Pfizer

SUPERHEMOS

DESAFÍOS EN HEMOFILIA: NUEVOS HORIZONTES PARA SU ABORDAJE

SUPERHEMOS

DESAFÍOS EN HEMOFILIA: NUEVOS HORIZONTES PARA SU ABORDAJE

Este documento se ha elaborado en respuesta a una prioridad de interés público con el propósito de analizar la situación actual del abordaje de la hemofilia en España, identificar inequidades y barreras existentes en la atención a estos pacientes, así como recoger propuestas consensuadas para mejorar la coordinación asistencial, el acceso y la calidad de la atención. Su finalidad es contribuir a una atención más homogénea, eficiente y centrada en las necesidades reales de las personas con hemofilia en todo el territorio nacional.

Pfizer no garantiza ni se hace responsable de la exactitud, actualidad o exhaustividad de los contenidos de este documento. Las opiniones de Pfizer no tienen por qué ser coincidentes con las opiniones, recomendaciones o manifestaciones realizadas por los profesionales de la salud, expertos u otras personas que han colaborado en la elaboración de dicho documento. Esta información se proporciona en respuesta a una prioridad de interés público y se considera veraz, precisa, equilibrada, imparcial y no engañosa. Es apoyada por los datos científicos pertinentes, incluidos datos de seguridad, y ha sido elaborada para responder a una pregunta específica; no se trata de promoción.

ÍNDICE

1. AGRADECIMIENTOS
2. RESUMEN EJECUTIVO
3. CONTEXTO DE LA HEMOFILIA EN ESPAÑA
4. PROYECTO SUPERHEMOS
    4.1. OBJETIVOS
    4.2. METODOLOGÍA
5. AVANCES EN EL DIAGNÓSTICO Y MANEJO TERAPÉUTICO
    5.1. NECESIDADES Y BARRERAS
    5.2. SOLUCIONES
6. COORDINACIÓN ASISTENCIAL
    6.1. NECESIDADES Y BARRERAS
    6.2. SOLUCIONES
7. ACCESO A LA INNOVACIÓN TERAPÉUTICA
    7.1. NECESIDADES Y BARRERAS
    7.2. SOLUCIONES
8. CONCLUSIONES
    8.1. PALANCAS DE ACCION
9. ABREVIATURAS
10. REFERENCIAS
11. ANEXO 1
12. ANEXO 2

1. AGRADECIMIENTOS

Este documento se ha desarrollado **gracias a la participación y el compromiso de todos los profesionales** que han contribuido al proyecto **SUPERHEMOS**, aportando su conocimiento, su experiencia y su visión multidisciplinar sobre el abordaje de la hemofilia en España:

Alberto Jiménez. Farmacéutico Hospitalario. Jefe de Servicio de Farmacia Hospitalaria. H.U. Virgen de las Nieves.

Antonio Palomero. Farmacéutico Hospitalario. H.U. Son Espases.

Daniel-Aníbal García. Paciente. Presidente FEDHEMO.

Francisco José López. Hematólogo. Responsable de Unidad de Hemostasia y Trombosis. H.U. Regional de Málaga.

José Antonio Romero. Farmacéutico Hospitalario. Jefe de Sección de Hemofilia y Hemoderivados de Farmacia. H.U. La Paz. Portavoz GEMEH.

Juan Carlos Juárez. Farmacéutico Hospitalario. H.U. Vall d'Hebron. Coordinador GEMEH.

Juan Eduardo Megías. Farmacéutico Hospitalario. Responsable OMPTA. Conselleria de Sanitat de la Generalitat Valenciana.

Laura Quintas. Paciente. Vicepresidenta AGADHEMO.

María Ángeles Canaves. Paciente. Representante HEMOIB.

María de los Ángeles Ocaña. Farmacéutica Hospitalaria. Jefa de Sección y Responsable de Hemofilia. H.U. Nuestra Señora de Candelaria.

María Teresa Álvarez. Hematóloga. Jefa de Sección de Trombosis y Hemostasia. H.U. La Paz. Presidenta SETH.

Miguel Ángel Martín. Paciente. Presidente ASPHA.

Ramiro Núñez. Hematólogo. Jefe de Sección de Trombosis y Hemostasia. H.U. Virgen del Rocío.

Santiago Bonanad. Hematólogo. Jefe de Sección de Hemostasia y Trombosis. H.U. y Politécnico La Fe.

Sara García. Enfermera de Trombosis y Hemostasia. H.U. La Paz – IdiPAZ.

Sara González. Farmacéutica Hospitalaria. Complejo H.U. A Coruña. Miembro GEMEH.

Víctor Jiménez Hematólogo. Jefe de Servicio de Hematología. H.U. La Paz.

El documento SUPERHEMOS es el resultado del esfuerzo conjunto de todos ellos. Sin su participación activa, su **colaboración** y su **compromiso con la mejora continua del abordaje de la hemofilia**, este proyecto no habría sido posible.

2. RESUMEN EJECUTIVO

El proyecto **SUPERHEMOS ofrece una visión clara y multidisciplinar del abordaje de la hemofilia en España**, identificando inequidades territoriales y oportunidades de mejora en diagnóstico, coordinación asistencial y acceso. Reuniendo a hematólogos, farmacéuticos hospitalarios, enfermería especializada y Asociaciones de Pacientes, **se han analizado las diferencias territoriales, los retos compartidos y las prácticas que funcionan en los distintos modelos organizativos del Sistema Nacional de Salud (SNS)**.

El diagnóstico precoz continúa siendo un reto importante, con diferencias entre territorios en la sospecha clínica, el acceso a estudios avanzados, la detección de mujeres sintomáticas y el diagnóstico de neonatos. La **individualización terapéutica** también se ve **limitada por la variabilidad** en protocolos y la experiencia desigual entre centros.

La **coordinación asistencial** muestra una **heterogeneidad destacada**. Persisten diferencias en la estructura y composición de los equipos multidisciplinares, la integración de Atención Primaria (AP) y la capacidad de los Centros, Servicios y Unidades de Referencia (CSUR) y los centros de referencia. Además, la falta de interoperabilidad y de circuitos formales dificulta la continuidad asistencial.

El **acceso a la innovación terapéutica** presenta avances, pero sigue **condicionado por procesos administrativos heterogéneos, incertidumbre presupuestaria y una generación insuficiente de evidencia en vida real**, repercutiendo en la equidad territorial.

Los hallazgos de este proyecto demuestran que la mejora del modelo asistencial depende de nuevas terapias, pero también de reforzar la arquitectura que las sostiene, siempre teniendo en cuenta la sostenibilidad del sistema. De estos resultados, **SUPERHEMOS identifica siete palancas de transformación prioritarias**:

SUPERHEMOS concluye que, **si no se refuerzan las palancas identificadas**, las inequidades territoriales **podrían mantenerse o ampliarse, con impacto en resultados clínicos, eficiencia y sostenibilidad. Priorizar estas palancas favorecerá diagnósticos más tempranos, una atención más coordinada, una adopción equitativa de la innovación, una mayor satisfacción del paciente y un modelo asistencial más eficiente, homogéneo y orientado a resultados reales.**

3. CONTEXTO DE LA HEMOFILIA EN ESPAÑA

La hemofilia es una enfermedad rara caracterizada por un **trastorno congénito de la coagulación** que **exige una atención altamente especializada y una coordinación estrecha** entre distintos niveles asistenciales.

El manejo de esta enfermedad ha evolucionado de manera notable en los últimos años gracias a **avances diagnósticos y terapéuticos** que han redefinido el estándar de cuidado. Las recomendaciones internacionales más recientes señalan la importancia de ajustar el tratamiento de forma individualizada, incorporando herramientas diagnósticas estandarizadas y decisiones apoyadas en evidencia rigurosa[1].

La **transformación del abordaje terapéutico** ha estado marcada por la llegada de los **fármacos de semivida extendida**, los **tratamientos no sustitutivos**, la **mejora** de las **estrategias profilácticas y** el desarrollo de **terapias génicas**, lo que representa un **cambio significativo respecto al enfoque tradicional** basado exclusivamente en la reposición del factor de coagulación carente[2,3]. Estos avances han permitido mejorar la protección hemostática, reducir la frecuencia de infusión, facilitar la administración y aliviar considerablemente la carga del tratamiento para los pacientes. Asimismo, el progreso en genómica y terapias de edición genética hacen posible nuevas e innovadoras soluciones en el abordaje de la hemofilia[4-7].

España cuenta con una larga trayectoria en el abordaje y manejo terapéutico de la hemofilia, apoyada en centros y equipos con experiencia consolidada, junto con la constitución de **equipos multidisciplinares** asistenciales y el reconocimiento de los **CSUR**[8]. Sin embargo, **el impacto de las innovaciones recientemente incorporadas plantea retos** adicionales para el SNS, tanto en la capacidad de **integrar nuevas tecnologías** diagnósticas como en **garantizar un acceso equitativo** y una **coordinación adecuada** en todo el territorio.

Estas necesidades se ven reforzadas por la relevancia creciente de aspectos como la percepción de la enfermedad, estrategias de afrontamiento y el bienestar emocional del paciente, que influyen de manera significativa en la calidad de vida y en la adherencia al tratamiento[9,10]. Conceptos como ***hemophilia-free mind***, que subraya la importancia de liberar al paciente de la carga mental asociada a la enfermedad, ilustran esta evolución en la comprensión del impacto global de la hemofilia[11]. **La experiencia, expectativas y preferencias de los pacientes** conforman un **eje estructural más del modelo asistencial**, y es deseable que acaben integrándose de forma sistemática en los procesos de diagnóstico, tratamiento y seguimiento.

Además, la incorporación progresiva de herramientas digitales y aplicaciones de **inteligencia artificial (IA)** está comenzando a aportar **nuevas oportunidades** en áreas como la predicción de sangrados, la optimización de la dosis o la monitorización del tratamiento. Aunque su situación aún es embrionaria, y su adopción requiere estructuras asistenciales estables, validadas y coordinadas para desplegar su potencial[12] y una evaluación continua de su impacto clínico, organizativo y económico.

En este contexto de avance terapéutico, complejidad creciente y variabilidad organizativa, **es esencial identificar de manera estructurada qué elementos del modelo asistencial funcionan** adecuadamente, dónde existen **diferencias** o inequidades y qué **oportunidades** pueden desarrollarse para reforzar la calidad, la seguridad y la equidad en la atención. Estas diferencias no cuestionan la calidad global del sistema, sino que ponen de relieve oportunidades de mejora orientadas a reforzar la equidad, siempre dentro de un marco de sostenibilidad y uso eficiente de los recursos del SNS.

En este escenario de avances rápidos, variabilidad asistencial y desafíos emergentes, **SUPERHEMOS surge para disponer de un análisis consensuado que permita identificar inequidades y oportunidades de mejora**.

4. PROYECTO SUPERHEMOS

1. OBJETIVOS

El **proyecto SUPERHEMOS** nace con el **objetivo de analizar la situación actual en el abordaje de la hemofilia a lo largo del territorio nacional, identificar desafíos compartidos y diferenciales entre las distintas regiones y desarrollar propuestas consensuadas que ayuden a mejorar la equidad y la eficiencia del sistema sanitario en su conjunto**. Para ello, el proyecto se ha centrado en obtener información concreta acerca de:

	Necesidades no cubiertas	Aspectos del abordaje de la hemofilia en los que existen carencias clínicas, organizativas o de acceso que limitan la atención óptima de las personas con la enfermedad.
	Barreras existentes	Factores que dificultan la adecuada respuesta a las necesidades no cubiertas en el manejo de la hemofilia.
	Soluciones aplicables	Propuestas factibles y consensuadas orientadas a abordar las barreras identificadas y avanzar hacia una atención más coordinada, equitativa y basada en valor.

2. METODOLOGÍA

El proyecto SUPERHEMOS se desarrolló mediante un proceso metodológico estructurado en **tres fases** complementarias:

- Fase inicial de **preparación y análisis preliminar**.
- Fase central de trabajo a través de la celebración simultánea de tres **encuentros regionales**.
- Fase final de **integración, síntesis y validación de resultados**.

SUPERHEMOS se basó en cuatro principios fundamentales:

1	**Multidisciplinariedad**	Incorporando a Hematología, Farmacia Hospitalaria, Enfermería y representantes de pacientes.
2	**Representatividad territorial**	Garantizando la inclusión de centros de distintas Comunidades Autónomas (CCAA).
3	**Consenso técnico**	Mediante un Comité Científico responsable de la supervisión metodológica y de contenido.
4	**Orientación práctica**	Enfocada a generar soluciones aplicables al contexto real del SNS.

FASE INICIAL. PRE-IDENTIFICACIÓN PREVIA DE BARRERAS Y PREPARACIÓN DEL MARCO DE TRABAJO

Antes de los encuentros regionales, se desarrolló una fase preparatoria que incluyó la revisión de literatura, documentos estratégicos y planes nacionales, así como la identificación preliminar de barreras y necesidades en el abordaje de la hemofilia en España. Este análisis previo permitió organizar el trabajo en torno a tres bloques temáticos:

Bloque 1	Bloque 2	Bloque 3
Avances en el diagnóstico y manejo terapéutico.	Coordinación asistencial.	Acceso a la innovación terapéutica.

Se elaboró una batería de preguntas guía para orientar la discusión en cada bloque, así como plantillas de trabajo individual y grupal (disponibles en el **ANEXO 2**). Todo el trabajo desarrollado fue revisado y validado por el Comité Científico del proyecto, que garantizó su adecuación al marco clínico y organizativo actual.

El Comité Científico seleccionado estuvo compuesto por profesionales de referencia en las áreas de Hematología, Farmacia Hospitalaria, así como Asociaciones de Pacientes. Su función fue asegurar la coherencia técnica del proyecto, validar la metodología y los materiales desarrollados, supervisar la interpretación de los resultados y revisar el documento final antes de su cierre.

Miembros del Comité Científico:

Daniel-Aníbal García	*Paciente. Presidente FEDHEMO*
José Antonio Romero	*Farmacéutico Hospitalario. Jefe de Sección de Hemofilia y Hemoderivados de Farmacia H.U. La Paz. Portavoz GEMEH*
Juan Carlos Juárez	*Farmacéutico Hospitalario. H.U. Vall d'Hebron. Coordinador GEMEH*
María Teresa Álvarez	*Hematóloga. Jefa de Sección de Trombosis y Hemostasia. H.U. La Paz. Presidenta SETH*

FASE CENTRAL. ENCUENTROS REGIONALES

Para comprender y profundizar en la diversidad organizativa y territorial del SNS, se organizaron encuentros divididos en tres áreas geográficas: Centro, Levante y Sur, integrando a profesionales con experiencia directa en la atención a personas con hemofilia. Cada encuentro contó con un coordinador regional, que asumió el papel de moderador y facilitador del proceso.

