



Administración de Recursos y Servicios de Salud



# Looking Forward HRSA's Vision for CYSHCN and Newborn Screening NYMAC 2024 Annual Conference

**Jeffrey P. Brosco**  
Director, Division of Services for Children with Special Health Needs (DSCSHN)  
Maternal and Child Health Bureau (MCHB)

## Perspectivas La visión de la HRSA para CYSHCN y las pruebas de detección de recién nacidos Conferencia Anual de NYMAC de 2024

Jeffrey P. Brosco  
Director de la División de Servicios para Niños con Necesidades Concretas de Salud (DSCSHN) Oficina de Salud Materno-Infantil (MCHB)

Vision: Healthy Communities, Healthy People



Visión: Comunidades Saludables, Personas Saludables  
Plan para el cambio



Financial Disclosure

*Divulgacione financieras*

## Jeffrey P. Brosco

Has No Relevant Financial Disclosures.

No tiene divulgaciones financieras relevantes

Learn more at <https://mchb.hrsa.gov>

Obtén más información en <https://mchb.hrsa.gov>



# What is HRSA?

# ¿Qué es HRSA?

**Department of Health and Human Services (DHHS)**  
**Departamento de Salud y Servicios Humanos**

**Administration for Children and Families (ACF)**  
Administración para Niños y Familias

**Food and Drug Administration (FDA)**  
Administración de Alimentos y Medicamentos

**Administration for Community Living (ACL)**  
Administración para la Vida Comunitaria

**Health Resources and Services Administration (HRSA)**  
Administración de Recursos y Servicios de Salud

**Agency for Healthcare Research and Quality (AHRQ)**  
Agencia para la Investigación y la Calidad de la Atención Médica

**Indian Health Service (IHS)**  
Servicio de Salud para Personas Indígenas

**Agency for Toxic Substances and Disease Registry (ASTDR)**  
Agencia para Sustancias Tóxicas y el Registro de Enfermedades

**National Institutes of Health (NIH)**  
Institutos Nacionales de Salud

**Centers for Disease Control and Prevention (CDC)**  
Centros para el Control y la Prevención de Enfermedades

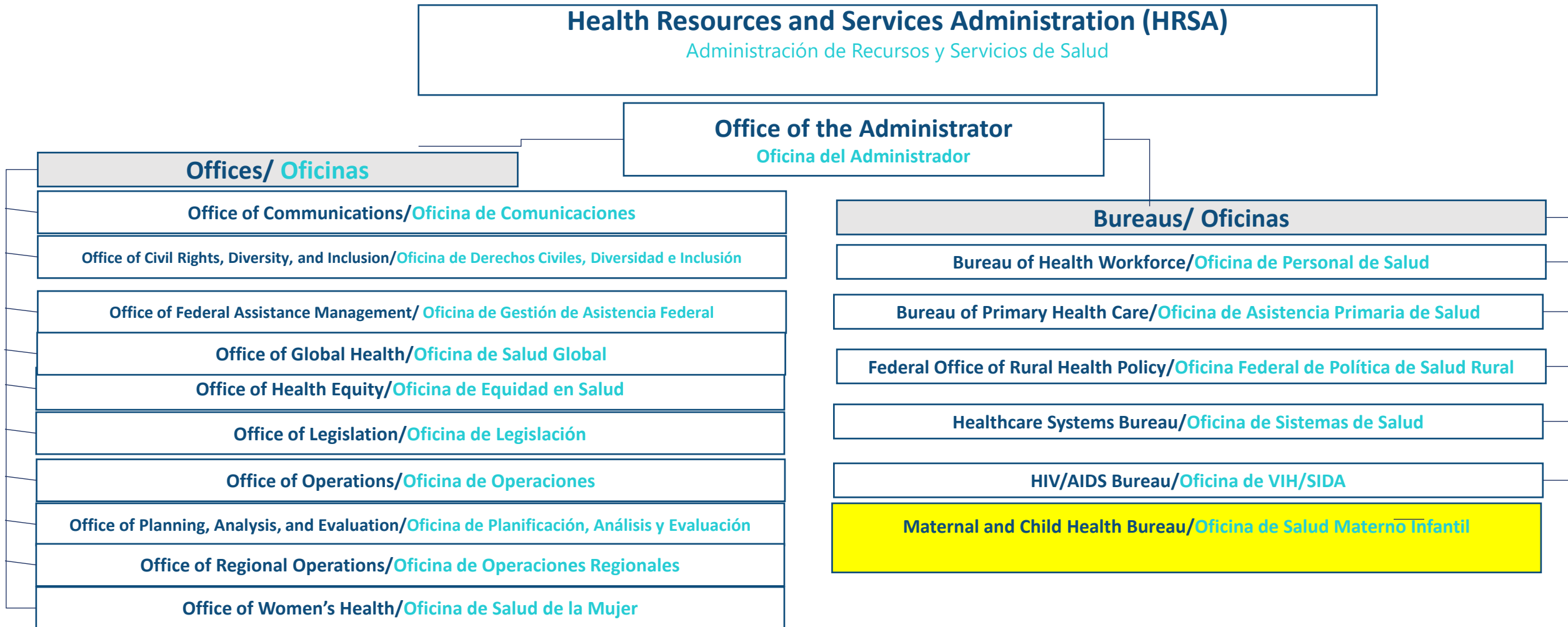
**Substance Abuse and Mental Health Services Administration (SAMHSA)**  
Administración de Servicios de Salud Mental y Abuso de Sustancias

**Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS)**  
Centros de Servicios de Medicare y Medicaid



# What is MCHB?

# ¿Qué es MCHB?



Learn more at <https://mchb.hrsa.gov>

Obtén más información en <https://mchb.hrsa.gov>



# MCHB Strategic Plan

## Misión

Mejorar la salud y el bienestar de las madres, los niños y las familias de Estados Unidos.

## Mission

To improve the health and well-being of America's mothers, children, and families.

## Visión

Nuestra visión es que todas las madres, niños y familias estadounidenses prosperen y alcancen su máximo potencial.

## Vision

Our vision is an America where all mothers, children, and families thrive and reach their full potential.

### MCHB Goals / Metas de MCHB

#### ACCESS

Assure access to high-quality and equitable health services to optimize health and well-being for all MCH populations.

#### EQUITY

Achieve health equity for MCH populations.

#### CAPACITY

Strengthen public health capacity and workforce for MCH.

#### IMPACT

Maximize impact through leadership, partnership, and stewardship.

#### ACCESO

Garantizar el acceso a servicios de salud equitativos y de alta calidad para optimizar la salud y el bienestar de todas las poblaciones de salud maternoinfantil.

#### EQUIDAD

Alcanzar la equidad en salud para las poblaciones de salud maternoinfantil.

#### CAPACIDAD

Fortalecer la capacidad de salud pública y la fuerza laboral para salud maternoinfantil.

#### IMPACTO

Maximizar el efecto a través del liderazgo, la asociación y la administración.



Learn more at <https://mchb.hrsa.gov>

Obtén más información en <https://mchb.hrsa.gov>



## You've Interacted with MCHB, if You've . . .

- Received a **newborn screening result**
- Participated in a **well-child exam**
- Identified maternal health concerns
- Been involved with community efforts to address **infant mortality**
- Referred a family for **home visiting services**
- Explored **data** related to children's health issues
- Participated in **applied research**
- Called (or referred someone to) **Poison Control**
- Transported a patient by **Emergency Medical Services**
- Cared for **children and youth with special health needs (CYSHCN)**



## Has interactado con MCHB, si . . .

- Recibió el resultado de una prueba de detección para recién nacidos
- Participó en un examen de niño sano
- Identificó problemas de salud materna
- Participó en los esfuerzos de la comunidad para combatir la mortalidad infantil
- Derivó a una familia a servicios de visitas domiciliarias
- Exploró datos relacionados con los problemas de salud de los niños
- Participó en investigación
- Llamó (o derivó a alguien) a Control de Envenenamiento
- Transportó a un paciente por los Servicios Médicos de Emergencia
- Asistió a niños y jóvenes con necesidades concretas de salud (CYSHCN)
- .....

# Child Health Today

What are the 3 most significant issues for the health of (all) children in the US today?

# La salud infantil en la actualidad

¿Cuáles son los tres problemas más importantes para la salud de (todos) los niños en Estados Unidos hoy en día?



# Child Health Today

# La salud infantil en la actualidad

- Poverty
- Access to health care
- Homelessness
- Hunger
- Substandard schools
- Child abuse
- AIDS/ZIKA/COVID-19
- Car crashes/trauma

- Obesity
- Maternal depression
- Substance abuse
- Violence
- Mental health/suicide
- Early childhood
- Low on political agenda
- Language/Culture

- Pobreza
- Acceso a la atención médica
- Falta de vivienda
- Hambre
- Escuelas deficientes
- Maltrato infantil
- SIDA/ZIKA/COVID-19
- Accidentes automovilísticos/traumatismos

- Obesidad
- Depresión materna
- Uso de sustancias
- Violencia
- Salud mental/suicidio
- Primera infancia
- Poca importancia en la agenda política
- Idioma/Cultura

Every child needs at least one loving, consistent caregiver

Todo niño necesita al menos un cuidador amoroso y estable





# Child Health Today

- Which of these issues will be solved in a pharmaceutical or genomics laboratory?
- Which will be affected by a child's admission to a tertiary care hospital?
- Which will be substantially impacted by 15 minute office visit with a health care professional?

# La salud infantil en la actualidad

- ¿Cuáles de estos problemas se resolverán en un laboratorio farmacéutico o genómico?
- ¿Qué se verá afectado por el ingreso de un niño en un hospital de alta complejidad?
- ¿Qué se verá muy afectado por una visita de 15 minutos al consultorio con un profesional de la salud?



# Meet Carolina

## 7-year-old girl with a rash

### Conoce a Carolina

### Niña de 7 años con sarpullido

- Septo-optic dysplasia
  - Optic nerve atrophy
  - Central hypothyroidism
  - Intellectual disability (moderate)
  - Seizure disorder
  - Hypertrophy of tonsil with adenoids
  - Sleep disturbance, unspecified
  - Gastroesophageal reflux disease without esophagitis
  - Chronic idiopathic constipation
  - Leakage of gastrostomy site
- Displasia septoóptica
  - Atrofia del nervio óptico
  - Hipotiroidismo central
  - Discapacidad intelectual (moderada)
  - Trastorno convulsivo
  - Hipertrofia de amígdalas y adenoides
  - Trastornos del sueño no especificados
  - Enfermedad por reflujo gastroesofágico sin esofagitis
  - Estreñimiento idiopático crónico
  - Fuga en sitio del estoma de gastrostomía



# Will Any of These Help Carolina?

## ¿Algo de lo que se enumera a continuación ayudará a Carolina?

- Pharmaceutical or genomics laboratory?
  - ✓ Yes  
(e.g. nusinersen for spinal muscular atrophy, or SMA)
- Admission to a tertiary care hospital?
  - ✓ Yes
- 15 minute office visit with a clinician?
  - ✓ Yes  
but it needs to be a “complex care health home”

- ¿Laboratorio farmacéutico o genómico?
- Sí (por ejemplo, Nusinersen para la atrofia muscular espinal)
- ¿Ingreso en un hospital de alta complejidad?
- Sí
- ¿Visita de 15 minutos al consultorio con un médico?
- Sí  
Pero tiene que ser un "hogar de salud de alta complejidad"



# Carolina and Friends

## 1. Greater dependence on health care system

- Breakthroughs in a laboratory, tertiary care hospitals, visits to doctors and other clinicians

## 2. Triply vulnerable to social determinants of health

- e.g. child with asthma harmed by air pollution
- e.g. lack of transportation limits access to health care
- e.g. chronic medical conditions increase economic burden

# Carolina y sus amigos

## 1. Más dependencia del sistema de asistencia sanitaria

- Avances en laboratorios, hospitales de alta complejidad, visitas a médicos y otros profesionales de la salud

## 2. Triple vulnerabilidad a los determinantes sociales de la salud

- por ejemplo, un niño que tiene asma que sufre la contaminación del aire
- por ejemplo, la falta de transporte limita el acceso a la asistencia médica
- por ejemplo, los problemas médicos crónicos aumentan la carga económica

# Chronic Conditions in the US (per 100)

## Enfermedades crónicas en Estados Unidos (cada 100)

Learning disability	8.2
ADHD	7.5
Depression	3.3
Intellectual disability	1.5
Autism	1.8
Hearing loss	0.4
Visual loss	0.4
Cerebral Palsy	0.3
Down Syndrome	0.15
Allergies	9
Asthma	8
Diabetes	0.1
Sickle cell	0.1
Child cancers	0.02
Liver transplant	0.0004

Problemas de aprendizaje	8.2
TDAH	7.5
Depresión	3.3
Discapacidad intelectual	1.5
Autismo	1.8
Pérdida de audición	0,4
Pérdida visual	0.4
Parálisis Cerebral	0.3
Síndrome de Down	0.15
Alergias	9
Asma	8
Diabetes	0.1
Anemia falciforme	0.1
Cánceres infantiles	0.02
Trasplante hepático	0,0004

**13,000 more  
(rare) conditions**

**13.000 condiciones  
más (raras)**



# DIVISION OF SERVICES FOR CYSHCN

# DIVISIÓN DE SERVICIOS PARA CYSHCN

## WHO ARE CYSHCN?

Children or youth *who have or are at increased risk for* chronic physical, developmental, behavioral, or emotional conditions and who also require health and related services of a type or amount beyond that required for children generally.

