

# THE X-FILE

A BILINGUAL PUBLICATION OF THE UNIVERSITY OF MIAMI / MILLER SCHOOL OF MEDICINE HEMOPHILIA TREATMENT CENTER

## From the Director: Happenings at the HTC & in the Community



By the time this newsletter reaches our families, Hurricane Dorian will be, hopefully, just a memory with no lasting reminders, and there will have been no further named visitors from the tropics.

That being said, the HTC team wishes everyone a safe remainder of the 2019 Hurricane season and, of course, reminds all our families to ALWAYS— not just during storm season—stay on top of their factor supply, need for refills AND insurance requirements and restrictions.

We appreciate Bayer's timely sponsorship of a bilingual educational dinner at the 94th Aero Squadron Restaurant, focusing on "Being Prepared for a

Hemophilia A Emergency".

We also thank Takeda for sponsoring not just a lovely dinner at Dolores Lolita on September 26th, but a most informative and necessary presentation regarding how to understand the language and "rules" of insurance coverage. Regardless of whether you are covered by private insurance, Medicaid or the Obama exchanges, things keep changing and it is essential to be able to receive your prescribed factor/ medications without interruption. Annalise will be able to direct further questions which may come up after everyone has processed this "Health Insurance Roadmap", especially as Open Enrollment is just around the corner.

The late summer activities included an awesome Water Safety Day at the Venetian

Pool on August 3rd. Shout outs to our DPT, Kelli Fraga, Outreach Coordinator, Merissa Williams AND CSL Behring, for creating an exciting and fun-filled event (weather notwithstanding!) A huge thank you to Red Cross volunteer, Eileen Brennan, for the invaluable water safety tips that she provided to all attendees.

Many of the HTC staff attended the annual Florida State Meeting in Orlando. Under the guidance and development of the Hemophilia Foundation of Greater Florida, and with the support and participation of the Florida Hemophilia Association, this meeting allows all the HTCs in Florida the opportunity to learn, discuss and brainstorm ideas which we all hope will benefit our families in

### THE MEDICAL TEAM

**Joanna A. Davis, MD**  
Pediatric Program Medical Director

**Thomas Harrington, MD**  
Adult Program Medical Director

**Fernando Corrales-Medina, MD**  
Pediatric Associate Medical Director

**Krysten Sargent, APRN**  
Pediatric Nurse Coordinator

**Maya Bloomberg, APRN**  
Adult Nurse Coordinator

**Kelli Fraga, PT, DPT**  
Physical Therapist

**Annalise Guerra, MSW**  
Clinical Social Worker/  
Psychotherapist

**Magaly Gonzalez**  
Clinical 340B Program Coordinator

**Leandro Pisani**  
Clinical Research Coordinator

**Merissa Williams**  
Outreach Coordinator

**Caitlin Losa**  
HTC Secretary

### Inside this issue:

From the Director	1
Upcoming Events	3
Medically Speaking	4
What We Do & Why We Do It	8
UM HTC Team	8
Pediatric Clinic Schedule	12
Adult Clinic Schedule	12

## From the Director (continued...)

the coming year. Insurance issues and the 340B program, along with the need for coordinated multispecialty women's clinics, were the hot topics.

Maya and Krysten will be holding another infusion workshop on November 4th. Great time to brush up on your skills or learn from scratch. BTW, Maya and Krysten are also available for one-on-one sessions, and advanced sessions, upon request. For those families who may be using the new therapies, a review of subcutaneous

*Para el momento en que este boletín informativo llegue a nuestras familias, el Huracán Dorian será, esperamos, solo un recuerdo sin recordatorios duraderos, y que no habrá habido ningún otro visitante de los trópicos. Dicho esto, el equipo del HTC les desea a todos que el resto de la temporada de huracanes del 2019 sea seguro y, por supuesto, les recordamos a todas nuestras familias que SIEMPRE (no solo durante la temporada de tormentas) se mantengan al tanto de sus suministros del factor, si necesitan surtirse y los requisitos y restricciones de su seguro.*

*Apreciamos el oportuno patrocinio de Bayer para una cena educativa bilingüe en el restaurante 94th Aero Squadron,*

administration techniques can also be included.