Región Centro

Daniel-Aníbal García	*Paciente. Presidente FEDHEMO* *(Comité Científico)*
José Antonio Romero	*Farmacéutico Hospitalario. Jefe de Sección de Hemofilia y Hemoderivados de Farmacia. H.U. La Paz. Portavoz GEME* *(Comité Científico)*
Laura Quintas	*Paciente. Vicepresidenta AGADHEMO*
María Teresa Álvarez	*Hematóloga. Jefa de Sección de Trombosis y Hemostasia. H.U. La Paz. Presidenta SETH* *(Comité Científico)*
Sara García	*Enfermera de Trombosis y Hemostasia. H.U. La Paz - IdiPAZ*
Sara González	*Farmacéutica Hospitalaria. Complejo Hospitalario A Coruña. Miembro GEMEH*
Víctor Jiménez	*Hematólogo. Jefe de Servicio de Hematología. H.U. La Paz* *(Coordinador Regional)*

Región Levante

Antonio Palomero	*Farmacéutico Hospitalario. H.U. Son Espases*
Juan Carlos Juárez	*Farmacéutico Hospitalario. H.U. Vall d'Hebron. Coordinador GEMEH* *(Comité Científico y Coordinador Regional)*
Juan Eduardo Megías	*Farmacéutico Hospitalario. Responsable OMPTA. Conselleria de Sanitat de la Generalitat Valenciana*
María Ángeles Canaves	*Paciente. Representante HEMOIB*
Santiago Bonanad	*Hematólogo. Jefe de Sección de Hemostasia y Trombosis. H.U. y Politécnico La Fe*

Región Sur

Alberto Jiménez	*Farmacéutico Hospitalario. Jefe de Servicio de Farmacia Hospitalaria. H.U. Virgen de las Nieves*
Francisco José López	*Hematólogo. Responsable de Unidad de Hemostasia y Trombosis. H.U. Regional de Málaga.*
María de los Ángeles Ocaña	*Farmacéutica Hospitalaria. Jefa de Sección y Responsable de Hemofilia. H.U. Nuestra Señora de Candelaria*
Miguel Ángel Martín	*Paciente. Presidente ASPHA*
Ramiro Núñez	*Hematólogo. Jefe de Sección de Trombosis y Hemostasia. H.U. Virgen del Rocío* *(Coordinador Regional)*

Taller regional

Los 3 encuentros regionales se estructuraron en torno a los tres bloques temáticos definidos previamente en la fase preparatoria (ver fase inicial). Los participantes trabajaron inicialmente de forma individual utilizando **plantillas** diseñadas para identificar **necesidades, barreras, propuestas de solución y buenas prácticas**. Posteriormente, las aportaciones individuales se pusieron en común y se debatieron en grupo, con el apoyo del coordinador regional, quien guió el debate y facilitó el proceso de priorización. La dinámica combinó reflexión individual, debate estructurado y consenso grupal.

Sesión plenaria y consenso final

Tras los talleres regionales, se celebró una sesión plenaria conjunta en la que participaron todos los expertos y donde los coordinadores de cada región presentaron las **conclusiones priorizadas** por sus grupos. Esta sesión permitió contrastar los resultados, identificar puntos de convergencia y divergencia y debatir elementos transversales que afectaban al conjunto del SNS.

El intercambio entre profesionales de distintas regiones permitió la comprensión de las barreras identificadas, visibilizar diferencias organizativas y compartir prácticas útiles desarrolladas en algunos territorios que podrían extrapolarse a otros.

FASE FINAL. INTEGRACIÓN, SÍNTESIS Y VALIDACIÓN DE RESULTADOS EN EL DOCUMENTO SUPERHEMOS

Finalmente, se llevó a cabo una revisión exhaustiva de toda la información generada. Las aportaciones de los tres grupos fueron unificadas, armonizando la terminología, consolidando propuestas y recuperando matices regionales cuando aportaban valor añadido. Se elaboró un borrador completo que fue revisado en varias rondas por el Comité Científico y los expertos participantes.

Las conclusiones, barreras y soluciones recogidas en este documento reflejan el consenso técnico alcanzado por un grupo multidisciplinar de expertos de ámbito nacional, que incluye profesionales de Hematología, Farmacia Hospitalaria, Enfermería especializada y representantes de Asociaciones de Pacientes, con experiencia directa en el abordaje de la hemofilia en distintos modelos organizativos del SNS.

El resultado es un **documento consensuado** que recoge de forma estructurada las **necesidades, barreras y soluciones** identificadas, y que busca contribuir a un **abordaje** más equitativo, coordinado y eficiente **de la hemofilia en España**.

Ámbitos de impacto de las barreras y acciones

Con el objetivo de facilitar la interpretación y el análisis transversal de las barreras y acciones identificadas, estas se han clasificado según distintos **ámbitos de impacto**.

Esta clasificación permite identificar de forma estructurada dónde se concentra la naturaleza de cada reto y en qué nivel del sistema sanitario resulta prioritario actuar. Los ámbitos definidos no son excluyentes, ya que muchas barreras y soluciones presentan un carácter transversal; no obstante, su asignación responde al ámbito en el que su impacto es más directo.

Los ámbitos considerados en el presente documento son los siguientes:

Ámbito Clínico

Engloba los aspectos directamente relacionados con el diagnóstico, la práctica clínica, la toma de decisiones terapéuticas, la monitorización y la individualización del tratamiento en hemofilia.

Ámbito Asistencial

Incluye los elementos vinculados a la organización de la atención, la coordinación entre niveles y centros, los circuitos de derivación, el funcionamiento de los equipos multidisciplinares y la continuidad asistencial.

Ámbito Formativo

Comprende las barreras y acciones orientadas a la capacitación, actualización y homogeneización del conocimiento y las competencias de los profesionales implicados en el abordaje de la hemofilia.

Ámbito Institucional

Hace referencia a los marcos de gobernanza, planificación sanitaria, definición de roles, utilización de CSUR, toma de decisiones y alineación entre los distintos niveles de responsabilidad del sistema sanitario.

Ámbito Social

Abarca los factores relacionados con el entorno del paciente, su experiencia con la enfermedad, la adherencia, la educación terapéutica, la participación activa en la toma de decisiones y la interacción con su contexto social y familiar.

Ámbito Económico

Incluye los aspectos vinculados a la sostenibilidad del sistema, la asignación de recursos, el impacto presupuestario, la eficiencia del modelo asistencial y la evaluación del valor de las intervenciones.

Ámbito Tecnológico

Engloba el uso de herramientas digitales, sistemas de información, interoperabilidad de la historia clínica, registros, datos en vida real e incorporación de tecnologías de apoyo al diagnóstico y seguimiento clínico.

SUPERHEMOS

DESAFÍOS EN HEMOFILIA: NUEVOS HORIZONTES PARA SU ABORDAJE

5. AVANCES EN EL DIAGNÓSTICO Y MANEJO TERAPÉUTICO

5. AVANCES EN EL DIAGNÓSTICO Y MANEJO TERAPÉUTICO

5.1. NECESIDADES Y BARRERAS

Los avances en el diagnóstico y en el manejo terapéutico han permitido mejorar significativamente los resultados clínicos en hemofilia. No obstante, la **implementación** de estas mejoras **no** es **homogénea** entre las CCAA ni dentro de ellas. Persisten **diferencias** en los tiempos y criterios de **sospecha diagnóstica**, en el **acceso a pruebas especializadas** y en la **individualización del tratamiento**, especialmente en aquellos pacientes tratados con terapias no sustitutivas o con terapias de semivida extendida.

1. Mejorar y homogeneizar el diagnóstico precoz

El diagnóstico precoz es clave para prevenir complicaciones, optimizar el inicio del tratamiento y evitar situaciones de riesgo. Sin embargo, los expertos coinciden en que el **retraso diagnóstico** sigue siendo **frecuente** en España, como en el caso de neonatos sin antecedentes familiares conocidos de hemofilia y en **mujeres con síntomas**.

Barreras

- **Falta de conocimiento clínico** actualizado en niveles asistenciales como **Pediatría, Atención Primaria y Urgencias** para identificar la hemofilia en pacientes que presentan sangrados no evidentes o presentaciones clínicas atípicas. Clínico
- **Ausencia de protocolos homogéneos** para la identificación de casos sospechosos. Clínico Asistencial
- **Variabilidad en la interpretación de pruebas diagnósticas**. Esto genera tiempos diferentes para el diagnóstico dependiendo del centro y el nivel de conocimiento de los profesionales del centro. Clínico Formativo
- **Baja estandarización en pruebas específicas**, como la valoración funcional en recién nacidos o la detección precoz de mujeres con hemofilia sintomáticas. Clínico

- **Limitaciones de los CSUR y centros de referencia** para absorber la demanda diagnóstica. En ciertos casos, los **tiempos de espera** para valoración o confirmación pueden ser **largos**, especialmente para casos complejos. Asistencial
- **Carencias formativas en la población general** que ayuden a lanzar procesos de confirmación de sospecha diagnóstica. Social Formativo

Estas barreras se agravan en territorios con dispersión geográfica o con menos disponibilidad de centros de referencia, pero en términos generales **representan un reto compartido a nivel nacional**.

2. Mejorar el diagnóstico y la identificación de mujeres con hemofilia

Existe consenso en que **las mujeres continúan infradiagnosticadas**. Muchas presentan sangrados leves o moderados que pueden confundirse con patologías ginecológicas u otros trastornos frecuentes y no son correctamente identificados como hemofilia u otraspatologíascongénita.

Barreras

- Persistencia de la **creencia errónea de que la hemofilia afecta solo a varones**, lo que reduce la sospecha clínica en mujeres. Social
- **Ausencia de criterios diagnósticos homogéneos para portadoras sintomáticas**, lo que provoca una brecha de género en el diagnóstico de la hemofilia. Social
- **Falta de formación continuada** en este ámbito, especialmente en profesionales ginecológicos y de atención primaria, para la actualización sobre la enfermedad. Formativo
- **Insuficiente información** disponible **para las pacientes**, que dificulta la autopercepción del riesgo. Formativo Social

Aunque el problema es más acentuado en territorios con menor presencia de unidades especializadas, el **infradiagnóstico femenino** se identifica como un **reto estructural presente en todo el país**.

3. Garantizar el acceso homogéneo al diagnóstico genético

El **diagnóstico genético** permite caracterizar la mutación asociada a la hemofilia del paciente, asesorar a familias, anticipar complicaciones y orientar adecuadamente el tratamiento. A pesar de ello, su **disponibilidad** es **muy desigual** entre regiones.

Barreras

- A pesar de que actualmente existe mucho menos infradiagnóstico, **pocos centros en España tienen** la **capacidad** para realizar estudios genéticos completos. Asistencial
- **Dificultad para** coordinar el **envío de muestras** entre hospitales de distinta Comunidad Autónoma. Asistencial
- **Falta de personal técnico especializado** y saturación en los laboratorios de referencia, lo que prolonga los tiempos de análisis. Asistencial Formativo
- **Ausencia** de un **circuito nacional** de **derivación**, lo que genera incertidumbre sobre dónde realizar el estudio y qué tiempos esperar. En algunos territorios, especialmente aquellos sin centros de referencia propios, esta barrera genera una inequidad significativa respecto al resto de regiones del país. Asistencial Institucional

4. Garantizar rutas formales de derivación diagnóstica y acceso al manejo terapéutico especializado del paciente

Aunque existen centros con gran experiencia, **la derivación** entre hospitales no siempre sigue rutas establecidas, lo que **afecta al tiempo diagnóstico y** a la **continuidad asistencial** del paciente.

Barreras

- **Redes dependientes de relaciones personales** entre profesionales de diferentes centros, en vez de redes oficiales. Asistencial
- **Falta de circuitos oficiales de derivación** para casos complejos o para pacientes que requieren estudios avanzados. Asistencial

- **Descoordinación entre centros y** también entre diferentes **niveles asistenciales**: atención primaria, atención especializada/hospitalaria y de referencia. Asistencial
- **Falta de seguimiento e interoperabilidad** respecto a las **historias clínicas electrónicas entre hospitales de diferentes CCAA o público-privado**. Asistencial Institucional

Estas barreras **afectan especialmente a todos los territorios**, siendo más lesivas precisamente allí donde los pacientes deben desplazarse para completar estudios especializados, es decir, **territorios con menos recursos y zonas rurales**.

5. Adaptar el diagnóstico a los cambios poblacionales y a la diversidad de orígenes

El **aumento de población migrante** introduce nuevas necesidades diagnósticas debido a diferencias de acceso previo, así como una historia clínica y tratamientos recibidos desconocidos incluso por los propios pacientes migrantes.

Barreras

- **Falta de trazabilidad clínica** cuando los pacientes proceden de otros países sin registros electrónicos o sin documentación sanitaria. Asistencial
- **Dependencia de servicios sociales**, sobre todo en familias en situación vulnerable. Asistencial Social
- **Retos en adherencia y seguimiento** cuando no existe continuidad en atención sanitaria previa. Social
- **Diferencias idiomáticas, culturales, económicas y de apoyo familiar.** Social

Este **fenómeno** se observa con **especial** fuerza **en áreas metropolitanas**, con desigualdades cualitativas entre regiones españolas, pero se considera aplicable en todo el territorio nacional.

6. Necesidad de individualización del tratamiento y su adaptación al estilo de vida y fenotipo de sangrado del paciente

La disponibilidad de **terapias innovadoras** ha ampliado las posibilidades de personalización, pero la **individualización** real aún es **insuficiente, a pesar de que es el estándar moderno** indiscutible **del tratamiento** de las personas con hemofilia. La individualización debería basarse en la integración del fenotipo hemorrágico, estilo de vida, objetivos del paciente, riesgo articular y parámetros farmacodinámicos, más allá de la clasificación clásica por niveles de factor.

