

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

Información sobre prevención de riesgos acordada con la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)- Octubre 2024

Índice

1	OBJETIVO DE ESTE DOCUMENTO	3
2	INFORMACIÓN PARA PROFESIONALES SANITARIOS PRESCRIPTORES DE MYOZYME® Y PARA PROFESIONALES SANITARIOS QUE ADMINISTRAN MYOZYME®	4
2.1	REQUISITOS Y ORGANIZACIÓN DE LA PERFUSIÓN DOMICILIARIA.....	4
2.2	DISPOSICIÓN DEL PACIENTE.....	4
2.3	PROFESIONALES SANITARIOS PRESCRIPTORES DE MYOZYME®.....	5
3	INFORMACIÓN PARA PROFESIONALES SANITARIOS QUE ADMINISTRAN MYOZYME®	7
3.1	PROFESIONALES SANITARIOS QUE ADMINISTRAN MYOZYME®.....	7
3.2	ADMINISTRACIÓN DE MYOZYME.....	8
3.2.1	Prescripción.....	8
3.2.2	Productos de farmacia y equipo de perfusión.....	9
3.2.3	Suministros.....	9
3.2.4	Preparación	10
3.2.5	Reconstitución.....	11
3.2.6	Dilución.....	12
3.2.7	Administración.....	13
3.3	REACCIONES ASOCIADAS A LA PERFUSIÓN	15
3.3.1	Información sobre el riesgo.....	15
3.3.2	ACCIONES RECOMENDADAS PARA EL MANEJO DE LAS REACCIONES ADVERSAS.....	19
3.4	NOTIFICACIÓN DE SOSPECHAS DE REACCIONES ADVERSAS	22
4	BIBLIOGRAFÍA	23

Para más información sobre este medicamento, puede consultar la Ficha técnica de Myozyme® disponible en el siguiente enlace:
<https://cima.aemps.es/cima/publico/home.html>.

1 OBJETIVO DE ESTE DOCUMENTO

El objetivo de este documento es proporcionar orientación a los profesionales sanitarios para el tratamiento de los pacientes que reciben Myozyme® (alglucosidasa alfa) en el domicilio proporcionando información sobre los riesgos de «errores de medicación en el entorno de la perfusión domiciliaria» y «reacciones asociadas a la perfusión, incluidas las reacciones de hipersensibilidad y anafilácticas con o sin desarrollo de anticuerpos IgG e IgE», así como información sobre cómo minimizarlos.

La decisión de transferir la perfusión de este producto al entorno domiciliario del paciente es del profesional sanitario prescriptor del tratamiento, teniendo en cuenta las preferencias del paciente o el cuidador, así como su estado médico. Asimismo, el paciente en cuestión deberá cumplir una serie de requisitos específicos.

La perfusión domiciliaria tendrá lugar bajo la responsabilidad del profesional sanitario prescriptor del tratamiento. La distribución de la Guía para pacientes/cuidadores, se deberá realizar en caso de que un paciente sea elegible para recibir esta terapia en su domicilio.

Es responsabilidad del profesional prescriptor garantizar una administración segura, para minimizar la posibilidad de errores de medicación en el marco de la perfusión domiciliaria, así como de reacciones asociadas a la perfusión (RAP), en particular las reacciones de hipersensibilidad. El profesional deberá, por tanto, comprobarlo y documentarlo.

Los procesos aquí presentados sirven como orientación general, pero están sujetos a la práctica médica local y a las normas y reglamentos nacionales.

Para más información sobre este medicamento, puede consultar la Ficha técnica de Myozyme® disponible en el siguiente enlace:
<https://cima.aemps.es/cima/publico/home.html>.