The next von Willebrand Academy, for Latin American physicians, will be held at UM on December 4 - 6. Under the direction of Dr. Corrales-Medina, these twice-yearly symposia are designed to improve the care of vWD patients in Latin America. The sessions cover the scientific basics, diagnostic evaluations and management of bleeding issues which are common to the vWD population.

*dedicada al tema "Cómo estar preparado ante una emergencia debido a la hemofilia A".*

*Igualmente agradecemos a Takeda por patrocinar, no solo una encantadora cena en Dolores Lolita el 26 de septiembre, sino también una sumamente necesaria e informativa presentación sobre cómo entender el lenguaje y las "reglas" de la cobertura de los seguros. Independientemente de si usted tiene cobertura a través de un seguro privado, Medicaid o las opciones del ObamaCare, las cosas siguen cambiando y es primordial que pueda recibir su factor o medicamentos recetados sin interrupción. Annalise podrá encargarse de abordar otras preguntas que pudieran surgir*

If there is anything that YOU would like to learn more about, discuss, etc., please let us know.

We are here for YOU!  
See you at the HTC!



*luego de que todos hayamos procesado esta "Guía para los seguros médicos", especialmente porque la inscripción abierta está ya al doblar de la esquina.*

*Las actividades al final del verano incluyeron un estupendo "Día de seguridad en el agua" en la piscina de Venetian Pool el 3 de agosto. Queremos resaltar a Kelli Fraga, nuestra fisioterapeuta, a Merissa Williams, nuestra Coordinadora de actividades de divulgación, y a CSL Behring por crear una actividad estimulante y llena de diversión (¡independientemente de las condiciones climáticas!). Enormes gracias a la voluntaria de la Cruz Roja,*

*Eileen Brennan, por los invaluable consejos para seguridad en el agua que les proporcionó a todos los asistentes.*

*Gran parte del personal del HTC asistió a la Reunión anual del Estado de Florida en Orlando. Con la dirección y fomento de la Hemophilia Foundation of Greater Florida, y con el respaldo y la participación de la Florida Hemophilia Association, esta reunión les brinda la oportunidad a todos los HTC de Florida de aprender, debatir e intercambiar ideas, que todos esperamos beneficiarán a nuestras familias el próximo año. Los temas más candentes fueron los asuntos relacionados con los seguros y el programa 340B, junto con la necesidad de contar con consultorios especializados coordinados para mujeres con múltiples especialidades.*

*Maya y Krysten llevarán a cabo otro taller de infusión el 4 de noviembre. Es un estupendo momento para refrescar sus destrezas o aprender desde cero. Por cierto, Maya y Krysten también están disponibles para sesiones individuales y sesiones avanzadas, si lo solicitan. Para aquellas familias que podrían estar usando los nuevos tratamientos, también se puede incluir un repaso de las técnicas de administración subcutánea.*

*La próxima Academia de la Enfermedad de Von Willebrand, para médicos latinoamericanos, tendrá lugar en la Universidad de Miami (UM) del 4 al 6 de diciembre. Estos simposios bianuales, a cargo del Dr. Corrales-Medina, están concebidos para mejorar la atención de los pacientes con enfermedad de Von Willebrand en Latinoamérica. Las sesiones tratan las nociones científicas*

*básicas, las evaluaciones diagnósticas y el tratamiento de los problemas hemorrágicos frecuentes en los pacientes con esta enfermedad.*

*Si hay algo sobre lo que USTED quisiera aprender más, analizar, etc., déjenos saber.*

*¡Estamos aquí para USTED!  
¡Nos vemos en el HTC!*



## Upcoming Events

### Learn to Infuse at our Infusion 101 Workshop!

This workshop focuses on providing hands-on infusion instruction. Our HTC nurses Maya and Krysten, will be leading the workshop. *Lunch is provided.*

**When:**

Monday, November 4, 2019  
from 10:00AM—2:00PM

**Location:**

Mailman Center for Child Development  
1601 NW 12th Ave, Miami FL

Call Caitlin today at 305-243-0834 or email her at [CSL70@med.miami.edu](mailto:CSL70@med.miami.edu) to make your reservation!  
Space is limited!