Barreras

- **Divergencia entre las guías** a la hora de definir criterios específicos y de individualización, **especialmente para terapias no sustitutivas**. Clínico
- **Limitación de datos en vida real** de las nuevas terapias, necesitando aún un posicionamiento real en la práctica clínica habitual, lo que dificulta la toma de decisiones clínicas. Clínico
- **Imposibilidad para el reajuste farmacocinético** de las nuevas terapias, dado que no está estudiado y contrastado, obligando al ajuste no estandarizado según el perfil de sangrado. Clínico
- La **clasificación tradicional** de la hemofilia **no refleja** plenamente la realidad de los **fenotipos bajo terapias innovadoras**. Clínico
- **Dificultad para la medición de niveles hemostáticos** con nuevas terapias, dado que las mediciones actuales carecen de un marco referencial. Clínico
- **Variabilidad en las concentraciones plasmáticas o niveles de efecto terapéutico del tratamiento (picos y valles)** que presentan algunos productos y pacientes, lo que dificulta mantener una protección estable frente al sangrado y complica la planificación clínica y la individualización de la pauta. Clínico

- **Protocolos quirúrgicos no homogéneos e indefinidos**, que dificultan la planificación perioperatoria y cómo actuar ante las cirugías. Clínico
- Incertidumbre acerca de la tolerancia inmunológica en pacientes que no reciben exposición temprana al factor de manera profiláctica, especialmente en población pediátrica, aumentando el riesgo de desarrollar inhibidores en edades tardías. Clínico
- **Flujo incompleto de información entre clínicos, farmacáuticos y pacientes**, que reduce la capacidad de ajustar tratamientos. Clínico Asistencial
- **Coste elevado** de algunas terapias que puede condicionar y restringir su uso. Económico

Como resultado, la **individualización requiere más datos**, más herramientas objetivas, más consensos o recomendaciones aceptadas y más coordinación.

7. Integrar el uso de IA, Big Data y herramientas digitales

El uso de tecnologías avanzadas puede mejorar la precisión diagnóstica y la monitorización, pero actualmente su **implementación es limitada y fragmentada**. Este reto adquiere especial relevancia en el contexto actual, en el que la digitalización sanitaria avanza cada vez más hacia un seguimiento individualizado y basado en datos.

Barreras

- **Registros no unificados** y datos recogidos de forma heterogénea. Asistencial
- **Escasa interoperabilidad entre sistemas**, incluso dentro de una misma comunidad autónoma. Tecnológico
- **Exceso y dispersión de herramientas digitales no integradas**, muchas de ellas dependientes de iniciativas externas, lo que genera **duplicidades** e inequidad. Tecnológico
- **Falta de una herramienta informática universal** de monitorización farmacocinética (PK). Tecnológico
- **Necesidad de formación específica** para profesionales y pacientes. Tecnológico Formativo
- **Concienciación de pacientes** sobre la utilidad de los registros y falta de adherencia a la cumplimentación de datos. Social

- **Uso aún incipiente de IA**, sin modelos validados ni protocolos claros que permitan su adopción sistemática en la práctica clínica, sumado a una carencia de regulación respecto al tratamiento de los datos personales. Tecnológico
- Incógnitas sobre aspectos éticos, propiedad y acceso a los datos por los promotores de herramientas IA. Institucional

La digitalización debe ser neutral, interoperable y orientada a la toma de decisiones clínicas, no solo a la recopilación de información.

8. Mejorar la adherencia al tratamiento

La adherencia sigue siendo un **reto relevante**, especialmente **en adolescentes y en ciertas terapias intravenosas**. La carga asociada a la administración supone un desafío puesto que los tratamientos son crónicos o de gestión compleja (vía intravenosa o subcutánea), y pueden desembocar en apatía o cansancio del paciente. Asimismo, la percepción de menor riesgo derivada de los nuevos tratamientos por falta de conciencia de la enfermedad, y la ausencia de herramientas estandarizadas para evaluar la adherencia, contribuyen a que algunos pacientes no mantengan una pauta continuada, lo que puede afectar a la eficacia del tratamiento y a los resultados clínicos a largo plazo.

Barreras

- La **vía de administración** puede limitar la continuidad terapéutica, como las dificultades de acceso venoso, afectando a la adherencia y provocando retrasos u omisiones en la pauta. Clínico
- **Percepción reducida del riesgo hemorrágico entre adolescentes y adultos jóvenes**, que asumen que los nuevos tratamientos cubren cualquier escenario y descuidan el tratamiento de rescate. Social
- **Falta de estandarización** en las **herramientas** empleadas para medir **calidad de vida, satisfacción** y mediciones de **experiencia del paciente.** Asistencial
- **Limitaciones de tiempo y recursos para educación terapéutica** estructurada y seguimiento continuado. Asistencial Formativo

El **problema** es **transversal**, con **impacto directo en la eficacia de los tratamientos**.

9. Reforzar la atención clínica especializada en hemofilia

La expansión de nuevas terapias ha aumentado la complejidad del manejo clínico.

Barreras

- **Falta de experiencia suficiente en algunos centros**, lo que puede llevar a banalizar la enfermedad o a infraestimar el riesgo. Clínico Formativo
- **Dificultad para correlacionar dosis, niveles y efecto** real **clínico**, especialmente con terapias no sustitutivas, por la falta de parámetros que permiten medir su efecto de forma consistente en cada hospital. Clínico
- **Limitaciones en herramientas de medición**, lo que dificulta la toma de decisiones basada en evidencia. Clínico Tecnológico

Esta situación **afecta tanto a centros de alta carga asistencial**, por saturación, **como a centros pequeños**, por falta de exposición a casos complejos.

10. Necesidad de desarrollar biomarcadores aplicables a la práctica clínica

Aunque se han propuesto biomarcadores y escalas, su **uso no** está **estandarizado**.

Barreras

- **Ausencia de biomarcadores validados** y aceptados. Clínico
- **Uso desigual de escalas** de evaluación de **calidad de vida, salud articular** y **eficacia** del tratamiento, con una aplicación heterogénea entre centros. Clínico
- **Necesidad de experiencia acumulada** para interpretar correctamente los resultados. Clínico Formativo
- **Equipo multidisciplinar insuficiente** y no cohesionado en algunos centros. Asistencial
- **Escepticismo** de ciertos clínicos ante la utilidad real de biomarcadores sin validación robusta. Clínico

El avance terapéutico debe ir acompañado de marcadores fiables que permitan medir impacto real.

En conjunto, **las barreras descritas muestran que la calidad y la individualización terapéutica dependen** en gran medida **del acceso a recursos especializados**, de la **estandarización de procesos** y de la **capacidad para integrar nuevas tecnologías** y evidencias en la práctica clínica.

5.2. SOLUCIONES

Las soluciones propuestas a continuación abordan las principales necesidades y barreras identificadas en el ámbito del diagnóstico y del manejo terapéutico de la hemofilia.

Su objetivo es mejorar la precisión diagnóstica, reducir la variabilidad territorial y optimizar el seguimiento clínico de los pacientes con hemofilia. La implementación de estas medidas requiere una coordinación estrecha entre los equipos de Hematología, Farmacia Hospitalaria, los CSUR y los servicios implicados en cada centro, ya que la adecuada selección, monitorización y ajuste del tratamiento dependen de un enfoque multidisciplinar real.

1. HOMOGENEIZAR Y GARANTIZAR EL ACCESO A PRUEBAS, CRITERIOS DIAGNÓSTICOS Y ESTUDIOS AVANZADOS EN TODOS LOS CENTROS

La variabilidad existente en los criterios diagnósticos y en el acceso a pruebas específicas entre centros y comunidades autónomas dificulta establecer diagnósticos precisos y comparables. **Unificar** los **algoritmos diagnósticos**, las **pruebas** mínimas obligatorias **y** la disponibilidad de **estudios avanzados permitiría reducir inequidades y facilitar un manejo clínico homogéneo**. Para los centros sin capacidad técnica propia, la derivación estructurada de muestras a laboratorios especializados o CSUR es esencial para evitar retrasos diagnósticos y garantizar una atención equitativa. La elaboración de una **guía nacional y** la creación de **circuitos oficiales de acceso a pruebas avanzadas permitirían** que todos los pacientes reciban un **diagnóstico completo** independientemente de su lugar de residencia.

Acciones:

- Elaboración de una **Guía Nacional de Diagnóstico** de Hemofilia, que sirva como marco común de referencia clínica en todo el SNS. Clínico
- **Consensos clínicos para criterios diagnósticos** comunes, orientados a unificar la interpretación de resultados entre centros. Clínico
- Creación de un **catálogo común de pruebas genéticas** accesibles en hemofilia, que permita reducir diferencias territoriales en el acceso diagnóstico. Clínico
- **Estandarización de protocolos diagnósticos** entre CCAA, con el objetivo de disminuir la variabilidad asistencial. Asistencial

- **Actualización periódica de algoritmos** de diagnóstico, alineada con la evolución de la evidencia científica. Clínico
- **Buenas prácticas en el diagnóstico en hemofilia,** como herramienta de apoyo a los profesionales en distintos niveles asistenciales. Clínico
- **Circuitos oficiales de derivación de muestras** para estudios avanzados, que aseguren tiempos y criterios homogéneos de acceso. Asistencial Institucional
- Crear **nodos regionales** de pruebas complejas, que faciliten la organización territorial del diagnóstico avanzado. Asistencial Institucional
- Equipar a hospitales comarcales con **pruebas básicas obligatorias**, para garantizar un primer nivel diagnóstico adecuado. Económico

Responsables: Consejerías autonómicas de Salud, CSUR, Unidades de Hemofilia y Sociedades Científicas.

2. INCORPORAR CRITERIOS ESPECÍFICOS PARA MUJERES Y NIÑAS EN LOS PROTOCOLOS DIAGNÓSTICOS

La hemofilia en mujeres continúa infradiagnosticada. Adaptar los algoritmos de sospecha y diagnóstico a su realidad clínica permitiría mejorar su identificación y ofrecer una atención adecuada. La colaboración con servicios de ginecología y la formación específica son esenciales para su implementación.

Acciones:

- **Actualizar algoritmos diagnósticos incluyendo sintomatología femenina**, para mejorar la identificación precoz de mujeres con hemofilia. Clínico
- **Formación a los servicios de Ginecología y Atención Primaria en hemofilia**, orientada a aumentar la sospecha clínica. Formativo
- **Protocolos de derivación específicos para mujeres sintomáticas**, que faciliten su acceso a unidades especializadas. Asistencial
- **Buenas prácticas en el abordaje de la mujer con hemofilia**, que ayuden a homogeneizar la atención clínica. Clínico
- **Programas comunitarios de formación**, dirigidos a mejorar el conocimiento de la enfermedad en la población general. Formativo Social

Responsables: Servicio de Ginecología, Unidades de Hemofilia y Sociedades Científicas.

3. MEJORAR LA IDENTIFICACIÓN DE PACIENTES Y SOSPECHA CLÍNICA EN URGENCIAS

La detección precoz de pacientes con hemofilia, incluyendo casos leves, moderados y no diagnosticados, se ve limitada por la falta de protocolos estandarizados en Urgencias. Implementar **circuitos específicos de identificación**, junto con alertas en la historia clínica y formación dirigida al personal de urgencias, **permitiría acelerar la confirmación diagnóstica, facilitar la derivación** al especialista **y evitar episodios hemorrágicos** mal manejados. Esta medida también ayudaría a reconocer rápidamente a pacientes ya diagnosticados que acuden sin documentación o en situaciones críticas.

Acciones:

- **Protocolos específicos de sospecha y manejo inicial de hemofilia en Urgencias**, que permitan una actuación precoz y segura. Clínico
- **Alertas automáticas en la historia clínica electrónica**, para facilitar la identificación rápida del paciente con hemofilia. Asistencial
- **Formación y actualización continua** dirigida al personal de Urgencias, enfocada al reconocimiento y manejo inicial de la enfermedad. Formativo
- **Inclusión de la hemofilia en los triajes clínicos de prioridad**, así como en cribados neonatales cuando esté indicado. Asistencial

Responsables: Gerencias de hospital, servicio de Urgencias y Unidades de Hemofilia.

4. PROTOCOLIZAR EL MANEJO QUIRÚRGICO EN HEMOFILIA

La variabilidad en el abordaje quirúrgico entre hospitales y comunidades autónomas genera diferencias en seguridad y en la planificación perioperatoria. Contar con un **protocolo homogéneo permitiría unificar la valoración previa, la cobertura hemostática y la coordinación entre hematología, cirugía, anestesia y enfermería**, garantizando un **manejo seguro** tanto en cirugías programadas como urgentes. Esta protocolización facilitaría además que los centros con menor experiencia dispongan de criterios claros de actuación.

Acciones:

- Elaboración de un **protocolo nacional de manejo quirúrgico** consensuado en hemofilia, que unifique criterios perioperatorios. Clínico
- **Buenas prácticas en el manejo quirúrgico del paciente con hemofilia**, orientadas a mejorar la seguridad clínica. Asistencial
- **Formación continuada con cirujanos expertos**, mediante cursos monográficos auspiciados por Sociedades Científicas. Formativo

Responsables: Consejerías autonómicas de Salud, CSUR y centros de referencia, servicios de Hematología, Cirugía y Anestesia y Sociedades Científicas.

5. IMPULSAR HERRAMIENTAS DIGITALES DE AUTORREGISTRO Y SU INTEGRACIÓN EN LA MONITORIZACIÓN CLÍNICA

La integración del autorregistro digital y de los sistemas de monitorización clínica constituye un elemento **esencial para** avanzar hacia un **manejo más preciso**, continuo y personalizado de la hemofilia. Unificar herramientas digitales y vincularlas a la historia clínica digital **facilita la toma de decisiones** basada en datos objetivos, **mejoraría la adherencia y permitiría obtener información en vida real** clave para evaluar nuevas terapias. Esta estrategia favorece además la coordinación entre equipos clínicos y Farmacia Hospitalaria, al disponer de información actualizada y verificable.

Acciones:

- Desarrollar una **herramienta digital de autorregistro estandarizada** a nivel nacional, que permita una recogida homogénea de datos. Tecnológico
- **Integración automática del registro del paciente en la historia clínica**, facilitando su uso en la práctica clínica. Asistencial Tecnológico
- **Formación a pacientes en su uso y en el automanejo de la enfermedad**, para mejorar la calidad de los datos registrados. Formativo
- **Fomentar el empoderamiento del paciente**, como elemento clave del seguimiento clínico. Social
- **Programas de seguimiento** basados en datos registrados, orientados a apoyar la toma de decisiones clínicas. Asistencial

Responsables: Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud, CSUR y centros de referencia, servicios de Farmacia Hospitalaria y Hematología, Sociedades Científicas y Asociaciones de Pacientes.