2 INFORMACIÓN PARA PROFESIONALES SANITARIOS PRESCRIPTORES DE MYOZYME® Y PARA PROFESIONALES SANITARIOS QUE ADMINISTRAN MYOZYME®

2.1 REQUISITOS Y ORGANIZACIÓN DE LA PERFUSIÓN DOMICILIARIA

Antes de hacer cualquier gestión para organizar la perfusión domiciliaria de Myozyme®, el profesional sanitario prescriptor del tratamiento debe tener en cuenta las siguientes consideraciones:

- Se debe realizar una evaluación médica completa del paciente y su patología para determinar si se encuentra estable y en condiciones de recibir el medicamento de forma domiciliaria.
- Tendrá en cuenta las comorbilidades subyacentes y la capacidad del paciente para cumplir los requisitos al evaluar su elegibilidad para recibir perfusiones domiciliarias.
- El paciente no debe verse afectado por un estado avanzado de la enfermedad que le ponga en mayor riesgo de complicaciones que requieran medidas de reanimación médica avanzadas solo disponibles en un entorno hospitalario.
- El paciente ha tolerado bien la perfusión en un entorno hospitalario o ambulatorio y no tiene antecedentes de RAP de moderadas a severas durante algunos meses.

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

En principio, las instrucciones iniciales y la formación del profesional sanitario encargado de la perfusión se proporcionarán de acuerdo con la reglamentación local, y las proporcionará el centro sanitario o el profesional sanitario pertinente.

2.2 DISPOSICIÓN DEL PACIENTE

A continuación, se presentan los puntos que prueban la correcta disposición del paciente que debe ser evaluada por parte del PS prescriptor al momento de indicar la terapia domiciliaria:

- El paciente o el/los cuidador(es) han sido informados sobre el tratamiento, los riesgos asociados y la provisión de asistencia médica en el domicilio, como reacciones de hipersensibilidad y errores de medicación.
- El paciente o el/los cuidador(es) han aceptado la administración de la terapia domiciliaria.
- El paciente o el/los cuidador(es) conocen la enfermedad y pueden reconocer acontecimientos adversos como reacciones de hipersensibilidad y errores de medicación en el contexto de la perfusión domiciliaria, y conocen el procedimiento que se debe seguir en caso de que se produzcan.
- El entorno doméstico debe ser propicio, incluido un entorno limpio con electricidad, agua, acceso telefónico, refrigeración y espacio físico para permitir el almacenamiento de Myozyme® y otros suministros para la perfusión.
- El paciente/cuidador debe saber que la perfusión debe administrarse siempre en presencia de un profesional sanitario experimentado, es decir, el profesional sanitario encargado de la infusión debe recibir formación adecuada sobre cómo actuar en caso de reacción asociada a la perfusión (RAP).
- El paciente debe ser capaz física y mentalmente de recibir las perfusiones en el domicilio.
- El paciente tiene acceso venoso o un dispositivo de acceso venoso central que permite una perfusión adecuada.
- El paciente debe cumplir con la monitorización periódica de la enfermedad según lo requiera el profesional sanitario prescriptor del tratamiento.
- 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. El paciente/cuidador debe completar este Diario, conservarla en su domicilio y mostrársela al profesional sanitario responsable del tratamiento durante las visitas de seguimiento periódicas.

2.3 PROFESIONALES SANITARIOS PRESCRIPTORES DE MYOZYME®

El profesional sanitario prescriptor del tratamiento es responsable del inicio de todas las acciones administrativas necesarias que permitirán que las otras partes implicadas

(paciente o cuidador(es), profesional sanitario encargado de la perfusión, farmacia) continúen. Es también su responsabilidad garantizar una administración segura al paciente con el fin de evitar riesgos de errores de medicación en el contexto de la perfusión domiciliaria y mitigar el riesgo de RAP, en particular las reacciones de hipersensibilidad.

