

GUÍA PARA PROFESIONALES SANITARIOS SOBRE LA ADMINISTRACIÓN DOMICILIARIA DE MYOZYME® (ALGLUCOSIDASA ALFA)

Lea esta Guía junto con la Ficha Técnica de alglucosidasa alfa disponible CIMA:
<https://cima.aemps.es/cima/publico/home.html>.

Información sobre prevención de riesgos acordada con la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) – Febrero 2026

Índice

1. PRESCRIPCIÓN DE LA PERFUSIÓN DOMICILIARIA	3
1.1. CRITERIOS PARA LA ELEGIBILIDAD DE LA PERFUSIÓN DOMICILIARIA	3
1.2. PRESCRIPCIÓN	4
2. PROCEDIMIENTO DE ADMINISTRACIÓN	6
2.1. ANTES DE INICIAR LA PREPARACIÓN.....	6
2.2. PREPARACIÓN.....	8
2.3. RECONSTITUCIÓN	8
2.4. DILUCIÓN.....	9
2.5. ADMINISTRACIÓN.....	11
3. REACCIONES ASOCIADAS A LA PERFUSIÓN	13
3.1. INFORMACIÓN SOBRE EL RIESGO	13
3.2. ACCIONES PARA EL MANEJO DE RAP	13
3.3. NOTIFICACIÓN DE SOSPECHAS DE REACCIONES ADVERSAS.....	14

El objetivo de esta guía es orientar a los profesionales sanitarios sobre la selección adecuada de los pacientes que pueden recibir alglucosidasa alfa (Myozyme®) en el domicilio y proporcionar información sobre cómo prevenir y minimizar los riesgos de reacciones asociadas a la perfusión y de los posibles errores de medicación en el entorno domiciliario.

1. PRESCRIPCIÓN DE LA PERFUSIÓN DOMICILIARIA

1.1. CRITERIOS PARA LA ELEGIBILIDAD DE LA PERFUSIÓN DOMICILIARIA

Algunos pacientes tratados con alglucosidasa alfa pueden optar por recibir perfusiones en el domicilio. La decisión de recibir la perfusión en el domicilio debe tomarse tras la evaluación médica completa del paciente por parte del médico prescriptor y considerando si se cumplen los criterios que figuran a continuación:

- El paciente ha tolerado bien la perfusión en un entorno hospitalario o ambulatorio y no tiene antecedentes de reacciones asociadas a la perfusión (RAPs) moderadas a severas durante algunos meses.
- El paciente se encuentra médicalemente estable.
- El paciente no debe verse afectado por un estado avanzado de la enfermedad o comorbilidades subyacentes que le pongan en mayor riesgo de complicaciones que requieran medidas de reanimación médica avanzadas solo disponibles en un entorno hospitalario.
- El paciente presenta facilidad de acceso venoso o un dispositivo de acceso venoso central que permite una perfusión adecuada.
- El paciente presenta buen historial de cumplimiento del calendario de perfusiones y de monitorización de la enfermedad.
- El entorno doméstico es propicio, incluido un entorno limpio con electricidad, agua, acceso telefónico, refrigeración y espacio físico para permitir el almacenamiento de alglucosidasa alfa y otros suministros para la perfusión. El paciente y el cuidador han sido informados sobre el tratamiento, los riesgos asociados como reacciones de hipersensibilidad y errores de medicación y aceptan la perfusión domiciliaria.
- El paciente o el cuidador son capaces de reconocer síntomas de alarma y saben cuándo contactar con el equipo médico o acudir a urgencias.

Una vez que el paciente haya sido considerado elegible para la perfusión domiciliaria según los criterios indicados anteriormente, se debe considerar un conjunto de requisitos para garantizar que las perfusiones del fármaco puedan administrarse de forma segura, eficiente y fiable.

- El profesional sanitario encargado de la perfusión debe recibir formación adecuada sobre cómo actuar en caso de reacción asociada a la perfusión (RAP).
- Asegúrese de que tanto el personal de enfermería como el cuidador/el paciente han recibido la Guía de administración domiciliaria destinada a ellos.
- Si el paciente experimenta reacciones adversas durante la perfusión domiciliaria, puede ser necesario que las siguientes perfusiones se realicen en un hospital o en un entorno adecuado de atención ambulatoria hasta que el médico prescriptor determine que es aceptable volver a las perfusiones domiciliarias.