## Medically Speaking: Gene Therapy

By: Dr. Joanna A. Davis

This is an exciting time for the Bleeding Disorders Community. Our families are leading truly "normal" lives—whatever that means! With the exception of participation in sports such as American football, wrestling, lacrosse, polo...

Severe hemophiliacs now live a normal lifespan, when compared with the 20-year lifespan of the 1960s. As you all know better than I, our patients are going to college, getting jobs, getting married and having families.

Factor concentrates, the role of prophylaxis, extended half-life factors, the expanding role of physical therapy, use of ultrasound to monitor joint health, novel therapies...all of these advances have moved our community forward in ways of which were not even imaginable as short as 25 years ago.

One of the questions new (and established) families always ask: When will there be a cure? When will I/my child no longer have hemophilia? The answer, in theory, has been "gene therapy"—somehow replacing a person's hemophilia gene with a "normal" gene for factor 8 or factor 9

production. Well...gene therapy is no longer wishful thinking, or an academic theoretical intervention. While

there are still issues to be resolved, the clinical trials for both Hemophilia A and B gene therapy have shown good results, and one gene therapy product, for Hemophilia B adults (18 - 65) may become commercially available in 2020.

Since fantasy/science fiction seems to be meeting reality, it is important for ALL of our families to have some understanding of what is involved with gene therapy as of 2019—how is it done, what are the limitations, etc. Hopefully this article will provide a background from which questions and discussion will follow.

Every aspect of a person—physical and psychological characteristics, talents, likes, dislikes—at some level comes down to a person's "genes", influenced and shaped by one's environment as well. Genes are packets of DNA "recipes" for proteins which are kept in the chromosomes (collections of many recipes) in the nucleus, or central part, of every cell in the body. Human beings have 46 chromosomes in each cell—we get 23 chromosomes from our mothers and 23 from our fathers.

We grow and change—all of which is proof of the renewal of our cells, or "cell division". Cell division or duplication or

replication involves the copying of each cell's genetic material or recipes so that new cells are made.

Sometimes the recipes get mixed up during cell division—sort of like writing down a cake recipe and mistakenly writing 3 eggs instead of 1, or a cup of salt instead of a tablespoon. These "mistakes" are called mutations, or changes. We all have thousands of mutations that occur during both our embryologic development and throughout our lives. Most are harmless—no effect on our lives or health. Some, however, DO have an effect which can be of greater or lesser importance.

We know that there are thousands of mutations in the factor 8 or factor 9 gene which can result in hemophilia A or B. For our families who participated in the My Life, Our Future study, you know that your family's specific mutation has been identified. We know that some mutations are more or less likely to cause a hemophilia patient to develop an inhibitor. And we are learning more about the genetics of hemophilia every day.

Simply put, the idea behind gene therapy is to either replace the mutated gene completely or add a "normal" gene into a person's DNA, so that each cell will make a normal or close-to-normal amount of factor 8 or 9. How does that occur?

**Medically Speaking** (continued...)

The normal gene must, somehow, get into the patient's cells/DNA. Today, at least for hemophilia, that involves packaging the normal gene into a transportation system— called a "vector"— which will be able to get into the cell and either insert the normal gene into the patient's DNA, or leave the gene as an independently functional entity (an episome), which is actually found outside the chromosomes in the cell.

Vectors are deactivated viruses, and which ones are used depends on the size of the normal gene, so that it fits into the virus shell. Some vectors actually insert the gene into the patient's DNA (an integrating vector). Other vector genetic payload will exist separate from the patient's DNA (episomal vector). These vectors are programmed to work on the patient's liver cells— the cells which make the clotting factors.

By adding the normal gene into the person's DNA, that normal gene will be reproduced with every cell division, and, the hope is that the normal or at least greater production of factor 8/9 will persist throughout the person's lifetime.

Episomal vectors, since they exist outside the replicating mechanism of the cell, run the risk of getting lost over time, as they do not duplicate; so, the rise in factor level may not last for more than a few months/years. Currently, the studies do

not include redosing with the vector again. Why? Because, even though inactivated— not causing disease or a viral illness, the vector is still a virus shell and our bodies' immune systems react by making antibodies to destroy viruses.