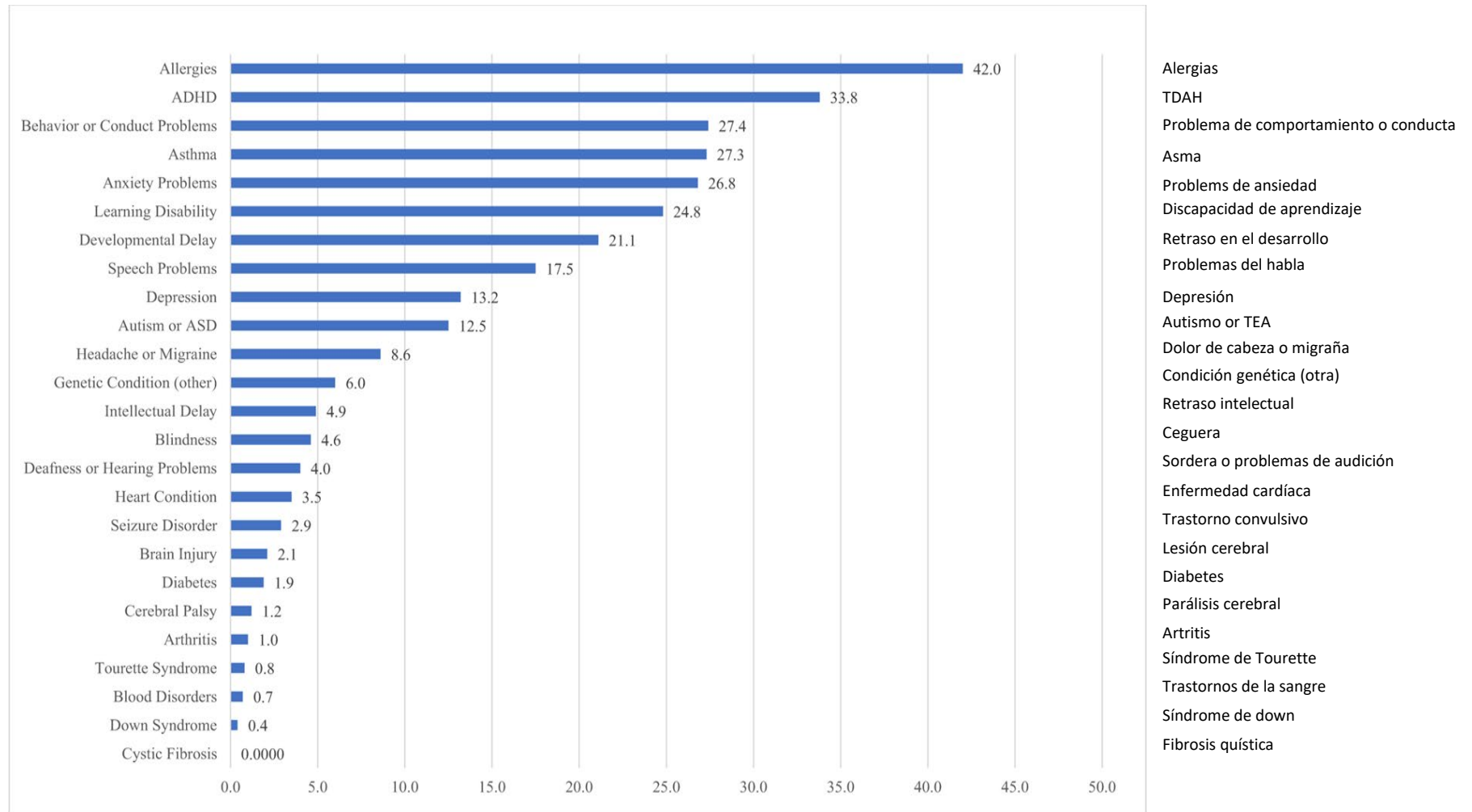
## ¿QUIÉNES SON LOS CYSHCN?

Son niños o jóvenes que tienen más riesgo de padecer afecciones crónicas físicas, del desarrollo, conductuales o emocionales y que también requieren servicios de salud y servicios afines de un tipo o cantidad superior a la requerida por los niños en general.



# Prevalence of Selected Conditions among CYSHCN

## Prevalencia de determinadas afecciones en la CYSHCN



National Survey of Children's Health, 2016-19. Pediatrics. 2022;149(Supplement 7). doi:10.1542/peds.2021-056150D



# Children with Medical Complexity

## Niños con complejidad médica

- Serious and chronic medical conditions
- Multiple specialists/medical technology/home health
- Require tertiary/quaternary medical care
- **2% of children, but 1/3 of spending and 40% of deaths**
  - Prevalence ranges from 1% (SSI) to 5% (NSCH)
- Presentan enfermedades médicas graves y crónicas
- Visitan múltiples especialistas/tecnología médica/salud en el hogar
- Requieren asistencia médica terciaria/cuaternaria
- Representan el 2% de los niños, pero un tercio del gasto y el 40% de las muertes
- La prevalencia oscila entre el 1% (ISQ) y el 5% (NSCH)

Cohen E et al Pediatría 2017; Estado Complexicus

<https://www.medicaid.gov/federal-policy-guidance/downloads/smd22004.pdf>

Cohen E et al Pediatrics 2017; Status Complexicus

<https://www.medicaid.gov/federal-policy-guidance/downloads/smd22004.pdf>

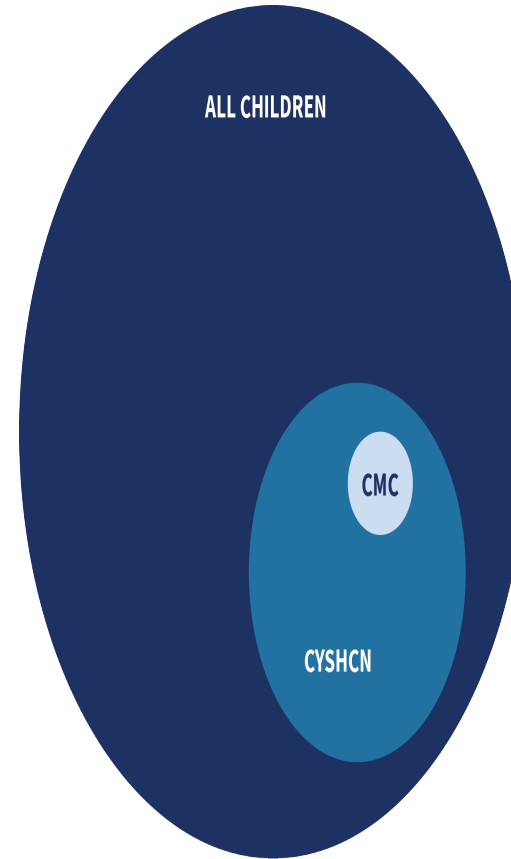




# CHILDREN IN THE US

# NIÑOS EN ESTADOS UNIDOS

- **CYSHCN** = children and youth with special health care needs (20%)
  - Asthma, allergies, ADHD, anxiety, depression, autism
  - 13,000 different conditions
- **CMC** = children with medical complexity (< 5%)
  - Subset of the CYSHCN population
  - Common concerns, needs, challenges



**CYSHCN** = niños y jóvenes con necesidades concretas de salud (20%)

Asma, alergias, TDAH, ansiedad, depresión, autismo

13.000 problemas de salud diferentes

**CMC** = niños con complejidad médica (< 5%)

Subconjunto de la población de CYSHCN

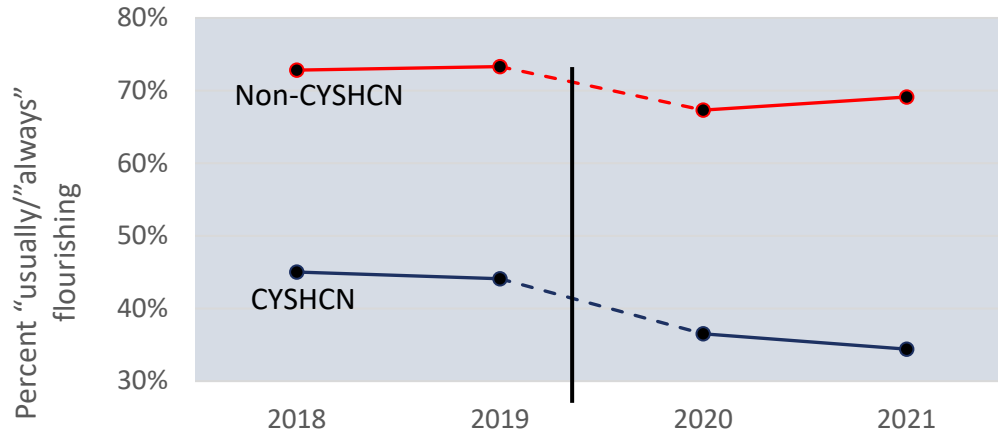
Inquietudes, necesidades y desafíos comunes



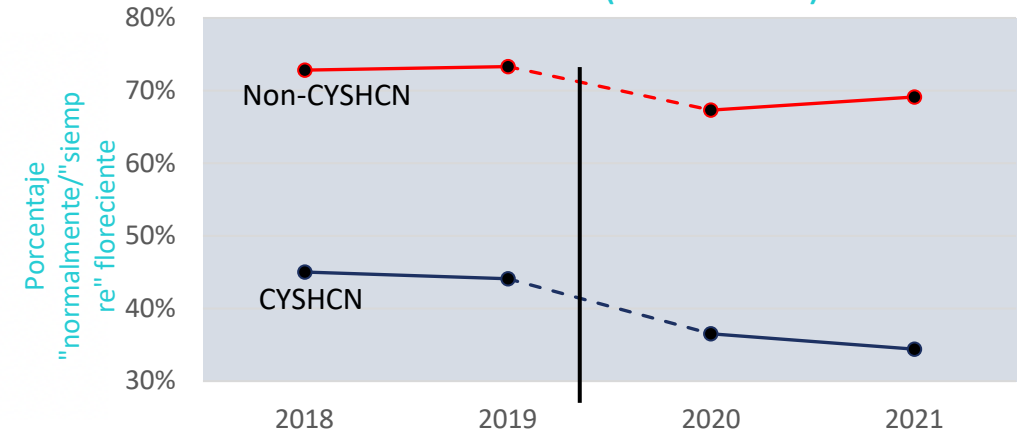
# CYSHCN & Family Quality of Life & Well-Being (MCHB data)

# CYSHCN y calidad de vida y bienestar familiar (datos MCHB)

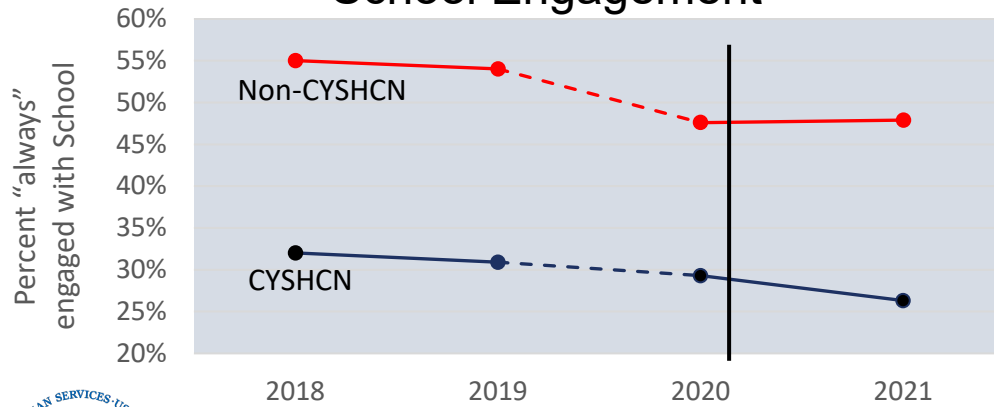
### Flourishing (6-17 years old)



