunció de l'accés venós escollit:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Comprovar permeabilitat amb SF <p>TUNELITZACIÓ: Canalitzar sempre la mateixa vena perquè amb el temps es produeixi una fístula que permet al punxar accedir directament a la vena i disminuir el dolor de la punxada.</p>			

Anexo 10. (Continuación)

		Diagnòstic : Nom : Núm. Hist.:	Edat: Hab:
TERCERA SESSIÓ Infermera educadora:			
<p>Continguts educatius: Administració de factor</p> <input type="checkbox"/> Administració de factor: <ul style="list-style-type: none"> • Administrar el factor a lentament en un temps total de 2-3minuts. • Comprovar que la l'acces venós és permeable a mesura que es va realitzant l'administració del factor. • Un cop administrat el factor netejar la línia de la palometa amb mínim 1ml de SF. • No retirar la xeringa de la línia abans de retirar l'agulla. <input type="checkbox"/> Un cop retirada l'agulla realitzar pressió sobre el punt d'inserció mínim durant 5 minuts. <input type="checkbox"/> Depositar cada residu al seu contenidor	<p>Continguts educatius <i>Detecció / actuació davant de complicacions</i></p> <input type="checkbox"/> No punxar accés venós en cas de: <ul style="list-style-type: none"> • Hematoma en la zona de punció • Induració o irregular de l'accés venós. • No retorn venós <input type="checkbox"/> Recanalització per arribar a accés venós en cas de no accedir en primer moment a la vena. <ul style="list-style-type: none"> • Palpar amb una mà la vena • Reconduir agulla • No repetir aquesta tècnica més de dues vegades, risc de provocar hematoma. Retirar agulla i canalitzar nou accés venós. En cas de haver passat més de la meitat de la dosis total de factor no tornar a punxar. (comunicar-ho al servei). <input type="checkbox"/> Detecció de signes i símptomes d'extravasació: <ul style="list-style-type: none"> • Induració de la zona. • Dolor a la palpació i a la introducció de SF. • Pèrdua de permeabilitat de la via. • Eritema zona punció. 	<p>Activitats: El cuidador/ pacient realitza la tècnica completa supervisat per la infermera.</p> <p>El cuidador/pacient coneix les tècniques de recanalització</p> <p>El cuidador/pacient manifesta conèixer en quines condicions no realitzar punció de l'accés venós.</p> <p>El cuidador/pacient coneix i detecta signes i símptomes d'extravasació</p> <p>El cuidador/pacient administra factor de coagulació de manera lenta i comprovant l'accés venós.</p> <p>El cuidador/pacient neteja la línia de la palometa amb SF i treu la banda compressiva abans de retirar l'agulla.</p> <p>El cuidador/pacient realitza pressió en el punt d'inserció de l'agulla durant un mínim de 5'</p> <p>El cuidador/pacient deposita els residus punxants al contenidor d'agulles.</p>	<p>Comentaris:</p> <p>Resultat esperat: MOC</p> <p>Descripció/ Execució substancial del procediment terapèutic <input type="checkbox"/> SI <input type="checkbox"/> CAL REFORÇ <input type="checkbox"/> NO</p>

Anexo 11. Solicitud Evaluación estudio CEIm

<p>SJD Sant Joan de Déu Fundació de Recerca</p> <p style="text-align: center;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi Comitè de Recerca PSSJD / Comitè de Recerca HSJD-IRSJD / CEIm</p> <p style="text-align: center; background-color: yellow;">AQUEST DOCUMENT NO ES POT MODIFICAR</p> <p>Data de la sol·licitud d'avaluació:</p> <p>1. Títol del projecte (ha de ser igual que el del protocol de recerca): COAGULOPATIAS CONGÉNITAS, PROFILAXIS Y ADOLESCENCIA TEMPRANA IMPACTO DE UN PROGRAMA DE FORMACIÓN DIRIGIDO POR ENFERMERAS GESTORAS</p> <p>2. Investigador principal del projecte i centre al que pertany: Nuria Caballero <u>Mencia</u>, <u>Enfermera</u> Gestora <u>Unidad de Hemofilia i Coagulopatias</u> . Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona.</p> <p>3. Investigador principal al nostre centre (HSJD / PSSJD) (només una persona):</p> <table border="1" style="width: 100%;"> <tr> <td style="width: 30%;">Persona de contacte / sol·licitant: (Omplir si és diferent de l'investigador)</td> <td>Nuria Caballero <u>Mencia</u></td> </tr> <tr> <td>Telèfon de contacte: 600696230</td> <td>Correu electrònic: Nuria.caballero@sjd.es</td> </tr> <tr> <td colspan="2">Adreça: Passeig de Sant Joan de Déu 2</td> </tr> </table> <p>4. Equip investigador (Altres investigadors/es i Serveis /Departaments /Institucions implicats; especificar els investigadors amb activitat assistencial que participen i els centres o serveis en el cas d'inclusió de pacients):</p> <p>Co-investigadora: Cristina Benedicto Moreno- <u>Enfermera</u> gestora de la <u>Unidad de Hemofilia i Coagulopatias Congénitas</u> del Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona.</p> <p>Rubén Berruoco Moreno, <u>Jefe de Servicio</u>, <u>Unidad Hemofilia i Coagulopatias Congénitas</u> Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona.</p> <p>Supervisor de estudio:</p> <p style="font-size: small;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi, versió 8 de gener de 2021 Página 1 de 9</p>	Persona de contacte / sol·licitant: (Omplir si és diferent de l'investigador)	Nuria Caballero <u>Mencia</u>	Telèfon de contacte: 600696230	Correu electrònic: Nuria.caballero@sjd.es	Adreça: Passeig de Sant Joan de Déu 2		<p>SJD Sant Joan de Déu Fundació de Recerca</p> <p>Montserrat Gutiérrez Juárez, <u>Infermera de Suport i Recerca</u></p> <p>Equipo medico de referencia en el estudio: Cristina Benedicto Moreno, <u>Enfermera</u> gestora <u>Unidad Hemofilia i CC</u> Rubén Berruoco Moreno, <u>Jefe de Servicio</u>, <u>Unidad Hemofilia i CC</u></p> <p>5. Recursos humanos, materiales, infraestructuras de SJD que es necessiten per a la realització del projecte: Recursos Humanos: Cristina Benedicto Moreno (infermera) Recursos Materiales: Marqueu aquí, si no en calen: <input type="checkbox"/></p> <p>6. Resum (màxim 300 paraules) específicament, objectius, disseny i variables de mesura.</p> <p>Diseño y metodología de estudio: Introducción: Las Coagulopatias Congénitas (CC) son trastornos complejos, poco frecuentes y de carácter crónico caracterizados por presentar una mayor tendencia hemorrágica (espontánea o ante mínimos traumatismos). Por su baja prevalencia en la población general la mayoría están tipificadas como enfermedades minoritarias. La esperanza de vida de estos pacientes, en sus formas más graves, se ha equiparado al resto de la población sana. Esto se debe a diagnósticos cada vez más tempranos y al inicio de tratamiento profiláctico desde la primera infancia. Para una atención integral de estos pacientes es necesario un abordaje multidisciplinar dentro de unidades especializadas. La educación sanitaria impartida por enfermeras expertas durante la infancia/adolescencia debe realizarse de forma dinámica y cambiante según las etapas de crecimiento del niño. En la adolescencia temprana se inicia la educación sanitaria en el automejoramiento con respecto al tratamiento y autoadministración por lo que, las intervenciones de capacitación y educación sanitaria realizadas en la consulta enfermera pueden mejorar los conocimientos del niño en su patología, influir en la adherencia al tratamiento y en la calidad de vida. Objetivos: Con este estudio se busca evaluar el impacto de la educación sanitaria dirigida a adolescentes, en edades comprendidas entre 8 y 12 años, en tratamiento profiláctico. Metodología: Estudio cuantitativo <u>cuasi-experimental</u>, <u>pretest postest</u>, de un solo grupo. Se reclutarán pacientes entre 8 y 12 años, diagnosticados de CC con un fenotipo hemorrágico grave y que reciben tratamiento profiláctico en la Unidad de Hemofilia y CC del Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona durante el periodo de enero de 2024 a diciembre 2026. Los pacientes complementarán los siguientes cuestionarios: 2 cuestionarios <u>ad-hoc</u>, (<u>pre-post</u>) para evaluar el aprendizaje, cuestionario validado <u>Haemo-Qol</u> (8-12 años) para calidad de vida. En cuanto a la adherencia terapéutica se obtendrá a través de los registros de la aplicación Florio <u>Haemo</u>®. Los datos sociodemográficos son extraídos de la historia clínica del paciente. Se realizará un análisis descriptivo y bivariado de las variables y <u>estadísticos</u>.</p> <p style="font-size: small;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi, versió 8 de gener de 2021 Página 2 de 9</p>