6. REFORZAR LA EVALUACIÓN ESTANDARIZADA DEL DAÑO ARTICULAR MEDIANTE HERRAMIENTAS DE IMAGEN Y ESCALAS HOMOGÉNEAS

El daño articular sigue siendo un **marcador crítico en la evolución de la hemofilia**, y su **evaluación varía** significativamente **entre centros**. Unificar escalas, formar a los profesionales en su uso y garantizar el acceso a herramientas de imagen adecuadas permitiría identificar problemas articulares con mayor precisión, incluso en pacientes con pocos sangrados aparentes. La estandarización también facilitaría comparar resultados entre regiones y evaluar el impacto real de las nuevas terapias.

Acciones:

- **Consensuar y protocolizar una escala articular común** para todo el SNS, que permita una evaluación homogénea del daño articular. Clínico
- **Programas formativos para profesionales involucrados**, orientados a un uso adecuado y consistente de dichas herramientas. Formativo

Responsables: Servicios de Hematología, Rehabilitación, Radiología y Traumatología y Sociedades Científicas.

7. CONSOLIDAR PROTOCOLOS DE INDIVIDUALIZACIÓN TERAPÉUTICA INTEGRANDO ESTILO DE VIDA Y PREFERENCIAS DE LOS PACIENTES

La individualización terapéutica requiere incorporar múltiples variables: características clínicas, PK, adherencia, percepción del paciente y su actividad diaria. Desarrollar protocolos estandarizados que guíen esta evaluación de manera sistemática **permitiría evitar infra o sobredosificación, optimizar la seguridad y mejorar la satisfacción de los pacientes**. Asimismo, la revisión periódica de estos protocolos en comités multidisciplinares facilita una adaptación continua al cambio de necesidades clínicas.

Acciones:

- **Elaboración e incorporación homogénea de PROMs y PREMs** en el seguimiento clínico. Asistencial
- **Registro de calidad de vida con la evidencia en vida real**, como complemento a los resultados clínicos. Asistencial

- Consensuar y elaborar **protocolos comunes de monitorización PK** en nuevas terapias, que apoyen el ajuste terapéutico. Clínico
- **Revisiones periódicas multidisciplinares**, para adaptar el tratamiento a la evolución del paciente. Asistencial
- **Definir indicadores *to do/not to do*** que orienten la individualización terapéutica. Clínico
- **Formación a profesionales en monitorización PK en hemofilia**, orientada a su aplicación clínica. Formativo
- **Toma de decisiones compartidas**, integrando preferencias del paciente y cambios en su estilo de vida. Clínico
- **Buenas prácticas en el manejo de la hemofilia en práctica clínica real**, como marco de referencia común. Clínico

Responsables: Servicios de Farmacia Hospitalaria y Hematología y equipo multidisciplinar en hemofilia.

8. DESARROLLAR PROGRAMAS ESTRUCTURADOS DE ADHERENCIA AL NUEVO ABORDAJE DE LA HEMOFILIA

La adherencia es uno de los principales retos clínicos, especialmente en adolescentes y adultos jóvenes que tienden a sobreestimar la protección que les ofrece la nueva terapia o a descuidar los tratamientos de rescate. Programas de adherencia que incluyan **educación terapéutica estructurada, apoyo psicológico, herramientas de recordatorio y seguimiento digital permitirían mejorar** significativamente el **cumplimiento**. Estos programas deberían estar integrados en las unidades de hemofilia y adaptarse a los perfiles individuales de los pacientes. El análisis de la experiencia real del paciente permitirá identificar puntos críticos de adherencia que no son visibles solo desde los datos clínicos.

Acciones:

- **Programas educativos sobre la importancia del tratamiento**, orientados a reforzar la adherencia terapéutica. Formativo
- **Intervenciones psicológicas** para fomentar el autocuidado, adaptadas a las necesidades del paciente. Asistencial
- **Herramientas de recordatorio digital para pacientes**, que faciliten el cumplimiento de la pauta. Tecnológico
- **Revisiones conjuntas de adherencia** entre Enfermería, Farmacia Hospitalaria y Hematología, como parte del seguimiento habitual. Asistencial

- **Integrar a los servicios de Trabajo Social** en los programas de apoyo, para abordar barreras sociales y familiares. Asistencial
- Incorporar un ***patient journey* estandarizado**, que permita identificar barreras y puntos críticos de adherencia. Asistencial Social

Responsables: Servicios de Farmacia Hospitalaria, Hematología, Psicología clínica, Enfermería especializada en hemofilia, equipos multidisciplinares de hemofilia, y Asociaciones de Pacientes.

9. ESTABLECER CIRCUITOS FORMALES DE DERIVACIÓN PARA ESTUDIOS AVANZADOS Y MANEJO ESPECIALIZADO

La derivación entre centros suele basarse en relaciones personales más que en protocolos oficiales, lo que genera inequidades territoriales. Crear circuitos formales y actualizados permitiría **asegurar que todos los pacientes acceden al nivel asistencial adecuado**, especialmente en caso de estudios complejos, monitorización PK o evaluación articular especializada. Estos circuitos pueden integrarse en los planes autonómicos de enfermedades hematológicas, garantizando su actualización periódica.

Acciones:

- **Crear rutas oficiales de derivación entre niveles asistenciales**, que aseguren un acceso coordinado a la atención especializada. Asistencial
- Elaboración de **protocolos de derivación integrados en planes autonómicos**, favoreciendo su aplicación homogénea. Asistencial

Responsables: Consejerías autonómicas de Salud, CSUR y centros de referencia, y gerencias de hospital.

10. INTEGRAR TECNOLOGÍAS DIGITALES DE APOYO AL DIAGNÓSTICO Y SEGUIMIENTO CLÍNICO

La integración de herramientas digitales (plataformas de datos compartidos, registros integrados, sistemas interoperables para PK, evaluación articular) permitiría mejorar significativamente la coordinación entre centros y la calidad del seguimiento clínico. Esta transformación tecnológica **facilitaría la toma de decisiones basada en datos** y reduciría la fragmentación actual.

Acciones:

- Implementar **plataformas interoperables de datos clínicos**, que faciliten el intercambio de información entre centros. Tecnológico
- Incorporar **herramientas digitales para evaluación PK y articular**, apoyando la toma de decisiones clínicas. Tecnológico Asistencial

- **Formación continua en manejo digital en hemofilia**, con énfasis en la aplicabilidad clínica de la IA. Formativo

Responsables: Consejerías autonómicas de Salud, CSUR y centros de referencia, servicio de Farmacia, equipo multidisciplinar en hemofilia.

11. IMPULSAR LA FORMACIÓN PROFESIONAL HOMOGÉNEA Y CONTINUADA SOBRE DIAGNÓSTICO Y NUEVAS TERAPIAS

La rápida evolución del manejo de la hemofilia exige formación continuada para los profesionales de los servicios de Hematología, Farmacia Hospitalaria, Fisioterapia, Enfermería, Urgencias y Atención Primaria. Crear **programas formativos acreditados**, con módulos específicos para pruebas diagnósticas, PK, terapias sin factor y manejo articular, **reduciría la variabilidad profesional y mejoraría la calidad asistencial**.

Acciones:

- **Programas acreditados de formación continuada** para todos los servicios implicados, que contribuyan a reducir la variabilidad profesional. Formativo
- **Sesiones intercentros entre CSUR, centros de referencia y hospitales no CSUR**, orientadas a compartir conocimiento y experiencia. Formativo
- **Formación específica en nuevas terapias**, dirigida a todas las especialidades involucradas. Formativo

Responsables: CSUR y centros de referencia, hospitales, equipo multidisciplinar en hemofilia y Sociedades Científicas.

12. IMPLEMENTAR CONSULTAS DE TRANSICIÓN ESTRUCTURADAS ENTRE PEDIATRÍA Y ADULTOS

La transición entre servicios pediátricos y de adultos es un momento crítico que puede afectar a la adherencia, el seguimiento y la estabilidad clínica. Establecer modelos estructurados de transición con visitas conjuntas, fases progresivas y acompañamiento educativo, **garantizaría continuidad asistencial, minimizaría riesgos y reforzaría la autonomía del paciente joven**.

Acciones:

- **Consultas conjuntas entre Hematología pediátrica y de adultos**, que faciliten la continuidad asistencial. Asistencial
- **Comités clínicos mixtos**, para una gestión coordinada del proceso de transición. Asistencial
- **Plan de transición con etapas definidas**, adaptado a las necesidades del paciente joven. Asistencial
- **Evaluación periódica de adherencia** durante el proceso, como elemento de seguimiento. Asistencial
- **Material educativo específico para jóvenes**, orientado a reforzar su autonomía. Social Formativo

Responsables: Servicios de Hematología pediátrica y adultos, Enfermería especializada en hemofilia y Asociaciones de Pacientes.

13. FORTALECER EL PAPEL DE FARMACIA HOSPITALARIA EN EL SEGUIMIENTO Y OPTIMIZACIÓN DEL TRATAMIENTO EN HEMOFILIA

El manejo terapéutico de la hemofilia requiere una supervisión estrecha de la eficacia, seguridad, adherencia y adecuación del tratamiento. **Farmacia Hospitalaria** desempeña un papel esencial en la evaluación y selección farmacoterapéutica, la revisión de interacciones, la optimización de dosis, la educación terapéutica y el seguimiento de resultados farmacoterapéuticos en vida real. Reforzar su participación estructurada en las unidades de hemofilia **mejoraría la continuidad asistencial** y la **homogeneidad en el abordaje clínico**.

Acciones:

- **Integrar a Farmacia Hospitalaria en los comités multidisciplinares de hemofilia**, reforzando su participación en la toma de decisiones. Asistencial
- **Protocolizar la revisión farmacoterapéutica periódica**, como parte del seguimiento clínico. Clínico
- **Establecer programas de adherencia y seguimiento liderados por Farmacia**, en coordinación con el equipo asistencial. Asistencial
- **Crear circuitos de comunicación directa entre Farmacia, Hematología y Enfermería**, que faciliten una atención coordinada. Asistencial

Responsables: CSUR y centros de referencia, Farmacia Hospitalaria, Unidades de Hemofilia y Sociedades Científicas.

SUPERHEMOS

DESAFÍOS EN HEMOFILIA: NUEVOS HORIZONTES PARA SU ABORDAJE

6.COORDINACIÓN ASISTENCIAL

6. COORDINACIÓN ASISTENCIAL

6.1. NECESIDADES Y BARRERAS

La coordinación asistencial es un componente esencial para garantizar una **atención continuada, segura y homogénea** a los pacientes con hemofilia. Pese a la existencia de unidades especializadas y centros con amplia experiencia, la coordinación entre niveles asistenciales, entre centros y entre comunidades autónomas **continúa siendo limitada y heterogénea**. Esto repercute en la continuidad del tratamiento, la calidad del seguimiento, el acceso a centros de referencia y la seguridad del paciente.

1. Reforzar la coordinación multidisciplinar entre profesionales y centros

La hemofilia requiere un abordaje multidisciplinar en el que Hematología, Farmacia Hospitalaria, Rehabilitación, Atención Primaria, Urgencias y otros servicios trabajen de manera coordinada. Sin embargo, la coordinación real es **insuficiente** y muy **dependiente del centro y del territorio**.

Barreras

- **Falta de organización y liderazgo** claro dentro de los equipos, sin roles definidos ni coordinación estructurada entre los profesionales implicados. Asistencial
- **Ausencia de protocolos comunes** o comités multidisciplinares estables, lo que limita la sistematización de la atención tanto en el centro como en el área sanitaria. Asistencial Clínico
- **Limitaciones de tiempo y recursos humanos**, que dificultan la celebración de comités, sesiones conjuntas o revisiones multidisciplinares. Asistencial Económico
- **Colaboración insuficiente con Atención Primaria y servicios extrahospitalarios de urgencias (ej. SUMMA y SAMUR)**, especialmente en el seguimiento de pacientes estabilizados o en la detección de mujeres con sangrados abundantes y pacientes con diátesis hemorrágicas leves o moderadas.

- **Colaboración insuficiente con Atención Primaria y servicios extrahospitalarios de urgencias (ej. SUMMA y SAMUR)**, especialmente en el seguimiento de pacientes estabilizados o en la detección de mujeres con sangrados abundantes y pacientes con diátesis hemorrágicas leves o moderadas. Clínico
- **Variabilidad en la nomenclatura y** en los **criterios clínicos** utilizados, dificultando una comunicación fluida entre servicios y centros. Clínico Asistencial
- **Reducido** número de pacientes **en algunos centros**, que limita la experiencia y la exposición clínica de los profesionales. Formativo

Estas barreras generan **diferencias significativas** en el abordaje clínico **entre centros pequeños y hospitales** con mayor volumen de pacientes.

2. Mejorar la integración entre Atención Primaria y atención hospitalaria especializada

La hemofilia impacta en múltiples niveles asistenciales, pero la comunicación entre ellos es fragmentada. La falta de integración genera retrasos, pérdida de información y dificultades para realizar un seguimiento adecuado del paciente.

Barreras

- **Desconexión estructural entre hospital, Atención Primaria, Pediatría y Urgencias extrahospitalarias**, dificultando el seguimiento integral del paciente. Asistencial
- **Limitaciones para** que los **profesionales no hospitalarios** accedan a la información clínica necesaria para el seguimiento del paciente. Asistencial Tecnológico
- **Falta de formación continuada con Atención Primaria y Pediatría** sobre la hemofilia y sus nuevas terapias. Formativo
- **Ausencia de circuitos rápidos de derivación**, lo que retrasa decisiones asistenciales clave. Asistencial

Estas limitaciones **afectan especialmente a pacientes que consultan en Atención Primaria o Urgencias** sin vínculos directos con su unidad de referencia.

3. Garantizar una utilización adecuada de los CSUR y centros de referencia

Aunque los CSUR y centros de referencia son fundamentales para el manejo de casos complejos, su **utilización no** es **uniforme**. Algunos profesionales desconocen su papel, otros dudan de los circuitos de derivación, y, en ocasiones, los presupuestos no son suficientes para sostener la actividad.

Barreras

- **Desconocimiento** entre profesionales **de los CSUR y centros de referencia disponibles** y de los protocolos para derivación. Asistencial Formativo
- **Derivaciones no oficiales** o basadas en contactos personales, lo que limita el acceso formal y homogéneo. Asistencial
- **Partidas presupuestarias** del hospital **no acordes a las necesidades asistenciales** de los pacientes. Económico
- **Desajuste entre la condición de CSUR o centro de referencia y los recursos** realmente **disponibles**, lo que limita su capacidad de actuación como centro de referencia. Económico
- **Falta de compromiso institucional** y visibilidad con el funcionamiento de los CSUR y los centros de referencia, lo que debilita su papel en la red asistencial. Institucional Social

4. Mejorar el acceso al historial clínico entre CCAA

La movilidad geográfica de los pacientes y la distribución desigual de recursos hacen imprescindible disponer de información clínica unificada. Sin embargo, **no existe** un sistema que permita un **acceso** fluido **a la historia clínica entre CCAA**, lo que compromete el abordaje del paciente con hemofilia.

