

Información de seguridad para profesionales sanitarios sobre la perfusión domiciliaria con Fabrazyme (agalsidasa beta)

VERSION NO. 2.0

Información sobre prevención de riesgos acordada con la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Octubre 2021

Disponible en la web de la AEMPS www.aemps.gob.es

Contenido

01	Objetivos	3
02	Evaluación y selección de los pacientes	4
03	Requisitos organizativos para la perfusión domiciliaria	5
3.1	Paciente	5
3.2	Médico	6
3.3	Personal de enfermería	7
3.4	Tratamiento previo y de urgencia	8
3.5	El diario de registro	8
04	Formación sobre la preparación y administración de Fabrazyme	9
05	Administración de Fabrazyme	10
5.1	Prescripción	10
5.2	Material necesario	10
5.3	Preparación	11
5.4	Reconstitución de Fabrazyme	11
5.5	Dilución	12
5.6	Llenado de la línea de perfusión	12
5.7	Inserción de la aguja en la vena	12
5.8	Administración	13
5.9	Preparación de la perfusión de Fabrazyme para dispositivo de acceso venoso	14
06	Notificación de sospecha de reacciones adversas	14
07	Más información	14
08	Referencias	15

1. OBJETIVOS

El objetivo de este material es **proporcionar a los profesionales sanitarios las directrices sobre el manejo de los pacientes que reciben Fabrazyme en casa**. El proceso (descrito en detalle a continuación) empieza con la evaluación y selección de los pacientes, a continuación, se exponen los requisitos organizativos para la perfusión domiciliaria y por último se detalla la preparación y administración de Fabrazyme.

La terapia de sustitución enzimática está disponible para algunas enfermedades de almacenamiento lisosómico y, a fin de mejorar la calidad de vida, **el tratamiento intravenoso se puede trasladar al domicilio del paciente si se cumplen ciertos requisitos específicos [1-3]**. La terapia de perfusión de Fabrazyme está disponible para el tratamiento de pacientes con la enfermedad de Fabry y normalmente se tolera bien [4-6].

Si se cumplen los requisitos, el paciente puede recibir el tratamiento dentro del entorno domiciliario, lo que aumenta la comodidad y la flexibilidad de las perfusiones [1].

La decisión de trasladar el tratamiento con Fabrazyme al domicilio del paciente la toma el médico y debe tener en cuenta las preferencias del paciente y su estado de salud.

Es responsabilidad del médico asegurar una administración segura tratando de evitar el riesgo de que se produzcan errores de medicación y reacciones de hipersensibilidad. Debe ser comprobado y documentado por el médico.

Los procesos que se muestran en este documento sirven como una guía general, pero están sujetos a las guías de práctica clínica local y a las normas y reglamentos nacionales.

2. EVALUACIÓN Y SELECCIÓN DE LOS PACIENTES

Antes de realizar cualquier gestión, el médico debe determinar si el paciente cumple con los siguientes requisitos para la transferencia de la terapia de perfusión hospitalaria a terapia de perfusión domiciliaria:

- **Se considera que el paciente está medicamente estable.** Se debe realizar una evaluación completa antes de decidir transferir la terapia.
- **El paciente debe haber recibido varias perfusiones de Fabrazyme en un entorno controlado durante varios meses y** que éstas se hayan tolerado bien, sin reacciones asociadas a la perfusión (RAP), o con RAPs leves que han sido controladas con medicación previa.



3. REQUISITOS ORGANIZATIVOS PARA LA PERFUSIÓN DOMICILIARIA

Una vez que el médico determina qué pacientes son aptos para la administración de la perfusión domiciliaria, existe una serie de criterios que se deben considerar para garantizar que las perfusiones se puedan administrar de manera segura, eficiente y fiable en el domicilio del paciente.

3.1 Paciente

- El paciente y/o su(s) cuidador(es) deben **tener conocimientos suficientes sobre la enfermedad y poder reconocer las reacciones adversas como reacciones de hipersensibilidad y errores de medicación**, además de saber qué procedimientos se han de seguir en caso de que ocurran.
- El entorno del hogar debe ser favorable para poder realizar la terapia de perfusión en casa, incluyendo un entorno limpio, con electricidad, agua, teléfono, refrigeración y espacio físico para poder almacenar Fabrazyme y los materiales de perfusión.
- Se ha informado al paciente de que la perfusión debe administrarse siempre en presencia de un adulto, es decir, del personal de enfermería o, si se han adquirido habilidades de auto-perfusión, de un adulto que conozca los procedimientos de perfusión y que esté adecuadamente formado sobre cómo actuar en caso de RAP y de errores de medicación (según la valoración del médico o del personal de enfermería).
- El paciente dispone de un acceso venoso o de un dispositivo de acceso venoso que permita una infusión adecuada.
- **Los pacientes que experimenten efectos adversos deben ponerse en contacto inmediatamente con el médico o al personal médico.** Es posible que las perfusiones posteriores tengan que realizarse en un hospital u otro entorno clínico.



3.2 Médico

- El médico es responsable de iniciar todas las acciones administrativas necesarias que permitirán a las otras partes implicadas (paciente y/o cuidador/es), personal de enfermería, farmacia) proceder.
- El médico es responsable de entregar al paciente el documento "Información de seguridad para pacientes sobre la administración domiciliar de Fabrazyme" y el Diario de Registro.
- El médico es responsable de seleccionar la dosis y la velocidad de perfusión. La velocidad de perfusión de Fabrazyme que tolera el paciente en un entorno más controlado (por ejemplo, en el ámbito hospitalario u otro entorno clínico) no deberá cambiarse en el tratamiento domiciliario, a menos que sea necesario por motivos de seguridad del paciente. **Cualquier cambio en la administración de este medicamento se debe anotar claramente en el Diario de Registro.**
- **La perfusión domiciliar se realizará bajo la responsabilidad del médico.** La distribución del material se llevará cabo si el médico decide que el paciente es apto para el tratamiento de perfusión domiciliar. Es responsabilidad del médico **garantizar una administración segura al paciente para evitar riesgo de errores de medicación y reacciones de hipersensibilidad**. Esto debe ser comprobado y documentado por el médico.
- El **tratamiento previo a la perfusión** (por ejemplo, antihistamínicos, paracetamol, ibuprofeno, corticosteroides), si se va a administrar en el hospital o en otro entorno clínico, **se debe proporcionar en la prescripción específica para cada paciente y se debe describir en el Diario de Registro.** Este tratamiento no se debe alterar en el entorno domiciliario, a no ser que se obtenga un permiso médico a criterio de su médico.
- El tratamiento de urgencia debe ser proporcionado en base a la prescripción específica del paciente y debe estar descrito en el Diario de Registro.
- El médico debe asegurarse de que se dispone de una línea de comunicación rápida y fiable para agilizar una respuesta de urgencia en caso de que se requiera atención médica inmediata.
- El médico será el responsable de **realizar un seguimiento periódico de los pacientes** que reciben perfusión domiciliar.
- La programación y el control adecuados de las perfusiones son responsabilidad del médico y del personal de enfermería.



3.3 Personal de enfermería

- El personal de enfermería tendrá un **papel de coordinación** junto con el médico y el paciente y/o el/los cuidador/es, en la organización del tratamiento en el domicilio, y establecerá con el médico, el paciente y/o el/los cuidador/es el apoyo necesario en el domicilio.
- El personal de enfermería está **calificado para administrar perfusiones intravenosas**, ha recibido la formación adecuada sobre la administración de Fabrazyme y está formado en los posibles efectos adversos (incluidos los efectos adversos graves, como las reacciones anafilácticas) y en las medidas que deben tomarse en caso de que se produzcan.
- El personal de enfermería **seguirá estrictamente el método de preparación y administración de Fabrazyme** descrito en este documento.
- El personal de enfermería seguirá estrictamente la dosis prescrita y la velocidad de perfusión de Fabrazyme tal y como se indica en el Diario de Registro.
- El personal de enfermería **registra cada administración de Fabrazyme en el Diario de Registro**.
- La **programación y el control adecuados de las perfusiones son responsabilidad del médico y del personal de enfermería**.
- **En caso de RAP durante la perfusión o poco después, el personal de enfermería debe interrumpir inmediatamente la perfusión y debe contactar con el médico responsable y/o al servicio nacional de urgencias descrito en el Diario de registro. Cualquier RAP debe registrarse en el Diario de Registro.**



3.4 Tratamiento previo y de urgencia

- **Se debe proporcionar un tratamiento previo adecuado basado en la prescripción específica del paciente.** El tratamiento administrado en el hospital o en otro entorno médico no debe alterarse en el entorno domiciliario a no ser que se obtenga un permiso médico a criterio de su médico.
- **Se deberá disponer de medicación suficiente para responder ante una situación de urgencias si fuera necesario.** El médico debe proporcionar al paciente y/o al cuidador una educación adecuada sobre el uso de los medicamentos de urgencia.
- En caso de que el paciente experimente un acontecimiento adverso, como reacciones de hipersensibilidad, durante o poco después de la infusión, ésta **debe interrumpirse inmediatamente y debe contactar con el médico o personal médico que éste haya designado**, para recibir consejo. Es posible que las perfusiones posteriores deban realizarse en un hospital o en otro entorno clínico. Todos los acontecimientos adversos, incluidos los errores de medicación, deben ser comunicados al Departamento de Farmacovigilancia de Sanofi por el médico o personal de enfermería (las instrucciones para la notificación de acontecimiento adversos se encuentran en la Sección 7 Notificación de sospecha de reacciones adversas, de este mismo documento).



3.5 El Diario de registro

- El Diario de registro sirve como **medio de comunicación** para todas las personas implicadas en la administración domiciliar de Fabrazyme.
- **El personal de enfermería/paciente/cuidador(es) registrarán todos los datos y acciones que se realicen desde la entrevista inicial** y toda la información importante recogida en las visitas posteriores en el Diario de registro.
- En el Diario de registro se debe completar una **lista de contactos** que debe estar disponible en el domicilio para que la pueda utilizar el paciente y/o su(s) cuidador(es) y el personal de enfermería.
- El Diario de registro **estará disponible en el domicilio del paciente**, y el personal de enfermería de perfusiones, el paciente o su(s) cuidador(es), se encargarán de actualizarlo cada vez que se administre Fabrazyme.
- El paciente **debe llevar el Diario de registro a todas las visitas hospitalaria** y se lo llevará de vuelta a casa.
- En el Diario de Registro, **el médico indicará claramente la posología, el volumen reconstituido necesario, y la velocidad de la perfusión, así como también cualquier cambio realizado.** El médico indicará claramente los pasos a seguir y la medicación que se debe administrar en caso de que se produzca una RAP grave, siguiendo las normas médicas actuales para el tratamiento de emergencia. Los datos de contacto del médico y del servicio de urgencias nacional específico del país en que se encuentra se indican en el Diario de Registro.

Diario de Registro para terapia domiciliar de Fabrazyme (agalsidasa beta)

Información sobre prevención de riesgos acordada con la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Octubre 2021

Disponible en la web de la AEMPS www.aemps.gob.es

4. FORMACIÓN SOBRE LA PREPARACIÓN Y ADMINISTRACIÓN DE FABRAZYME

Las instrucciones iniciales se darán en el hospital. El nivel de apoyo requerido del personal de enfermería en el entorno domiciliario será discutido y acordado por el médico y el paciente y/o cuidador(es).

El médico es responsable de la organización de la perfusión domiciliaria y debe estar de acuerdo con el procedimiento de perfusión domiciliaria.

El personal de enfermería llevará a cabo todo el procedimiento de las primeras perfusiones en el domicilio del paciente. Posteriormente, si el paciente prefiere llevar a cabo el procedimiento por sí mismo, o con la ayuda de un cuidador, deberán seguirse las siguientes condiciones:

- **El paciente y/o el/los cuidador/es recibirán una formación adecuada por parte del personal de enfermería sobre cómo se prepara y administra la perfusión.** El personal de enfermería explicará y demostrará el procedimiento completo de perfusión al paciente y/o al/los cuidador/es, incluyendo la formación sobre la higiene de las manos, la desinfección adecuada y la manipulación aséptica al preparar la perfusión.
- En las siguientes visitas, el personal de enfermería estará presente para ayudar. **Si es necesario, hasta que el paciente y/o los cuidadores se sientan seguros con todo el procedimiento de perfusión.**
- Durante la reconstitución y administración de Fabrazyme, **deben seguirse los procedimientos descritos en la Ficha Técnica de Fabrazyme y en la sección 5 "Administración de Fabrazyme"** de este documento, y cada administración de Fabrazyme debe registrarse en el Diario de Registro.
- **Si se han adquirido las habilidades para la auto perfusión, ésta debe administrarse siempre en presencia de un adulto** que conozca los procedimientos de perfusión y esté adecuadamente formado sobre cómo actuar en caso de RAP y de errores de medicación, según la valoración del médico o del personal de enfermería.
- En caso de RAP durante la perfusión o poco después, debe interrumpir inmediatamente la perfusión y debe contactar con el médico responsable y/o al servicio nacional de urgencias descrito en el Diario de Registro. Cualquier RAP debe registrarse en el Diario de Registro.



5. ADMINISTRACIÓN DE FABRAZYME

Las instrucciones de uso relacionadas con la reconstitución, dilución y administración se pueden obtener en la Ficha Técnica de Fabrazyme. En este apartado se proporciona una descripción detallada

5.1 Prescripción

El médico determinará la posología de Fabrazyme®, el volumen reconstituido necesario, la velocidad de perfusión, la medicación previa, y cualquier cambio. La prescripción se debe anotar en el Diario de Registro. Cualquier cambio de esta prescripción (posología o velocidad de perfusión) se debe anotar también en el Diario de Registro.

5.2 Material necesario

Con la prescripción adecuada, el hospital o la farmacia le suministrarán al paciente o a otra persona lo siguiente:

- Viales de Fabrazyme (5 mg o 35 mg por vial); deben almacenarse en un frigorífico limpio a una temperatura entre +2°C y +8°C.
- Para la reconstitución de Fabrazyme utilice agua estéril para inyección.
- Solución de NaCl al 0,9%, 2 x 250 ml para administración IV.
- Solución de NaCl al 0,9%, 2 x 50 ml para limpiar la línea de perfusión antes y después de la perfusión.
- Clorhexidina 0,5% en alcohol 70% (solución antiséptica).
- Número suficiente de jeringuillas de 2 ml, 10 ml y 50 ml en función de la dosis de Fabrazyme.
- 3 agujas hipodérmicas estériles (1,1 x 40 mm).
- 1 aguja de infusión.
- Filtro en línea de 0,2 micras de baja unión a proteínas.
- Equipo de administración de perfusión (línea de perfusión).
- Esparadrapo.
- Hisopos estériles para la limpieza de la piel.
- Contenedor para objetos punzantes.
- Jabón para lavarse las manos.
- Torniquete.
- Requisitos adicionales si se utiliza un dispositivo de acceso venoso:
 - Heparina.
 - Solución de NaCl al 0,9%.
 - Agujas.
 - Jeringuillas.
 - Apósitos.
 - Guantes estériles.
 - Aguja Gripper.
- Medicación para el tratamiento previo (si aplica).
- Medicación de emergencia (vea el Diario de Registro para consultar las instrucciones del médico)

5.3 Preparación

NOTA: Las instrucciones de uso (reconstitución, dilución y administración) se encuentran en el prospecto. En este apartado se ofrece una descripción detallada.

1. Prepare una zona de trabajo limpia y disponga los suministros.
2. Los viales de Fabrazyme deben sacarse del frigorífico 30 minutos antes de su preparación para que alcancen la temperatura ambiente.
3. Compruebe la fecha de caducidad impresa en la parte inferior de la caja de viales (**NO** utilice Fabrazyme después de la fecha de caducidad).
4. Compruebe si el número de viales recibidos es correcto.
5. Prepare únicamente el número de viales necesarios para una perfusión.

Nota: Deben seguirse las instrucciones de almacenamiento tal y como se describen en las instrucciones de uso del prospecto.

5.4 Reconstitución de Fabrazyme

1. Retire la tapa con cierre “flip-off” del vial de Fabrazyme.
2. Desinfecte el tapón de goma del vial de Fabrazyme con clorhexidina y deje que se seque al aire.
3. Abra el agua estéril para inyección.
4. Introduzca la cantidad necesaria (ml) de agua estéril en la jeringuilla:
 - a. Para viales de 35 mg, reconstituir cada vial con 7,2 ml de agua estéril para inyección.
 - b. Para viales de 5 mg, reconstituir cada vial con 1,1 ml de agua estéril para inyección.
5. Evite la eyección forzada de agua para preparaciones inyectables de la jeringuilla al polvo, para reducir así la producción de espuma. Esto se debe realizar añadiendo lentamente gota a gota el agua para preparaciones inyectables dentro del vial. Balancee e incline cada vial suavemente. No lo invierta, ni lo gire o agite.
6. Repita el proceso si necesita más viales de Fabrazyme.
7. Después de mezclar la solución pueden aparecer pequeñas burbujas.
8. Deje que pasen unos minutos para que desaparezcan las burbujas de la solución y asegúrese de que el polvo se ha reconstituido correctamente.
9. Después de la reconstitución, la solución de Fabrazyme® deberá examinarse visualmente antes de su uso. La solución reconstituida deberá ser un líquido claro e incoloro, sin la presencia de ningún cuerpo extraño. Dado que se trata de una solución proteínica, en ocasiones se puede producir una ligera floculación/turbiedad (en forma de fibras traslúcidas delgadas) después de la dilución.
10. Si nota la presencia de cuerpos extraños o la alteración del color del líquido, no utilice el producto y póngase en contacto con el personal de enfermería y/o con su médico.
11. Se recomienda que los viales se diluyan rápidamente después de la reconstitución para minimizar la formación de partículas de proteínas con el tiempo.
12. El producto que no se haya utilizado, o cualquier material de desecho, se debe eliminar de acuerdo con los requisitos locales



5.4 PASO 1: Preparación de los materiales



5.4 PASO 2: Desinfectar el frasco



5.4 PASO 4: Introduzca la cantidad necesaria de agua estéril en la jeringuilla



5.5 PASO 5: Evite expulsar a la fuerza el agua de las inyecciones de la jeringa

5.5 Dilución

1. Desinfecte la tapa o abertura de 1 o 2 bolsas de solución de NaCl al 0,9% con clorhexidina y deje secar al aire.
2. El volumen de solución reconstituida de Fabrazyme® debe ser el mismo que el prescrito en el Diario de Registro.
3. Inserte la aguja en el tapón de la bolsa de perfusión y extraiga lentamente un volumen de solución de NaCl al 0,9% equivalente al volumen de solución reconstituida de Fabrazyme® que se debe añadir.
Por ejemplo, si el volumen reconstituido prescrito es de 14 ml, extraiga 14 ml de solución de NaCl de la bolsa de solución de NaCl. No extraiga nunca más de la mitad del contenido de la bolsa de solución de NaCl, de este modo se garantiza que al menos la mitad de la solución diluida es de NaCl.
4. Elimine el aire contenido dentro de la bolsa de perfusión extrayéndolo con una jeringuilla de 50 ml.
5. Extraiga lentamente la solución reconstituida de cada vial hasta que se complete el volumen total necesario. En el momento de la extracción de estas cantidades, el producto reconstituido no debe contener espuma.
6. Inyecte lentamente el volumen total de la solución reconstituida de Fabrazyme® en la bolsa de perfusión de solución de NaCl al 0,9%.
7. Mezcle cuidadosamente esta solución de Fabrazyme® invirtiendo o dando un suave masaje a la bolsa de perfusión. No agite o mueva excesivamente la bolsa de perfusión.
8. La solución diluida debe filtrarse a través de un filtro en línea de 0,2 micras de baja unión a proteínas durante la administración.



5.5 PASO 3: Extraer lentamente el volumen necesario de solución de NaCl al 0,9%, equivalente al volumen de solución de Fabrazyme reconstituido



5.5 PASO 5: Extraer lentamente la solución reconstituida de cada vial hasta alcanzar el volumen total necesario

5.6 Llenado de la línea de perfusión

1. Extraiga el sistema de perfusión de su envoltorio y ciérrelo con el cierre de rodillo. Conecte el filtro en línea con la línea de perfusión.
2. Conecte la aguja en la bolsa de la solución de NaCl al 0,9% que no contiene Fabrazyme® y llene el sistema de perfusión sujetando la cámara de goteo en posición invertida y abriendo el cierre de rodillo.
3. Llene todo el sistema, elimine las burbujas de aire que pueda haber y cierre el cierre de rodillo.
4. Conecte la bolsa de perfusión con Fabrazyme® al sistema y mantenga el cierre cerrado.



5.5 PASO 5: El producto reconstituido no debe contener espuma

5.7 Inserción de la aguja en la vena

En caso de auto-perfusión, la persona adulta presente durante la sesión de perfusión deberá haber recibido la formación adecuada (por el personal de enfermería, el médico, o el personal médico que éste haya designado) acerca de la técnica para la inserción de la aguja.

1. Asegúrese de tener a mano algunas tiras de esparadrapo colgadas y listas para su uso, y que el sistema de perfusión quede a su alcance. Sitúe la clorhexidina y algunas gasas a su alcance.
2. Extraiga la aguja de su envoltorio.

