

1. Portada

Artículo original

DOI: 10.1111/hae.14138

Recibido: 22 de enero de 2020. Revisado: 6 de agosto de 2020. Aceptado: 7 de agosto de 2020.

Censo nacional de hemofilia y otras coagulopatías: Una iniciativa multisectorial en el sistema de salud colombiano

Luisa Fernanda Alvis¹, Patricia Sánchez¹, Lizbeth Acuña¹, Germán Escobar², Adriana Linares³, María Helena Solano⁴, Sergio Robledo⁵

1. Cuenta de Alto Costo, Fondo Colombiano de Enfermedades de Alto Costo, Bogotá, Colombia
2. Oficina de Calidad, Ministerio de Salud y Protección Social, Bogotá, Colombia
3. Asociación Colombiana de Hematología y Oncología Pediátrica – ACHOP, Asociación Colombiana de Hematología y Oncología – ACHO, Universidad Nacional de Colombia, Bogotá, Colombia
4. asociación Colombiana de Hematología y Oncología – ACHO, Fundación Universitaria Ciencias de la Salud – FUCS, Bogotá, Colombia
5. Colhemofílicos: Liga Colombiana de Hemofílicos y Otras Deficiencias Sanguíneas, Bogotá, Colombia

Título abreviado

Censo colombiano de trastornos de la coagulación hereditarios

Palabras clave

Enfermedades poco comunes; trastornos de la coagulación de la sangre; hereditarios; hemofilia; censos; toma de decisiones.

Número de palabras: 6 677

Correspondencia:

Luisa Fernanda Alvis

Cuenta de Alto Costo, Fondo Colombiano de Enfermedades de Alto Costo

Carrera 45 # 103-34 Oficina 802 Bogotá, Colombia

Tel: +57(1) 6021820; Fax: +57(1) 6021820 - Ext 113

Correo-e: avalbuena@cuentadealtocosto.org

2. Resumen

Introducción: La hemofilia es una enfermedad huérfana y de alto costo en todo el mundo, y particularmente en países con ingresos medios como Colombia. Dada la carga de la enfermedad, en 2014 se creó un censo administrativo nacional a fin de centralizar la información demográfica, médica y económica relacionada con la hemofilia y otras coagulopatías.

Objetivo: Describir los procesos de preparación e implementación del Censo colombiano de hemofilia y otras coagulopatías.

Métodos: Se utilizó la metodología de *conferencia de consenso* para el diseño del censo. Fue un proceso multisectorial que incluyó a diferentes actores del sistema de salud (aseguradoras y prestadoras de servicios de salud, instituciones gubernamentales, organizaciones científicas y académicas, y pacientes).

Resultados: El censo nacional colombiano abarca 95 variables agrupadas en cuatro secciones: (1) datos sociodemográficos, (2) condición médica, (3) costos económicos, y (4) actualizaciones administrativas. De acuerdo con una resolución del Ministerio de Salud, aseguradoras y prestadoras de servicios de salud deben reportar anualmente al censo la información de pacientes con coagulopatías, ya sean estos nuevos o existentes.

Conclusiones: Un censo nacional funciona como un sistema organizado e interactivo para monitorear morbilidad y mortalidad, y para evaluar el acceso a la atención médica y su impacto en la complicación de enfermedades, así como los costos relacionados con la atención médica. Asimismo, la información del censo puede orientar un proceso racional de toma de decisiones a fin de utilizar los recursos económicos de manera eficiente. Por otro lado, los datos sobre enfermedades huérfanas pueden fomentar la investigación médica y la atención basada en pruebas científicas, con el propósito de mejorar la calidad de vida y reducir la discapacidad relacionada con la enfermedad.

Introducción

En Colombia, las enfermedades huérfanas se definen como trastornos crónicos y que ponen en peligro la vida, con una prevalencia baja (<1 caso por 5 000 personas) [1]. Se reconocen como un problema de salud pública fundamental debido a su proceso de atención altamente especializado, el cual incrementa los costos económicos relacionados con la atención de la salud [1].

Desde 2012 se dieron los primeros pasos en la planeación de un censo (padrón o registro) a escala nacional enfocado en enfermedades huérfanas [1, 2]. La fase inicial abarcó un sondeo realizado por el Fondo Colombiano de Enfermedades de Alto Costo (Cuenta de Alto Costo o CAC), en el cual se identificó a la hemofilia como la enfermedad huérfana más frecuente, con una prevalencia de hemofilia A y B de 4.7 y 1.1 casos por 100 000 hombres, respectivamente [3]. Con base en lo anterior, la prevalencia nacional de la hemofilia (A y B) en el país se calculó en 5.25 casos por 100 000 habitantes [2]. Dentro de este contexto se identificó a la hemofilia como un trastorno prioritario. Por ende, fue necesario establecer un censo para monitorear la situación demográfica, médica y económica de la hemofilia en Colombia, a fin de manejar de manera eficiente el riesgo inherente a la enfermedad y de mejorar la calidad de los cuidados administrados.

Hasta donde sabemos, ocho países de América Latina cuentan con censos nacionales: Brasil, Chile, Colombia, Costa Rica, El Salvador, México, República Dominicana y Venezuela [4].

El sistema de salud colombiano recibe financiamiento de fuentes públicas y privadas, y su cobertura es cercana al 96% del total de la población. El 4% restante se agrupa bajo un seguro especial. Hay dos regímenes de aseguramiento: el contributivo y el subsidiado, y cada ciudadano debe estar afiliado a alguno de estos. La población trabajadora se incluye en el régimen contributivo, al cual realizan aportaciones tanto el empleado como el empleador, para el pago de los servicios de salud. Por otra parte, al régimen subsidiado se afilian solamente personas desempleadas o de bajos ingresos, y el pago de la atención médica

se realiza con recursos aportados por la población empleada y el gobierno [5]. El plan de salud incluye los mismos servicios, procedimientos, medicamentos e intervenciones para ambos regímenes. No obstante, hay diferentes aseguradoras responsables del manejo de los recursos y del pago a las prestadoras de servicios de salud.