Barreras

- **Heterogeneidad de las plataformas digitales** de acceso al historial electrónico de pacientes, con sistemas incompatibles incluso dentro de una misma región. Asistencial Tecnológico
- **Limitaciones legales y administrativas** que impiden el intercambio ágil de información entre administraciones sanitarias. Institucional

- **Dependencia del informe en papel**, que obliga a los pacientes a transportar documentación entre centros o CCAA. Asistencial Tecnológico
- **Ausencia de una plataforma genómica nacional**, lo que dificulta el acceso a resultados de pruebas complejas. Institucional
- **Necesidad de voluntad institucional** para resolver los problemas de interoperabilidad. Institucional
- **Falta** de consolidación del **registro nacional de hemofilia**. Institucional

Esta barrera **afecta** especialmente **a pacientes que cambian de residencia, se desplazan** por motivos de trabajo **o requieren estudios en** centros de referencia situados en **otra comunidad**.

5. Asegurar acceso rápido y adecuado al tratamiento ante urgencias y sangrados

El **manejo de urgencias es crítico** en hemofilia. Pese a ello, existen carencias significativas en la respuesta de los servicios de urgencias y en el reconocimiento de signos que requieren actuación inmediata.

Barreras

- **Falta de formación continuada del personal de Urgencias** en el manejo de pacientes con hemofilia. Formativo
- **Protocolos de actuación no actualizados** o no difundidos en los hospitales ni en atención extrahospitalaria. Clínico
- **Identificación insuficiente de pacientes** con hemofilia **en Urgencias** y emergencias para su derivación inmediata y la activación de protocolos específicos. Clínico Asistencial
- **Desconocimiento del tiempo de tromboplastina parcial activada (TTPa) y** el valor de **otros parámetros** de coagulación para valorar adecuadamente la coagulación en estos pacientes, implicando riesgos en la toma de decisión del tratamiento. Formativo Clínico

La falta o retraso de una respuesta adecuada puede derivar en **problemas en el tratamiento y complicaciones graves** evitables.

6. Mejorar la dispensación domiciliaria y su universalización

La dispensación domiciliaria facilita la adherencia y reduce desplazamientos, pero su **disponibilidad** es **desigual** entre centros y CCAA.

Barreras

- **Descoordinación o falta de la misma entre Farmacia Hospitalaria y pacientes**, lo que dificulta organizar entregas regulares. Asistencial
- **Ausencia de criterios o directrices claras** para su implementación, lo que genera variabilidad y desigualdad. Asistencial Institucional
- **Requerimientos logísticos** (frío, transporte, tiempos) que limitan la capacidad operativa. Asistencial Económico
- **Carencia de financiación y recursos** para su implantación. Institucional
- **Envíos parciales o incompletos**, que obligan al paciente a visitar el hospital para recoger algún medicamento mientras otro es enviado al domicilio. Asistencial

7. Integrar a las Asociaciones de Pacientes en la toma de decisiones asistenciales

Las asociaciones y los propios pacientes desempeñan un papel clave no solo en educación y acompañamiento, sino también en la **identificación** temprana de **necesidades, inequidades y elementos críticos** del circuito asistencial.

Barreras

- **Baja participación** formal de las asociaciones **en comités, reuniones clínicas o procesos organizativos**. Asistencial
- **Falta de información estructurada** hacia las asociaciones, que condiciona su capacidad de apoyo al paciente. Clínico Social
- **Percepción** de que la **información** dirigida a los pacientes **no siempre** es **neutral**, lo que limita la confianza en algunos mensajes. Clínico Social

Las barreras identificadas muestran que **la coordinación asistencial en hemofilia se ve limitada por la falta de circuitos claros, la fragmentación entre niveles y el acceso desigual a la información clínica**. La variabilidad organizativa y el **uso no uniforme de los CSUR y centros de referencia** afectan la continuidad asistencial. Contar con modelos más integrados e interoperables resulta esencial para garantizar una atención homogénea y segura en todo el SNS.

6. 2. SOLUCIONES

Las soluciones propuestas abordan las principales necesidades y barreras identificadas en la organización de la atención a los pacientes con hemofilia. Su objetivo **es fortalecer los circuitos entre niveles asistenciales, mejorar la interacción entre centros y reducir la variabilidad territorial en la coordinación de casos**. Estas medidas requieren la implicación activa de todo un equipo multidisciplinar. La aplicación de estas soluciones permitirá avanzar hacia un modelo asistencial más integrado, ágil y homogéneo en todo el SNS.

1. IMPULSAR UNA CULTURA ORGANIZATIVA ORIENTADA A LA COORDINACIÓN ASISTENCIAL EN HEMOFILIA

La coordinación asistencial solo puede sostenerse si existe una cultura organizativa clara, impulsada desde las direcciones médicas y gerencias. **La hemofilia requiere** rutas entre servicios estables, mecanismos de supervisión y una gestión que priorice el **trabajo colaborativo** frente a las dinámicas aisladas de cada departamento. Concienciar a los gestores de salud sobre la necesidad de dotar de tiempo, estructura y seguimiento a estos procesos es esencial para reducir variabilidad asistencial.

Acciones:

- Incorporar la **hemofilia como línea prioritaria en los planes estratégicos** hospitalarios, reforzando su consideración organizativa. Institucional
- **Vincular la reorganización asistencial a objetivos de dirección médica**, favoreciendo un enfoque coordinado del abordaje. Asistencial
- **Establecer indicadores de una adecuada coordinación intercentro**, que permitan evaluar su funcionamiento. Asistencial
- Crear **programas autonómicos para hemofilia basados en la coordinación asistencial**, alineados con las necesidades territoriales. Asistencial
- **Formar a los profesionales de la salud en la cultura de trabajo multidisciplinar en hemofilia**, promoviendo dinámicas colaborativas. Formativo

Responsables: Consejerías autonómicas de Salud, Gerencias de hospital y equipos multidisciplinares de hemofilia.

2. GARANTIZAR RECURSOS ESTRUCTURALES Y HUMANOS SUFICIENTES PARA LA ATENCIÓN COORDINADA DE LA HEMOFILIA

La falta de recursos humanos específicos, tiempo asistencial y una cartera de servicios insuficiente dificultan la coordinación entre centros y niveles asistenciales. La sobrecarga asistencial limita la participación en comités, reuniones y actividades de coordinación, lo que impacta directamente en la continuidad asistencial del paciente. **Dotar de medios estables permitiría asegurar la disponibilidad real de los equipos de hemofilia y mejorar la calidad asistencial**.

Acciones:

- **Asignar personal para tareas de coordinación asistencial**, que aseguren su viabilidad operativa. Económico
- **Incrementar la Enfermería especializada en hemofilia**, como figura clave en el seguimiento del paciente. Formativo Asistencial
- **Asegurar la disponibilidad de Traumatología, Fisioterapia, Rehabilitación y Psicología**, como parte del abordaje integral. Asistencial
- **Dotar a los CSUR y centros de referencia de recursos proporcionales a su volumen asistencial y territorial**, garantizando su papel en la red asistencial. Económico

Responsables: Consejerías de salud, gerencias de hospital y equipos multidisciplinares de hemofilia.

3. PROTOCOLIZAR LA ATENCIÓN MULTIDISCIPLINAR EN TODAS LAS UNIDADES DE HEMOFILIA

Aunque algunos centros ya trabajan de forma multidisciplinar, esta práctica no está formalizada en todos los hospitales. La coordinación efectiva requiere equipos oficiales donde Hematología, Enfermería especializada, Farmacia Hospitalaria, Rehabilitación, Psicología, Cirugía y otras especialidades trabajen con roles definidos. Su protocolización **evita variabilidad, asegura continuidad y mejora la toma de decisiones en casos complejos**.

Acciones:

- **Oficializar la multidisciplinariedad de la hemofilia en la cartera de servicios**, como base del modelo asistencial. Institucional
- **Definir roles profesionales y responsabilidades** en los equipos multidisciplinares, facilitando la coordinación entre servicios. Asistencial

- **Establecer reuniones multidisciplinares con periodicidad definida**, que permitan una revisión estructurada de los casos. Asistencial
- **Fomentar la participación de Farmacia Hospitalaria en las decisiones terapéuticas**, integrando su visión farmacoterapéutica. Asistencial
- **Establecer programas de rotación y estancias formativas entre CSUR y otros hospitales**, para homogeneizar criterios y aumentar la experiencia clínica. Formativo

Responsables: CSUR y centros de referencia, Gerencias de hospital, Unidades de hemofilia, equipos multidisciplinares de hemofilia, Sociedades Científicas y Asociaciones de Pacientes.

4. CREAR COMITÉS MIXTOS DE COORDINACIÓN ENTRE ATENCIÓN PRIMARIA Y HOSPITALES

La coordinación entre Atención Primaria y Hematología sigue siendo heterogénea. La creación de comités estables permitiría **compartir información relevante, resolver dudas clínicas, facilitar la detección precoz** (especialmente en mujeres sintomáticas), **y establecer flujos de derivación claros**. Esto mejora la continuidad asistencial y reduce retrasos diagnósticos.

Acciones:

- Crear **comités estables entre Atención Primaria y atención especializada**, que faciliten la comunicación bidireccional. Asistencial
- **Desarrollar guías de derivación específicas para Atención Primaria**, que clarifiquen criterios y flujos asistenciales. Asistencial
- **Integrar Farmacia de Atención Primaria y Farmacia Hospitalaria en los circuitos asistenciales**, reforzando la continuidad del tratamiento. Asistencial

Responsables: Gerencias de hospital, Atención Primaria, servicios de Farmacia Hospitalaria, Hematología y Enfermería.

5. ESTABLECER CIRCUITOS RÁPIDOS Y PROTOCOLIZADOS DE DERIVACIÓN ENTRE HOSPITALES Y CSUR Y CENTROS DE REFERENCIA

Aunque esta solución ya se encuentra incluida en el Bloque 1 (en relación al manejo del paciente con hemofilia), ahora se aborda desde la perspectiva interhospitalaria y de coordinación organizativa. **Se necesitan circuitos oficiales, con criterios homogéneos, rutas claras y tiempos máximos garantizados**, especialmente para pacientes complejos o en caso de procedimientos.

Acciones:

- **Crear circuitos oficiales de derivación** entre centros no CSUR y CSUR y centros de referencia, que aseguren un acceso homogéneo a la atención especializada. Asistencial Institucional
- **Definir criterios de derivación según gravedad o complejidad**, orientando la toma de decisiones clínicas. Clínico
- **Integrar las derivaciones en la historia clínica** para garantizar la trazabilidad, facilitando el seguimiento del paciente. Asistencial Clínico

Responsables: Consejerías autonómicas, hospitales de referencia, CSUR, servicio de Farmacia Hospitalaria.

6. PROTOCOLIZAR EL CUIDADO INTEGRAL DE LA HEMOFILIA EN OTRAS ESPECIALIDADES

Las especialidades que atienden a pacientes con hemofilia pero que no es una de sus patologías principales, requieren flujos claros para evitar retrasos, errores (ej. correcta extracción de muestra de coagulación) o variabilidad en criterios. **Coordinar con Ginecología, Traumatología, Rehabilitación y Urgencias** mediante protocolos comunes **mejora la seguridad y continuidad asistencial**.

Acciones:

- **Desarrollar protocolos conjuntos con Ginecología** para el embarazo y el posparto, asegurando una atención coordinada. Asistencial Clínico
- **Establecer protocolos con Cirugía, Traumatología y Anestesia** para la planificación preoperatoria, mejorando la seguridad del paciente. Asistencial

- **Definir flujos rápidos de valoración musculoesquelética** con Rehabilitación, optimizando el manejo funcional. Asistencial
- Activar **alertas automáticas en Urgencias** para pacientes diagnosticados de hemofilia, facilitando su identificación precoz. Asistencial
- Elaborar una **ruta asistencial completa del paciente con hemofilia**, identificando pasos, responsables y puntos críticos del proceso. Asistencial

Responsables: CSUR y centros de referencia, equipos multidisciplinares de hemofilia.

7. IMPLANTAR UN HISTORIAL CLÍNICO INTEROPERABLE Y PASAPORTE DIGITAL DEL PACIENTE CON HEMOFILIA

Esta solución, alineada con el Bloque 1, también se relaciona con la coordinación y seguimiento asistencial de los pacientes. La falta de interoperabilidad entre sistemas informáticos y la ausencia de un repositorio único de información clínica generan pérdidas de datos, duplicidades y retrasos asistenciales, por lo que resulta esencial avanzar hacia un sistema interoperable a nivel nacional. Este sistema debe **garantizar la compatibilidad entre comunidades autónomas**, ofrecer un **visor clínico accesible desde cualquier centro** para facilitar la continuidad asistencial, mejorar la seguridad del paciente y reducir la variabilidad territorial.

Acciones:

- Crear un **pasaporte digital integrado en la historia clínica**, que centralice la información relevante del paciente. Asistencial Tecnológico
- **Asegurar la compatibilidad e interoperabilidad entre CCAA**, favoreciendo la continuidad asistencial. Asistencial
- **Crear visores clínicos interregionales** específicos para hemofilia, facilitando el acceso a la información desde distintos centros. Tecnológico
- **Facilitar el acceso seguro a la información clínica desde cualquier centro autorizado**, garantizando la seguridad de los datos. Asistencial Tecnológico

Responsables: Ministerio de Sanidad, Consejerías de salud y Gerencias de hospital.

8. INTEGRAR FORMALMENTE A LAS ASOCIACIONES DE PACIENTES EN LOS PROCESOS DE TOMA DE DECISIONES ASISTENCIALES

Las asociaciones de pacientes pueden mejorar el diseño de circuitos, la detección precoz y el acompañamiento en la adherencia y transición. Su participación sigue siendo desigual entre regiones. Integrarlas de forma estructural **aumentará** la **calidad del modelo asistencial**.

Acciones:

- Crear **comités consultivos con asociaciones de pacientes**, promoviendo su participación estructurada. Asistencial
- Diseñar **circuitos asistenciales con participación activa del paciente** y del cuidador, alineados con sus necesidades reales. Asistencial Institucional
- Desarrollar **canales específicos de comunicación centro–paciente**, que mejoren la información y el seguimiento. Asistencial

Responsables: Ministerio de Sanidad, equipos multidisciplinares de hemofilia y Asociaciones de Pacientes.