Persona de contacte / sol·licitant: (Omplir si és diferent de l'investigador)	Nuria Caballero <u>Mencia</u>						
Telèfon de contacte: 600696230	Correu electrònic: Nuria.caballero@sjd.es						
Adreça: Passeig de Sant Joan de Déu 2							

<p>SJD Sant Joan de Déu Fundació de Recerca</p> <p>de contraste. Se utilizará un nivel de significación de 0.05. Los análisis serán realizados mediante el paquete informático SPSS v23.0.</p> <p>Objetivos General</p> <p>Evaluar el impacto de la educación sanitaria dirigida a adolescentes en edad comprendida entre 8 y 12 años en tratamiento profiláctico, en la consulta enfermera de la Unidad Hemofilia y Coagulopatias Congénitas del Hospital Sant Joan de Déu.</p> <p>Objetivos Específicos</p> <ul style="list-style-type: none"> Identificar el grado de conocimiento por parte del niño/adolescente relacionado con su coagulopatía previo a la formación. La evaluación de será a través de un cuestionario <u>ad-hoc</u> de elaboración propia. Evaluar la capacidad de autotratamiento por parte del adolescente en la administración de la medicación. Para la evaluación de esta formación se comprobará que ha adquirido todos los conocimientos detallados en el Check-list de capacitación para la autoadministración de factor endógeno. Evaluar la tasa de adherencia al tratamiento calculada mediante el porcentaje de registro de administración de medicación a través de la aplicación FlorioHaemo®. Identificar el impacto en la calidad de vida de los pacientes con CC. Mediante la cumplimentación del cuestionario de calidad de vida para niños de 8-12 años con hemofilia validado. Identificar las necesidades formativas de pacientes y/o cuidadores. Tras las sesiones de capacitación/formación. La evaluación de la formación <p>Hipótesis: Las intervenciones de capacitación y educación sanitaria realizadas en la consulta de CC por una enfermera gestora de casos especializada en pacientes adolescentes en edad temprana mejoran los conocimientos de su patología, adherencia y calidad de vida.</p> <p>Tipo de estudio</p> <p>Diseño del programa Estudio cuantitativo cuasi-experimental pretest postest de un solo grupo. Se reclutarán pacientes entre 8 y 12 años, diagnosticados de CC con un fenotipo hemorrágico grave y que</p> <p style="font-size: small;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi, versió 8 de gener de 2021 Página 3 de 9</p>	<p>SJD Sant Joan de Déu Fundació de Recerca</p> <p>reciben tratamiento profiláctico en la Unidad de Hemofilia y CC del Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona durante el periodo de enero de 2024 a diciembre 2026</p> <p>Ámbito del estudio El Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona es un centro pediátrico y maternal de referencia por la atención especializada de segundo nivel de las zonas del Baix Llobregat y del Eixample Izquierdo de Barcelona. Es un hospital de referencia en el ámbito clínico, de tratamientos e investigación de enfermedades infantiles.</p> <p>En Sant Joan de Déu acompañamos y trabajamos la autonomía del niño y su familia. En los cuidados enfermeros, integramos al paciente y la familia en la toma de decisiones.</p> <p>El estudio se llevará a cabo en la Unidad Integral de Hemofilia y Coagulopatias Congénitas.