1.2. PRESCRIPCIÓN

Los médicos prescriptores deberán:

- Informar al paciente o cuidador(es) sobre la enfermedad, el tratamiento y el procedimiento de perfusión domiciliaria.
- Determinar la necesidad de administrar tratamiento previo a la perfusión, como antihistamínicos, paracetamol, ibuprofeno o corticoesteroides para reducir la frecuencia y/o gravedad de las RAP.
- Prescribir el tratamiento de urgencia en caso de RAP.
- Determinar la dosis en función del peso del paciente y la velocidad de perfusión, que será la tolerada por el paciente durante las perfusiones realizadas en el centro médico, a menos que sea necesario realizar modificaciones debido a consideraciones de seguridad.

Cálculo de Dosis:

Peso del paciente (kg) x Dosis (mg/kg) = Dosis del paciente (en mg)

Dosis del paciente (en mg) ÷ 50 mg/vial = número de viales a reconstituir (si el resultado es decimal, redondear hacia arriba)

Ejemplos:

1. Enfermedad de Pompe de inicio en la infancia: Peso del paciente (16 kg) x Dosis (20 mg/kg) = Dosis del paciente (320 mg)

Dosis del paciente (320 mg) ÷ 50 mg/vial = 6,4 viales, es decir, se deben reconstituir 7 viales

2. Enfermedad de Pompe de inicio tardío: Peso del paciente (68 kg) x Dosis (20 mg/kg) = Dosis del paciente (1360 mg)

Dosis del paciente (1360 mg) ÷ 50 mg/vial = 27,2 viales, es decir, se deben reconstituir 28 viales

- El médico prescriptor debe asegurar una línea de comunicación rápida y fiable para el profesional sanitario encargado de la perfusión, en caso de que se requiera atención médica inmediata.
- El profesional sanitario prescriptor del tratamiento establecerá un **protocolo de perfusión** y el método de documentación por parte del profesional sanitario encargado de la perfusión (diario de registro). El profesional sanitario encargado de la perfusión documenta cada perfusión y comparte esta documentación con el profesional sanitario prescriptor regularmente, según lo acordado.
- El profesional sanitario prescriptor proporcionará un **plan de emergencia** dentro del protocolo de perfusión, incluyendo medidas apropiadas de soporte de emergencia y monitorización, para que sean seguidas por el profesional sanitario encargado de la perfusión en caso de que una reacción adversa ocurriera, como una reacción de hipersensibilidad, errores de medicación o RAP.

2. PROCEDIMIENTO DE ADMINISTRACIÓN

La perfusión debe administrarse siempre en presencia de un profesional sanitario experimentado, que será el encargado de la perfusión y tendrá una función de coordinación entre el médico prescriptor y el paciente o cuidador(es) en la organización del tratamiento y establecerá el nivel de soporte requerido en el domicilio. Deberá estar cualificado para administrar perfusiones intravenosas y haber recibido la formación adecuada sobre la enfermedad de Pompe y la administración de alglucosidasa alfa. Además, contará con formación para reconocer y tratar las RAP que puedan ocurrir.

El profesional sanitario encargado de la perfusión debe recibir instrucciones y un plan de emergencia documentado antes de organizar la perfusión domiciliaria. Además, el equipo de reanimación cardiopulmonar debe estar fácilmente disponible durante la perfusión.

El profesional sanitario encargado de la perfusión deberá seguir estrictamente el procedimiento de preparación y administración de alglucosidasa alfa y controlar la perfusión, según lo indicado por el profesional prescriptor.

2.1. ANTES DE INICIAR LA PREPARACIÓN

Antes de iniciar la preparación de alglucosidasa alfa el profesional sanitario encargado de la perfusión deberá:

- Evaluar al paciente para comprobar su estado general, incluidas las constantes vitales y los signos de fiebre o infección y detectar cualquier afección que pudiera interferir en la perfusión. Se deberá anotar en el diario y consultar al médico prescriptor en los siguientes casos:
 - Si el paciente presenta cualquier enfermedad aguda subyacente en el momento de la perfusión, ya que pueden tener un mayor riesgo de RAP.
 - Si el paciente presenta enfermedad de Pompe avanzada, ya que pueden tener una función cardíaca y respiratoria comprometida, lo que puede predisponerlos a un mayor riesgo de complicaciones graves por las RAP.

En estos casos, la perfusión no debe realizarse, y se debe contactar con el médico prescriptor, quien determinará las acciones que deben tomarse.