9. IMPLANTAR UN MODELO HOMOGÉNEO DE DISPENSACIÓN DOMICILIARIA CON COORDINACIÓN ESTRUCTURADA

La dispensación domiciliaria es una práctica que mejora la accesibilidad, la adherencia y la continuidad del tratamiento, especialmente en pacientes con movilidad reducida, residentes en zonas rurales o con dificultades para acudir al hospital. Sin embargo, su implantación es muy desigual entre comunidades autónomas y, en algunos casos, depende de decisiones de cada centro o incluso de cada servicio. Establecer un **modelo común**, con criterios claros definidos desde la consejería, **permitiría homogeneizar esta prestación** y garantizar un acceso equitativo.

Acciones:

- Establecer **directrices autonómicas que regulen la dispensación domiciliaria** en hemofilia, con criterios comunes mínimos. Institucional
- **Implementar un sistema de avisos anticipados** (48–72 h) para coordinar las entregas con el paciente. Asistencial

- Crear **circuitos conjuntos entre Farmacia Hospitalaria y Unidades de Hemofilia**, facilitando la planificación de envíos. Asistencial
- **Asegurar la trazabilidad del medicamento** durante todo el proceso de dispensación domiciliaria, reforzando la seguridad. Asistencial
- **Incorporar la dispensación domiciliaria como parte del plan asistencial de pacientes vulnerables**, mejorando la accesibilidad al tratamiento. Asistencial

Responsables: Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud, Gerencias de hospital, servicio de Farmacia Hospitalaria, Unidades de Hemofilia, Asociaciones de pacientes.

SUPERHEMOS

DESAFÍOS EN HEMOFILIA: NUEVOS HORIZONTES PARA SU ABORDAJE

7. ACCESO A LA INNOVACIÓN TERAPÉUTICA

7. ACCESO A LA INNOVACIÓN TERAPÉUTICA

7. 1. NECESIDADES Y BARRERAS

La hemofilia se encuentra en un momento de transformación sin precedentes gracias a la llegada de terapias innovadoras que reducen la carga de tratamiento y mejoran el control clínico. No obstante, el **acceso** real a estas opciones sigue siendo **desigual**, condicionado por procesos administrativos complejos, variabilidad territorial, incertidumbre presupuestaria y limitaciones en la evaluación post-comercialización.

1. Utilizar modelos de acceso y financiación eficaces, ágiles y flexibles

La estructura actual de evaluación, posicionamiento y financiación no siempre permite un acceso rápido y coherente de la innovación terapéutica. Los **circuitos administrativos** son largos, se superponen niveles de decisión y existen incertidumbres presupuestarias que **ralentizan o bloquean la incorporación de la innovación**.

Barreras

- **Tiempo excesivo entre la evaluación y el acceso** real, con retrasos acumulados tanto a nivel estatal como autonómico. Institucional
- **Informes de posicionamiento terapéutico (IPT) e informes de evaluación** con fuerza limitada, cuya **interpretación varía entre centros y CCAA**, generando falta de homogeneidad. Clínico Institucional Económico
- **Reticencias o limitaciones a** adoptar **modelos de financiación innovadores** debido a la incertidumbre sobre la efectividad real y el valor aportado en práctica clínica de las nuevas terapias. Clínico Institucional Económico
- **Falta de acuerdos** fluidos entre **industria, administración y hospitales**, lo que dificulta la entrada ágil de nuevas terapias. Institucional Económico

- **Ausencia de liderazgo institucional** definido, especialmente en las interacciones industria–administración, lo que retrasa decisiones estratégicas. Institucional
- **Problemas legislativos y administrativos** derivados de procesos burocráticos complejos y lentos en todos los niveles. Institucional
- **Dificultad** desde Farmacia Hospitalaria **de dispensar medicamentos con indicación aprobada** pero aún **sin financiación**, lo que retrasa el acceso real de los pacientes y obliga a recurrir a procedimientos laboriosos como los de acceso expandido o "uso compasivo". Institucional Económico
- **Resultados poco satisfactorios** de experiencias previas de **compra centralizada**, que podrían asegurar un acceso equitativo, pero han generado desconfianza en el mecanismo. Económico

Estas barreras ralentizan la llegada de nuevas opciones terapéuticas y **aumentan la desigualdad entre centros y regiones**.

2. Garantizar un acceso equitativo a terapias innovadoras entre regiones y centros

La variabilidad territorial es uno de los problemas más señalados. No solo existen **diferencias** notables **entre CCAA**, sino también entre **hospitales** dentro de una misma región.

Barreras

- **Precio elevado de las nuevas terapias**, lo que condiciona especialmente a centros con menor capacidad presupuestaria. Económico
- **Ritmo desigual de incorporación** de innovación terapéutica, con regiones que adoptan más rápido y otras que se retrasan de manera significativa. Económico Institucional
- **Variabilidad dentro de la propia región**, donde dos hospitales cercanos pueden tener accesos muy diferentes. Institucional Asistencial
- **Complejidad de los procedimientos internos** hospitalarios para aprobar la utilización de nuevos productos, con grandes diferencias entre centros. Asistencial

- Influencias derivadas del **tamaño o situación económica de la CCAA**, que **afectan al presupuesto** disponible para patologías de baja prevalencia como la hemofilia. Económico Institucional
- Impacto de **decisiones políticas** y discrepancias legales entre territorios, que generan incertidumbre en los profesionales. Institucional
- **Falta de transparencia en los acuerdos** con la industria. Institucional
- **Escaso desarrollo de ensayos clínicos descentralizados**, limitando la posibilidad de acceso temprano a innovaciones. Clínico Asistencial

La suma de estos factores puede convertir el acceso en un proceso desigual, comprometiendo la equidad territorial.

3. Asegurar códigos de acceso y criterios de inclusión adecuados y flexibles

Los criterios actuales aprobados a nivel ministerial y autonómico para definir el acceso a un tratamiento se perciben como rígidos, **poco adaptados a la realidad clínica** y, en algunos casos, basados más en restricciones administrativas o condiciones económicas que en necesidades del paciente.

Barreras

- **Criterios de inclusión** excesivamente **rígidos**, que dejan fuera a pacientes que podrían beneficiarse. Clínico Económico Institucional
- **Situaciones límite en la aplicación de criterios** que generan incertidumbre, dudas administrativas y pueden dejar en **desventaja** a casos moderados o con fenotipos hemorrágicos relevantes. Clínico Institucional
- **Reticencia institucional ante la incertidumbre**, especialmente en terapias nuevas o de alto impacto económico. Clínico Económico Institucional

La falta de flexibilidad **dificulta** la **individualización del tratamiento** y puede comprometer la equidad.

4. Facilitar un acceso equitativo a ensayos clínicos

Los ensayos clínicos representan una vía de acceso temprano a nuevas terapias, pero su **distribución territorial** es muy **desigual**, limitando la participación de pacientes en regiones con menor infraestructura.

Barreras

- **Ausencia de ensayos en ciertas regiones**, que limita el acceso temprano a la innovación terapéutica. Asistencial
- **Falta de oportunidades para algunos hospitales** de no referencia por diferentes aspectos como la percepción de limitada capacidad de reclutamiento. Asistencial
- **Necesidad de infraestructura mínima** (monitorización, equipo, soporte), que no todos los centros pueden ofrecer. Asistencial Económico
- **Dependencia excesiva de** la iniciativa de **la industria**, lo que condiciona qué centros participan y en qué estudios. Asistencial Institucional

5. Evaluación adecuada de la efectividad en vida real y seguimiento post-comercialización

La evidencia generada **en la práctica clínica** es clave para demostrar el **valor real de las terapias**, facilitar su posicionamiento y justificar su financiación. Sin embargo, la recogida de datos fuera de los ensayos clínicos es escasa y heterogénea.

Barreras

- **Escasez de datos de vida real (DVR) y de ensayos fase IV**, lo que limita la capacidad de evaluar resultados en salud y seguridad especialmente en las nuevas terapias. Clínico
- **Déficit de datos de farmacovigilancia** por falta de recursos y tiempo de los clínicos, así como problemas de interoperabilidad en las plataformas de datos, dificultando su transferencia a la historia clínica del paciente. Asistencial

Sin una evaluación robusta, resulta difícil defender la sostenibilidad y eficacia a largo plazo de las nuevas terapias.

Las barreras identificadas evidencian que **el acceso a la innovación terapéutica en hemofilia sigue condicionado por la variabilidad territorial y** por **procesos administrativos y financieros poco ágiles**. Avanzar hacia modelos más claros y homogéneos es esencial para garantizar una incorporación equitativa de las nuevas terapias en todo el SNS.

7. 2. SOLUCIONES

Las soluciones planteadas en este bloque abordan **los principales desafíos identificados en el acceso a la innovación terapéutica en hemofilia**, un ámbito donde persisten diferencias significativas entre territorios, complejidades administrativas y modelos de financiación que no siempre se adaptan a las necesidades de las nuevas terapias. Estas propuestas **buscan promover un acceso más ágil, equitativo y basado en valor, mediante mecanismos de financiación innovadores, criterios homogéneos para la incorporación de terapias**, mayor transparencia institucional y una generación continua de evidencia en vida real.

1. AVANZAR HACIA MODELOS DE FINANCIACIÓN BASADOS EN VALOR Y PAGOS VINCULADOS A RESULTADOS REALES

El actual modelo de financiación no siempre refleja el beneficio real de las terapias innovadoras. La necesidad de contratos basados en resultados, riesgo compartido y reevaluación periódica del valor terapéutico es esencial para mitigar la incertidumbre clínica. Estos modelos permitirían **ajustar precios a eficacia real y facilitar la entrada de terapias de alto impacto**.

Acciones:

- **Establecer contratos de pago por resultados y riesgo compartido**, con mecanismos de reevaluación periódica, que permitan ajustar la financiación al valor observado. Económico Institucional
- **Incorporar indicadores de eficacia real**, de forma que el precio refleje los resultados clínicos alcanzados en práctica real. Asistencial
- **Crear un marco nacional para financiar terapias avanzadas** de forma sostenible, proporcionando estabilidad y coherencia en la toma de decisiones. Económico Institucional
- **Garantizar transparencia institucional** en los acuerdos Ministerio–Industria, reforzando la confianza en los modelos de acceso. Institucional

Responsables: Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud, servicio de

Farmacia Hospitalaria, Industria farmacéutica.

2. OPTIMIZAR EL ARSENAL TERAPÉUTICO DISPONIBLE SEGÚN SU VALOR TERAPÉUTICO E INNOVADOR

En algunos territorios se siguen utilizando tratamientos cuyo beneficio es limitado frente a opciones innovadoras. La desinversión ordenada permite **reinvertir en terapias de mayor impacto clínico**, mejorar la equidad territorial y **optimizar el presupuesto** sin aumentar el gasto global.

Acciones:

- **Revisar periódicamente la cartera de tratamientos de hemofilia**, alineándola con la evidencia científica disponible. Asistencial
- **Identificar y clasificar fármacos según su valor terapéutico**, facilitando decisiones basadas en resultados en salud. Clínico
- **Reasignar recursos a terapias innovadoras según evidencia**, favoreciendo un uso más eficiente del presupuesto. Asistencial
- **Incluir principios de eficiencia en los comités farmacoterapéuticos**, reforzando una gestión orientada a valor. Asistencial

Responsables: Consejerías autonómicas de Salud, gerencias de hospital, servicio de Farmacia Hospitalaria y Comités farmacoterapéuticos.

3. SIMPLIFICAR Y ARMONIZAR LOS PROCESOS ADMINISTRATIVOS DE ACCESO A NUEVOS TRATAMIENTOS

Los procedimientos actuales para incorporar tratamientos innovadores presentan múltiples pasos secuenciales (IPT, evaluaciones autonómicas, validación hospitalaria y aprobación por comités farmacoterapéuticos), además de una carga burocrática que varía entre regiones y genera retrasos significativos en el acceso. La **estandarización** de estos procesos, la eliminación de duplicidades y la creación de circuitos abreviados para tratamientos de alto impacto clínico permitirían **agilizar la disponibilidad real de los tratamientos y reducir inequidades territoriales**.

Acciones:

- **Estandarizar la documentación y los pasos administrativos entre CCAA**, reduciendo la variabilidad en los procedimientos de acceso. Institucional
- **Establecer tiempos máximos reales de evaluación y aprobación**, mejorando la previsibilidad del proceso. Institucional

- **Eliminar duplicidades entre niveles estatal y autonómico**, evitando retrasos innecesarios. Institucional
- **Crear procedimientos abreviados para terapias de alto impacto terapéutico**, facilitando un acceso más ágil cuando esté justificado. Institucional

Responsables: Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud y servicio de Farmacia Hospitalaria.

4. HOMOGENEIZAR CRITERIOS DE ACCESO Y FLEXIBILIZAR EL MANEJO DE PACIENTES "LÍMITE"

Los pacientes en el límite de criterios pueden quedar excluidos de tratamientos innovadores por interpretaciones restrictivas. **Flexibilizar criterios** de acceso dentro de marcos definidos **permitiría un acceso más justo**, basado en necesidad clínica real.

Acciones:

- **Definir criterios comunes y flexibles de acceso**, que permitan una aplicación homogénea entre territorios. Institucional
- **Incorporar la valoración funcional, el fenotipo hemorrágico y la calidad de vida**, como elementos complementarios en la toma de decisiones. Asistencial
- **Establecer mecanismos específicos para casos excepcionales o "límite"**, garantizando una adecuada individualización del tratamiento. Institucional Asistencial
- **Reducir discrepancias entre hospitales y CCAA**, favoreciendo una mayor equidad territorial. Institucional Social

Responsables: Ministerio de Sanidad, CSUR y Sociedades Científicas.

5. EXCLUIR LA HEMOFILIA DE LOS TECHOS PRESUPUESTARIOS Y CUOTAS DE PACIENTES

Las cuotas de pacientes o techos de gasto limitan el acceso a innovaciones en patologías de baja prevalencia. La hemofilia, por su naturaleza y su carga clínica, no debería estar sometida a modelos basados en volúmenes poblacionales. **Un presupuesto específico permitiría evitar inequidades** entre comunidades.