En pacientes con hemofilia, los costos relacionados con la salud son más elevados que en la población general debido que el tratamiento farmacológico (profiláctico o “a demanda”) y el seguimiento médico en caso de complicaciones tales como inhibidores, hemorragias recurrentes, problemas musculoesqueléticos (artropatía hemofílica crónica y reemplazos articulares) y enfermedades infecciosas son costosos. Además, existen costos indirectos relacionados con años productivos perdidos debido a la discapacidad [6, 7]. En términos de los costos relacionados con la terapia de reemplazo de factor, Colombia tenía el mayor consumo per cápita de factor VIII (4.6 unidades) y factor IX (0.7 unidades) en la región del Continente Americano, en comparación con países de ingresos similares [8].

Dadas las elevadas carga de la enfermedad y carga económica de la hemofilia y otras coagulopatías, un censo nacional de pacientes es imperativo, particularmente en países de ingresos medios en los que el acceso a la salud es heterogéneo. Por lo tanto, el objetivo de este artículo es describir la creación e implementación del Censo colombiano de hemofilia y otras coagulopatías.

Materiales y métodos

Se utilizó la metodología de *conferencia de consenso* para definir la operación, estructura y confidencialidad del censo [9]. El CAC encabezó el proceso y se crearon dos grupos: expertos médicos y revisores bibliográficos. Se invitó a participar a la mayoría de las partes interesadas del sistema de salud: aseguradoras y prestadoras de servicios de salud, Ministerio de Salud, instituciones gubernamentales de control y vigilancia (Superintendencia de Salud y Defensoría del Pueblo), Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud, asociaciones científicas (Sociedad Colombiana de Hematología y Oncología y Sociedad Colombiana de

Hematología y Oncología Pediátricas), organizaciones de pacientes (Liga Colombiana de Hemofílicos y Otras Deficiencias Sanguíneas-ColHemofílicos) y universidades (Universidad Nacional de Colombia y Fundación Universitaria de Ciencias de la Salud). En coordinación con estos actores, el CAC utilizó una metodología de 10 etapas para definir la estructura y el funcionamiento del censo **(Cuadro 1)**.

Cuadro 1. Proceso de elaboración del censo

En la etapa 1 se realizó una búsqueda sistemática de pautas para el ejercicio de la medicina (*Clinical Practice Guidelines* o CPG por sus siglas en inglés) en las principales bases de datos (PubMed, Trip Database, Cochrane, Scielo y National Guideline Clearinghouse), así como en las páginas Internet de la Federación Mundial de Hemofilia y de la Fundación Nacional de Hemofilia de Estados Unidos. El algoritmo de búsqueda se elaboró con los términos MeSH/DeCS y los siguientes filtros: publicado en los últimos 10 años, investigación humana, e idioma (inglés y español).

En la etapa 2, las CPG que cumplieron los criterios de inclusión se evaluaron con la herramienta AGREE (*Appraisal of Guidelines Research and Evaluation*; Valoración de pautas para fines de investigación y evaluación) [10], y se excluyeron las calificadas como “no recomendadas”. Enseguida, después de completarse la revisión del texto de las CPG incluidas, un panel de expertos médicos seleccionó las variables relevantes y los resultados que debería medir el censo (etapa 3). Posteriormente se propusieron definiciones conceptuales y operacionales para las variables relevantes (etapa 4), y se preparó el primer borrador de la estructura del censo (etapa 5).

Se realizó un estudio piloto para determinar la validez y factibilidad de las variables previamente incluidas (etapa 6). Este se realizó durante 3 meses e incluyó 541 pacientes de seis aseguradoras. La muestra se seleccionó al azar en dos fases: Durante la primera fase se incluyeron seis aseguradoras y la probabilidad de selección fue proporcional al número de pacientes que atendían. En la segunda fase

se utilizó un muestreo al azar para seleccionar a los pacientes de cada aseguradora.

Después de ajustarse para los resultados de la prueba piloto, un panel conformado por partes interesadas con extensos conocimientos sobre trastornos de la coagulación y el funcionamiento del sistema de salud votó una propuesta preliminar de las variables y sus definiciones (etapa 7). Las variables con una tasa de aprobación mayor al 50% se incluyeron en la propuesta final (etapa 8) y se enviaron al Ministerio de Salud para su repaso y edición (etapa 9). Por último, el Ministerio de Salud publicó la estructura y el funcionamiento del censo (etapa 10).

Resultados

Como resultado de la etapa 1 se encontraron 1 300 documentos. Luego de una revisión de títulos y resúmenes se excluyeron editoriales, análisis no sistemáticos y ajenos al tema. En última instancia se analizó el texto completo de 44 documentos, identificándose 15 CPG que se evaluaron con la herramienta AGREE. Luego de la evaluación, 6 CPG se clasificaron como “altamente recomendables”, 5 como “recomendables condicionalmente”, y 4 como “no recomendables”. Al final se incluyeron 11 CPG (etapa 2).

Los resultados de la etapa 2 permitieron identificar los objetivos y resultados esperados en cuanto al manejo médico de pacientes con hemofilia. Enseguida fueron evaluados por un panel de expertos médicos quienes seleccionaron 91 variables relacionadas con el diagnóstico, la gravedad, el régimen de tratamiento, y complicaciones tales como hemorragias, artropatía hemofílica crónica, infecciones e inhibidores (etapas 3 y 4).

De acuerdo con los resultados del estudio piloto, de las 91 variables propuestas, el 87% estaba disponible en historias clínicas, y el 4.5% de ellas requería algunas modificaciones relacionadas con la escala de respuesta, principalmente enfocadas en una mejor definición de las categorías. Identificamos algunos problemas para recolectar los datos en 7.5% (variables tales como primera tasa de hemorragias,

primer síntoma clínico de la hemorragia, etiología de la primera hemorragia, comorbilidades (diabetes, hipertensión, obesidad, necesidad de ayuda o de un dispositivo para mejorar la movilidad).

Una vez realizadas las modificaciones pertinentes se agregaron otras 4 variables, de modo que se obtuvieron 95 variables por las cuales votaron las partes interesadas, y todas ellas se incluyeron en la propuesta final (etapa 8). Se agruparon en cuatro secciones: Datos sociodemográficos, condición médica, costos relacionados con la atención médica, y actualizaciones administrativas (Cuadro complementario 1).