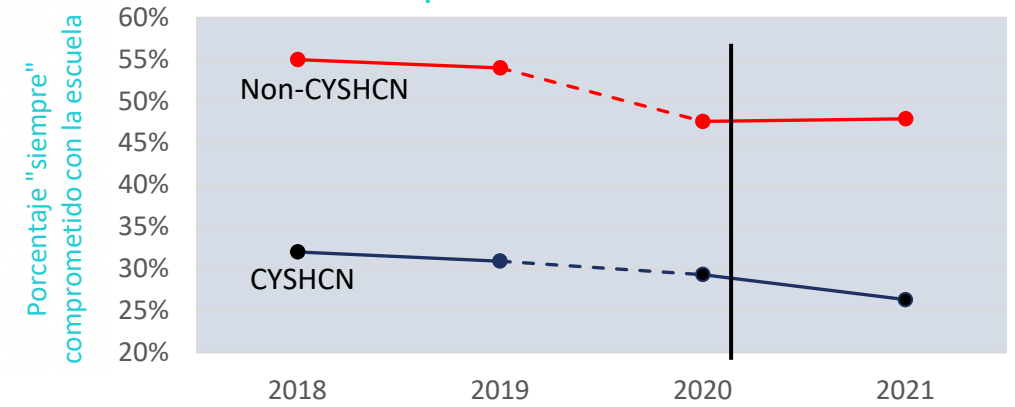
### Florecente (6-17 años)



### School Engagement



### Compromiso escolar



Learn more at <https://mchb.hrsa.gov>

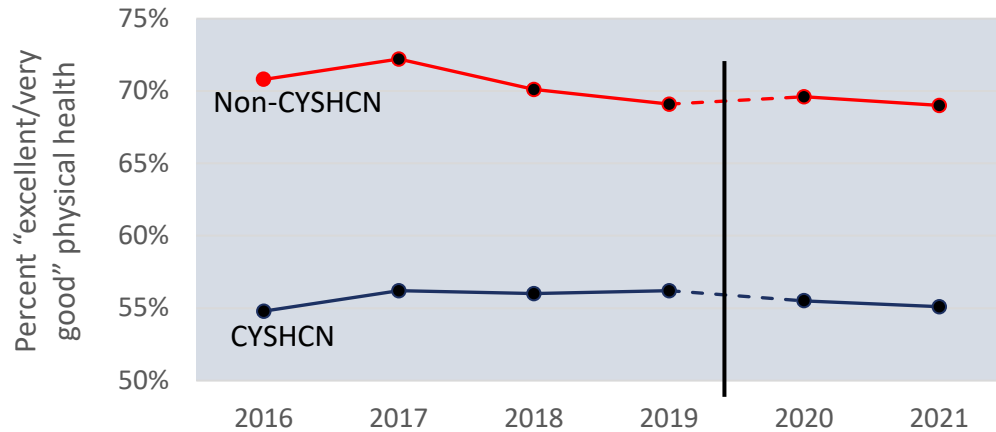
Obtén más información en <https://mchb.hrsa.gov> 18



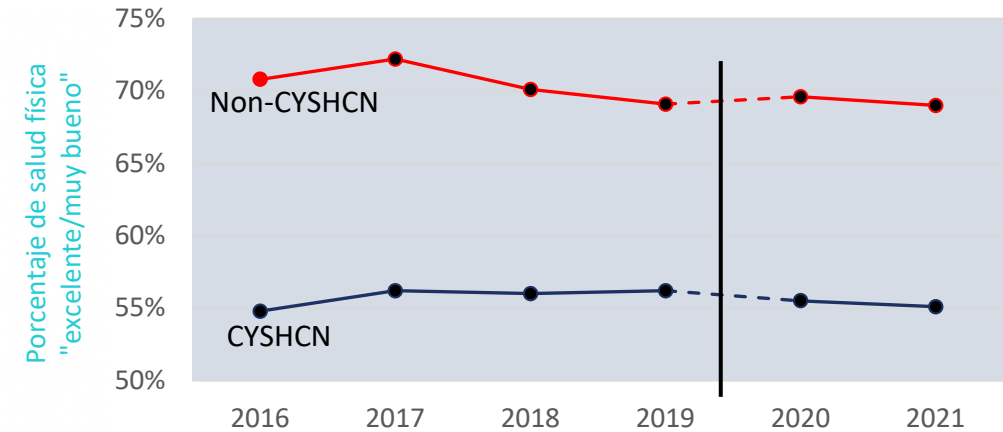
# CYSHCN & Family Quality of Life & Well-Being (MCHB data)

# CYSHCN y calidad de vida y bienestar familiar (datos MCHB)

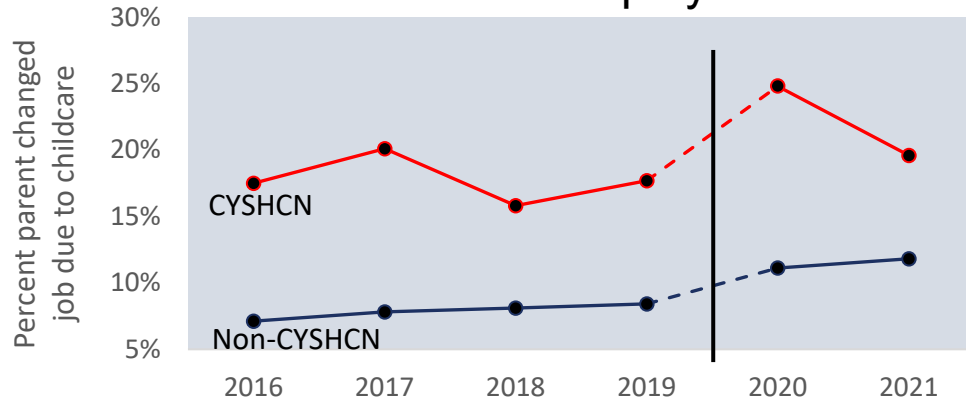
## Parent Physical Health



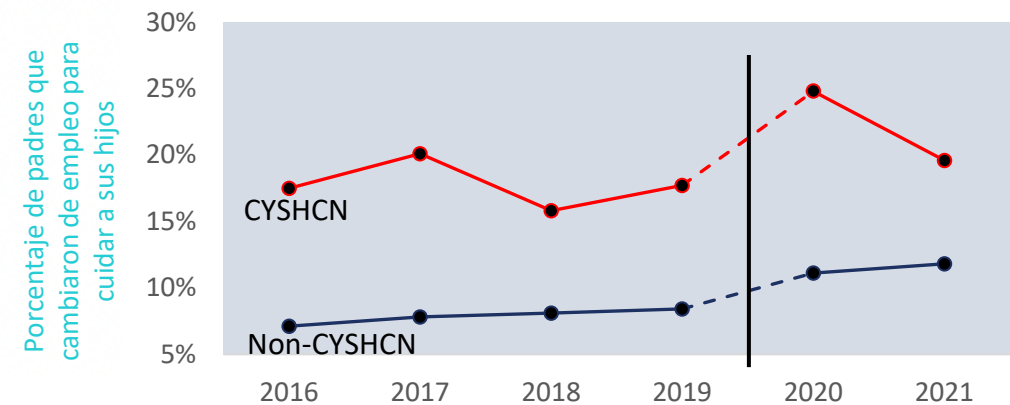
## Salud física de los padres



## Parent Employment



## Empleo de los padres



# DEVELOPMENT OF THE BLUEPRINT

# DESARROLLO DEL PROYECTO



## ARTICLES

**Introducing the Blueprint for Change: A National Framework for a System of Services for Children and Youth With Special Health Care Needs**

Treeby W. Brown et al

**A Blueprint for Change: Guiding Principles for a System of Services for Children and Youth With Special Health Care Needs and Their Families**

Sarah E. McLellan et al

**Children and Youth With Special Health Care Needs: A Profile**

Reem M. Ghandour et al

**Progress, Persistence, and Hope: Building a System of Services for CYSHCN and Their Families**

Michael D. Warren et al

**Health Equity for Children and Youth With Special Health Care Needs: A Vision for the Future**

Amy Houtrow et al

**Quality of Life and Well-Being for Children and Youth With Special Health Care Needs and their Families: A Vision for the Future**

Cara L. Coleman et al

**Access to Services for Children and Youth With Special Health Care Needs and Their Families: Concepts and Considerations for an Integrated Systems Redesign**

Dennis Z. Kuo et al

**Financing Care for CYSHCN in the Next Decade: Reducing Burden, Advancing Equity, and Transforming Systems**

Jeff Schiff et al

## Artículos

**Presentación del Proyecto para el cambio: un marco nacional para un sistema de servicios para niños y jóvenes con necesidades concretas de salud**

Treeby W. Brown et al

**Proyecto para el cambio: principios rectores para un sistema de servicios para niños y jóvenes con necesidades concretas de salud y sus familias**

Sarah E. McLellan et al

**Niños y jóvenes con necesidades concretas de salud: un perfil**

Reem M. Ghandour et al

**Progreso, persistencia y esperanza: construcción de un sistema de servicios para CYSHCN y sus familias**

Michael D. Warren et al

**Equidad en salud para niños y jóvenes con necesidades concretas de salud: una visión para el futuro**

Amy Houtrow et al

**Calidad de vida y bienestar para niños y jóvenes con necesidades concretas de salud y sus familias: una visión para el futuro**

Cara L. Coleman et al

**Acceso a servicios para niños y jóvenes con necesidades concretas de salud y sus familias: conceptos y consideraciones para un rediseño integrado de sistemas**

Dennis Z. Kuo et al

**Financiamiento de la asistencia para CYSHCN en la próxima década: reducción de la carga, avance de la equidad y transformación de los sistemas**

Jeff Schiff et al

## A SUPPLEMENT TO PEDIATRICS

*Blueprint for Change: A National Framework for a System of Services for Children and Youth with Special Health Care Needs*

Treeby W. Brown, MA, Sarah E. McLellan, MPH, Marie Y. Mann, MD, MPH, FAAP, and Joan A. Scott, MS, CGC, Guest Editors

Funding for the publication of this article, including editorial support (review for formatting and consistency) for this article was funded by the US Department of Health and Human Services, Health Resources and Services Administration under contract number 75R60219D00014.

The views expressed in this publication are solely the opinions of the authors and do not necessarily reflect the official policies of the US Department of Health and Human Services or the Health Resources and Services Administration, nor does mention of the department or agency names imply endorsement by the US Government.

American Academy  
of Pediatrics  
DEDICATED TO THE HEALTH OF ALL CHILDREN®

UN SUPLEMENTO PARA PEDIATRÍA

Proyecto para el cambio: un marco nacional para un sistema de servicios para niños y jóvenes con necesidades concretas de salud

La Administración de Servicios y Recursos de Salud del Departamento de Salud y Servicios Humanos de Estado Unidos financió la publicación de este artículo, incluido el apoyo editorial (revisión de formato y coherencia) de este artículo bajo el contrato número 75860219000014.

Las opiniones expresadas en esta publicación son únicamente las opiniones de los autores y no reflejan necesariamente las políticas oficiales del Departamento de Salud y Servicios Humanos de Estados Unidos ni la Administración de Recursos y Servicios de Salud, ni la mención de los nombres de los departamentos o agencias implica el respaldo de el gobierno de Estados Unidos.

<https://publications.aap.org/pediatrics/issue/149/Supplement%207>

Learn more at <https://mchb.hrsa.gov>

Obtén más información en <https://mchb.hrsa.gov> 21

# BLUEPRINT FOR CHANGE FOR CYSHCN

## PROYECTO DE CAMBIO PARA CYSHCN

Todas las familias pueden obtener lo que su hijo necesita para que pueda jugar, ir a la escuela y convertirse en un adulto sano.

Every family is able to get what their child needs so that they can play, go to school, and become a healthy adult.



Los niños y jóvenes con necesidades concretas de salud disfrutan de una vida plena y prosperan en su comunidad desde la niñez hasta la edad adulta.

# **BLUEPRINT GOAL: PLAIN LANGUAGE VERSION**

## **OBJETIVO DEL PROYECTO: VERSIÓN EN LENGUAJE LLANO**

---

**Every child gets the services they need,  
so that they can play, go to school,  
and grow up to become a healthy adult.  
(And so grown-ups and siblings can  
thrive too.)**

Original language: “Children and youth with special health care needs enjoy full lives and thrive in their communities from childhood through adulthood.”

**Cada niño recibe los servicios que necesita.  
para que puedan jugar, ir a la escuela,  
y crecer hasta convertirse en un adulto sano.  
(Y así los adultos y los hermanos también  
pueden prosperar).**

Idioma original: “Los niños y jóvenes con necesidades concretas de salud disfrutan de una vida plena y prosperan en sus comunidades desde la niñez hasta la edad adulta”.

# WHAT DO WE DO? “MEASURE WHAT MATTERS”

## ¿QUÉ HACEMOS? “MIDE LO QUE IMPORTA”

### Quality of Life Calidad de vida

- Universal measures
  - Child thriving
  - Kindergarten readiness
  - Healthy weight
  - Successful transition to adulthood
  - Caregiver well-being

- At least one condition-specific measure

#### Medidas universales

- Niño que prospera
- Preparación para jardín de infantes
- Peso saludable
- Transición exitosa a la edad adulta
- Bienestar del cuidador

#### Al menos una medida específica del problema médico

### Population Población

- Systems-level approach
  - What % of all children, youth, caregivers are achieving the universal measures?
- Equity
  - Do the demographics of numerator match those of the denominator?
  - Disaggregate the data based on historically underserved groups

#### Enfoque sistemático

- ¿Qué porcentaje de todos los niños, jóvenes y cuidadores alcanzan las medidas universales?