</p> <p>Población y muestra En este estudio se incluirán a todos los pacientes con CC en tratamiento con profilaxis entre 8 y 12 años que cumplan los criterios de inclusión. En la actualidad, se atiende a más de 150 pacientes con CC. De ellos, 60 presentan un fenotipo hemorrágico grave y reciben tratamiento profiláctico, estimamos que en el periodo de estudio de 2024 a 2026 se podrán incluir unos 15-20 pacientes.</p> <p>7. Es tracta d'un estudi: <input checked="" type="checkbox"/> Unicèntric <input type="checkbox"/> Multicèntric. En aquest cas: - Si es tracta d'un projecte en col·laboració (consorcis, multicèntrics, etc.) amb d'altres Centres/Universitats/Empreses o d'altres països, cal especificar les tasques que té el personal investigador del nostre centre: - Disposa de l'aprovació d'un altre CEIm? <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí (adjuntar-lo a la sol·licitud)</p> <p>8. Es presenta a alguna convocatòria de finançament? <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí (indiqueu quina)</p> <p>9. Es disposa de finançament? <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí <input type="checkbox"/> Intern / Hospital / Centre:</p> <p style="font-size: small;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi, versió 8 de gener de 2021 Página 4 de 9</p>
---	---

Anexo 11. (Continuación) Solicitud Evaluación estudio CEIm

<p>SJD Sant Joan de Déu Fundació de Recerca</p> <p><input type="checkbox"/> Ajut o Beca competitiva. Quina?: <input type="checkbox"/> Altres. Quin?:</p> <p>10. L'estudi suposa alguna despesa econòmica pel centre? <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí → Queda cobert pel finançament? <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí ↓ Especificar com es cobriran les despeses:</p> <p>11. L'estudi ha estat presentat prèviament i ha estat valorat/aprobat per aquest Comitè de Recerca i/o aquest Comitè d'Ètica d'Investigació (CEIm)? <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí: - Indiqueu la referència del Comitè de Recerca (en cas de que n'hi hagi): - Indiqueu la referència del CEIm: - S'ha fet alguna modificació respecte l'aprovat prèviament? <input type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí: <input type="checkbox"/> No es modifica el projecte com a tal, només la forma de presentació i/o títol i/o nom de l'investigador per a una convocatòria. <input type="checkbox"/> Es modifica disseny, població, objectiu, etc. → Cal presentar al CEIm una esmena al protocol ja aprovat. A banda, si necessiteu una aprovació com a projecte nou per a una convocatòria, marqueu la casella següent: <input type="checkbox"/> Sí, el necessito</p> <p>12. El treball té alguna implicació pels pacients o organització assistencial? <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí →</p> <p>13. La inclusió de pacients en l'estudi està lligada a una prescripció farmacològica? <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí → cobren l'estudi el cost del fàrmac? Si no és així, està el fàrmac classificat com MATMA o MHDA?</p> <p>14. Si l'estudi inclou la participació activa de persones, la recollida de dades de salut o obtenció de mostres biològiques, caldrà adjuntar a la sol·licitud el full d'informació i consentiment (FIP/C). S'adjunta? <input type="checkbox"/> Sí <input type="checkbox"/> Adults i/o pares/tutors <input type="checkbox"/> Menors d'edat però majors de 12 anys</p> <p style="font-size: small;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi, versió 8 de gener de 2021 Pàgina 5 de 9</p>	<p>SJD Sant Joan de Déu Fundació de Recerca</p> <p><input checked="" type="checkbox"/> No: <input type="checkbox"/> Es recullen dades de salut però els pacients ja no es visiten al centre i/o no és factible demanar el consentiment de tots (exemple: estudi de revisió d'històries clíniques). * <input type="checkbox"/> Es fan servir mostres de Biobanc, que tenen el consentiment signat. <input checked="" type="checkbox"/> Els pacients han signat el consentiment d'ús de dades per recerca i l'estudi no comporta cap intervenció diferent de la pràctica habitual.