So, who is eligible for a study?

**At this time, for several of the larger studies, about 25% of interested patients are NOT ELIGIBLE. People who have been exposed during their lives to the vector virus in its active form may not be eligible as they have already produced antibodies which would wipe out the vector. The screening process for participation may take a few weeks**

At the University of Miami, Dr. Harrington is overseeing one of the Factor 8 gene therapy protocols. We are hoping to participate in more. The administration of the vector/gene package is through an IV infusion; patients are admitted to the hospital for a few days to make sure there are no side effects. Frequent clinic visits are required to monitor the changes in the factor levels. It may be necessary to remain on prophylaxis until the levels of factor rise. Depending on how high a person's factor level goes, factor infusions for traumatic bleeds may still be necessary, but prophylaxis may no longer be indicated.

Some patients experience a reaction to the vector which is detected by changes in liver

protein (enzyme) levels. This can be managed or prevented with a short course of oral steroids. Some patients may lose the effect of the therapy after several months/years.

It is important for our families to understand that the improvement in factor 8/9 levels ONLY affects the patient. The new gene does not get into the sperm cells (the "germ" cells), so the daughters of a hemophiliac man will still all be obligate carriers!

There are new techniques in gene therapy development which are under investigation. Extending the effect, minimizing the liver reaction, learning about the dose of vector necessary for sustained response, understanding how to potentially "re-dose" a patient with the same vector— are only a few questions to be resolved. Gene editing— actually slicing out the mutated gene before inserting the healthy gene, is also under investigation.

Gene therapy has been "curative" for some patients— converting them to either mild/moderate hemophiliacs or hemostatically normal individuals.

Every patient is different, in every way. The time has come to find out more about this treatment option because the more you know, the better the decisions and choices you will make!

*Este es un momento emocionante para la comunidad de trastornos hemorrágicos. Nuestras familias llevan vidas realmente “normales”, con excepción de la participación en deportes como fútbol americano, lucha libre, lacrosse, polo, etc.*

*En la actualidad, las personas con hemofilia grave tienen una esperanza de vida normal, en comparación con la esperanza de vida de apenas 20 años que tenían en la década de los sesenta. Como todos ustedes saben mejor que yo, nuestros pacientes van a la universidad, trabajan, se casan y tienen hijos.*

*Los concentrados de factor, la importancia de la profilaxis, los factores con semivida prolongada, la función cada vez mayor de la fisioterapia, el uso de ecografía para dar seguimiento al bienestar articular, tratamientos novedosos... todos estos avances han hecho progresar a nuestra comunidad en formas que ni siquiera eran imaginables hace tan poco como 25 años atrás.*

*Una de las preguntas que siempre hacen las familias nuevas (y también las antiguas) es: ¿Cuándo habrá una cura? ¿Cuándo dejaré/dejará mi hijo de tener hemofilia? La respuesta, en teoría, ha sido la*

*“genoterapia”: reemplazar, de alguna forma, el gen de la hemofilia de una persona con un gen “normal” para la producción del factor 8 o el factor 9. Pues bien... la genoterapia ya no es más una simple ilusión o una intervención académica teórica. Si bien todavía quedan algunos asuntos por resolver, los estudios clínicos para la genoterapia tanto en la hemofilia A como en la B han mostrado buenos resultados y un producto de genoterapia, para adultos (de 18 a 65 años) con hemofilia B, podría estar disponible en el mercado en el 2020.*

*Dado que la fantasía o ciencia ficción parece estar encontrándose con la realidad, es importante que TODAS nuestras familias tengan algún conocimiento de lo que implica la genoterapia en el 2019: cómo se hace, cuáles son las limitaciones, etc. Esperamos que este artículo proporcione una introducción que permita que surjan preguntas y debates.*

*Cada aspecto de una persona (sus características físicas y psicológicas, talentos, gustos, lo que le desagrada) en algunos niveles se reduce a sus “genes”, influenciado y moldeado también por el entorno. Los genes son paquetes de “recetas” de ADN para las proteínas que se guardan en los cromosomas (colecciones de muchas recetas) en el núcleo, o parte central, de*