Datos sociodemográficos

Esta sección abarca 16 variables, indispensables para una referencia cruzada con otras fuentes oficiales de información, con el propósito principal de verificar la confiabilidad de las estadísticas demográficas. Asimismo, su análisis descriptivo ofrece valiosa información para metas epidemiológicas y de gobernanza [6].

Condición médica

Hay 72 variables agrupadas en esta sección. La información sobre el proceso diagnóstico abarca lo siguiente: Edad al momento del diagnóstico, resultado de la prueba diagnóstica, fecha del diagnóstico, prestadora de servicios de salud donde se confirmó el diagnóstico, clasificación y gravedad de la deficiencia. El régimen de tratamiento está dividido en dos categorías: 1) tratamiento inicial, esquema inicial, factor de reemplazo y fecha de inicio; y 2) tratamiento actual, esquema y factor, peso del paciente, dosis y frecuencia de la profilaxis, unidades recetadas durante los últimos 12 meses (solo en el caso de tratamiento demanda), además de marca y presentación del medicamento.

En cuanto a complicaciones, hay variables tales como número de hemartrosis y hemorragias articulares durante los últimos 12 meses, así como etiología de la hemorragia (espontánea o traumática) y su localización. Se colecta además información sobre inhibidores (inducción a la inmunotolerancia durante los últimos

12 meses y su duración), artropatía hemofílica crónica, complicaciones infecciosas [virus de la hepatitis C (VHC), virus de la hepatitis B (VHB) o virus de la inmunodeficiencia humana (VIH) y de otro tipo (pseudotumores, fracturas y anafilaxis].

El objetivo de algunas de las variables de esta sección es describir la atención médica, incluso información sobre el profesional médico que encabeza el proceso de atención, así como el número de consultas médicas con el hematólogo, el ortopedista, el dentista, el nutricionista, y el psicólogo, entre otros.

Por último, hay dos variables con el objeto de describir el número de hospitalizaciones y admisiones a la sala de urgencias relacionadas con la atención de la hemofilia durante el último año.

Costos relacionados con la atención médica

Se incluyeron cuatro variables: Dos de ellas relacionadas con el costo de los factores de coagulación durante el último año; una más para determinar el costo total del manejo de la enfermedad (que incluye tratamiento, consultas médicas, terapias, pruebas de laboratorio y otras intervenciones); mientras que la última está relacionada con los costos de discapacidad causados por la enfermedad.

Actualizaciones administrativas

Las variables de esta sección definen la situación administrativa actual del paciente en el sistema de salud colombiano. Por ende, permiten identificar particularmente número, causa y fecha de fallecimientos, cambios en la afiliación con aseguradoras, número de casos nuevos, abandonos del tratamiento.

Asimismo, las partes interesadas del sistema de salud decidieron excluir trastornos adquiridos e incluir información sobre 12 trastornos de la coagulación hereditarios, con particular énfasis en la hemofilia A o B, y en la caracterización sociodemográfica de otros trastornos, tales como portadoras de hemofilia, enfermedad de Von Willebrand, y deficiencias poco comunes (de fibrinógeno, protrombina, factor V, combinada de factor V y factor VIII, factor VII, factor X, factor XI y factor XIII).

En cuanto al funcionamiento del censo, se declaró que, cada año, las aseguradoras, en colaboración con sus prestadoras de servicios de salud, deben recolectar datos de sus afiliados a fin de actualizar la información del censo en una plataforma en línea que se diseñó para validar la estructura, coherencia y consistencia de la información proporcionada. Lo anterior es necesario tomando en cuenta que en Colombia no existen historias clínicas estandarizadas; de hecho, cada prestadora de servicios de salud tiene programas propios, o incluso siguen usándose historias médicas en papel en las zonas más remotas del país.

Una vez que la información se carga a la interfase, la CAC realiza un proceso de monitoreo de los datos a fin de garantizar su calidad. Esto lo efectúan profesionales de la salud especializados en auditoría, quienes comparan la información del censo con la información disponible en historias médicas electrónicas o en papel y, de encontrarse alguna inconsistencia, se realizan las modificaciones necesarias.

Es importante mencionar que el censo está clasificado como administrativo [11]. La Figura 1 describe el flujo de información del censo, definido para orientar el proceso.

Figura 1. Funcionamiento del Censo colombiano de hemofilia y otras coagulopatías

El último aspecto a considerar en el funcionamiento del censo fue la confidencialidad de los datos. Para mantenerla se estableció un proceso de triangulación con la base de datos oficial de los afiliados al sistema de salud en todo el país, manejada por el Ministerio de Salud, y la creación de un número identificador único que se asignó con el propósito de garantizar la anonimidad de los datos y el seguimiento. El CAC fue la institución responsable de garantizar la protección de los datos personales y médicos, de acuerdo con la legislación nacional.

Por último, el borrador actualizado se envió al Ministerio de Salud a fin de verificar su consistencia con la reglamentación nacional de salud (etapa 9). El censo empezó a funcionar en 2015, mediante una medida administrativa del Gobierno colombiano (etapa 10), que estableció que el informe anual es obligatorio para todos los actores

del sistema de salud colombiano.

Evolución del censo (2015-2019)

El censo funciona desde el 2015. Durante el primer año se reportaron 3 501 casos de coagulopatías, de los cuales 1 834 eran casos prevalentes de hemofilia. Para el 2018 se había identificado un total de 4 395 casos de trastornos de la coagulación congénitos, de los cuales 2 237 eran personas con hemofilia. Anualmente se publica un informe de la situación vigente sobre los trastornos sanguíneos reportados [12]. Asimismo, cada año se calculan también indicadores de manejo de riesgo (e. g.: proporción de pacientes con inhibidores; tasas de hemorragias espontáneas y traumáticas; y acceso a consultas con hematólogo/dentista) a fin de evaluar y comparar el acceso a los servicios de salud entre aseguradoras y prestadoras de servicios de salud, de modo que, según su evolución, el Ministerio de Salud y otras entidades del sistema de salud puedan modificar reglamentos nacionales y locales, así como protocolos para el ejercicio de la medicina, con el propósito de mejorar la calidad de la atención que se imparte.