</p> <p style="font-size: x-small;">* Si no es disposa del consentiment dels pacients per a l'ús de les seves dades assistencials per a la recerca ni és factible demanar el consentiment, hauréu d'adjuntar la petició d'exempció de consentiment i el document de compromís de l'investigador principal de gestió de dades d'acord a la Ley Orgànica 3/2018, de 5 de desembre, de Protecció de Datos Personales y garantía de los derechos digitales. Podeu demanar ambdós documents a la secretaria del CEIm: ceic@fsjd.org</p> <p>15. Es tracta d'un projecte on <u>només</u> es faran servir mostres biològiques ja obtingudes prèviament? <input checked="" type="checkbox"/> No. <input type="checkbox"/> Sí. Indiqueu-ne la procedència: <input type="checkbox"/> Biobanc: indiqueu quin i si totes les mostres es van obtenir amb el consentiment del Biobanc. <input type="checkbox"/> Col·lecció. Indiqueu: número de registre al Registro Nacional de Biobancos del ISCIII, el nom del responsable de la col·lecció i si totes les mostres incloses es van obtenir amb el consentiment de col·lecció.</p> <p>16. El projecte consisteix únicament en una recollida de dades de la història clínica? <input checked="" type="checkbox"/> No. Contempla participació activa de pacients i/o seguiment prospectiu. <input type="checkbox"/> Sí</p> <p>17. El projecte inclou la recollida d'informació sobre eficàcia o seguretat de medicaments? EOM: estudis observacionals amb medicaments. <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí. Recordem que el 2.01.2021 va entrar un nou Reial Decret (Reial Decret 957/2020) que modifica les condicions en què s'han de realitzar aquests estudis. Ja no cal enviar-los a classificar a l'AEMPS. És important, però, que reviseu el contingut d'aquest Reial Decret, per tal de saber com procedir i quin informació s'ha de consignar en el protocol, per a que pugui ser aprovat pel CEIm. Trobareu el document per a consultar-lo a l'apartat de "Documents d'interès". També cal que mireu al web del CEIm a la pestanya "Com presentar un projecte al CEIm", l'apartat de "Requisits i documents a presentar".</p> <p style="font-size: small;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi, versió 8 de gener de 2021 Pàgina 6 de 9</p>
--	--

<p>SJD Sant Joan de Déu Fundació de Recerca</p> <p>* Si l'estudi ja ha estat aprovat prèviament per un altre CEIm, NO ES TORNARÀ A AVALUAR d'acord a la nova regulació. No cal enviar-los al nostre CEIm per a la seva avaluació.</p> <p>18. L'objecte de la investigació és un producte sanitari (PS)?* <input checked="" type="checkbox"/> No <input type="checkbox"/> Sí <input type="checkbox"/> Disposa del marcat CE (cal adjuntar-lo a la sol·licitud). <input type="checkbox"/> No disposa del marcat CE. Informem que un cop aprovat pel CEIm, li caldrà l'autorització de l'AEMPS. <input type="checkbox"/> Disposa del marcat CE, però s'usa en una indicació diferent de l'autoritzada. Informem que un cop aprovat pel CEIm, li caldrà l'autorització de l'AEMPS.</p> <p style="font-size: x-small;">* Es considera PS qualsevol instrument, dispositiu, equip, programa informàtic, implant, reactiu, material (kits de diagnòstic in vitro) o un altre article destinat pel fabricant a ser utilitzat en persones, la finalitat de diagnosticar, prevenir, fer seguiment, fer pronòstic, o tractar o alleujar una malaltia, discapacitat, alteració anatómica o fisiològica i que no exerceix la seva acció principal prevista per mecanismes farmacològics, immunològics ni metabòlics, però a la funció puguin contribuir aquests mecanismes.