*cada célula del cuerpo. Los seres humanos tienen 46 cromosomas en cada célula; recibimos 23 cromosomas de nuestra madre y 23 de nuestro padre.*

*Creemos y cambiamos, lo que es prueba de la renovación de nuestras células, o lo que se llama “división celular”. La división, proliferación o replicación celular consiste en copiar el material genético (o recetas) de cada célula para producir nuevas células.*

*A veces, las recetas pueden confundirse durante la división celular; como cuando anotamos la receta de un pastel y, por error, escribimos tres huevos en lugar de uno, o una taza de sal en vez de una cucharada. Estos “errores” se llaman mutaciones o cambios. Todos tenemos miles de mutaciones que ocurren tanto durante nuestro desarrollo embriológico como durante toda nuestra vida. La mayoría son inocuos, no tienen ningún efecto en nuestra vida o nuestra salud. Algunos, sin embargo, tienen un efecto que puede ser de mayor o menor importancia.*

*Sabemos que hay miles de mutaciones en el gen del factor 8 o el factor 9 que pueden dar lugar a la hemofilia A o B. Nuestras familias que participaron en el estudio “My Life, Our Future” (Mi vida, nuestro futuro) saben que la*

mutación específica de su familia ha sido identificada. También sabemos que algunas mutaciones tienen una mayor o menor probabilidad de provocar que un paciente con hemofilia presente un inhibidor. Y cada día estamos conociendo más acerca de las bases genéticas de la hemofilia.

En palabras sencillas, la idea detrás de la genoterapia es reemplazar completamente el gen mutado o añadir un gen "normal" en el ADN de la persona, de forma que cada célula fabrique una cantidad normal o casi normal de factor 8 o 9. ¿Cómo sucede esto?

El gen normal debe, de alguna forma, entrar en las células y el ADN del paciente. Hoy en día, por lo menos para la hemofilia, eso implica empaquetar el gen normal en un sistema de transporte, llamado "vector", que podrá ingresar en la célula e insertar el gen normal en el ADN del paciente o dejar el gen como una entidad funcional independiente (un episoma), que de hecho se encuentra fuera de los cromosomas en la célula.

Los vectores son virus desactivados, y se determina cuáles usar en función del tamaño del gen normal, para que se acomode a la cubierta del virus. Algunos vectores insertan el gen en el ADN del paciente (vector integrador). La carga genética útil de otro vector existirá aparte del ADN

del paciente (vector episomal). Estos vectores están programados para actuar en las células hepáticas del paciente, es decir, las células que elaboran los factores de la coagulación.

Al añadir el gen normal en el ADN de una persona, dicho gen normal se va a reproducir con cada división celular y lo que se espera es que la producción normal, o al menos mayor, de factor 8 o 9 dure toda la vida del paciente.

Dado que los vectores episomales existen fuera del mecanismo de replicación de la célula, corren el riesgo de perderse con el tiempo, ya que no se duplican; por lo que, el aumento en la concentración de factor pudiera durar no más de unos cuantos meses o años. Actualmente, los estudios no incluyen el volver a administrar el vector de nuevo. ¿Por qué? Porque, aunque está inactivado y no causa enfermedades o infecciones virales, el vector sigue siendo la cubierta de un virus y el sistema inmunitario del cuerpo reacciona produciendo anticuerpos para destruir los virus.

¿Quiénes son elegibles para un estudio?

**En este momento, en el caso de varios de los estudios más grandes, alrededor del 25% de los pacientes interesados NO SON ELEGIBLES. Las personas que en el transcurso de su vida han estado expuestas al**

**virus del vector en su forma activa podrían no ser elegibles, porque ya han producido anticuerpos que eliminarían el vector. El proceso de selección para la participación podría durar unas cuantas semanas.**

En la Universidad de Miami, el Dr. Harrington supervisa uno de los protocolos para la genoterapia de factor 8. Esperamos participar en más estudios. La administración del paquete vector-gen se hace a través de una infusión intravenosa (i.v.); se hospitaliza a los pacientes por unos cuantos días para asegurar que no haya efectos secundarios. Se requieren visitas frecuentes a la clínica para vigilar los cambios en las concentraciones del factor. Podría ser necesario seguir recibiendo profilaxis hasta que aumenten las concentraciones del factor. Según que tanto suba la concentración de factor de la persona, es posible que todavía sea necesaria administrar infusiones del factor para las hemorragias causadas por traumatismos, pero podría dejar de usarse la profilaxis.