#### Equidad

- ¿Los datos demográficos del numerador coinciden con los del denominador?
- Desglose los datos según grupos históricamente marginados

### Accountable Responsable

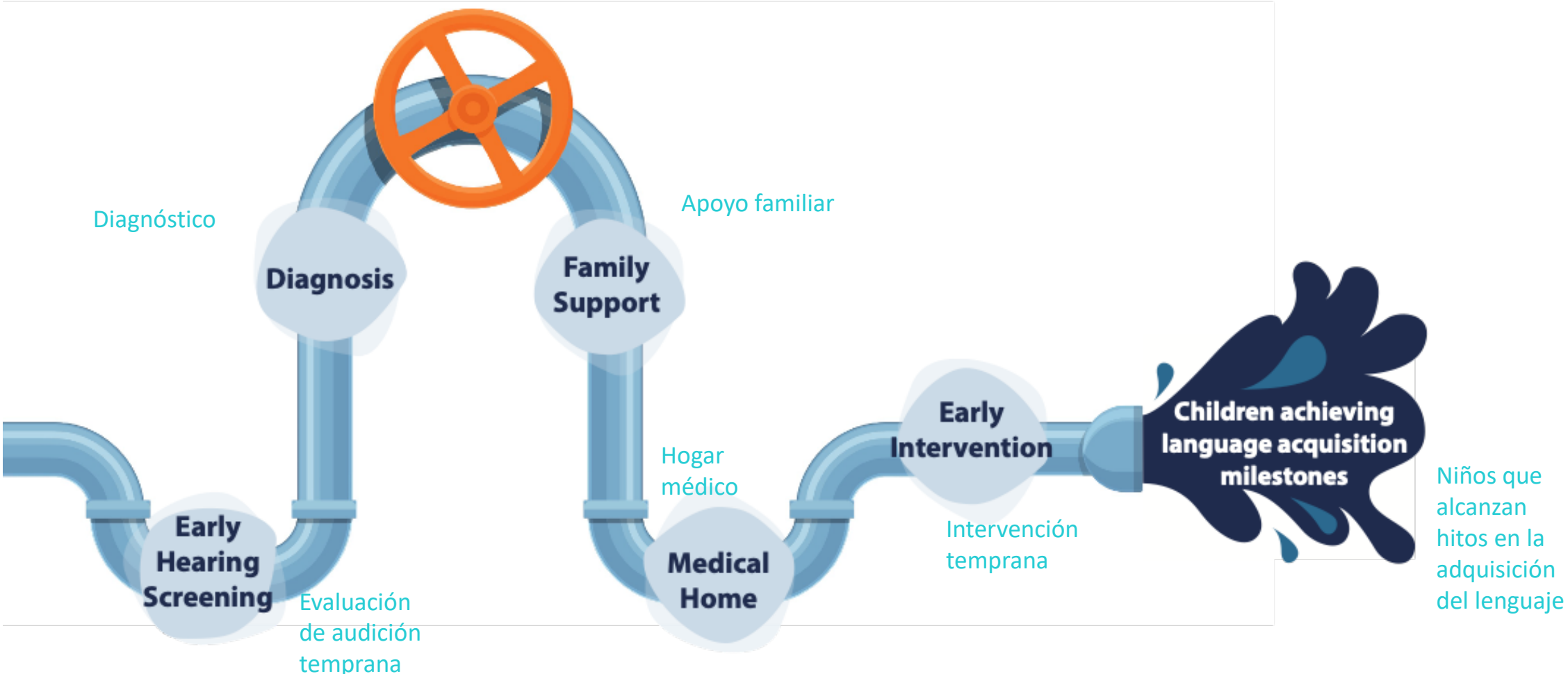
- Organizations plan, track, explain (some SDOH/HRSN not in their control)
- Some organizations (e.g., health insurers) rewarded for improvements in % of people achieving measures?

- Las organizaciones planifican, rastrean y explican (algunos SDOH/HRSN no están bajo su control)
- ¿Se recompensaron a algunas organizaciones (por ejemplo, aseguradoras de salud) por mejorar el porcentaje de personas que alcanzaron las mediciones?



# EXAMPLE: NEWBORN HEARING SCREENING

## EJEMPLO: EXAMEN AUDITIVO DEL RECIÉN NACIDO

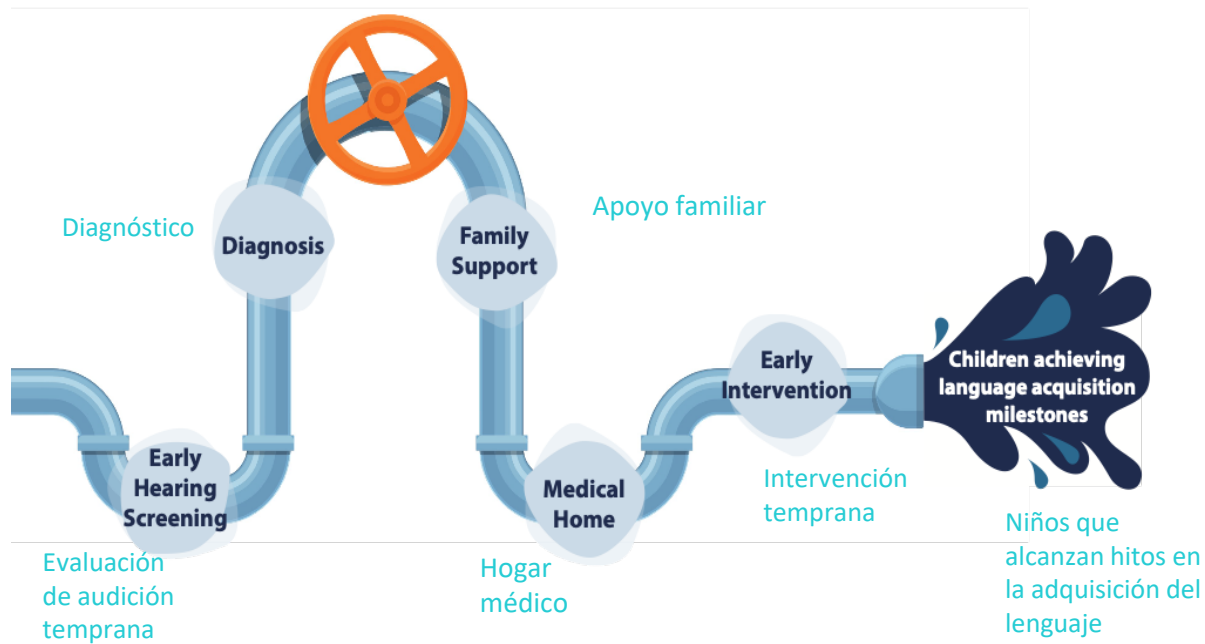


# CHALLENGES

# DESAFÍOS

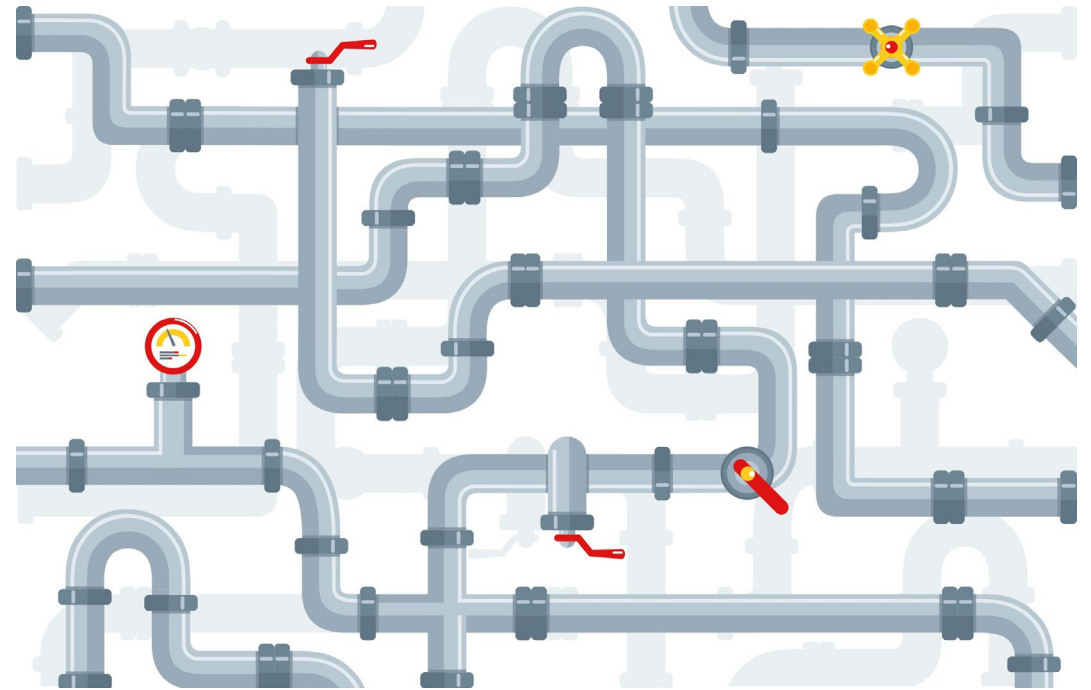
## What Pipeline Could Look Like

## Cómo podría verse el canal



## Reality

## Realidad



# FAMILY JOURNEY (not a “pipeline”)

## RECORRIDO FAMILIAR (no un “canal”)

---

### Supporting youth and families

- Help set goals
- Make path more predictable
- Clear obstacles
- Provide a map and guideposts
- Teach navigation skills
- Support them on the journey

### Apoyar a los jóvenes y las familias

- Ayudar a establecer metas
- Hacer el camino más predecible
- Eliminar obstáculos
- Proporcionar un mapa y guías
- Enseñar habilidades de navegación
- Acompañarlos en el recorrido



# MCHB: IMPROVING THE SYSTEM OF CARE

## DE QUÉ MODO MCHB MEJORA EL SISTEMA DE ASISTENCIA MÉDICA

- **Family Engagement**

- Family Engagement and Leadership in Systems of Care (FELSC)
- Family Voices
- Shared definitions/metrics for family engagement
- Diverse families in systems of care

- **Research**

- CYSHCNet - University of Colorado
- QoL measures for CYSHCN and for caregivers
- Critical elements of health homes
- Epidemiology of CYSHCN

- **System of Services**

- National Center for a System of Services for CYSHCN
- “Blueprint Center”
- American Academy of Pediatrics
- Partners include Catalyst Center, Family Voices, and Got Transition
- State Title V programs; other key partners

- **CMC System of Services**

- Enhancing Systems of Care for CMC
- Academy Health
- Address social needs of CMC
- Measuring patient/family experience
- Sustainable health homes

- **Compromiso familiar**

- Participación y liderazgo familiar en sistemas de asistencia médica (FELSC)
- Voces familiares
- Definiciones/métricas compartidas para la participación familiar
- Familias diversas en los sistemas de cuidado

- **Investigación**

- CYSHCNet - Universidad de Colorado
- Medidas de calidad de vida para CYSHCN y para cuidadores
- Elementos críticos de los hogares de salud
- Epidemiología de CYSHCN

- **Sistema de Servicios**

- Centro Nacional para un Sistema de Servicios para CYSHCN
- “Blueprint Center”
- Academia Americana de Pediatría
- Algunos socios son Catalyst Center, Family Voices y Got Transition.
- Programas estatales al Título V; otros socios clave

- **Sistema de servicios para niños con complejidad médica**

- Mejora de los sistemas de asistencia médica para niños con complejidad médica
- Salud de la Academia
- Atender las necesidades sociales de niños con complejidad médica
- Medir la experiencia del paciente/familia
- Hogares de salud sostenibles

# Celebrate the Regional Genetics Network

Because of your work over the past 4.5 years, there is...

- More diversity in genetics workforce because of Genetic Opportunities, Learning, Development, Empowerment and Networking (GOLDEN) and the Minority Genetics Professionals Network!
- Improved interpretation for genetics because of Interpreter Training!
- Better understanding of genetics by Marshallese, Plains, Native American/ American Indian, Latino, and other diverse communities
- Stronger Regional and State Teams
- Enhanced genetics infrastructure in Puerto Rico and Virgin Islands
- Improved access to genetic services through telehealth, placement of genetic counselors, and improved partnerships
- Enriched knowledge of early intervention providers and school staff through targeted training and Genetic Education Materials for School Success (GEMSS )
- Expanded genetics and genomics knowledge of providers and families through ECHOs, webinars, written resources, and videos
- More resources in languages other than English including Spanish, Korean, Ilocano, Russian, Bhutanese, French, Mandarin, Somali, and Arabic

• And so much more . . .

# Celebra la Red Regional de Genética

Gracias a tu trabajo durante los últimos 4 años y medio, hay...