</p> <p>19. Protecció de dades. Marqueu les caselles que apliquin al vostre projecte: <input type="checkbox"/> Tractament de dades genètiques. <input type="checkbox"/> Les dades provenen de tercers fora de l'entorn del centre. <input type="checkbox"/> Les dades s'envien a un altre centre, fora de l'entorn del centre. <input type="checkbox"/> Les dades recollides s'emmagatzeman en clouds o hostings externs al centre (REDCAP, similars) <input type="checkbox"/> S'utilitzen noves tecnologies o un ús innovador de tecnologies consolidades; com geolocalització, Big Data, etiquetes de radiofreqüència o RFID, app's. <input type="checkbox"/> Es realitzen transferències internacionals de dades a països fora de la UE i no considerats segurs* <input checked="" type="checkbox"/> No aplica cap dels supòsits anteriors.</p> <p style="font-size: x-small;">*Es consideren segurs: Espal Econòmic Europeu - UE+Liechtenstein, Islàndia i Noruega; Andorra; Argentina; Canadà; Suïssa, Illes Feroe, Guernsey, Israel, Illa de Mai, Jersey, Nova Zelanda i Uruguai.</p> <p>Comentaris/observacions (a omplir pel Comitè de Recerca):</p> <table border="1" style="width: 100%; border-collapse: collapse; margin-top: 10px;"> <tr> <td style="width: 50%; padding: 2px;">Data d'aprovació*</td> <td style="width: 50%; padding: 2px;">Nom i signatura</td> </tr> </table> <p style="font-size: x-small;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi, versió 8 de gener de 2021 Pàgina 7 de 9</p>	Data d'aprovació*	Nom i signatura	<p>SJD Sant Joan de Déu Fundació de Recerca</p> <div style="border: 1px solid black; padding: 5px; margin-bottom: 10px;"> <p>Circuit per projectes de l'HSJD-IRSID: La persona responsable (o de contacte) del projecte enviarà al Comitè de Recerca (comite-recerca@sjdhospitalbarcelona.org) la sol·licitud d'avaluació emplenada en format Word. El Comitè de Recerca valorarà la sol·licitud i la retornarà a l'IP amb el seu vistiplau. En cas que sigui necessària l'aprovació del Comitè d'Ètica (CEIm), abans d'iniciar l'estudi (i en cas de presentar-se a una convocatòria pública, només si ja se li ha concedit l'ajut), caldrà enviar aquesta fitxa (ja amb el vistiplau del CR) juntament amb la documentació esmentada més avall (en format pdf) a l'adreça ceic@fsjd.org</p> <p>Circuit per projectes del PSSJD: La persona responsable (o de contacte) del projecte enviarà a la Comissió de Recerca (tromeror@pssjd.org) la sol·licitud d'avaluació emplenada. El Comitè de Recerca valorarà la sol·licitud i en cas que sigui necessària l'aprovació del Comitè d'Ètica (CEIm), abans d'iniciar l'estudi (i en cas de presentar-se a una convocatòria pública, només si ja se li ha concedit l'ajut), el CR li farà arribar aquesta fitxa amb el seu vistiplau juntament amb la documentació esmentada més avall (en format PDF).</p> <p>Documentació a enviar al CEIm (independentment del circuit que es segueixi):</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Protocol de recerca, identificat amb títol, número de versió i data. 2. FIP/Ci identificat amb títol, número de versió i data o sol·licitud d'exempció. 3. CV de l'investigador principal. 4. Memòria econòmica (si és zero, cal indicar-ho). 5. En estudis amb PS: Certificat CE i manual d'instruccions del producte. 6. Certificat de pòlissa d'assegurança per l'estudi (només si li cal). 7. Certificat d'aprovació d'un altre CEIm, si ja se'n disposa (només per projectes de recerca). 8. Els estudis observacionals amb medicaments prèviament aprovats per un altre CEIm, no requereixen que el nostre CEIm els troni a avaluar. No cal que se'n envii. <table border="1" style="width: 100%; border-collapse: collapse; margin-top: 10px;"> <tr> <td style="width: 33%; height: 40px;"></td> <td style="width: 33%;"></td> <td style="width: 33%;"></td> </tr> </table> <p style="font-size: x-small;">* A omplir per Comitè de Recerca</p> <p style="font-size: x-small;">Sol·licitud d'avaluació d'estudi, versió 8 de gener de 2021 Pàgina 8 de 9</p> </div>			
Data d'aprovació*	Nom i signatura					