- Informará al paciente o cuidador(es) sobre la enfermedad, el tratamiento y el procedimiento de perfusión domiciliaria. A su vez, evaluará la Disposición del paciente.
- Determinará la velocidad de perfusión y la dosis. La velocidad de perfusión de Myozyme® tolerada por el paciente anteriormente en el centro médico correspondiente no se cambiará, a menos que sea necesario debido a consideraciones de seguridad.
- Recetará el medicamento, así como todo el equipo necesario para la administración del mismo.
- Determinará la necesidad de administrar tratamiento previo a la perfusión, así como todos los detalles (lugar, medicamentos, prescripciones). Este tratamiento no debe alterarse en el entorno domiciliario, a menos que esté médicamente justificado según su criterio.
- Prescribirá de manera específica por paciente, el tratamiento de urgencia en caso de RAP. El profesional sanitario encargado de la perfusión debe recibir instrucciones (p. ej., en un diario de registro o equivalente) y un plan de urgencia documentado antes de organizar la perfusión domiciliaria. Además, el equipo de reanimación cardiopulmonar debe estar fácilmente disponible durante la perfusión. El profesional sanitario prescriptor del tratamiento debe asegurarse de que se disponga de una línea de comunicación rápida y fiable para el profesional sanitario encargado de la perfusión para acelerar una respuesta de urgencia en caso de que se requiera atención médica inmediata.
- Monitorizará periódicamente y de forma adecuada las perfusiones.
- Después de que el paciente experimente reacciones adversas, es posible que las perfusiones posteriores tengan que realizarse en un hospital o en un entorno adecuado de atención ambulatoria hasta que no se produzca dicha reacción adversa y el profesional sanitario responsable del tratamiento determine que es aceptable volver a las perfusiones domiciliarias.

3 INFORMACIÓN PARA PROFESIONALES SANITARIOS QUE ADMINISTRAN MYOZYME®

3.1 PROFESIONALES SANITARIOS QUE ADMINISTRAN MYOZYME®

- El profesional sanitario encargado de la perfusión tendrá una función de coordinación con el profesional sanitario prescriptor del tratamiento y el paciente o cuidador(es) en la organización del tratamiento. Deberá estar cualificado para administrar perfusiones intravenosas y haber recibido la formación adecuada sobre la enfermedad de Pompe y la administración de Myozyme®. Además, contará con formación para reconocer y tratar las RAP que puedan ocurrir.
- Antes de la perfusión, evaluará al paciente para comprobar su estado general y detectar cualquier afección que pudiera interferir en la perfusión. Cualquier anomalía debe anotarse en el diario. Si el paciente tiene alguna enfermedad aguda, se debe consultar al profesional prescriptor antes de continuar con la perfusión.
- Deberá seguir estrictamente el procedimiento de preparación y administración de Myozyme® y controlar la perfusión, según lo indicado por el profesional prescriptor. Verificará la presencia de la premedicación prescrita, la medicación de urgencia y el equipo. A su vez, controlará al paciente un tiempo especificado después de la misma, dependiendo de la tolerancia del paciente antes de comenzarla.
- No cambiará la dosis del medicamento y el protocolo de perfusión (velocidad, duración y pasos de la perfusión) indicado por el profesional prescriptor, a menos que sea necesario por consideraciones de seguridad.
- Documentará cada perfusión del tratamiento en un libro de registro o equivalente y lo compartirá con el profesional prescriptor de forma periódica según lo acordado.
- En caso de aparición de un acontecimiento adverso, como reacciones de hipersensibilidad, errores de medicación en el entorno de la perfusión domiciliaria o RAP, durante o después de la misma, deberá seguir las medidas de urgencia específicas del paciente proporcionadas por el profesional prescriptor. Esto puede incluir la interrupción temporal o la suspensión de la perfusión.
- En caso de acontecimientos adversos, se pondrá en contacto de inmediato con el profesional prescriptor o llamará al número nacional de urgencias. Asimismo, lo documentará en el Diario del paciente.

3.2 ADMINISTRACIÓN DE MYOZYME

Las instrucciones de uso relacionadas con la reconstitución, dilución y administración se pueden encontrar en la Ficha Técnica (FT) de Myozyme®. En esta sección se proporciona una descripción detallada.

3.2.1 Prescripción

El profesional sanitario prescriptor del tratamiento determinará:

- la dosis de Myozyme®. Dado que este se receta en una dosis dependiente del peso corporal, es importante monitorizar el peso del paciente regularmente para garantizar la administración correcta del medicamento. El profesional sanitario prescriptor del tratamiento determina cómo proceder en caso de cambios en el peso corporal

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 volumen reconstituido necesario,
- el volumen de perfusión. Para mitigar el riesgo de errores de medicación en el entorno de la perfusión domiciliaria, la determinación correcta del volumen de perfusión es de gran importancia y debe definirla el profesional prescriptor.