- Más diversidad en el personal genético gracias a oportunidades, aprendizaje, desarrollo, empoderamiento y redes en materia genética (GOLDEN) y la Red de Profesionales de Genética de Minorías
- Interpretación mejorada de la genética gracias a la capacitación de intérpretes
- Mejor comprensión de la genética por parte de los marshallenses, los habitantes de las llanuras, los nativos americanos e indios americanos, los latinos y otras comunidades diversas
- Equipos regionales y estatales más fuertes
- Infraestructura genética mejorada en Puerto Rico e Islas Vírgenes
- Mejor acceso a servicios genéticos a través de telesalud, colocación de asesores genéticos y mejores asociaciones
- Conocimiento enriquecido de los proveedores de intervención temprana y del personal escolar a través de capacitación específica y Materiales de Educación Genética para el Éxito Escolar (GEMSS)
- Conocimiento ampliado sobre genética y genómica de los proveedores y las familias a través de ECHO, seminarios web, recursos escritos y videos
- Más recursos en otros idiomas además del inglés, incluidos español, coreano, ilocano, ruso, butanés, francés, mandarín, somalí y árabe.
- Y mucho más . . .



# MCHB (HRSA) Role in State NBS Programs

## Función de MCHB (HRSA) en los programas estatales de evaluación del recién nacido

1. MCHB/HRSA (with federal partners)
  - Advisory Committee on Heritable Disorders in Newborns and Children (ACHDNC)
  - Oversee process for Recommended Uniform Screening Panel (RUSP)
2. Support state NBS (Newborn Screening) programs
  - Implement new conditions
  - Provide short-term and long-term follow-up
3. Public health ideal – access to health care
  - **We commit to doing everything we can to ensure that every child with a condition identified by state NBS gets access to treatment**

1. MCHB/HRSA (con socios federales)
  - Comité Asesor sobre Trastornos Hereditarios e n Recién Nacidos y Niños (ACHDNC)
  - Supervisar el proceso del Panel de Evaluación Uniforme Recomendado (RUSP)
2. Respaldar los programas estatales de evaluación del recién nacido
  - Implementar nuevas condiciones
  - Hacer seguimiento a corto y largo plazo
3. Ideal de salud pública: acceso a la atención sanitaria
  - **Nos comprometemos a hacer todo lo posible para garantizar que todos los niños con una problema identificado mediante la evaluación estatal del recién nacido accedan al tratamiento.**



# 1. MCHB Supports the ACHDNC

- ACHDNC's objective is to enhance states' abilities to reduce morbidity and mortality in newborns and children who have, or who are at risk for, heritable disorders
- Provides advice and recommendations to the Secretary of Health and Human Services concerning heritable disorders and newborn and childhood screening practices
- Makes systematic evidence-based recommendations regarding conditions for inclusion on the RUSP
  - Conditions recommended for state universal NBS screening programs
  - Most states screen for the majority of disorders on the RUSP

# 1. MCHB respalda al ACHDNC

- El objetivo de ACHDNC es mejorar la capacidad de los estados para reducir la morbilidad y la mortalidad en recién nacidos y niños que padecen o corren riesgo de padecer trastornos hereditarios.
- Brinda asesoramiento y recomendaciones al Secretario de Salud y Servicios Humanos sobre trastornos hereditarios y prácticas de evaluación de recién nacidos y niños.
- Hace recomendaciones sistemáticas a partir de evidencia sobre las condiciones para la inclusión en el RUSP.
  - Condiciones recomendadas para los programas estatales universales de evaluación del recién nacido
  - La mayoría de los estados evalúan la mayoría de los trastornos en el RUSP



# Evidence-Based Review Group (ERG)

- Includes clinical specialists, NBS researchers, health economists, people from state newborn screening labs, technical experts
- Collects data, creates a final report, and presents the report
- Three parts of the report to the ACHDNC:
  - Systematic evidence review of reported outcomes (benefits and harms) of early detection and treatment for newborns, caregivers, and families.
  - Decision analysis modeling: how many newborns with the condition screening would NBS find in the U.S. and how many would have **better outcomes because of screening**.
  - Public health system impact assessment: feasibility, readiness, and cost for state programs to expand screening to include the condition

# Grupo de Revisión Basado en Evidencia (ERG)

- Incluye especialistas clínicos, investigadores de evaluación del recién nacido, economistas de la salud, personas de los laboratorios estatales de detección de recién nacidos y expertos técnicos.
- Recopila datos, crea un informe final y presenta el informe.
- Tres partes del informe a la ACHDNC:
  - Revisión sistemática de evidencia de los resultados informados (beneficios y daños) de la detección temprana y el tratamiento para recién nacidos, cuidadores y familias.
  - Modelado de análisis de decisiones: cuántos recién nacidos con la prueba de evaluación de la enfermedad encontraría la evaluación de recién nacido en Estados Unidos y cuántos tendrían mejores resultados gracias a la prueba de evaluación.
  - Evaluación de impacto del sistema de salud pública: viabilidad, preparación y costo para que los programas estatales amplíen la evaluación para incluir el problema





# ACHDNC Decision Matrix (current)

## Matriz de Decisión ACHDNC (actual)

NET BENEFIT/ CERTAINTY		READINESS			FEASIBILITY	
		Ready	Developmental	Unprepared		
SIGNIFICANT Benefit	Certainty HIGH	<b>A1</b> Screening for the condition has a high certainty of significant net benefits, screening has high or moderate feasibility. Most public health departments are ready to screen.	<b>A2</b> Screening for the condition has a high certainty of significant net benefits and screening has high or moderate feasibility. Public health departments have only developmental readiness.	<b>A3</b> Screening for the condition has a high certainty of significant net benefits and screening has high or moderate feasibility. Public health departments are unprepared for screening.	Feasibility	<b>HIGH or MODERATE</b>
		<b>A4</b> There is high certainty that screening would have a significant benefit; however, most health departments have low feasibility of implementing population screening.				<b>LOW</b>
	MOD	<b>B 1-4</b> There is moderate certainty that screening would have a significant benefit.				----
Small to ZERO Benefit	MOD/HIGH	<b>C 1-4</b> There is high or moderate certainty that adoption of screening for the targeted condition would have a small to zero net benefit.				----
NEG Benefit	MOD/HIGH	<b>D 1-4</b> There is high or moderate certainty that adoption of screening for the targeted condition would have a negative net benefit.				----
---	LOW	<b>L 1-4</b> There is low certainty regarding the potential net benefit from screening.				----

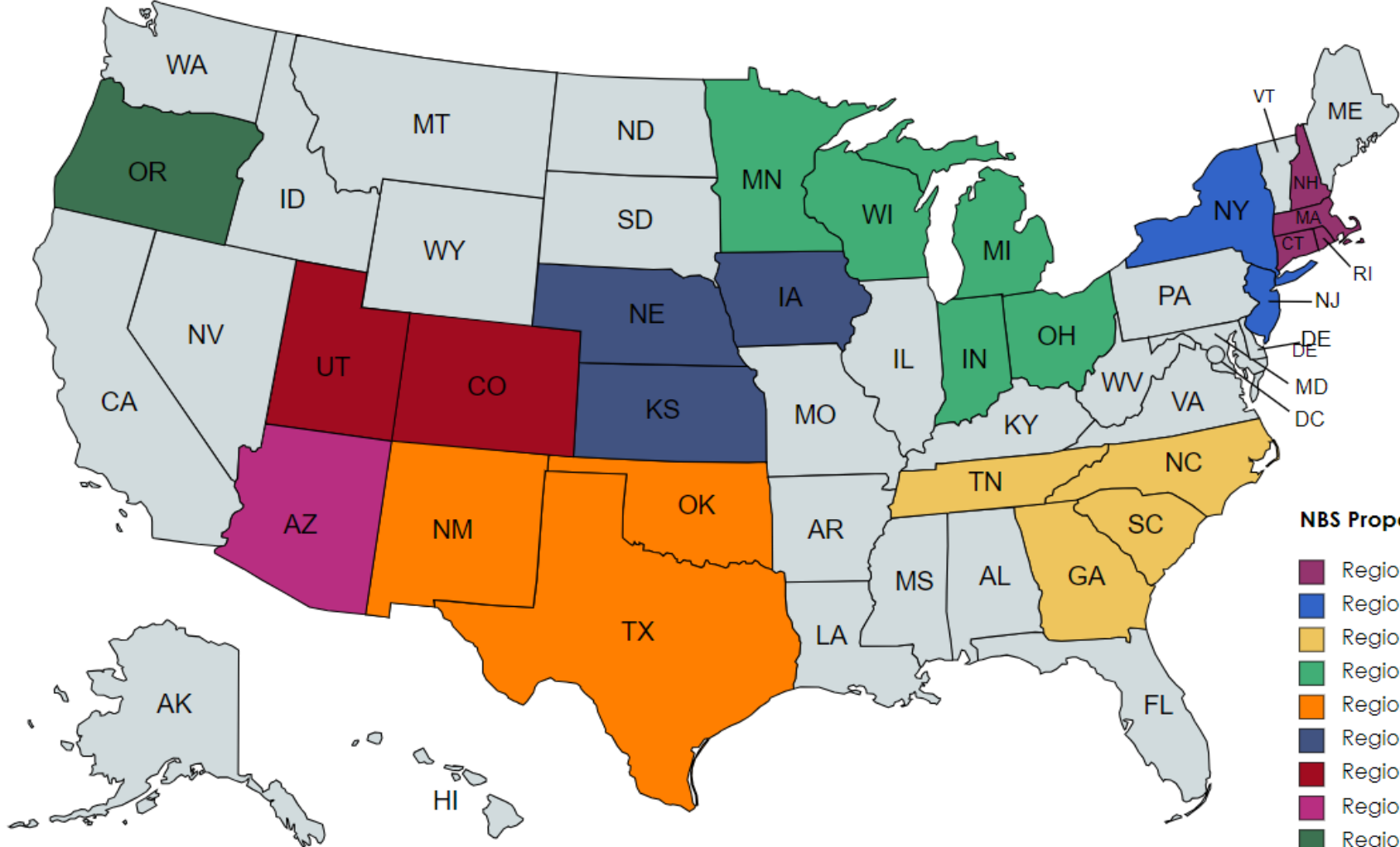
BENEFICIO NETO/ CERTeza		PREPARACIÓN			VIABILIDAD	
		Listo	De desarrollo	No preparado		
Beneficio SIGNIFICATIVO	Certeza ALTA	<b>A1</b> La evaluación de este problema tiene una alta certeza de beneficios netos significativos; la evaluación tiene una viabilidad alta o moderada. La mayoría de los departamentos de salud pública están listos para realizar pruebas.	<b>A2</b> La evaluación de este problema tiene una alta certeza de beneficios netos significativos y la evaluación tiene una viabilidad alta o moderada. Los departamentos de salud pública sólo están preparados para el desarrollo.	<b>A3</b> La evaluación de este problema tiene una alta certeza de beneficios netos significativos y la evaluación tiene una viabilidad alta o moderada. Los departamentos de salud pública no están preparados para las pruebas de evaluación.	Viabilidad	<b>ALTA o MODERADA</b>
		<b>A4</b> Existe una alta certeza de que la detección tendría un beneficio significativo; sin embargo, la mayoría de los departamentos de salud tienen poca viabilidad para implementar exámenes de evaluación de la población.				<b>BAJA</b>
	MOD	<b>B 1-4</b> Existe una certeza moderada de que la evaluación tendría un beneficio significativo.				----
Beneficio bajo a nulo	MOD/ALTO	<b>C 1-4</b> Existe una certeza alta o moderada de que la adopción de pruebas de evaluación del problema objetivo tendría un beneficio neto pequeño o nulo.				----
Beneficio NEG	MOD/ALTO	<b>D 1-4</b> Existe una certeza alta o moderada de que la adopción de pruebas de evaluación del problema objetivo tendría un beneficio neto negativo.				----
---	BAJO	<b>L 1-4</b> Existe poca certeza sobre el beneficio neto potencial de la evaluación.				----

## 2. MCHB Role in Supporting State NBS Programs

### 2. Función del MCHB en el apoyo a los programas estatales de SBN

- State NBS programs: “NBS is a system, not a test”
  - ✓ NBS Propel and Co-Propel (state grants)
  - ✓ NBS Excel (national coordinating center)
    - Implementing new RUSP conditions
    - Short-term follow-up (“NewSTEPS”)
    - Long-term follow-up
- Condition – specific programs to ensure access to high-quality, evidence-based treatment and follow-up
  - Sickle-cell disease
- Programas estatales de evaluación del recién nacido: “La evaluación del recién nacido es un sistema, no una prueba”
  - ✓ NBS Propel y Co-Propel (subvenciones estatales)
  - ✓ NBS Excel (centro coordinador nacional)
    - Implementar nuevas condiciones RUSP
    - Seguimiento a corto plazo (“NewSTEPS”)
    - Seguimiento a largo plazo
- Programas propios de la enfermedad para garantizar el acceso a tratamiento y seguimiento de alta calidad basados en evidencia
- Enfermedad de células falciformes