- Proporcionar la medicación previa a la perfusión en caso de que el paciente la tenga prescrita.
- Verificar la presencia del equipo y de los siguientes suministros:

Suministros

- ✓ Viales con alglucosidasa alfa y polvo para concentrado para solución para perfusión (50 mg por vial), que deben almacenarse en un frigorífico limpio a una temperatura de entre +2 °C y +8 °C (tenga en cuenta el número de viales necesarios en función del peso corporal del paciente).
- ✓ Agua estéril para preparaciones inyectables para reconstituir Myozyme® (10,3 ml por vial).
- ✓ Solución de NaCl al 0,9 % para administración intravenosa.
- ✓ Solución de NaCl al 0,9 % para enjuagar la vía de perfusión.
- ✓ Clorhexidina al 0,5 % en alcohol al 70 % (solución antiséptica).
- ✓ Número adecuado de jeringuillas de 10 ml, 20 ml y 50 ml en función de la dosis de alglucosidasa alfa.
- ✓ Agujas hipodérmicas estériles (calibre 20G o 21G), calcúlese 2 agujas por 4 viales.
- ✓ Filtro en línea de 0,2 µm con baja unión a proteínas.
- ✓ Suministros para la instalación de una vía venosa periférica o una vía venosa central de acuerdo con las directrices locales.
- ✓ Suministros necesarios para la perfusión intravenosa de acuerdo con las directrices locales y el material necesario para cumplir con las condiciones higiénicas y asépticas, así como las normas de eliminación de residuos de acuerdo con las directrices locales.
- ✓ Medicación previa al tratamiento de perfusión (si procede).
- ✓ Medicación de urgencia.



2.2. PREPARACIÓN

Antes de la reconstitución, se recomienda instalar la vía venosa (catéter venoso periférico) o conectar la vía venosa central del paciente, de acuerdo con los protocolos locales, para garantizar que el fármaco pueda administrarse inmediatamente después de su reconstitución.

El profesional sanitario encargado de la perfusión debe:

- Asegurarse de que los viales están a temperatura ambiente antes de preparar la solución. Los viales deben retirarse del frigorífico aproximadamente 30 minutos antes de la administración para que alcancen la temperatura ambiente.
- Comprobar que el número de viales es el adecuado. El número de viales se determinará en función del peso del paciente a tratar y la dosis recomendada de 20 mg/kg. El número calculado de viales debe redondearse hacia arriba.
- No utilizar los viales si presentan discromía o partículas extrañas
- Comprobar la fecha de caducidad. No utilice los viales después de la fecha de caducidad indicada en la etiqueta.

2.3. RECONSTITUCIÓN

Tenga en cuenta que durante la reconstitución debe utilizarse una técnica aséptica.

- Retire el tapón a presión del vial de Myozyme®.
- Desinfecte el tapón de goma del vial con clorhexidina y deje que se seque al aire.
- Abra el agua para inyectables estéril.
- Extraiga la cantidad necesaria (ml) de agua estéril en la jeringa.
 - Cada vial debe reconstituirse inyectando lentamente 10,3 ml de agua para soluciones inyectables en cada vial. Cada vial producirá 50 mg/10 ml (5 mg/ml).



- Evite el impacto enérgico del agua sobre el polvo y la espuma. Esto se realiza añadiendo lentamente el agua por el interior del vial y no directamente sobre el polvo liofilizado.
- Los viales deben inclinarse y girarse suavemente para que se disuelva el polvo liofilizado. No deben invertirse, girarse ni agitarse.
- Pueden aparecer pequeñas burbujas después de la mezcla. Deje que la solución se asiente durante 10-20 minutos para que desaparezcan las burbujas presentes y para garantizar que el polvo se reconstituya correctamente.
- Repita el proceso para todos los viales de Myozyme®.
- Para limitar el riesgo de dañar el capuchón, las agujas se pueden cambiar cada 4 viales.
- Debe realizarse una inspección visual inmediata en los viales reconstituidos para detectar partículas en suspensión y decoloración. El concentrado reconstituido debe aparecer como una solución transparente, de incolora a amarilla pálida que puede contener partículas en forma de finas hebras blancas o fibras translúcidas. Si tras una inspección inmediata se observan partículas extrañas distintas de las descritas anteriormente, o si la solución está decolorada, no debe utilizarla.
- Se recomienda diluir el principio activo inmediatamente después de la reconstitución.

2.4. DILUCIÓN

La solución reconstituida debe diluirse en NaCl al 0,9 % en agua hasta una concentración final de 0,5 mg/ml a 4 mg/ml. Véase la Tabla 1 para conocer los volúmenes de perfusión correspondientes al peso corporal del paciente.