Acciones:

- **Crear partidas presupuestarias específicas para hemofilia**, que permitan una planificación más adecuada de los recursos. Institucional
- **Evitar la aplicación de techos de pacientes en el acceso a terapias**, reduciendo barreras administrativas al tratamiento. Asistencial
- **Asegurar una financiación estable para terapias avanzadas**, minimizando la incertidumbre para centros y profesionales. Institucional

Responsables: Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud y Gerencias de hospital.

6. FORTALECER LA GENERACIÓN DE EVIDENCIA EN VIDA REAL Y EL REGISTRO INSTITUCIONAL POST-COMERCIALIZACIÓN

La llegada de nuevas terapias exige disponer de datos robustos de efectividad real. La necesidad de registros homogéneos, seguimiento clínico estructurado y herramientas que permitan evaluar resultados y ajustar decisiones de financiación es evidenciable en el contexto actual.

Acciones:

- **Expandir el registro nacional de pacientes con hemofilia**, incorporando variables clínicas y de evidencia en vida real. Institucional
- **Incluir datos de sangrados, adherencia, PK, niveles y calidad de vida**, mejorando la evaluación del impacto terapéutico. Asistencial
- **Establecer informes periódicos de resultados de evidencia en vida real**, que apoyen procesos de reevaluación y toma de decisiones. Institucional Asistencial
- **Reforzar la farmacovigilancia activa desde los hospitales**, contribuyendo a la seguridad a largo plazo. Asistencial Clínico

Responsables: Ministerio de Sanidad, CSUR y centros de referencia, servicio de Farmacia Hospitalaria, Unidades de Hemofilia.

7. FACILITAR LA PARTICIPACIÓN DE TODOS LOS CENTROS EN ENSAYOS CLÍNICOS

La participación en ensayos clínicos permite acelerar el acceso a terapias y reducir inequidades. Los centros pequeños suelen quedar excluidos, pese a tener pacientes adecuados. **La descentralización de ensayos** y la creación de consorcios regionales permitirían ampliar la participación y aumentar la evidencia disponible.

Acciones:

- **Crear consorcios regionales de investigación en hemofilia**, favoreciendo una mayor distribución territorial de los ensayos. Institucional
- **Impulsar modelos descentralizados de ensayos clínicos**, facilitando la participación de pacientes de distintas regiones. Institucional
- **Establecer formación específica para centros con menor experiencia investigadora**, ampliando su capacidad de participación. Formativo

Responsables: CSUR y centros de referencia, hospitales, comités de ética en investigación e industria farmacéutica.

8. MEJORAR LA TRANSPARENCIA Y LA COMUNICACIÓN INSTITUCIONAL ENTRE MINISTERIO, CCAA Y LA INDUSTRIA

La falta de comunicación fluida y transparente sobre precios, negociación y criterios de financiación genera incertidumbre y retrasa decisiones en los hospitales. Un **liderazgo institucional** claro favorecería **acuerdos más eficientes** y homogéneos.

Acciones:

- **Crear canales estables de comunicación Ministerio–CCAA–Industria farmacéutica**, que faciliten la planificación del acceso a la innovación. Institucional
- **Definir y difundir principios comunes sobre financiación y evaluación** de terapias innovadoras, reforzando la coherencia del sistema. Institucional
- **Informar de forma estructurada a los hospitales sobre los acuerdos de financiación**, mejorando la previsibilidad en la gestión clínica. Institucional

Responsables: Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud e industria farmacéutica.

8. CONCLUSIONES

El proyecto **SUPERHEMOS** pone de manifiesto que el abordaje de la hemofilia en España se encuentra en un **momento de transición decisivo. Los avances terapéuticos, el uso creciente de herramientas digitales y la evolución del perfil y las expectativas de los pacientes exigen actualizar procesos, reforzar estructuras y homogeneizar criterios entre CCAA**. Los encuentros regionales han permitido contrastar realidades distintas, identificar fortalezas específicas y visibilizar desigualdades que no siempre son evidentes desde una perspectiva exclusivamente clínica.

El análisis territorial muestra que **la mayoría de las barreras identificadas son comunes en todo el territorio nacional** y derivan, en gran medida, de la falta de criterios diagnósticos homogéneos, de la variabilidad organizativa entre centros y de la ausencia de circuitos estables que garanticen equidad en el acceso al diagnóstico, al tratamiento y a la innovación terapéutica. Si no se actúa de manera estructurada, estas brechas tenderán a ampliarse, generando riesgos clínicos derivados de diagnósticos tardíos o tratamientos subóptimos, aumentando la carga asistencial por complicaciones prevenibles y produciendo ineficiencias económicas que comprometen la sostenibilidad del sistema.

A su vez, **el proyecto demuestra que mejorar la atención depende de la disponibilidad de nuevas terapias, pero también de la arquitectura asistencial que sostiene su uso adecuado**: rutas asistenciales claras, equipos coordinados, formación continuada, evidencia en vida real y sistemas de información interoperables. Priorizar estas mejoras permitirá que la innovación terapéutica se integre de forma coherente, segura y equitativa en todo el territorio. Del mismo modo, la experiencia y las preferencias de los pacientes no pueden considerarse un elemento accesorio, sino un componente transversal del modelo asistencial.

8.1. PALANCAS DE ACCIÓN

Se han **identificado siete palancas de acción clave** identificadas por los expertos durante el proyecto, y constituyen los ejes sobre los que debería articularse la evolución del modelo asistencial de la hemofilia en España:

1 **Homogeneización nacional de criterios, protocolos y rutas asistenciales.**

Establecer criterios diagnósticos, protocolos clínicos y rutas de derivación comunes para todos los servicios y CCAA, garantizando un abordaje homogéneo del diagnóstico, tratamiento y seguimiento de la hemofilia en todo el SNS. Este proceso debe desarrollarse respetando las competencias autonómicas y permitiendo márgenes de adaptación territorial, de forma que la homogeneización se entienda como un marco común de referencia, pero no rígido.

2 **Coordinación asistencial real y consolidación de la multidisciplinariedad estructurada.**

Reforzar la integración entre niveles asistenciales y formalizar equipos multidisciplinares con roles definidos y flujos de comunicación estables que aseguren una atención continuada, segura y eficiente.

3 **Profesionalización y actualización continua en el abordaje de la hemofilia.**

Desarrollar programas formativos homogéneos, acreditados y accesibles para todos los profesionales implicados, que permitan actualizar conocimientos en la atención integral de la hemofilia.

4 **Interoperabilidad entre niveles asistenciales y homogeneización de sistemas para la continuidad asistencial.**

Impulsar la conexión efectiva entre historias clínicas, registros, herramientas digitales y sistemas de información, garantizando la trazabilidad del paciente y la continuidad asistencial en cualquier punto del SNS.

5 **Participación estratégica del paciente como eje estructural del modelo asistencial.**

Incorporar la voz del paciente de forma sistemática en la práctica clínica mediante PROMs y PREMs estandarizados y homogéneos en el territorio nacional, reforzar la educación terapéutica, mejorar los programas de adherencia y asegurar la participación activa de pacientes y asociaciones en la planificación asistencial.

6 **Generación de evidencia en vida real para la toma de decisiones basadas en valor.**

Desarrollar un ecosistema que permita evaluar resultados clínicos en práctica real, monitorizar la efectividad de las terapias, apoyar la reevaluación continua del arsenal terapéutico y facilitar decisiones de financiación basadas en valor.

7 Modelos innovadores de acceso y financiación orientados a la equidad y al valor terapéutico.

Promover mecanismos de financiación ágiles basados en resultados, armonizar criterios de acceso entre CCAA y facilitar modelos que garanticen equidad en la incorporación de terapias de alto impacto terapéutico independientemente del territorio.

Priorizar estas palancas permitirá obtener mejoras significativas: diagnósticos más tempranos y homogéneos, mayor seguridad clínica, una adopción más coherente de la innovación terapéutica, reducción de la variabilidad territorial, mejor coordinación entre niveles asistenciales y una mayor eficiencia en el uso de recursos, **impactando directamente en los resultados en salud, en la experiencia del paciente y en la sostenibilidad del sistema**.

SUPERHEMOS ofrece así una base sólida y consensuada para orientar mejoras en el sistema, favorecer la toma de decisiones y consolidar un modelo asistencial más equitativo, eficiente y centrado en las necesidades reales de los pacientes. **La hemofilia seguirá transformándose en los próximos años, y contar con un marco claro y orientado a prioridades será determinante para asegurar que los avances terapéuticos se traduzcan en beneficios reales para todos los pacientes.**

9. ABREVIATURAS

AGADHEMO: Asociación Gallega de Hemofilia

AP: Atención Primaria

ASPHA: Asociación de Personas con Hemofilia de Andalucía

CCAA: Comunidades Autónomas

CSUR: Centros, Servicios y Unidades de Referencia

DVR: Datos en Vida Real

FEDHEMO: Federación Española de Hemofilia

GEMEH: Grupo Español de Medicamentos Hemoderivados de la SEFH

HEMOIB: Asociación de la Hemofilia y otras Coagulopatías Congénitas de las Islas Baleares

H.U.: Hospital Universitario

IA: Inteligencia Artificial

IPT: Informe de Posicionamiento Terapéutico

OMPTA: Oficina Autonómica de Medicina Predictiva, Personalizada y Terapias Avanzadas

PK: Farmacocinética

PREMs: Patient-Reported Experience Measures (Medidas de experiencia del paciente)

PROMs: Patient-Reported Outcome Measures (Resultados percibidos por el paciente)

SEFH: Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria

SETH: Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia

SNS: Sistema Nacional de Salud

TTPa: Tiempo Parcial de Tromboplastina Activada

10. REFERENCIAS

1. Rezende SM, Neumann I, Angchaisuksiri P, Awodu O, Boban A, Cuker A, et al. International Society on Thrombosis and Haemostasis clinical practice guideline for treatment of congenital hemophilia A and B based on the Grading of Recommendations Assessment, Development, and Evaluation methodology. J Thromb Haemost. septiembre de 2024;22(9):2629-52.
2. Peyvandi F, Garagiola I, Young G. The past and future of haemophilia: diagnosis, treatments, and its complications. Lancet. 9 de julio de 2016;388(10040):187-97.
3. Balkaransingh P, Young G. Novel therapies and current clinical progress in hemophilia A. Ther Adv Hematol. febrero de 2018;9(2):49-61.
4. Pipe SW, Gonen-Yaacovi G, Segurado OG. Hemophilia A gene therapy: current and next-generation approaches. Expert Opin Biol Ther. septiembre de 2022;22(9):1099-115.
5. Thornburg CD, Pipe SW, Cantore A, Unzu C, Jones M, Miesbach WA. Clinical perspective: Advancing hemophilia treatment through gene therapy approaches. Mol Ther. 4 de junio de 2025;33(6):2350-62.
6. Mancuso ME, Mahlangu JN, Pipe SW. The changing treatment landscape in haemophilia: from standard half-life clotting factor concentrates to gene editing. Lancet. 13 de febrero de 2021;397(10274):630-40.
7. Thornburg CD, Simmons DH, von Drygalski A. Evaluating Gene Therapy as a Potential Paradigm Shift in Treating Severe Hemophilia. BioDrugs. septiembre de 2023;37(5):595-606.
8. Aznar JA, Lucía F, Abad-Franch L, Jiménez-Yuste V, Pérez R, Batlle J, et al. Haemophilia in Spain. Haemophilia. mayo de 2009;15(3):665-75.
9. Cuesta-Barriuso R, Torres-Ortuño A, Nieto-Munuera J, López-Pina JA. Quality of Life, Perception of Disease and Coping Strategies in Patients with Hemophilia in Spain and El Salvador: A Comparative Study. Patient Prefer Adherence. 2021;15:1817-25.
10. Ramos-Petersen L, Rodríguez-Sánchez JA, Cortés-Martín J, Reinoso-Cobo A, Sánchez-García JC, Rodríguez-Blanque R, et al. A Qualitative Study Exploring the Experiences and Perceptions of Patients with Hemophilia Regarding Their Health-Related Well-Being, in Salamanca. J Clin Med. 21 de agosto de 2023;12(16):5417.
11. Hermans C, Pierce GF. Towards achieving a haemophilia-free mind. Haemophilia. julio de 2023;29(4):951-3.
12. Giordano L, Pagana AG, Minciullo PL, Fazio M, Stagno F, Gangemi S, et al. Artificial Intelligence in the Management of Hereditary and Acquired Hemophilia: From Genomics to Treatment Optimization. Int J Mol Sci. 25 de junio de 2025;26(13):6100.

11. ANEXO 1

Priorización de necesidades

Con el objetivo de facilitar una lectura homogénea y transparente de las tablas de priorización incluidas en el presente documento, las necesidades identificadas se han evaluado atendiendo a los siguientes **criterios**:

Impacto clínico

Evalúa el grado en que cada necesidad contribuye a mejorar los resultados clínicos y la atención directa a las personas con hemofilia. Para su valoración se ha tenido en cuenta su impacto potencial sobre el diagnóstico precoz y correcto, la reducción de sangrados y complicaciones, la seguridad del paciente, la calidad de vida y la carga del tratamiento, así como la individualización terapéutica y el seguimiento clínico.

- **Alto**: impacto directo y significativo sobre resultados clínicos relevantes o en la prevención de complicaciones.
- **Medio**: impacto clínico indirecto o relevante principalmente en determinados subgrupos de pacientes.
- **Bajo**: impacto clínico limitado o fundamentalmente facilitador de otros cambios.

Impacto organizativo

Valora el grado en que cada necesidad contribuye a reducir inequidades territoriales, homogeneizar la atención entre comunidades autónomas y centros, mejorar la coordinación y eficiencia del sistema y reforzar la coherencia y sostenibilidad del modelo asistencial.

- **Alto**: impacto estructural claro sobre la equidad territorial y el funcionamiento del sistema.
- **Medio**: impacto relevante pero limitado a determinados niveles asistenciales o territorios.
- **Bajo**: impacto principalmente local o sin un efecto claro sobre la equidad o el sistema.

Viabilidad

Analiza la factibilidad real de implementación de cada acción en el contexto actual del SNS. Este criterio integra de forma conjunta la viabilidad técnica, organizativa, institucional y normativa, así como el grado de aceptación esperado por parte de los distintos actores implicados.

- **Alta**: puede implementarse con los recursos y marcos actuales, sin necesidad de cambios normativos relevantes.
- **Media**: requiere coordinación adicional, ajustes organizativos o el desarrollo de experiencias piloto.
- **Baja**: precisa cambios estructurales o regulatorios, una inversión elevada o un amplio consenso institucional.