Algunos pacientes presentan una reacción al vector que se detecta por los cambios en los niveles de proteínas (enzimas) hepáticas. Esto puede tratarse o prevenirse con un tratamiento breve con corticoesteroides orales. En algunos pacientes, se podría perder la eficacia del tratamiento luego de varios

meses o años.

Es importante que nuestras familias entiendan que la mejoría en las concentraciones del factor 8 o 9 SOLO afecta al paciente. El gen nuevo no ingresa en los espermatozoides (las células “reproductoras”), por lo que las hijas de un hombre hemofílico todavía serán portadoras obligatorias.

Existen nuevas técnicas en el desarrollo de la genoterapia

que se encuentran en investigación. Cómo prolongar el efecto, cómo disminuir al mínimo la reacción del hígado, aprender acerca de la dosis necesaria del vector para obtener una respuesta ininterrumpida y entender cómo potencialmente “volver a administrar” el mismo vector a un paciente son solo algunas de las preguntas por resolver. También se está investigando la modificación del genoma: concretamente extraer el gen mutado antes de insertar el

gen sano.

La genoterapia ha sido “curativa” en algunos pacientes, y los ha convertido en hemofílicos leves o moderados, o en personas normales desde el punto de vista hemostático.

Cada paciente es diferente, en todas las maneras. Ya es tiempo de averiguar sobre esta opción de tratamiento, porque mientras más usted sepa, mejores decisiones y elecciones hará.

### What We Do & Why We Do It: HTC in the 340B Program

By: Dr. Joanna A. Davis

Adapted From Original Article by Derek Robertson, The Hemophilia Alliance, Inc.

Everyone has heard of the “doctor-patient relationship”, right? You/your child keeps an appointment, is seen by the health care provider, gets a prescription for whatever medication may be necessary (for our families, that means/includes factor, amicar, stimate...), and

discusses issues/challenges/problems. Hopefully a feeling of trust and openness develops between patient and healthcare provider. The HTC offers, in my opinion, one of the best examples of the “doctor-patient relationship”—but, to be accurate, the term should be changed to the “team-

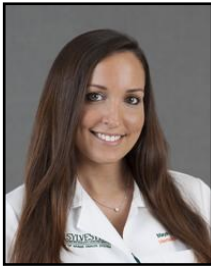
patient relationship”. There are families in our HTC who primarily interact with one of the MDs and one of the APRNs. These families may not be fully aware of “the team players”. Who are WE? Who can we be to YOU? Allow us to reintroduce ourselves...



#### Pediatric and Adult Hematologists

- Provides direct patient care.
- Provides education regarding living with a bleeding disorder, and up-to-date treatments (including prophylaxis, EHL factors, Hemlibra, gene therapy) to patient and health care provider groups.
- Works with community physicians such as surgeons, dentists and OBGYN providers—to coordinate safe and effective care.
- Participates in national and international studies, including gene therapy and ultrasound trials, offering these opportunities to the HTC patients.





**Pediatric and Adult Nurse Practitioners**

- Involved in direct patient care, performing assessments and ordering necessary diagnostic tests and treatments.
- Communicates with insurance companies to ensure all necessary treatments and tests are authorized and help to resolve insurance and other coverage issues.
- Provides infusion workshops and patient education on disease process and management.
- In-servicing to school personnel regarding bleeding disorders.
- Completion of necessary (medical) school and camp forms.



**Clinical Social Worker**

- Provides Individual and Family Counseling.
- Psychoeducation sessions provided for recently diagnosed patients and their families.
- Patient Advocate and Family liaison—provides in-services at patient's school, daycare centers and guides the family through their child's transition into adulthood (i.e.: college and/or employment).
- Connects patients to community resources i.e.: financial assistance, factor assistance programs, scholarships, etc.
- Manages and provides the following programs to patients: HTC Medic Alert initiative, HTC Back to School Assistance Program, HTC Holiday Gift Card Program, HTC Custom Orthotics Program, and HTC Pediatric and Adult Dental Programs.



**Pediatric and Adult Physical Therapist**

- Performs annual physical therapy evaluations of hemophilia treatment center patients, to keep track of musculoskeletal changes and impacts on patient quality of life and ability to participate in physical activity.
- Provides ongoing outpatient physical therapy and individualized home exercise program development, to increase participation in exercise and group sports, and to help maintain and facilitate an active and healthier lifestyle in all patients.
- Conducts research studies through physical evaluation and point of care musculoskeletal ultrasound to add to the knowledge of complications that arise from clinical and subclinical joint bleeds.
- Educates the community as well as colleagues in the medical field on the role of physical activity and therapy for patients in the bleeding disorders community.



**Clinical 340B Program Coordinator**

- Oversight and management of the HTC 340B program, including direct communication with the Hemophilia of Georgia pharmacy, patients and third-party payers.
- Supervises at least one full time employee for secretarial support functions to ten HTC staff members.
- Supervises maintenance and the update of patient databases.
- Processes consents from patients following HIPPA guidelines and trains medical staff on access to systems.
- Monitors patient information, search/review in systems.

What We Do & Why We Do It: HTC's in the 340B Program (continued...)



Outreach Coordinator

- Develops and implements varied education and outreach programs for pediatric and adult bleeding disorder patients.
- Develops and maintains HTC mailing lists.
- Coordinates content and distribution of HTC bilingual newsletter.
- Develops and sends email notifications to HTC families.
- Works directly with the HFGF and FHA with patient programming.
- Submits and follows funding requests relating to patient outreach activities.
- Responsible for the distribution of educational literature pertaining to the HTC and specified HTC programs.
- Organizes and coordinates specific medical symposia at UM, targeting Latin American physicians.



Secretary

- The point person for initial contact between patient or referring physician and the HTC team.
- Assists in ordering factor replacement medication for patients enrolled in the 340B federal grant program.
- Contacts patients and their families to follow up on ongoing and acute issues regarding medications, activities and insurance.
- Provides ancillary support to Physicians and other staff members of the HTC.
- Ensures that patient demographics are up to date within HTC databases.



Pretty awesome!

Practical question: how much do all of these “extra” services cost your insurance company?

Practical answer: NOTHING

How is that possible???????

Have you ever heard about 340B programs?

HTCs receive their core federal funding from the Health Resources Services Administration’s Maternal and Child Health Bureau (MCHB) and from the Centers for Disease Control and Prevention (CDC). Over the past ten years, this funding has been cut back

to almost nothing while the patient population at HTCs has more than doubled. Universities (like UM) do not financially support all the HTC personnel.

HTCs with 340B Programs have been able to stretch their federal resources and enhance the services they provide to all their patients, not just those who purchase factor through their program. HTCs have been able to hire nurses, social workers, physical therapists and genetic counselors. HTCs with 340B Programs have supported summer camps, peer support programs, dental clinics and improved the environment

where patients are treated. HTCs exist to serve their patients.

Importantly, not only do HTCs recognize that funds should go back to the HTC, but the federal government requires that any funds HTCs generate from the sale of factor must be used to support the HTC.

HTCs with 340B Programs, while enhancing services to their patients, also pass along the 340B discount to patients whose insurance allows the use of our 340B pharmacy (Hemophilia of Georgia), in addition to a CVS or Accredo.

If you are interested in exploring a 340B option for your factor prescriptions, let us know. Your plan may actually allow this—if the contract reads “specialty

pharmacy PREFERRED” and not “specialty pharmacy EXCLUSIVE”.

You may be able to help the HTC maintain and enhance the services

provided to all the patients seen at clinic. Call us at 305-243-0834 with more specific questions that you may have.