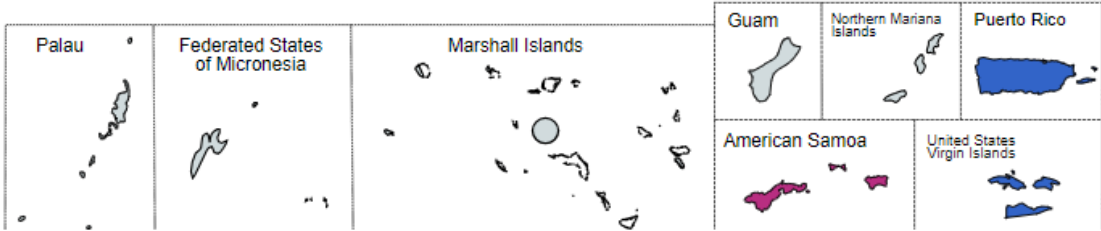




**NBS Propel Regions**

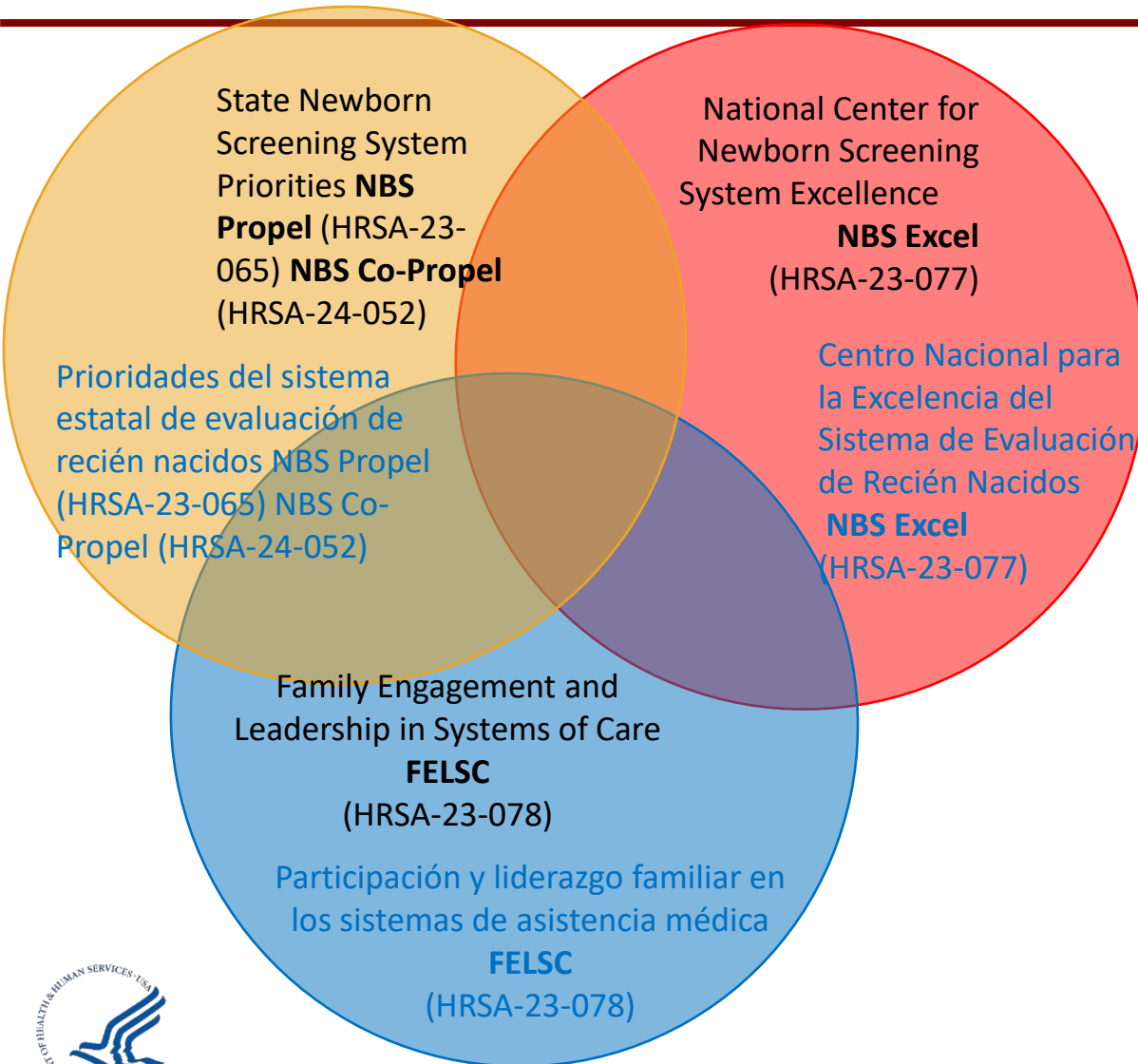
- Region I
- Region II
- Region IV
- Region V
- Region VI
- Region VII
- Region VIII
- Region IX
- Region X

Las evaluaciones del recién nacido impulsan a las regiones



# MCHB Newborn Screening Collaborations

## Colaboraciones de evaluación de recién nacidos de MCHB



### NBS Propel + Co-Propel – State Priorities

- Focus Area 1
  - Screening/timeliness/ implementing RUSP conditions
- Focus Area 2
  - STFU, LTFU

### NBS Propel + Co-Propel – Prioridades estatales

- Área de enfoque 1
  - Evaluación/oportunidad/ implementación de condiciones RUSP
- Área de enfoque 2
  - STFU, LTFU

### NBS Excel – National Center

- Data / Quality Improvement (QI)
- Technical Assistance
- Family Engagement

### NBS Excel – Centro Nacional

- Mejora de datos/calidad (QI)
- Asistencia Técnica
- Compromiso familiar

### FELSC – Family Engagement and Leadership

- Project 1
  - National Leadership on Family Engagement
- Project 2
  - Technical Assistance for F2F HIC Programs

### FELSC – Participación y Liderazgo Familiar

- Proyecto 1
  - Liderazgo nacional en participación familiar
- Proyecto 2
  - Asistencia técnica para programas F2F HIC



# NBS Long-Term Follow-up and Treatment

## Seguimiento y tratamiento a largo plazo de las evaluaciones de recién nacidos

- **2008**
  - ACHDNC describes the key features of LTFU such as care coordination, QI, and evidence-based treatment (Kemper et al, Genetics in Medicine)
- **2011**
  - ACHDNC publishes a summary of “what questions should NBS LTFU be able to answer” from the perspective of families, clinicians, and state/federal organizations (Hinton et al, Genetics in Medicine)
- **2016**
  - ACNDNC provided a detailed framework for assuring good outcomes for children identified with a NBS condition (Hinton et al, Molecular Gen & Metab)
- **2018**
  - ACHDNC outlines specific quality measures to promote LTFU of children identified by state NBS programs (Report of the FUTR Workgroup)
- **2008**
  - El ACHDNC describe las características clave del seguimiento a largo plazo, como la coordinación de la asistencia, la calidad de la calidad y el tratamiento basado en evidencia (Kemper et al., Genetics in Medicine)
- **2011**
  - El ACHDNC publica un resumen de qué preguntas debería poder responder NBS LTFU desde la perspectiva de las familias, los médicos y las organizaciones estatales/federales (Hinton et al., Genetics in Medicine)
- **2016**
  - El ACNDNC brindó un marco detallado para garantizar buenos resultados para los niños cuya evaluación del recién nacido arrojó un problema (Hinton et al., Molecular Gen & Metab)
- **2018**
  - El ACHDNC describe medidas de calidad específicas para promover el seguimiento a largo plazo de niños que se identificaron a partir de los programas estatales de evaluación del recién nacido (Informe del grupo de trabajo FUTR)



# DATA - GOAL

Three Connected Buckets of Data

## DATOS - META

Tres grupos de datos conectados



**Input/Data sources:**  
Families, researchers, clinicians, public health and policy leaders

**Fuentes de entrada/datos:**  
Familias, investigadores, médicos, líderes políticos y de salud pública.

### Bucket 1: NBS Lab result analysis.

Analysis of state NBS lab data/  
Pre-diagnostic risk assessment.  
e.g. ED3N (CDC)

### Grupo 1: Análisis de resultados de laboratorio de la evaluación del recién nacido

Análisis de datos del laboratorio de la evaluación estatal del recién nacido/Evaluación de riesgos previo al diagnóstico. Por ejemplo, ED3N (CDC)

### Bucket 2: Notification/confirmation.

Short-term follow-up,  
with families/clinicians.  
e.g. NewSTEPS (HRSA), ACT Sheets

**Grupo 2:**  
**Notificación/confirmación.**  
Seguimiento a corto plazo, con familias/médicos. Por ejemplo, NewSTEPS (HRSA), Hojas de ACT.

### Bucket 3: Longitudinal clinical care.

NBS-identified children receive treatment.  
e.g. Propel (HRSA), SCDC (CDC), Registries/studies (NIH)

### Área 3: Atención clínica longitudinal.

Los niños que se identifican a partir de la evaluación del recién nacido reciben tratamiento. Propel (HRSA), SCDC (CDC), Registros/estudios (NIH)



# Data Needed by LTFU Stakeholders

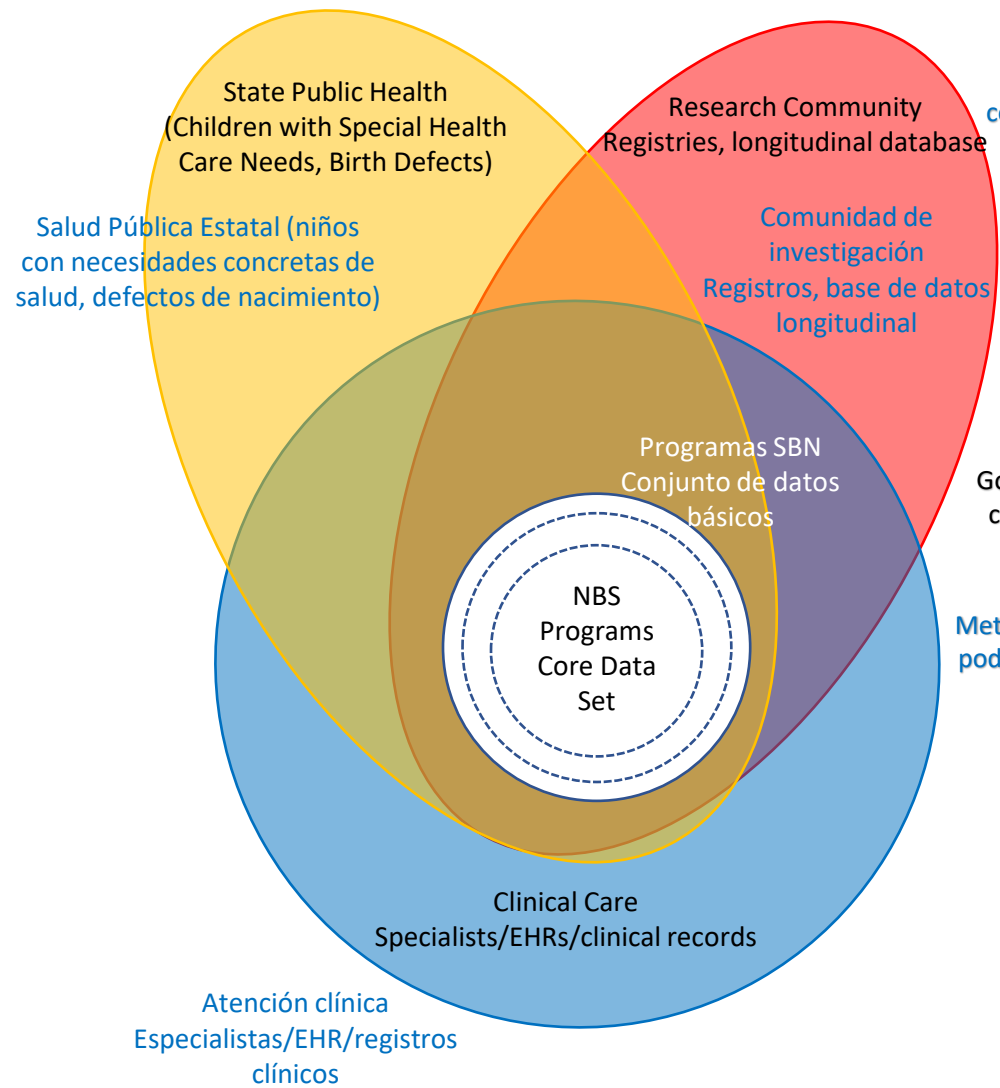
## Datos necesarios para las partes interesadas de seguimiento de largo plazo

Goals 1-2: Identify core elements, get consensus on measurement of core elements

Metas 1-2: Identificar los elementos centrales, lograr consenso sobre la medición de los elementos centrales

- NBS Core Data Set (examples)**
- Diagnosis
  - Date of appropriate first intervention
  - Alive?
  - Within the last 12 months did the child receive care and treatment specific to the diagnosis? Type of care provider?