Discusión

Colombia forma parte de América Latina y actualmente tiene 50.4 millones de habitantes. Según la clasificación más reciente del Banco Mundial, se considera un país de ingresos medios altos. Entre 2014 y 2018, el promedio del gasto anual en salud fue de 7.2% del producto interno bruto (PIB), menor al porcentaje de Estados Unidos (16.9%) o de la Unión Europea (superior al 10%), pero similar al de otros países de la región [13].

De acuerdo con lo anterior, en un sistema de salud con fondos limitados, la atención de la hemofilia representa una importante carga económica para el sistema, a pesar de su baja prevalencia.

Antes de la creación del censo, la prevalencia de la hemofilia se calculaba con datos proporcionados por el Censo Nacional de Enfermedades Huérfanas, realizado por el Instituto Nacional de Salud, el Ministerio de Salud y la CAC, en 2013 (3). En 2019, había 2 331 personas con hemofilia (A o B) y la prevalencia ajustada a la edad era

de 4.6 casos por 100 000 personas [12].

Los costos directos relacionados con el tratamiento son particularmente altos. Por ejemplo, en 2010, los costos para el sistema de salud colombiano del factor de coagulación de reemplazo fueron de más de 74 millones de dólares estadounidenses [14]. Asimismo, la necesidad de hacer de la hemofilia una enfermedad visible y de uniformizar su atención fueron las bases para la creación de los 10 Principios Europeos para la Atención de la Hemofilia, publicados en 2008 por la Asociación Europea para la Hemofilia y Trastornos Afines (EAHAD por sus siglas en inglés), uno de los cuales se centra en la creación de censos nacionales de pacientes [15].

Desde entonces, una mejor calidad de la atención para las enfermedades hematológicas poco comunes se ha convertido en un tema relevante a escala mundial. Por ende, el censo colombiano se creó con el propósito de mejorar los resultados relacionados con la atención de la salud y a fin de administrar de manera eficiente los recursos del sistema de salud colombiano. Para determinar la estructura y el alcance del censo se utilizó un enfoque multisectorial y, debido a esto, constituye una útil herramienta para el proceso de toma de decisiones en el sector de la salud pública. El censo se clasificó como administrativo porque incluye algunas variables relacionadas con la dinámica del sistema de salud colombiano y su proceso de actualización fue enunciado por el Ministerio de Salud, con la participación activa de aseguradoras y prestadoras de servicios de salud.

Al contrario de Brasil [16-17], Italia [18] y Suiza [19], países en los que la información de los censos proviene de los centros de tratamiento de hemofilia, en Colombia son las aseguradoras y las prestadoras de servicios de salud las que deben actualizar el censo. La información no se recolecta directamente de las prestadoras de servicios de salud porque el país no tiene un sistema de registro de salud único.

El censo recolecta valiosa información para la planificación de los servicios de salud porque las variables sobre régimen de afiliación, aseguradoras y prestadoras de servicios de salud, así como las de carga de la enfermedad para el municipio o el departamento son útiles a fin de determinar tendencias a lo largo del tiempo. Asimismo, a partir de esta información los encargados de la toma de decisiones de

salud pública pueden encabezar una distribución de recursos equitativa.

Otro punto fuerte del censo es la inclusión de algunas variables relacionadas con el estado gestacional y el acceso a anticonceptivos y asesoría genética para mujeres portadoras de hemofilia y quienes padecen una coagulopatía diferente. Esto es particularmente importante a fin de centrarse en la prevención, la detección precoz y en programas de atención neonatal para poblaciones de alto riesgo [20, 21].

A pesar del importante papel que desempeña para ayudar a personas con trastornos de la coagulación hereditarios a tomar decisiones mejor informadas, la asesoría genética es novedosa en países en vías de desarrollo [22]. Por ende, el monitoreo de los datos en este campo es necesario y podría resultar una intervención rentable.

La parte más extensa del censo se centra en la condición médica (75.8% de las variables) y es una característica que comparte con otros censos a escala mundial. Es bien sabido que la hemofilia se encuentra estrechamente relacionada con la herencia. No obstante, recientemente se ha documentado científicamente que alrededor del 30% de los casos se atribuye a nuevas mutaciones [23]; de hecho, se incluyeron historial familiar e indicación médica para pruebas diagnósticas.

Por lo que respecta a la evolución clínica, pruebas científicas han demostrado que la gravedad de la hemofilia y otras coagulopatías está directamente relacionada con la incidencia de complicaciones [23]. Este efecto se acentúa con el incremento en la edad; por ejemplo, en personas con hemofilia A o B grave, la prevalencia de hemorragias articulares aumenta de 21% en niños de 1 a 6 años de edad, a 50% en el grupo etario de 10-17 años, y a 60% o más en pacientes de 18 a 65 años de edad [24, 25]. Pruebas científicas previas justificaron la inclusión de variables relacionadas con la gravedad y la edad al momento del diagnóstico, debido a su valor clínico y pronóstico.

Además, tomando en cuenta que el fenotipo característico de la hemofilia es la tendencia hemorrágica [22], se incluyeron variables para caracterizar la frecuencia, localización y origen de las hemorragias. Asimismo, las características clínicas de las hemorragias están relacionadas con la presencia de inhibidores, particularmente en casos de hemofilia leve y moderada. En casos de hemofilia A grave, la incidencia

acumulativa de inhibidores presenta un rango de entre 20%-30% [26]. Cuando hay presencia de inhibidores, las opciones y las dosis de tratamiento deben modificarse, y tales cambios incrementan los costos de manera considerable [27-29]. Por consiguiente, los inhibidores constituyen la complicación más seria en pacientes con hemofilia, motivo por el cual se incluyeron en el censo algunas variables sobre estos, a fin de predecir su impacto en los resultados de salud [30].

En términos de régimen terapéutico, el factor de coagulación de reemplazo constituye el tratamiento de referencia [22]. La selección del esquema de tratamiento depende de los objetivos del mismo, de la gravedad del trastorno y del historial de complicaciones; asimismo, el tratamiento puede ser “a pedido” (indicado para hemorragias agudas) o profiláctico (una infusión periódica de concentrado de factor a fin de prevenir hemorragias, incluso hemartrosis) [31, 32]. En cuanto a las ventajas de la profilaxis, esta ha demostrado un decremento importante en la frecuencia de las hemorragias, además de la preservación de la función articular [33].