- la velocidad de perfusión,
- Así como la necesidad de medicación previa y la que se requiera en caso de urgencia.

Debe documentarse cualquier cambio en la prescripción (dosis o velocidad de perfusión), por parte del profesional sanitario responsable de este tratamiento, que es el único que podrá realizar estas modificaciones en el tratamiento.

3.2.2 Productos de farmacia y equipo de perfusión

Todo el equipo de perfusión y de farmacia necesarios se proporcionarán de acuerdo con las disposiciones y reglamentos locales.

3.2.3 Suministros

El profesional sanitario prescriptor del tratamiento proporcionará la medicación y los siguientes suministros al profesional sanitario encargado de la perfusión con la prescripción adecuada.

- Viales con Myozyme® 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 Myozyme®.
- 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.



3.2.4 Preparación

Antes de comenzar la preparación de Myozyme[®], el profesional sanitario encargado de la perfusión debe evaluar el estado médico del paciente, incluidas las constantes vitales y los signos de fiebre o infección. Los pacientes con una enfermedad subyacente aguda, incluida una infección respiratoria que pueda provocar dificultad respiratoria en el momento de la infusión parecen tener un mayor riesgo de RAP. En tales casos, la perfusión no debe realizarse y el tratamiento debe reanudarse cuando el paciente se haya recuperado por completo, a criterio del profesional prescriptor.

Antes de la reconstitución, también 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 administrar inmediatamente después de su reconstitución.

- El profesional sanitario encargado de la perfusión debe asegurarse de que los viales alcanzan la temperatura ambiente antes de preparar la solución, que se puede realizar mientras se coloca la vía intravenosa. Los viales deben retirarse del frigorífico y dejarse a un lado durante, aproximadamente, 30 minutos para que alcancen la temperatura ambiente.

- Compruebe 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.
- Compruebe si los viales presentan discromía, partículas extrañas y fecha de caducidad. No utilice los viales después de la fecha de caducidad indicada en la etiqueta.

3.2.5 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 la utilice.
- Se recomienda diluir el principio activo inmediatamente después de la reconstitución.

3.2.6 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 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 $1200 \text{ mg} / 5 \text{ mg/ml} = 240 \text{ ml}$. 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

3.2.7 Administración

- Una vez que Myozyme® 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 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 Myozyme® 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.

El profesional sanitario prescriptor del tratamiento determinará la dosis de Myozyme®, la velocidad de perfusión y cualquier cambio. El tratamiento no debe alterarse en el entorno domiciliario, a menos que esté médicamente justificado según el criterio del profesional prescriptor. La perfusión y cualquier observación deben documentarse en un libro de registro o equivalente.

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

PESO CORPORAL DEL PACIENTE (kg)	VOLUMEN TOTAL DE PERFUSIÓN (ml)	PASO 1	PASO 2	PASO 3	PASO 4
		1 mg/kg/h	3 mg/kg/h	5 mg/kg/h	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

Nota: Los pacientes con una función cardíaca o respiratoria deteriorada tienen el riesgo de una hipervolemia relacionada con la perfusión que puede provocar un deterioro grave de la afección cardíaca o respiratoria hasta el punto de insuficiencia cardiorrespiratoria. El incremento progresivo de la velocidad de perfusión se realiza cada 30 minutos y solo se puede considerar en ausencia de reacciones asociadas a la perfusión.

3.3 REACCIONES ASOCIADAS A LA PERFUSIÓN

3.3.1 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 y que se evalúe como potencialmente relacionado causalmente con la administración de este medicamento.

Las RAP pueden ocurrir en cualquier momento durante o unas pocas horas después de la perfusión y es más probable que ocurran a velocidades de perfusión más altas.

También se han notificado reacciones de hipersensibilidad, incluida la anafilaxia, en pacientes tratados con Myozyme®.

La Tabla 1 ilustra los signos y síntomas observados de RAP/hipersensibilidad/reacciones anafilácticas.