- Conjunto de datos básicos de evaluación del recién nacido (ejemplos)**
- Diagnóstico
  - Fecha de la primera intervención adecuada
  - ¿Vivo?
  - En los últimos 12 meses, ¿el niño recibió asistencia y tratamiento específicos para el diagnóstico? ¿Tipo de proveedor de asistencia?



Goal 3: What questions can we ask in each of these categories?

Meta 3: ¿Qué preguntas podemos hacer en cada una de estas categorías?

- State Public Health (examples)**
- Treatment? (Yes/No; Reason reported for no treatment in the last 12 months?)
  - Alive? (Cause of death: Injury, medical, unknown, unasked, other, other)
  - Developmentally appropriate milestones? (Yes/no/ unknown/unasked by category)
  - Healthcare utilization: How many ER visits in the last 12 months? How many hospitalizations in the last 12 months? How many clinic visits in the last 12 months?

- Salud Pública Estatal (ejemplos)**
- ¿Tratamiento? (Sí/No; ¿Razón informada para no recibir tratamiento en los últimos 12 meses?)
  - ¿Vivo? (Causa de muerte: lesión, médica, desconocida, no solicitada, otra, otra)
  - ¿Hitos apropiados para el desarrollo? (Sí/no/desconocido/no solicitado por categoría)
  - Utilización de la asistencia médica: ¿Cuántas visitas a emergencias en los últimos 12 meses? ¿Cuántas hospitalizaciones en los últimos 12 meses?

- Clinical Outcomes (examples)**
- Clinical trial participation
  - Quality of Life
  - Patient Reported Outcomes

- Research (examples)**
- Disorder specific outcomes
  - Demographics
  - Medical home status
  - Family satisfaction?

- Resultados clínicos (ejemplos)**
- Participación en ensayos clínicos
  - Calidad de vida
  - Resultados informados por el paciente

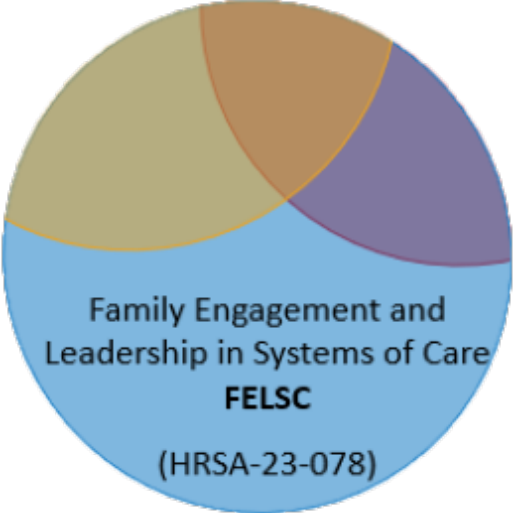
- Investigación (ejemplos)**
- Resultados específicos del trastorno
  - Demografía
  - Estado del hogar médico
  - ¿Satisfacción familiar?

Goal 4: Next steps, including opportunities to collaborate, disseminate

Meta 4: Próximos pasos, incluidas oportunidades para colaborar y difundir

# Family Engagement and Leadership in Systems of Care

## Participación y liderazgo familiar en los sistemas de asistencia médica



Enhance engagement of families of CYSHCN and individuals with lived experience, within the systems that serve them



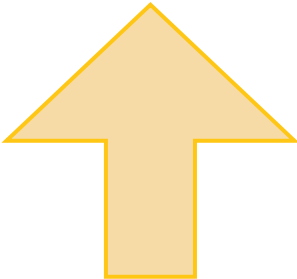
**Project 1**

Provide national leadership on family engagement to support MCH programs that serve CYSHCN.

**Project 2**

Provide TA to the HRSA-funded Family-to-Family Health Information Centers (F2F HICs).

Mejorar la participación de las familias de CYSHCN y de las personas con experiencias vividas en los sistemas que les prestan servicios



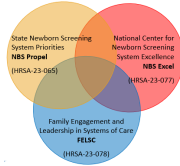
**Proyecto 1**

Proporcionar liderazgo nacional en materia de participación familiar para apoyar los programas de MCH que prestan servicios a CYSHCN.

**Proyecto 2**

Proporcionar asistencia técnica a los Centros de información de salud de familia a familia (F2F HIC) financiados por HRSA.

Participación y liderazgo familiar en los sistemas de asistencia médica  
FELSC  
(HRSA-23-078)





# FAMILY ENGAGEMENT - CYSHCN

## COMPROMISO FAMILIAR - CYSHCN

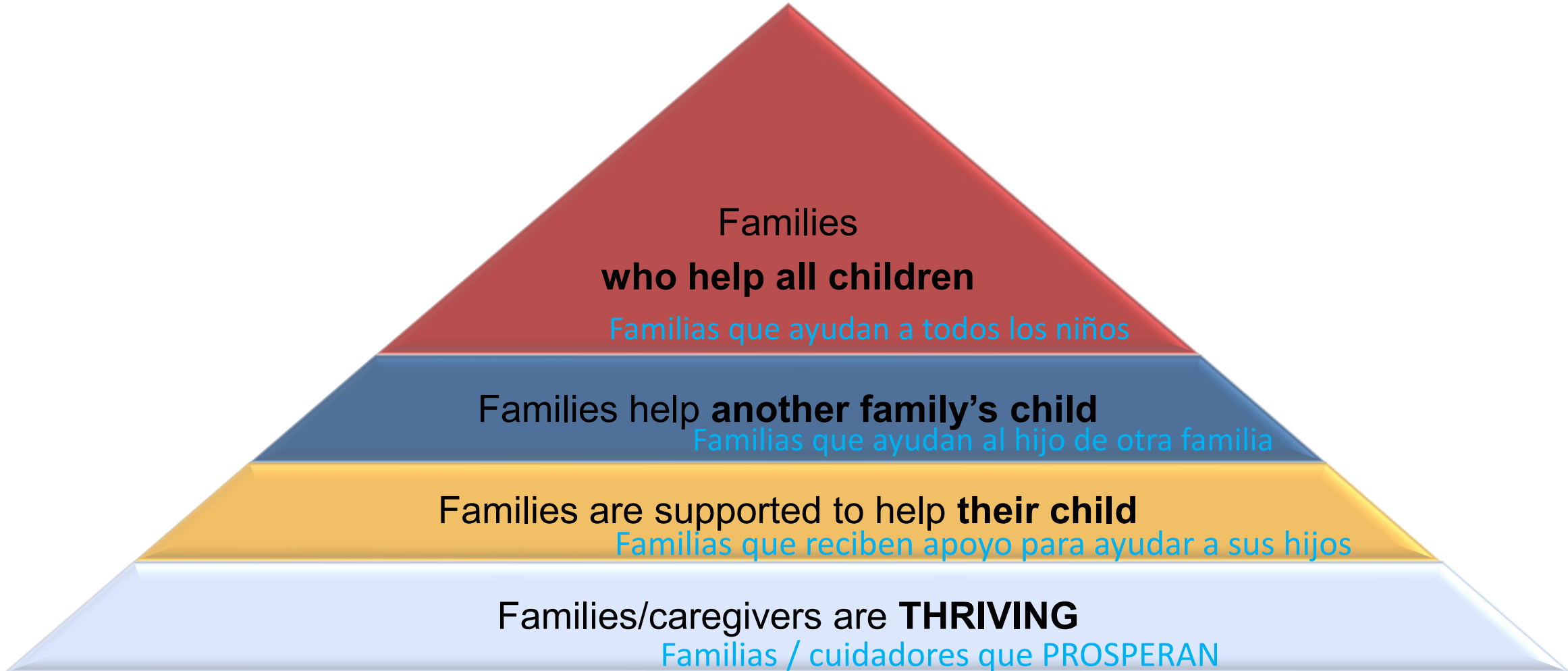
---

- Long history of MCHB support
  - National Center on Family Leadership funded since 1999
  - Family to Family Health Information Centers funded since 2002
  - Specific program family engagement activities funded since 2003
- Grant support to families/community-based organizations
  - 20% of the overall budget of the division
  - > 100 grants with family/community-based organization as the lead
  - Impact all 50 states, territories as well as American Indians/Alaska Natives.
- Larga historia de apoyo a MCHB
  - Centro Nacional de Liderazgo Familiar financiado desde 1999
  - Centros de información de salud de familia a familia financiados desde 2002
  - Programa específico de actividades de participación familiar financiado desde 2003
  - Subsidio de apoyo a familias/organizaciones comunitarias
  - 20% del presupuesto global de la división
  - > 100 subsidios con una organización familiar/comunitaria como líder
  - Repercute en los 50 estados, territorios y a los indígenas norteamericanos/nativos de Alaska.



## 4 LEVELS OF FAMILY ENGAGEMENT?

### ¿CUATRO NIVELES DE COMPROMISO FAMILIAR?



## 3. Access to Health Care: Sickle Cell Disease (example)

### 3. Acceso a la asistencia médica: anemia falciforme (ejemplo)

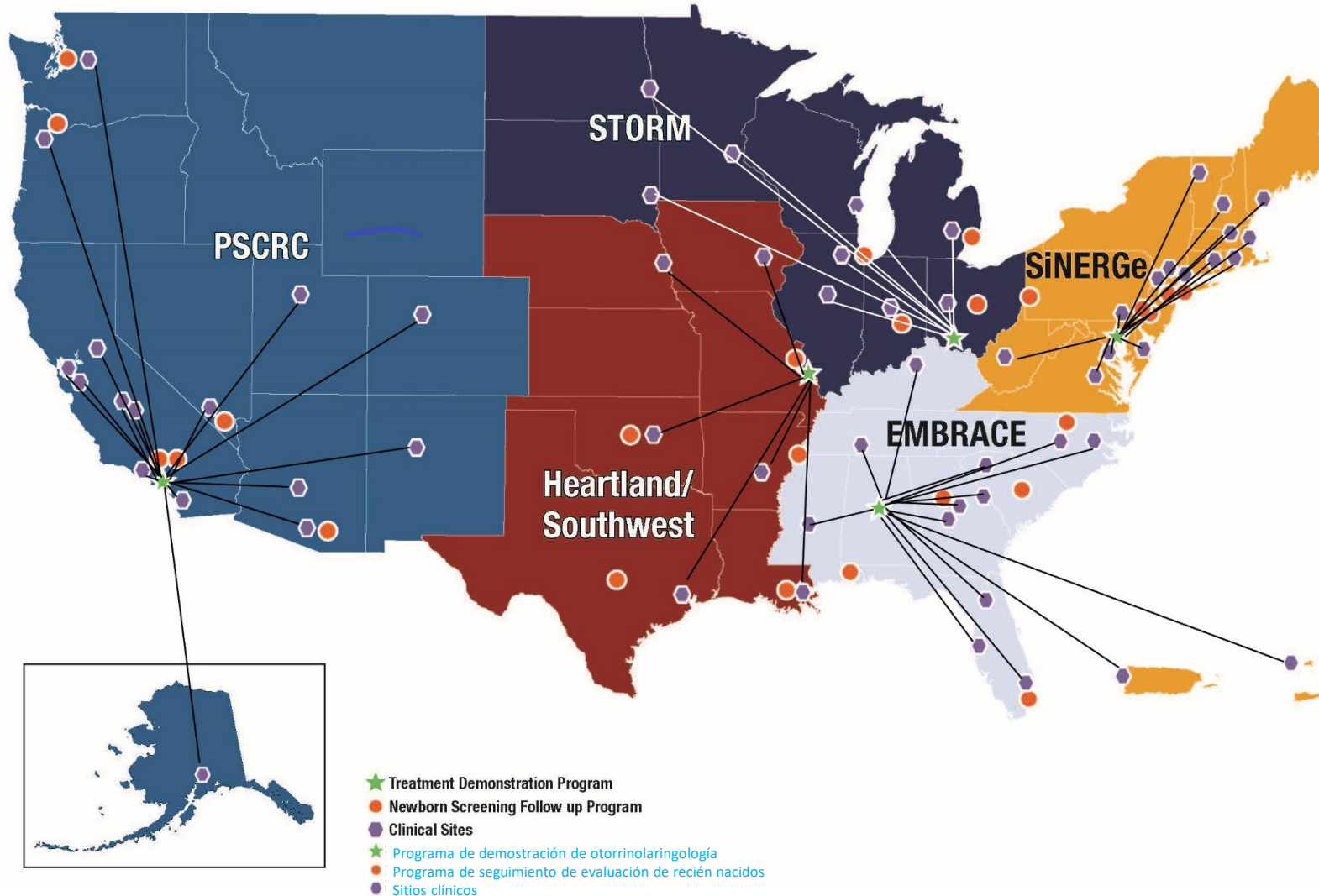
- **Limited guideline implementation**
  - Transcranial doppler screening
    - ✓ 47% of 2-9 y/o
    - ✓ 38% of 10-16 y/o
  - Hydroxyurea treatment
    - ✓ 38% of 2-9 y/o
    - ✓ 53% of 10-16 y/o
- **Lacking national healthcare infrastructure**
  - Data on epidemiology, health care use, access to care, outcomes that matter
  - National quality improvement measures
  - Unconscious bias, systematic and interpersonal racism
- **Implementación limitada de las directrices**
  - Detección Doppler transcraneal
    - ✓ 47% de 2-9 años
    - ✓ 38% de 10-16 años
  - Tratamiento con hidroxiurea
    - ✓ 38% de 2-9 años
    - ✓ 53% de 10-16 años
- **Falta de infraestructura sanitaria nacional**
  - Datos sobre epidemiología, uso de la asistencia médica, acceso a la asistencia médica, resultados que importan
  - Medidas nacionales de mejora de la calidad
  - Sesgo inconsciente, racismo sistemático e interpersonal