Horizonte temporal

Hace referencia al tiempo estimado necesario para que la acción pueda ponerse en marcha y generar un impacto tangible.

- **Corto plazo** (≤ 1 año): acciones de rápida implementación, principalmente organizativas, formativas o de consenso.
- **Medio plazo** (1–3 años): requiere planificación, coordinación entre niveles asistenciales o un despliegue progresivo.
- **Largo plazo** (> 3 años): implica cambios estructurales, normativos o de amplio alcance sistémico.

AVANCES EN EL DIAGNÓSTICO Y MANEJO TERAPÉUTICO. NECESIDADES Y BARRERAS

AVANCES EN EL DIAGNÓSTICO Y MANEJO TERAPÉUTICO	NECESIDADES Y BARRERAS				
Necesidad prioritaria	Impacto clínico	Impacto organizativo	Viabilidad	Horizonte temporal	Responsable principal
Mejorar el diagnóstico precoz y homogéneo	Alto	Alto	Media	Corto	Consejerías autonómicas de Salud, CSUR, Unidades de Hemofilia y Sociedades Científicas.
Mejorar el diagnóstico y la identificación de mujeres con hemofilia	Alto	Alto	Media	Corto	Servicio de Ginecología, Unidades de Hemofilia y Sociedades Científicas.
Garantizar el acceso homogéneo al diagnóstico genético	Alto	Alto	Media	Medio	Consejerías autonómicas de Salud, CSUR, Unidades de Hemofilia y Sociedades Científicas.
Garantizar rutas formales de derivación diagnóstica y acceso al manejo terapéutico especializado del paciente	Alto	Alto	Media	Corto	Consejerías autonómicas de Salud, CSUR y centros de referencia, y gerencias de hospital.
Adaptar el diagnóstico a los cambios poblacionales y a la diversidad de orígenes	Medio	Alto	Media	Medio	Servicios de Hematología, Enfermería especializada en hemofilia y Asociaciones de Pacientes.
Necesidad de individualización del tratamiento y su adaptación al estilo de vida y fenotipo de sangrado del paciente	Alto	Alto	Media	Medio	Servicios de Farmacia Hospitalaria y Hematología y equipo multidisciplinar en hemofilia.
Integrar el uso de IA, Big Data y herramientas digitales	Medio	Medio	Media	Medio	Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud, CSUR y centros de referencia y Sociedades Científicas.

Mejorar la adherencia al tratamiento	Alto	Medio	Alta	Corto	Servicios de Farmacia Hospitalaria, Enfermería especializada en hemofilia, equipos multidisciplinares de hemofilia, y Asociaciones de Pacientes.
Reforzar la atención clínica especializada en hemofilia	Alto	Alto	Media	Medio	CSUR y centros de referencia, hospitales, equipo multidisciplinar en hemofilia y Sociedades Científicas.
Necesidad de desarrollar biomarcadores aplicables a la práctica clínica	Medio	Medio	Baja	Largo	Servicios de Hematología, Rehabilitación, Radiología y Traumatología y Sociedades Científicas.

AVANCES EN EL DIAGNÓSTICO Y MANJEO TERAPÉUTICO. SOLUCIONES

1. Homogeneizar y garantizar el acceso a pruebas, criterios diagnósticos y estudios avanzados en todos los centros
2. Incorporar criterios específicos para mujeres y niñas en los protocolos diagnósticos
3. Mejorar la identificación de pacientes y sospecha clínica en urgencias
4. Protocolizar el manejo quirúrgico en hemofilia
5. Impulsar herramientas digitales de autorregistro y su integración en la monitorización clínica
6. Reforzar la evaluación estandarizada del daño articular mediante herramientas de imagen y escalas homogéneas
7. Consolidar protocolos de individualización terapéutica integrando estilo de vida y preferencias de los pacientes
8. Desarrollar programas estructurados de adherencia al nuevo abordaje de la hemofilia

9. Establecer circuitos formales de derivación para estudios avanzados y manejo especializado

10. Integrar tecnologías digitales de apoyo al diagnóstico y seguimiento clínico

11. Impulsar la formación profesional homogénea y continuada sobre diagnóstico y nuevas terapias

12. Implementar consultas de transición estructuradas entre pediatría y adultos

13. Fortalecer el papel de Farmacia Hospitalaria en el seguimiento y optimización del tratamiento en hemofilia

COORDINACIÓN ASISTENCIAL. NECESIDADES Y BARRERAS

COORDINACIÓN ASISTENCIAL	NECESIDADES Y BARRERAS				
Necesidad prioritaria	Impacto clínico	Impacto organizativo	Viabilidad	Horizonte temporal	Responsable principal
Reforzar la coordinación multidisciplinar entre profesionales y centros	Alto	Alto	Media	Corto	Consejerías autonómicas de Salud, gerencias de hospital y equipos multidisciplinares de hemofilia.
Mejorar la integración entre Atención Primaria y atención hospitalaria especializada	Alto	Alto	Media	Corto	Gerencias de hospital, Atención Primaria, servicios de Farmacia Hospitalaria, Hematología y Enfermería.
Garantizar una utilización adecuada de los CSUR y centros de referencia	Alto	Alto	Media	Corto	CSUR y centros de referencia, Gerencias de hospital, Unidades de hemofilia y Sociedades Científicas.
Mejorar el acceso al historial clínico entre CCAA	Alto	Alto	Baja Media	Medio	Ministerio de Sanidad, Consejerías de salud y gerencias de hospital.
Asegurar acceso rápido y adecuado al tratamiento ante urgencias y sangrados	Alto	Alto	Media	Corto	Consejerías de salud, gerencias de hospital y equipos multidisciplinares de hemofilia.
Mejorar la dispensación domiciliaria y su universalización	Medio	Alto	Media	Medio	Consejerías autonómicas y servicio de Farmacia Hospitalaria.
Integrar a las Asociaciones de Pacientes en la toma de decisiones asistenciales	Medio	Medio	Alta	Corto	Ministerio de Sanidad, equipos multidisciplinares de hemofilia y Asociaciones de Pacientes.

COORDINACIÓN ASISTENCIAL. SOLUCIONES

1. Impulsar una cultura organizativa orientada a la coordinación asistencial en hemofilia
2. Garantizar recursos estructurales y humanos suficientes para la atención coordinada de la hemofilia
3. Protocolizar la atención multidisciplinar en todas las unidades de hemofilia
4. Crear comités mixtos de coordinación entre Atención Primaria y hospitales
5. Establecer circuitos rápidos y protocolizados de derivación entre hospitales y CSUR y centros de referencia
6. Protocolizar el cuidado integral de la hemofilia en otras especialidades
7. Implantar un historial clínico interoperable y pasaporte digital del paciente con hemofilia
8. Integrar formalmente a las asociaciones de pacientes en los procesos de toma de decisiones asistenciales
9. Implantar un modelo homogéneo de dispensación domiciliaria con coordinación estructurada

ACCESO A LA INNOVACIÓN TERAPÉUTICA. NECESIDADES Y BARRERAS

COORDINACIÓN ASISTENCIAL	NECESIDADES Y BARRERAS				
Necesidad prioritaria	Impacto clínico	Impacto organizativo	Viabilidad	Horizonte temporal	Responsable principal
Utilizar modelos de acceso y financiación eficaces, ágiles y flexibles	Alta	Alta	Media	Medio	Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud, servicio de Farmacia Hospitalaria, Industria farmacéutica.
Garantizar un acceso equitativo a terapias innovadoras entre regiones y centros	Alta	Alta	Baja Media	Medio	Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud y gerencias de hospital.
Asegurar códigos de acceso y criterios de inclusión adecuados y flexibles	Alta	Alta	Media	Medio	Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud y servicio de Farmacia Hospitalaria.
Facilitar un acceso equitativo a ensayos clínicos	Medio	Medio	Media	Medio	CSUR y centros de referencia, hospitales, comités de ética en investigación e industria farmacéutica.
Evaluación adecuada de la efectividad en vida real y seguimiento post-comercialización	Alta	Alta	Media	Medio	Ministerio de Sanidad, Consejerías autonómicas de Salud y servicio de Farmacia Hospitalaria.

ACCESO A LA INNOVACIÓN TERAPÉUTICA. SOLUCIONES

1. Avanzar hacia modelos de financiación basados en valor y pagos vinculados a resultados reales

2. Optimizar el arsenal terapéutico disponible según su valor terapéutico e innovador

3. Simplificar y armonizar los procesos administrativos de acceso a nuevos tratamientos

4. Homogeneizar criterios de acceso y flexibilizar el manejo de pacientes “límite”

5. Excluir la hemofilia de los techos presupuestarios y cuotas de pacientes

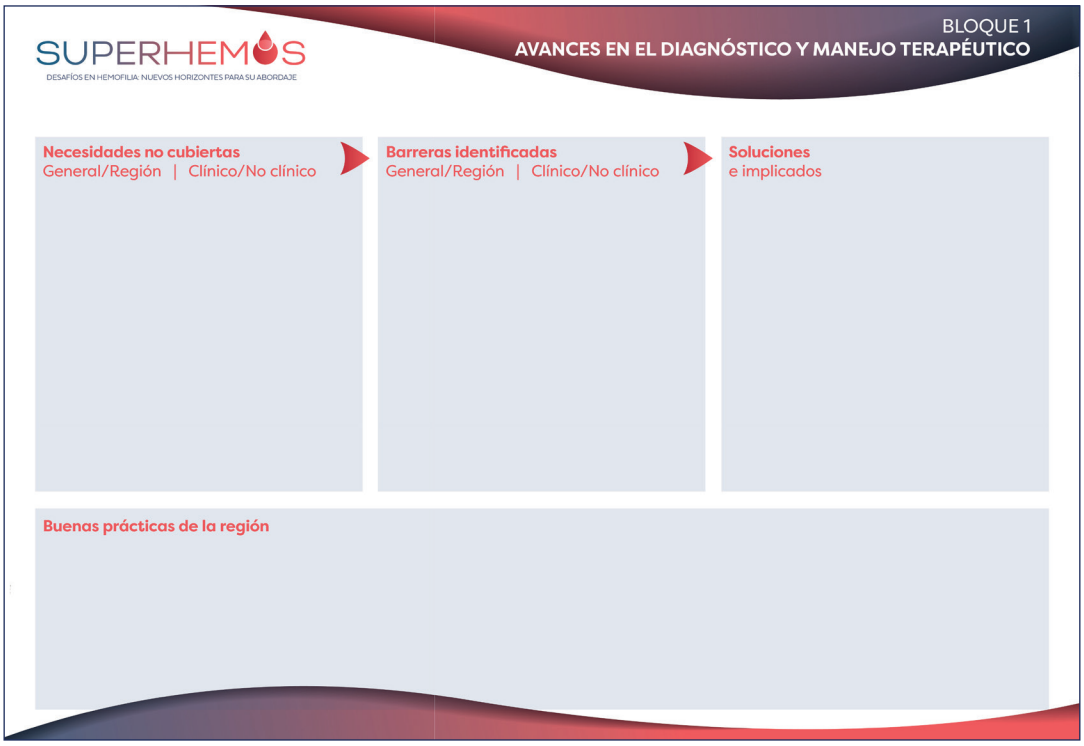
6. Fortalecer la generación de evidencia en vida real y el registro institucional post-comercialización

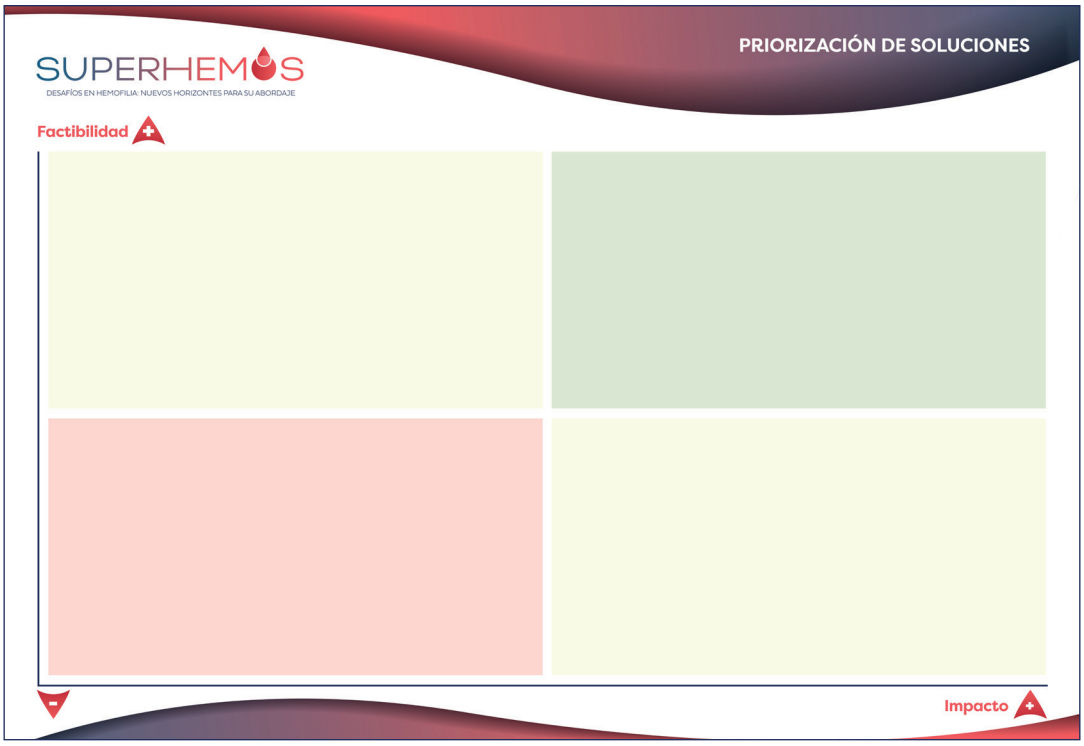
7. Facilitar la participación de todos los centros en ensayos clínicos

8. Mejorar la transparencia y la comunicación institucional entre Ministerio, CCAA y la industria

12. ANEXO 2

Plantillas reunión regional





SUPERHEMOS

DESAFÍOS EN HEMOFILIA: NUEVOS HORIZONTES PARA SU ABORDAJE

GRUPO LEVANTE

	Necesidades no cubiertas	Solución clave	Alcance	Responsables de implementar
Avances en el diagnóstico y manejo terapéutico				
Coordinación asistencial				
Acceso a la innovación terapéutica				

Pfizer

SUPERHEMOS

DESAFÍOS EN HEMOFILIA: NUEVOS HORIZONTES PARA SU ABORDAJE