- Desinfecte la tapa/abertura de 1 bolsa de solución de NaCl al 0,9 % con clorhexidina y deje que se seque al aire.
- Inserte la aguja en el capuchón de la bolsa de perfusión y extraiga un volumen de solución de NaCl al 0,9 %, equivalente al volumen de la solución reconstituida de Myozyme® que se va a añadir. Esto corresponde a 1 ml para 5 mg de Myozyme® prescrito.
 - *Por ejemplo, si la dosis prescrita es de 1200 mg para un paciente de 60 kg, el volumen de Myozyme® que se va a diluir es de 1200 mg/5 mg/ml = 240 ml. Por lo tanto, deben extraerse 240 ml de la bolsa de solución de NaCl al 0,9 %.*
- Elimine el aire de la bolsa de perfusión.
- Extraiga 10 ml (correspondientes a 50 mg) de cada vial de solución reconstituida lentamente en una jeringuilla.
- La solución reconstituida debe añadirse lenta y directamente a la solución de NaCl al 0,9 %. Debe evitarse la formación de espuma o la agitación de la bolsa de perfusión. Debe evitarse la introducción de aire en la bolsa de perfusión.
 - *En el ejemplo descrito anteriormente, se añadirán 240 ml de Myozyme® reconstituido a la bolsa de perfusión.*
- Gire hacia abajo o masajee con cuidado la bolsa de perfusión para que se mezcle la solución diluida. No debe agitarse.
- Proteja la bolsa de perfusión de cualquier calor o vibración y administre el tratamiento inmediatamente después de la dilución.
- Se recomienda el uso inmediato tras la dilución. Sin embargo, se ha demostrado la estabilidad química y física durante el uso durante 24 horas a entre 2 y 8 °C cuando se almacena bajo protección de la luz.

Dosis del paciente (en mg) ÷ 5 mg/mL = número de mL de Myozyme ® (alglucosidasa alfa) necesarios para la dosis del paciente

Ejemplo:

Dosis del paciente (320 mg) ÷ 5 mg/mL = 64 mL de Myozyme ® (alglucosidasa alfa) necesarios para la dosis del paciente

2.5. ADMINISTRACIÓN

- Una vez que se haya diluido, conecte el tubo a la bolsa de perfusión y extraiga el aire.
- Conecte un filtro con unión baja a proteínas de 0,2 µm en línea a la bolsa de perfusión. Este paso evita la administración de partículas introducidas accidentalmente durante la preparación.
- Cebe la vía de perfusión con el producto diluido por gravedad y conecte la vía de perfusión a la vía de la vena del paciente.
- Antes de iniciar la perfusión, compruebe el pulso, la presión arterial, la frecuencia respiratoria y la temperatura corporal del paciente.
- La velocidad de perfusión inicial no debe ser superior a 1 mg/kg de peso corporal/hora para minimizar el riesgo de RAP. Si la perfusión se tolera bien, incremente la velocidad de perfusión progresivamente (en 2 mg/kg de peso corporal/hora) cada 30 minutos hasta una velocidad máxima de 7 mg/kg de peso corporal/hora (véase la Tabla 1 para obtener más detalles).
- Una vez finalizada la perfusión, la vía intravenosa debe enjuagarse con solución de NaCl al 0,9 % a la misma velocidad para eliminar cualquier resto de alglucosidasa alfa del tubo.
- Desconecte la vía de perfusión de la vía venosa del paciente y retire la aguja. Descarte cualquier suministro de acuerdo con la reglamentación local.
- Este fármaco no debe infundirse en la misma vía intravenosa con otros medicamentos.

La perfusión y cualquier observación deben documentarse en el Diario de Perfusión del Paciente.

El aumento escalonado de la velocidad de perfusión se realiza cada 30 minutos y sólo puede considerarse en ausencia de reacciones asociadas a la perfusión. La velocidad de perfusión se indica en unidades de ml/h en función del volumen total de perfusión propuesto. Siga las recomendaciones del profesional sanitario encargado de la perfusión con respecto a la velocidad y el volumen de perfusión. Para calcular el cambio de las unidades de velocidad se ha utilizado la siguiente fórmula:

$$\text{Velocidad de perfusión (ml/h)} = \frac{\text{Velocidad de perfusión (mg/kg/h)} \times \text{Volumen de perfusión (ml)}}{\text{Dosis de alglucosidase alfa (mg/kg)}}$$

PESO CORPORAL DEL PACIENTE (kg)	VOLUMEN TOTAL DE PERFUSIÓN (ml)	PASO 1 1 mg/kg/h	PASO 2 3 mg/kg/h	PASO 3 5 mg/kg/h	PASO 4 7 mg/kg/h
1,25-10	50	3 ml/h	8 ml/h	13 ml/h	18 ml/h
10,1-20	100	5 ml/h	15 ml/h	25 ml/h	35 ml/h
20,1-30	150	8 ml/h	23 ml/h	38 ml/h	53 ml/h
30,1-35	200	10 ml/h	30 ml/h	50 ml/h	70 ml/h
35,1-50	250	13 ml/h	38 ml/h	63 ml/h	88 ml/h
50,1-60	300	15 ml/h	45 ml/h	75 ml/h	105 ml/h
60,1-100	500	25 ml/h	75 ml/h	125 ml/h	175 ml/h
100,1-120	600	30 ml/h	90 ml/h	150 ml/h	210 ml/h

Tabla 1: Volúmenes de perfusión e incremento progresivo de la velocidad de perfusión.

3. REACCIONES ASOCIADAS A LA PERFUSIÓN

3.1. INFORMACIÓN SOBRE EL RIESGO

Los acontecimientos adversos notificados con mayor frecuencia son RAP, independientemente de si la administración se realiza en el hospital o en otro entorno adecuado de atención ambulatoria.

Una RAP se define como cualquier acontecimiento adverso que se produzca durante la perfusión o durante las horas posteriores a la misma (generalmente hasta 2 horas después) y que se evalúe como potencialmente relacionado causalmente con la administración de este medicamento. Estas reacciones ocurren con mayor probabilidad a velocidades de perfusión más altas.

Se han notificado RAP como reacciones de hipersensibilidad, incluyendo shock anafiláctico y/o parada cardiaca durante la perfusión que requirieron medidas de reanimación. Los pacientes presentaban un conjunto de signos y síntomas principalmente respiratorios, cardiovasculares, edematosos y/o cutáneos.

También se han observado reacciones recurrentes consistentes en enfermedad pseudogripal o en una combinación de síntomas como fiebre, escalofríos, mialgia, artralgia, dolor o fatiga que se producen después de la perfusión y duran normalmente unos pocos días. La mayoría de los pacientes reiniciaron el tratamiento con alglucosidasa alfa de forma satisfactoria bajo estricta supervisión clínica utilizando dosis más bajas y/o pretratamiento con fármacos antiinflamatorios y/o corticosteroides.

El paciente debe recibir la guía para el paciente/cuidador, que incluye información sobre los signos y síntomas de las RAP y las medidas recomendadas para el tratamiento.

3.2. ACCIONES PARA EL MANEJO DE RAP

El profesional sanitario encargado de la perfusión deberá seguir las medidas de emergencia específicas para el paciente proporcionadas por el profesional sanitario prescriptor del tratamiento.

- ✓ Supervise al paciente para detectar RAP.
- ✓ Se pueden administrar antihistamínicos, antipiréticos o corticoesteroides para prevenir o reducir las RAP. En algunos pacientes pueden producirse RAP incluso después de recibir el tratamiento previo.

- ✓ Si el paciente experimenta RAP, incluidas reacciones de hipersensibilidad o anafilácticas durante la perfusión domiciliaria:
 - El proceso de **perfusión debe interrumpirse inmediatamente**, pero no debe retirarse el acceso venoso.
 - Se deberán seguir las medidas indicadas en el plan de emergencia individual diseñado por el médico prescriptor, iniciando el tratamiento médico apropiado en caso de ser necesario.
- ✓ En caso de RAP, el profesional sanitario encargado de la perfusión debe interrumpir la administración y contactar inmediatamente con el médico prescriptor y/o debe llamar al número de emergencias nacional. El médico prescriptor decidirá, en función de la gravedad de la RAP, si la perfusión debe interrumpirse de forma temporal o completa.
- ✓ Si el paciente experimenta RAP, es posible que sea necesario realizar las perfusiones posteriores en un hospital o centro ambulatorio.
- ✓ El profesional sanitario encargado de la perfusión debe documentar el acontecimiento adverso en el Diario de Perfusión.

3.3. NOTIFICACIÓN DE SOSPECHAS DE REACCIONES ADVERSAS

Se recuerda la importancia de notificar las sospechas de reacciones adversas (incluidos los errores de medicación en el entorno de perfusión domiciliaria) al Centro Autonómico de Farmacovigilancia correspondiente o del formulario electrónico disponible en <https://www.notificaRAM.es>. O poniéndose en contacto con Farmacovigilancia de Sanofi en: es-farmacovigilancia@sanofi.com, o llamando al número local de Sanofi 934859400.