Hsu LL, Hooper W. C, Schieve LA. Prioritizing Sickle Cell Disease. Pediatrics.2022; 150(6):e2022059491

# HRSA – SCD Bridging Communities and Clinicians

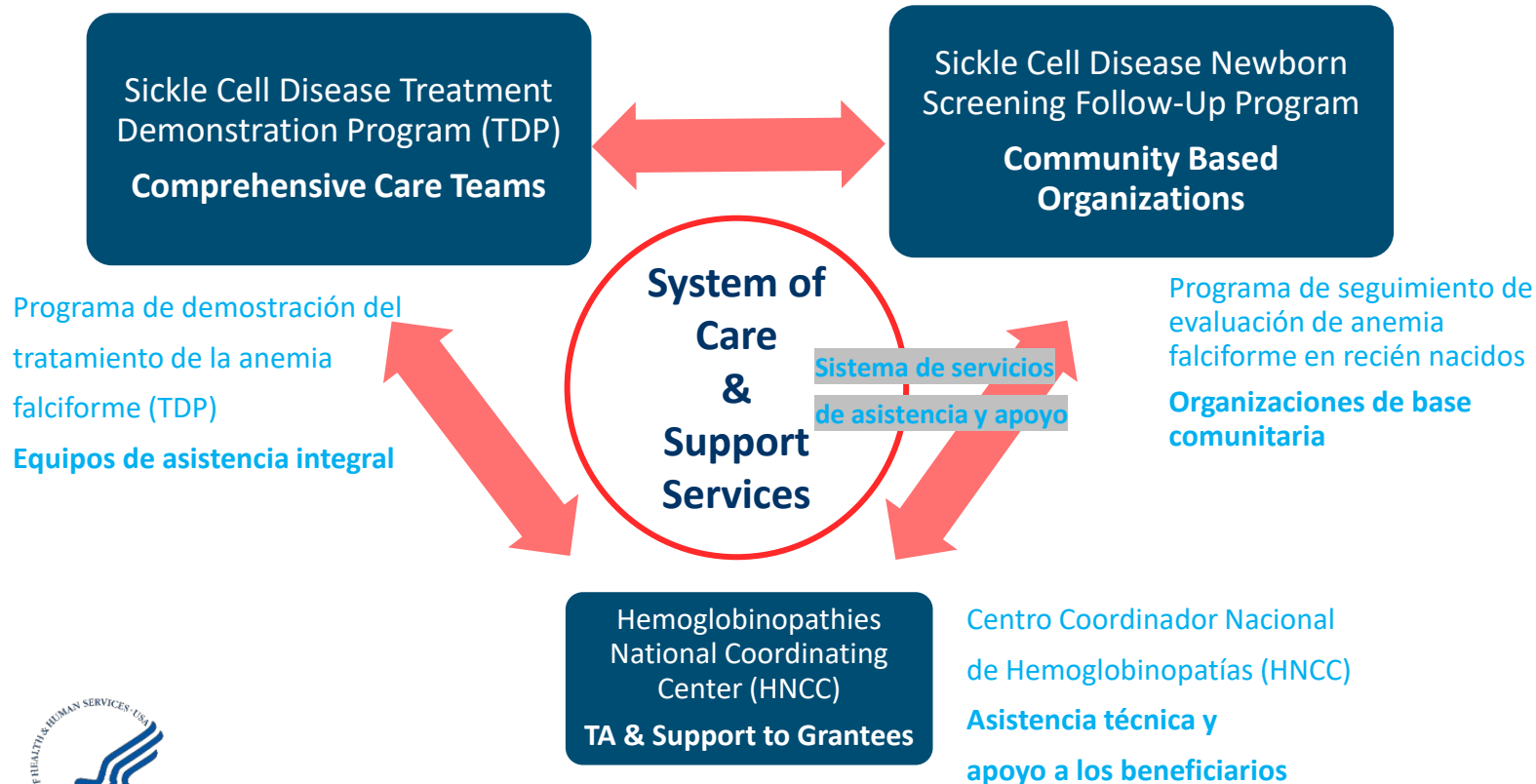
## HRSA – SCD El puente entre las comunidades y los médicos



# HRSA Sickle Cell Disease Programs

## Programas de anemia falciforme de HRSA

**\$14 million invested in FY23 in 91 sites/grantees**  
**\$14 millones invertidos en 2023 en 91 sitios/beneficiarios**

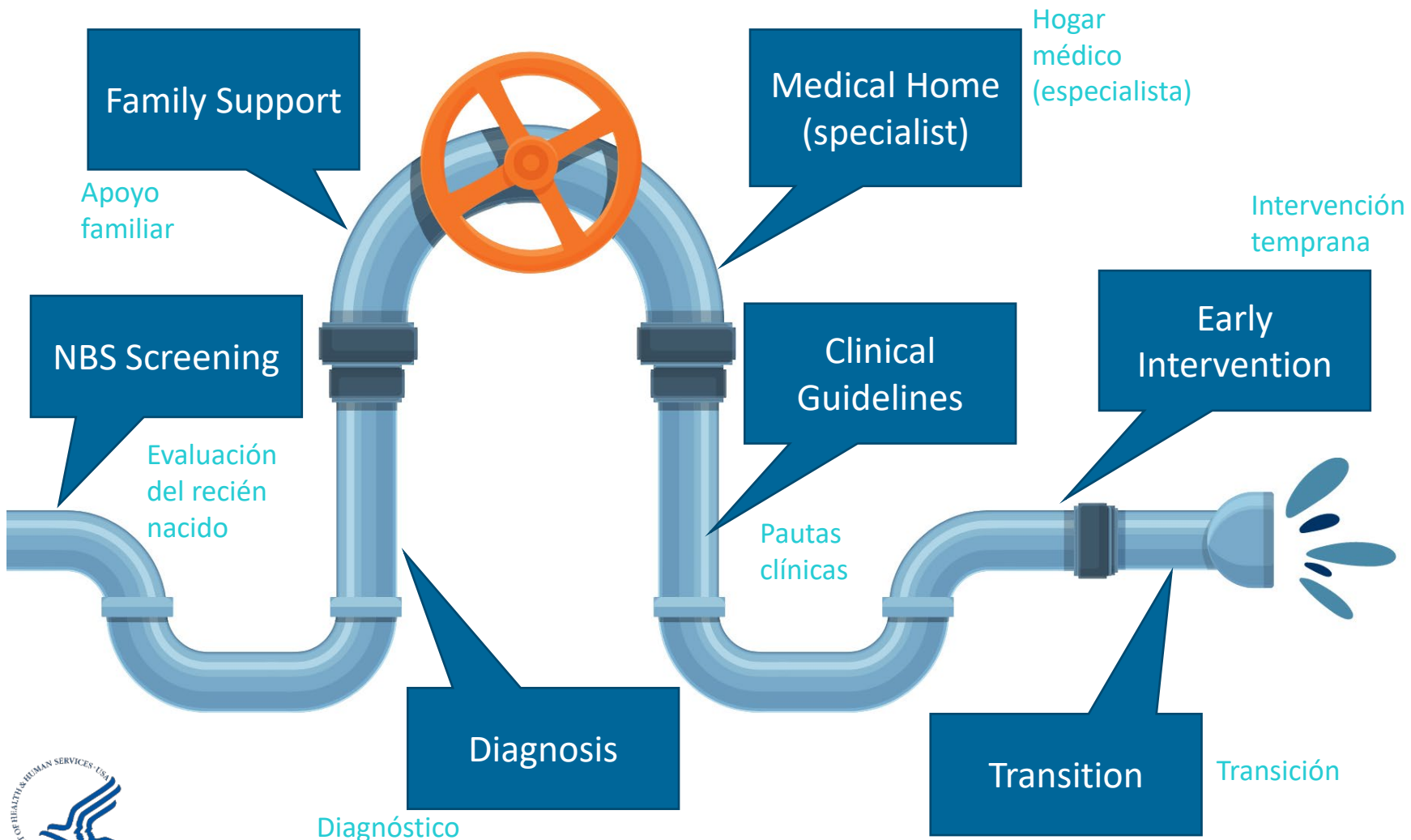


- Provide comprehensive services to individuals with SCD and their families
- Educate patients, families, and clinicians
- Partnerships between clinicians, community organizations, and other stakeholders
- Proporcionar servicios integrales a personas que tienen ECF y sus familias.
- Educar a los pacientes, las familias y los médicos
- Asociaciones entre médicos, organizaciones comunitarias y otras partes interesadas



# SCD System of Care & Support Services

## Sistema de servicios de asistencia y apoyo de SCD



Niños y adultos con ECF QUE PROSPERAN

Children and Adults with SCD THRIVING



# Future of NBS?

## ¿ El futuro de la evaluación de recién nacidos?

- Extraordinary potential of genomic sequencing/gene therapies
    - Hundreds if not thousands of possible state NBS conditions
  - Challenges to the PKU Paradigm
    - Capacity of state NBS labs
    - RUSP nomination and review process (1-2 conditions/year)
    - Clinical capacity to deliver treatment to all identified infants
    - Information to families
  - We commit to doing everything we can to ensure that every child with a condition identified by state NBS gets access to treatment
- Extraordinario potencial de la secuenciación genómica/terapias genéticas
    - Cientos, si no miles, de posibles condiciones estatales de evaluación de recién nacidos
  - Desafíos al paradigma de la fenilcetonuria
    - Capacidad de los laboratorios estatales que hacen la evaluación del recién nacido
    - Proceso de nominación y revisión de RUSP (1-2 condiciones/año)
    - Capacidad clínica para brindar tratamiento a todos los bebés identificados
    - Información a las familias
  - Nos comprometemos a hacer todo lo posible para garantizar que todos los niños con una problema identificado mediante la evaluación estatal del recién nacido accedan al tratamiento.



# Carolina and Friends

## Carolina y amigos

“No child is perfectly whole in mind, body, spirit, ability.... Nor can any child meet all of a parent’s hopes & expectations. Yet there is a wholeness of each & every child, a wholeness that is unique & brings with it a unique set of possibilities & limitations, a unique set of opportunities for fulfillment.”

-Fred Rogers



“Ningún niño está perfectamente completo en mente, cuerpo, espíritu, capacidad... Ningún niño tampoco puede cumplir todas las esperanzas y expectativas de sus padres. Sin embargo, existe una totalidad en todos y cada uno de los niños, una totalidad que es única y trae consigo un conjunto único de posibilidades y limitaciones, un conjunto único de oportunidades de realización.”

-Fred Rogers





# Contact Information for MCHB

## Información de contacto de MCHB

---

**Jeffrey P. Brosco MD PhD**

Director, DSCSHN

[jbrosco@hrsa.gov](mailto:jbrosco@hrsa.gov)

**ACHDNC**

**Leticia Manning**

Designated Federal Official (DFO)

DSCSHN Funcionario federal designado

[ACHDNC@hrsa.gov](mailto:ACHDNC@hrsa.gov)

**Propel & Excel**

**Kim Morrison, MS**

Public Health Analyst Analista de Salud Pública

DSCSHN

[KMorrison@hrsa.gov](mailto:KMorrison@hrsa.gov)

**Co-Propel**

**Loraine Swanson, MPH**

Public Health Analyst Analista de Salud Pública

DSCSHN

[LSwanson@hrsa.gov](mailto:LSwanson@hrsa.gov)



# READ MORE ABOUT THE BLUEPRINT

## LEA MÁS SOBRE EL PROYECTO

# Blueprint for Change

## Proyecto para el cambio

A national framework for a system of services for children and youth with special health care needs (CYSHCN) where they enjoy a full life and thrive in their community from childhood through adulthood

Un marco nacional que garantice un sistema de servicios para niños y jóvenes con necesidades concretas de salud (CYSHCN) que les permita disfrutar de una vida plena y prosperar en su comunidad desde la niñez hasta la edad adulta.



Scan to learn more!  
¡ Escanea para obtener más información!

# Connect with HRSA

## Conéctate con HRSA

Learn more about our agency at:  
Conozca más sobre nuestra agencia en:

[www.HRSA.gov](http://www.HRSA.gov)

[Sign up for the HRSA eNews](#)  
Suscríbete a las novedades electrónicas de HRSA

FOLLOW US:  
SÍGUENOS:

