



RTG

REGISTRO DE TERAPIA
GÉNICA DE LA FMH

Registro de Terapia Génica de la FMH

**MEJORAR NUESTROS CONOCIMIENTOS
SOBRE LA TERAPIA GÉNICA Y PRESERVAR
LA SEGURIDAD DE LOS PACIENTES**

El Registro de Terapia Génica (RTG) de la Federación Mundial de Hemofilia (FMH) es una iniciativa mundial cuyo objetivo es recolectar datos a largo plazo sobre personas con hemofilia que reciben terapia génica. Estos datos mejorarán nuestra comprensión de la terapia génica y garantizarán que la comunidad de hemofilia tenga acceso oportuno a pruebas científicas sobre la seguridad y eficacia a largo plazo de la terapia génica.



FMH

FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA



La necesidad de garantizar la seguridad de la comunidad

A medida que se aprueban los productos de terapia génica para la hemofilia, resulta imperativo considerar su impacto a largo plazo en los pacientes. El número de personas con hemofilia que recibirá terapia génica podría ser limitado al principio –y disperso en muchos países– dificultando la identificación de patrones de resultados y la comparación de resultados de pacientes individuales de manera significativa. Al conjuntar datos de todos los países, el RTG de la FMH facilitará la evaluación sólida de eventos de seguridad y establecerá la durabilidad de la terapia génica. De este modo, el registro constituye la mejor manera de garantizar la detección de eventos adversos poco comunes, incluso en poblaciones pequeñas y dispersas geográficamente.

¡PARTICIPE!

La seguridad de los pacientes con hemofilia es una responsabilidad compartida. Todas las personas con hemofilia que han recibido o que recibirán terapia génica en el futuro pueden participar en el RTG de la FMH, independientemente de la fase del proceso de tratamiento en la que se encuentren. La FMH exhorta a todos los CTH y registros nacionales de hemofilia a unirse a esta iniciativa mundial.

Cómo funciona el RTG

El RTG de la FMH es un sistema en línea que recopila datos uniformes y estandarizados sobre todas las personas con hemofilia que reciben terapia génica, ya sea a través de un ensayo clínico o mediante un producto de terapia génica una vez que haya sido aprobado. El conjunto de datos básicos del RTG fue creado por un comité directivo conformado por múltiples partes interesadas y está disponible en línea. Los centros de tratamiento de hemofilia (CTH) participantes en el RTG ingresarán directamente los datos de los pacientes, los cuales también se agregarán indirectamente a través de nuestro Programa de integración de datos sobre terapia génica, el cual permite a registros nacionales existentes enlazarse directamente con el RTG de la FMH, eliminando así la duplicación en el ingreso de datos.

Contacto

Para obtener más información sobre el RTG de la FMH visite wfh.org/es/recoleccion-de-datos. Si usted es un paciente que desea participar en el RTG de la FMH comuníquese con su CTH local. Si forma parte de un CTH o de un registro nacional y deseara participar comuníquese con la FMH a gtr@wfh.org.

Nuestros aliados

El RTG de la FMH fue creado en colaboración con la Red Estadounidense de Trombosis y Hemostasia (ATHN, por su sigla en inglés), la Asociación Europea para la Hemofilia y Trastornos Afines (EAHAD, por su sigla en inglés), el Consorcio Europeo de Hemofilia (EHC, por su sigla en inglés), la Sociedad Internacional sobre Trombosis y Hemostasia (ISTH, por su sigla en inglés), la Fundación Nacional de Hemofilia (NHF, por su sigla en inglés), aliados colaboradores de la industria de terapia génica, e intermediarios reguladores.

El RTG de la FMH recibe apoyo financiero de los siguientes generosos aliados.

Aliados visionarios fundadores

BIOMARIN

CSL Behring
Biotherapies for Life™

Pfizer

Spark
THERAPEUTICS

Aliado colaborador

Takeda