3. Siéntese y coloque el brazo apoyado sobre la mesa (se recomienda hacerlo sobre un paño limpio).
4. Hágase el torniquete, busque una vena apropiada, y desinfecte el área donde introducirá la aguja y déjela secar.
5. Estire la piel e introduzca la aguja (el ojo de la aguja hacia arriba) con un ligero ángulo a través de la piel dentro de la vena. Cuando la aguja se haya introducido en la vena, observará como un “destello” de sangre al inicio del tubo.
6. Introduzca la aguja aproximadamente 0,5 cm dentro de la vena para asegurar que no se salga inmediatamente. Utilice esparadrapo para mantener la aguja en su sitio. Conecte el sistema con filtro a la aguja.
7. Retire el torniquete; el tubo se llenará de sangre. Si esto no ocurre significa que la aguja no está colocada correctamente en la vena. Tendrá que repetir el proceso con una nueva aguja. Abra el cierre de la solución de NaCl al 0,9%.
8. Ajuste la velocidad de perfusión de acuerdo con la prescripción y abra la válvula. Siéntese y relájese mientras se administra la perfusión. Mantenga el Diario de Registro a su alcance, ya que puede necesitar la información acerca de los procedimientos de emergencia.

5.8 Administración

- Desde el punto de vista microbiológico, el producto deberá utilizarse inmediatamente. Si no se utiliza inmediatamente, el almacenamiento y las condiciones de uso serán responsabilidad del usuario. El producto diluido en solución de NaCl al 0,9% puede conservar su estabilidad química hasta 24 horas, si se almacena entre 2°C y 8°C y se protege de la luz.
- La posología de Fabrazyme, la velocidad de perfusión, y cualquier cambio, los determinará el médico. El tratamiento no se debe alterar en el entorno de casa, a no ser que se obtenga un permiso médico, según el criterio de su médico.
- Después de finalizar la perfusión de Fabrazyme®, se debe lavar el sistema con solución de NaCl al 0,9% a la misma velocidad y se extraerá la aguja.

5.9 Preparación de la perfusión de Fabrazyme en caso de dispositivo de acceso venoso

Cuando disponga de un dispositivo de acceso venoso para la administración de Fabrazyme®, el personal de enfermería les mostrará a usted y/o a su(s) cuidador(es) cómo cuidar dicho dispositivo, si no se lo han demostrado ya durante las perfusiones en el hospital.

El cuidado adecuado del dispositivo de acceso venoso incluye el lavado de forma regular con un fármaco llamado heparina, a fin de evitar la formación de coágulos, además de utilizar una técnica estéril para mantener el dispositivo libre de infección. Es necesario seguir los siguientes pasos:

- Cuando se esté utilizando, cubra el lugar con una gasa oclusiva. No es necesario que lo cubra cuando no se está utilizando.
- Lávelo con 5 ml de una solución de NaCl al 0,9% antes y después de cada uso.
- Lávelo con 5 ml de heparina (100 U/ml) después de cada uso.

6. NOTIFICACIÓN DE SOSPECHAS DE REACCIONES ADVERSAS

Se recuerda la importancia de notificar las sospechas de reacciones adversas a través del Centro Autonómico de Farmacovigilancia correspondiente o del formulario electrónico disponible en <https://www.notificaRAM.es>

7. MÁS INFORMACIÓN

Para más información sobre el uso de Fabrazyme consulte su Ficha Técnica disponible en el Centro de Información online d medicamentos de la AEMPS. www.cima.aemps.es

8. REFERENCIAS

- [1] Cousins A, Lee P, Rorman D, et al (2008) Home-based infusion therapy for patients with Fabry disease. *Br J Nurs* 17:653-7
- [2] Hughes DA, Milligan A, Mehta A (2007) Home therapy for lysosomal storage disorders. *Br J Nurs* 16:1384, 6-9
- [3] Parini R, Pozzi K, Di Mauro S, et al (2010) Terapia de reemplazo enzimático intravenoso: hospital vs hogar. *Br J Nurs* 19:892-4, 6-8
- [4] Banikazemi M, Bultas J, Waldek S, et al (2007) Terapia con agalsidasa-beta para la enfermedad de Fabry avanzada: un ensayo aleatorio. *Ann Intern Med* 146:77-86
- [5] Eng CM, Guffon N, Wilcox WR, et al (2001) Safety and efficacy of recombinant human alpha-galactosidase A--replacement therapy in Fabry's disease. *N Engl J Med* 345:9-16
- [6] Germain DP, Waldek S, Banikazemi M, et al (2007) Estabilización renal sostenida y a largo plazo tras 54 meses de tratamiento con agalsidasa beta en pacientes con la enfermedad de Fabry. *J Am Soc Nephrol* 18:1547-57