La inclusión de variables de tratamiento permitirá el desarrollo de indicadores y estudios de investigación localizados sobre acceso, rentabilidad para prevenir complicaciones, y administración por parte de aseguradoras y prestadoras de servicios de salud.

Es sabido que la atención por parte de un equipo multidisciplinario de profesionales capacitados en un entorno de atención integral es importante para maximizar resultados [34-35]. En efecto, el censo abarca información sobre prestadoras de servicios de salud y equipo a cargo de la asistencia médica y el seguimiento.

A pesar de que existen múltiples opciones de factor de coagulación autorizadas, la información de calidad sobre sus dosis, frecuencia y costo es limitada. Esto justifica la inclusión de información sobre el factor recetado (recombinante o derivado de plasma).

Del mismo modo, los costos relacionados con la atención médica son más elevados en el caso de la hemofilia y, debido a esto, su seguimiento tiene prioridad sobre otras enfermedades huérfanas en el país. Si bien se reconoce que los costos elevados se relacionan principalmente con costos directos (concentrado de factor,

complicaciones, hospitalizaciones y procedimientos), los costos indirectos (disminución de la productividad laboral o escolar) y los costos intangibles (calidad de vida y discapacidad) también tienen un considerable impacto [36, 37]. De hecho, el censo abarca información relacionada con todo tipo de costos de salud, excepto por la calidad de vida, que es difícil de cuantificar en el contexto de una población. Las variables de costos serán útiles para establecer con exactitud la carga social y económica de las enfermedades huérfanas hematológicas. Igualmente, a partir de dichos hallazgos, pueden modificarse las políticas públicas y los procesos de atención según necesidades y oportunidades de mejoramiento.

Confidencialidad

En países como Italia [18] y Alemania [38] se requiere un consentimiento o autorización firmado por el paciente o los padres del paciente para el uso de datos epidemiológicos y sociodemográficos. En Colombia, la legislación permite el uso de datos médicos para fines del censo porque la CAC es una organización técnica del sistema de salud. De hecho, la CAC cuenta con autorización para auditar los datos a fin de garantizar la calidad, confiabilidad y veracidad de la información reportada. El censo colombiano fue una iniciativa multisectorial encabezada por el gobierno nacional, en la que la participación de aseguradoras y prestadoras de servicios de salud fue decisiva para centrarse en enfermedades huérfanas hematológicas y mantener el censo actualizado.

El enfoque multidisciplinario permitió obtener datos oportunos y de calidad, lo cual ha desembocado en un seguimiento sustentable, con importantes mejoras en la atención de la salud y los resultados de los pacientes. Otro de sus puntos fuertes es que la información exacta a nivel nacional permite comparaciones factibles con la situación de las enfermedades huérfanas hematológicas a escala mundial. Respecto a sus limitaciones, el censo cuenta con información médica limitada sobre otras coagulopatías porque inicialmente se enfocó en la hemofilia. Asimismo, no existe una interfase para pacientes que les permita reportar directamente sus tratamientos, hemorragias y mediciones de calidad de vida.

Conclusiones

El censo colombiano se creó para lograr varios propósitos: Determinar la frecuencia y distribución de las coagulopatías congénitas en todo el país, la calidad de la atención que estas reciben, la rentabilidad, y los indicadores de riesgo a fin de administrar la carga de la enfermedad y fomentar prácticas médicas estandarizadas.

La creación y el manejo del Censo colombiano de hemofilia y otras coagulopatías mediante una metodología estandarizada y la participación de actores del sistema de salud permite garantizar procesos de toma de decisiones basados en pruebas científicas y necesidades nacionales, así como un manejo más eficiente de recursos e investigación médica enfocados en la distribución epidemiológica de la enfermedad y sus complicaciones, la rentabilidad de los tratamientos y su efecto en la discapacidad.

Divulgaciones

Todos los autores declararon no tener conflictos de intereses que pudieran generar resultados parciales.

Contribuciones de los autores

El primer borrador del manuscrito fue redactado por LFA y PS. AL y MHS escribieron sobre los aspectos médicos a fin de apoyar la discusión, y revisaron todo el documento. LA y GE redactaron las secciones de Discusión y Conclusiones. SR redactó la Introducción y revisó los resultados. Todos los autores aprobaron la versión final.

5. Referencias

- 1 Congreso de Colombia. Ley No. 1392 de 2010. Diario Oficial de la República de Colombia, número 47.758, 2010.
- 2 Decreto número 1954 de 2012. Diario Oficial de la República de Colombia, número 48.558, 2012.
- 3 Ministerio de Salud y Protección Social. Resolución número 3681 de 2013. Diario Oficial de la República de Colombia, número 48.922, 2013.
- 4 Boadas A, Ozelo M, Solano M, Berges A, Ruiz-Sáez A, Linares A, et al. Haemophilia care in Latin America: Assessment and perspectives. *Haemophilia*. 2018; 24(6): 395-401. doi: 10.1111/hae.13607.
- 5 Guerrero R, Gallego AI, Becerril-Montekio V, Vásquez J. Sistema de salud de Colombia. *Salud Pública Mex*. 2011; 53(2): 144-55. PMID: 21877080.
- 6 Carlos-Rivera F, Gasca-Pineda R, Majluf-Cruz A, García-Chávez J. Impacto económico de la hemofilia tipo A y B en México. *Gac Med Mex*. 2016; 152(1): 19-29. PMID: 26927640.
- 7 Rocha P, Carvalho M, Lopes M, Araújo F. Costs and utilization of treatment in patients with hemophilia. *BMC Health Serv Res*. 2015; 15: 484. doi: 10.1186/s12913-015-1134-3.
- 8 Federación Mundial de Hemofilia. Sondeo mundial anual de la FMH: Unidades per cápita de factor VIII y IX en 2017. Disponible en: https://www1.wfh.org/GlobalSurvey/Public_AGS/AGS_Factors_UIPerCapita_EN.aspx.
- 9 Halcomb E, Davidson P, Hardaker L. Using the consensus development conference method in healthcare research. *Nurse Res*. 2008; 16(1): 56-71. doi: 10.7748/nr2008.10.16.1.56.c6753.
- 10 AGREE Collaboration. Development and validation of an international appraisal instrument for assessing the quality of clinical practice guidelines: the AGREE project. *Qual Saf Health Care*. 2003; 12(1): 18-23. doi: 10.1136/qhc.12.1.18.
- 11 Federación Mundial de Hemofilia. Guía para desarrollar un censo nacional de pacientes, 2015. Disponible en: <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf->

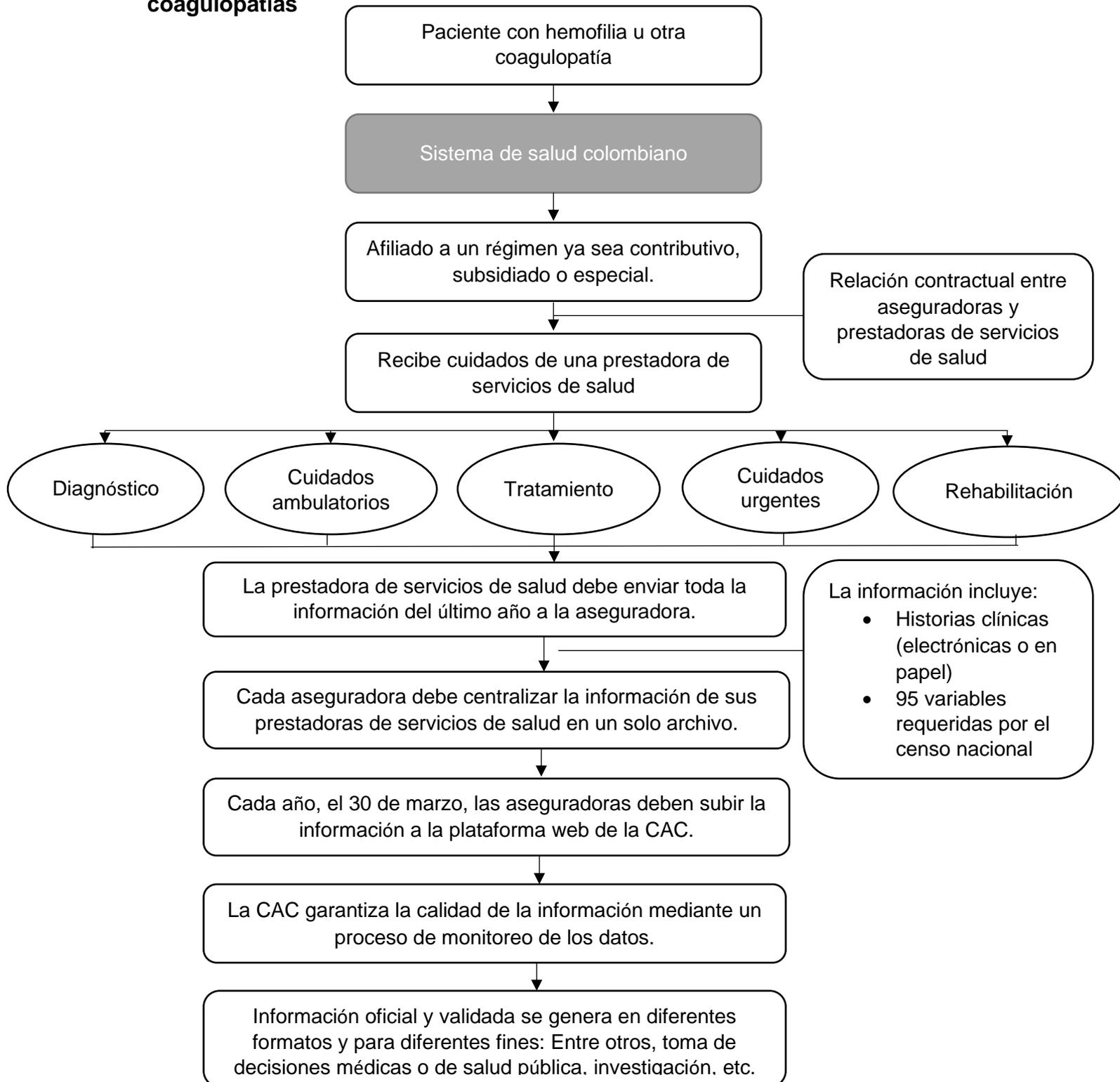
- 1289.pdf.
- 12 Fondo Colombiano de Enfermedades de Alto Costo, Cuenta de Alto Costo (CAC). Situación de la hemofilia en Colombia 2019; Bogotá D.C. 2019.
Disponible en:
http://colhemofilicos.org.co/_assets/img/educacion/situacion_hemofilia/Libro_Situacion_Hemofilia_2019.pdf
 - 13 The World Bank. Current Health Expenditure, Colombia. Disponible en:
<https://data.worldbank.org/indicator/SH.XPD.CHEX.GD.ZS?locations=CO>.
 - 14 Castro Jaramillo HE, Moreno Viscaya M, Mejia AE. Cost-utility analysis of primary prophylaxis, compared with on-demand treatment, for patients with severe hemophilia type A in Colombia. *Int J Technol Assess Health Care*. 2016; 32(5): 337-47. doi: 10.1017/S0266462316000544.
 - 15 Colvin BT, Astermark J, Fischer K, Gringeri A, Lassila R, Schramm W, et al. European principles of haemophilia care. *Haemophilia*. 2008; 14(2): 361-74. doi: 10.1111/j.1365-2516.2007.01625.x.
 - 16 Ministerio de Salud. Secretaría de Atención de la Salud. Departamento de Atención Especializada. Coordinación General de Sangre y Hemoderivados. Perfil de coagulopatías hereditarias en Brasil 2009-2010. 2ª ed. 2012; 1-66.
 - 17 Rezende SM, Pinheiro K, Caram C, Genovez G, Barca D. Registry of inherited coagulopathies in Brazil: first report. *Haemophilia*. 2009; 15(1): 142-9. doi: 10.1111/j.1365-2516.2008.01907.x.
 - 18 Giampaolo A, Abbonizio F, Arcieri R, Hassan HJ. Italian Registry of Congenital Bleeding Disorders. *J Clin Med*. 2017; 6(3): 34. doi: 10.3390/jcm6030034.
 - 19 von der Weid N. Haemophilia Registry of the Medical Committee of the Swiss Haemophilia Society. Update and annual survey 2011/12. *Hamostaseologie*. 2013; 33(1): 10-4. PMID: 24169811.
 - 20 Ministerio de Salud. Guía Clínica AUGÉ: Hemofilia. Santiago de Chile; 2013.
Disponible en:
https://diprece.minsal.cl/wrdprss_minsal/wp-content/uploads/2014/12/Hemofilia.pdf.
 - 21 Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad. Hemofilia Guía Terapéutica. 2012. Disponible en:

- https://www.mscbs.gob.es/profesionales/saludPublica/medicinaTransfusional/publicaciones/docs/Hemofilia_GuiaTerapeutica.pdf.
- 22 Srivastava A, Brewer AK, Mauser-Bunschoten EP, Key NS, Kitchen S, Llinas A, et al. Guidelines for the management of hemophilia. *Haemophilia*. 2012; 19(1):1-47. doi: 10.1111/j.1365-2516.2012.02909.x. Versión en español disponible en: <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1513.pdf>.
 - 23 Colvin BT, Astermark J, Fischer K, et al. European principles of haemophilia care. *Haemophilia*. 2008; 14(2): 361-74. doi: 10.1111/j.1365-2516.2007.01625.x.
 - 24 Peyvandi F, Garagiola I, Young G. The past and future of haemophilia: diagnosis, treatments, and its complications. *Lancet*. 2016; 388(10040): 187-97. doi: 10.1016/S0140-6736(15)01123-x.
 - 25 Fischer K, Collins P, Björkman S, Blanchette V, Oh M, Fritsch S, et al. Trends in bleeding patterns during prophylaxis for severe haemophilia: observations from a series of prospective clinical trials. *Haemophilia*. 2011; 17(3): 433-8. doi: 10.1111/j.1365-2516.2010.02450.x.
 - 26 Astermark J, Altisent C, Batorova A, Diniz MJ, Gringeri A, Holme PA, et al. Non-genetic risk factors and the development of inhibitors in haemophilia: a comprehensive review and consensus report. *Haemophilia*. 2010. 16(5): 747-66. doi: 10.1111/j.1365-2516.2010.02231.x.
 - 27 Valentino LA, Pipe SW, Tarantino MD, et al. Healthcare resource utilization among haemophilia A patients in the United States. *Haemophilia* 2012; 18(3): 332-8. doi: 10.1111/j.1365-2516.2011.02677.x.
 - 28 Guh S, Grosse SD, McAlister S, Kessler CM, Soucie JM. Healthcare expenditures for males with haemophilia and employer-sponsored insurance in the United States, 2008. *Haemophilia* 2012; 18(2): 268-75. doi: 10.1111/j.1365-2516.2011.02692.x.
 - 29 Abbonizio F, Giampaolo A, Coppola A, et al. Therapeutic management and costs of severe haemophilia A patients with inhibitors in Italy. *Haemophilia*. 2014; 20(4): e243-50. doi: 10.1111/hae.12456.
 - 30 Osooli M, Berntorp E. Inhibitors in haemophilia: what have we learned from registries? A systematic review. *J Intern Med*. 2015; 277(1): 1-15.

doi: 10.1111/joim.12301.

- 31 Acharya SS. Advances in hemophilia and the role of current and emerging prophylaxis. *Am J Manag Care*. 2016; 22(5): 116-25. PMID: 27266808.
- 32 Castaman G, Linari S. Prophylactic versus on-demand treatments for hemophilia: advantages and drawbacks. *Expert Rev Hematol*. 2018; 11(7): 567-76. doi: 10.1080/17474086.2018.1486704.
- 33 Manco-Johnson MJ, Soucie JM, Gill JC. Prophylaxis usage, bleeding rates and joint outcomes of hemophilia 1999 - 2010: a surveillance project. *Blood*. 2017; 129(17): 2368-2374. doi: 10.1182/blood-2016-02-683169.
- 34 Skinner MW. WFH - The cornerstone of global development: 45 years of progress. *Haemophilia*. 2008; 14(3): 1-9. doi: 10.1111/j.1365-2516.2008.01707.x.
- 35 Fischer K, Hermans C, EHTSB. The European Principles of Haemophilia Care: a pilot investigation of adherence to the principles in Europe. *Haemophilia*. 2013; 19(1): 35-43. doi: 10.1111/j.1365-2516.2012.02928.x.
- 36 Chen SL. Economic costs of hemophilia and the impact of prophylactic treatment on patient management. *Am J Manag Care*. 2016; 22(5): 126-33. PMID: 27266809.
- 37 Zhou ZY, Koerper MA, Johnson KA, Riske B, Baker JR, Ullman M, et al. Burden of illness: direct and indirect costs among persons with hemophilia A in the United States. *J Med Econ*. 2015; 18(6): 457-65. doi: 10.3111/13696998.2015.1016228.
- 38 Hesse J, Haschberger B, Heiden M, Seitz R, Schramm W. New data from the German Haemophilia Registry. *Hamostaseologie*. 2013; 33(1): 15-21. PMID: 24169687.