*Todos hemos escuchado sobre la “relación médico-paciente”, ¿verdad? Usted o su hijo acuden a una cita, un profesional de atención médica los atiende, les dan una receta para cualquier medicamento que pudieran necesitar (para nuestras familias, esto incluye el factor, Amicar, Stimate...), y tratan ciertos asuntos, dificultades o problemas. Y es de esperar que se desarrolle un sentimiento de confianza y transparencia entre el paciente y el profesional de atención médica.*

*El HTC ofrece, en mi opinión, uno de los mejores ejemplos de la “relación médico-paciente”; pero, para ser precisos, el término debería cambiarse a la “relación equipo-paciente”.*

*Hay familias en nuestro HTC que interactúan principalmente con uno de los médicos y una de las enfermeras especialistas. Es posible que esas familias no tengan pleno conocimiento de “los jugadores del equipo”.*

*¿Quiénes somos? ¿Qué podemos representar para USTED?*

*Permítanos reintroducirnos...*

*¡Bastante impresionante!*

*Pregunta práctica: ¿cuánto le cuestan a su compañía de seguro todos estos servicios “extra”?*

*Respuesta práctica: NADA*

*¿Cómo es eso posible?*

*¿Alguna vez ha escuchado acerca*

*de los programas 340B?*

*Los HTC reciben la mayor parte de sus fondos federales de parte del Health Resources Services Administration’s Maternal and Child Health Bureau (MCHB) y de los Centros para el Control y la Prevención de Enfermedades (CDC). Durante los últimos diez años, este financiamiento ha sido reducido a casi nada, al mismo tiempo que la población de pacientes en los HTC se ha más que duplicado. Las universidades (como la Universidad de Miami) no subvencionan económicamente a todo el personal de los HTC.*

*Los HTC que tienen programas 340B han podido estirar sus recursos federales y mejorar los servicios que proporcionan a todos sus pacientes, no solo a los que compran el factor a través de su programa. Los HTC han podido contratar enfermeras, trabajadores sociales, fisioterapeutas y asesores genéticos. Los HTC con programas 340B han subvencionado campamentos de verano, programas de ayuda mutua, y clínicas dentales, y han mejorado el entorno en que se trata a los pacientes. Los HTC existen para servir a sus pacientes.*

*Importante también saber que, no solo los HTC reconocen que los*

*fondos deben regresar al HTC, sino que el gobierno federal exige que todos los fondos que los HTC generen por la venta del factor deben utilizarse para subvencionar el HTC.*

*Los HTC que tienen programas 340B, a la vez que mejoran los servicios que ofrecen a sus pacientes, también le transfieren el descuento del programa 340B a los pacientes cuyo seguro les permite usar nuestra farmacia 340B (Hemophilia of Georgia), además de CVS o Accredo.*

*Déjenos saber si le interesa explorar una opción del programa 340B para sus recetas del factor.*

*De hecho, es posible que su plan permita esto: si en el contrato dice “specialty pharmacy PREFERRED” (se prefiere una farmacia especializada) y no “specialty pharmacy EXCLUSIVE” (exclusivamente farmacias especializadas).*

*Usted podría ayudar al HTC a mantener y mejorar los servicios que proporciona a todos los pacientes que se atienden en la clínica.*

*Llámenos al 305-243-0834 con otras preguntas más específicas que pudiera tener.*

“Fighting Bleeding Disorders with Hurricane Force!”

BC003192

PO BOX 016960 (D-820) Miami FL 33101

UNIVERSITY OF MIAMI  
MILLER SCHOOL  
OF MEDICINE



## October—December Clinic Schedule

### Comprehensive Pediatric/Adult Clinic Dates

#### Comprehensive Pediatric Clinic

**Sylvester Comprehensive Cancer Center (SCCC — alex’s Place, C130)**

Wednesday, October 16—Wednesday, November 20— No Comp Clinic in December

#### Plantation Pediatric Clinic

**(UHealth @ Plantation — Crossroads Business Park)**

Tuesday, October 8 —Tuesday, November 5 —Tuesday, December 3

#### Comprehensive Adult Clinic

**Jackson Memorial Hospital (AAC West—3C)**

Monday, October 21 —Monday, November 18 —Monday, December 16

#### Adult Clinic

**Sylvester Comprehensive Cancer Center (SCCC — 2nd Floor)**

Thursday, October 3, 10, 17, 24 & 31 —Thursday, November 7, 14, 21 & 28 —

No Thursday Clinics in December