Figura 1. Funcionamiento del Censo colombiano de hemofilia y otras coagulopatías



CAC: Cuenta de Alto Costo

Cuadro 1. Proceso de preparación del censo

Etapa	Descripción	2014												2015		
		Feb	Mar	Abr	May	Jun	Jul	Ago	Sep	Oct	Nov	Dic	Ene			
1	Búsqueda sistemática de CPG*.	■	■	■	■	■	■									
2	Evaluación de CPG*.		■	■	■	■	■									
3	Identificación de objetivos y resultados relacionados con el manejo clínico.			■	■	■	■	■								
4	Selección de variables que se medirán, objetivos y resultados.			■	■	■	■	■								
5	Preparación del primer borrador con estructura del censo.						■	■								
6	Realización de estudio piloto.							■	■							
7	Discusión y consenso sobre la estructura del censo.								■	■						
8	Propuesta final de diseño.									■	■					
9	Revisión y edición por el Ministerio de Salud.										■	■	■	■		
10	Declaración y publicación por el Ministerio de Salud.														■	■

*CPG: Siglas de *Clinical Practice Guidelines* (pautas para el ejercicio de la medicina)

Cuadro complementario 1. Estructura del Censo colombiano de hemofilia y otras coagulopatías

1. Datos sociodemográficos

1. Primer nombre del paciente
2. Segundo nombre del paciente
3. Primer apellido del paciente
4. Segundo apellido del paciente
5. Tipo de identificación del paciente
6. Número de identificación del paciente
7. Fecha de nacimiento
8. Sexo
9. Ocupación
10. Régimen de afiliación al sistema de salud
11. Código de EAPB* (aseguradora) o de la entidad territorial
12. Código de pertenencia étnica
13. Grupo poblacional
14. Municipio de residencia
15. Número telefónico del paciente
16. Fecha de afiliación a la EPS** (prestadora de servicios) que registra

2. Condición médica

17. Estado de gestación (a la fecha de corte)
18. Paciente en programa de planificación o consejería genética

Diagnóstico

19. Edad del paciente al momento del diagnóstico
20. Motivo de la prueba de diagnóstico
21. Fecha del diagnóstico
22. Prestadora de servicios de salud donde se realizó el diagnóstico
23. Tipo de deficiencia diagnosticada
24. Gravedad de la deficiencia (definida por el nivel de factor)
25. Actividad coagulante del factor
26. Historial de trastornos de la coagulación (antecedentes familiares relacionados con hemofilia)

Tratamiento inicial

27. Factor recibido
28. Esquema
29. Fecha de inicio

Tratamiento actual

30. Factor recibido
31. Esquema
32. Peso (kg) del paciente

Cuadro complementario 1. Estructura del Censo colombiano de hemofilia y otras coagulopatías (sigue)

- 32.1. Dosis profiláctica (en UI; última dosis calculada para el periodo)
- 32.2. Frecuencia por semana (profilaxis)
- 32.3. Solo tratamiento a pedido: número de unidades de factor que recibió el paciente en los últimos 12 meses
- 32.4. Solo tratamiento a pedido: frecuencia de administración de factor en los últimos 12 meses
33. Lugar en el que se administró el tratamiento (hogar o institución médica)
34. Vía de administración (tipo de acceso venoso)
35. Código único del medicamento (marca del concentrado de factor)
36. Código único del medicamento (marca del concentrado de factor)
37. Código único de otros medicamentos utilizados (marca del concentrado de factor)
38. Código único de otros medicamentos utilizados (marca del concentrado de factor)
39. IPS*** (prestadora de servicios de salud) a cargo de la atención y seguimiento del paciente

Hemorragias (durante los últimos 12 meses)

40. Hemartrosis
- 40.1. Número de hemartrosis espontáneas
- 40.2. Número de hemartrosis traumáticas
41. Hemorragias en el Iliopsoas
42. Hemorragias en otros músculos o tejidos blandos
43. Hemorragias intracraneales
44. Hemorragias en cuello o garganta
45. Hemorragias orales
46. Otras hemorragias
47. Otras hemorragias diferentes a la hemartrosis
- 47.1. Número de hemorragias espontáneas (diferentes a hemartrosis)
- 47.2. Número de hemorragias traumáticas (diferentes a hemartrosis)
- 47.3. Número de hemorragias relacionadas con procedimientos médicos

Complicaciones (durante los últimos 12 meses)

48. Presencia de inhibidores actualmente
- 48.1. Fecha de determinación de títulos de inhibidores
- 48.2. Historial de inhibidores
- 48.3. Inducción a la inmunotolerancia (ITI)
- 48.4. Duración de la ITI (días)
49. Diagnóstico de artropatía hemofílica crónica
- 49.1. Número de articulaciones afectadas
50. Infección por virus de la hepatitis C (VHC)
51. Infección por virus de la hepatitis B (VHB)
52. Infección por virus de la inmunodeficiencia humana (VIH)
53. Presencia de pseudotumores
54. Fracturas (osteopenia/osteoporosis)
55. Anafilaxis
- 55.1. Factor al que se atribuye la reacción alérgica o anafiláctica
56. Número de reemplazos articulares (durante toda la vida)
- 56.1. Número de reemplazos articulares (durante los últimos 12 meses)

Cuidados multidisciplinarios (durante los últimos 12 meses)

57. Profesional que encabeza los procesos de atención y tratamiento (hematólogo, médico general, médico familiar, internista, ortopedista, etc.)
- 57.1. Número de consultas con hematólogo

Cuadro complementario 1. Estructura del Censo colombiano de hemofilia y otras coagulopatías (sigue)

- 57.2. Número de consultas con ortopedista
- 57.3. Intervenciones por parte del profesional de enfermería
- 57.4. Número de consultas con odontólogo
- 57.5. Número de consultas con nutricionista
- 57.6. Intervenciones por parte del personal de trabajo social
- 57.7. Número de consultas con fisioterapia
- 57.8. Número de consultas con psicología
- 57.9. Intervenciones por parte del químico farmacéutico
- 57.10. Intervenciones por parte de fisioterapia
- 57.11. Primer nombre del médico tratante principal
- 57.12. Segundo nombre del médico tratante principal
- 57.13. Primer apellido del médico tratante principal
- 57.14. Segundo apellido del médico tratante principal
- 58. Número de admisiones al servicio de urgencias debidas a la hemofilia
- 59. Número de hospitalizaciones debidas a la hemofilia

3. Costos relacionados con la atención médica

- 60. Costo del factor de coagulación
- 61. Costo de los agentes de puenteo o desvío
- 62. Costos totales relacionados con el tratamiento de la enfermedad
- 63. Costos relacionados con discapacidades laborales resultantes del ausentismo laboral causado por la enfermedad

4. Actualizaciones administrativas

- 64. Actualizaciones administrativas relacionadas con la situación del paciente en el sistema de salud
 - 64.1. Causa de muerte
 - 64.2. Fecha de muerte

* EAPB: Entidad administradora de planes de beneficio

** EPS: Entidad promotora de la salud

*** IPS: Institución prestadora de servicios