Tabla 1: Signos y síntomas observados de RAP/hipersensibilidad/reacciones anafilácticas

Clase de órganos y sistemas	Signo/síntoma*
Musculoesquelético	Artralgia Espasmos musculares Mialgia
Respiratorio	Apnea Broncoespasmo Dificultad respiratoria Disnea Edema laríngeo Estridor Hipoxia Irritación de la garganta Parada respiratoria Opresión en la garganta Reducción/disminución de la saturación de oxígeno Sibilancias Taquipnea Tos
Cardiovascular	Bradycardia Cianosis Hipertensión Hipotensión Palidez Palpitaciones Paro cardíaco Rubor Taquicardia Vasoconstricción
Cutáneo	Ampollas Discromía transitoria de la piel Eritema Erupción cutánea Hiperhidrosis

Clase de órganos y sistemas	Signo/síntoma*
	Livedo reticular Prurito Urticaria
Sistema nervioso	Agitación Dolor de cabeza Dolor Inquietud Mareos Parestesia Somnolencia Temblor
Gastrointestinal	Arcadas Diarrea Disfagia Dispepsia Dolor abdominal Náuseas Vómitos
Ocular	Aumento del lagrimeo Conjuntivitis Edema periorbitario

Clase de órganos y sistemas	Signo/síntoma*
Trastornos generales y alteraciones en el lugar de la administración	Angioedema Astenia Edema facial Edema periférico Escalofríos Fatiga Irritabilidad Malestar general Molestias/dolor en el pecho Pirexia Reacciones en el lugar de la perfusión (incluidos dolor, inflamación, induración, extravasación, eritema, urticaria y prurito) Sensación de calor/frío Sensación de frío periférico
*Los signos y síntomas se ordenan alfabéticamente y no por frecuencia.	

- Se pueden administrar antihistamínicos, antipiréticos o corticoesteroides para prevenir o reducir las RAP. Sin embargo, aún pueden producirse RAP en los pacientes después de recibir el tratamiento previo.
- Los pacientes con una enfermedad subyacente aguda en el momento de la perfusión de Myozyme® pueden tener un mayor riesgo de RAP. Los pacientes con enfermedad de Pompe avanzada pueden tener una función cardíaca y respiratoria comprometida, lo que puede predisponerlos a un mayor riesgo de complicaciones graves por las reacciones asociadas a la perfusión.
- Los pacientes con una función cardíaca o respiratoria deteriorada tienen el riesgo de una hipervolemia relacionada con la perfusión que puede provocar un deterioro grave de la afección cardíaca o respiratoria hasta el punto de insuficiencia cardiorrespiratoria.
- Los pacientes deben ser monitorizados después de la perfusión durante un periodo de tiempo definido por el profesional sanitario prescriptor del tratamiento.

3.3.2 ACCIONES RECOMENDADAS PARA EL MANEJO DE LAS REACCIONES ADVERSAS

La mayoría de las RAP y las reacciones de hipersensibilidad notificadas fueron leves o moderadas y se trataron con prácticas clínicas estándar (consulte la FT del medicamento para obtener más detalles) [1].

Deben aplicarse las medidas adecuadas para el apoyo y la monitorización de urgencias según lo determine el profesional sanitario prescriptor del tratamiento de acuerdo con el plan de urgencia individual del paciente.

Si el paciente experimenta RAP, incluidas reacciones de hipersensibilidad y anafilácticas durante la perfusión domiciliaria, el proceso de perfusión debe interrumpirse inmediatamente, pero no eliminarse, y se deben seguir las medidas indicadas en el plan de urgencia individual basándose en la gravedad de la RAP, es decir, suspensión temporal o completa, e inicio de tratamiento médico adecuado si es necesario.

Véanse la [Figura 1](#) y la [Figura 2](#) para conocer el tratamiento clínico ilustrativo de los acontecimientos adversos leves/moderados o severos.

Es posible que las perfusiones posteriores tengan que realizarse en un hospital o en un entorno adecuado de atención ambulatoria hasta que no se produzca dicha reacción adversa y el profesional sanitario responsable del tratamiento determine que es aceptable volver a las perfusiones domiciliarias.

La dosis y la velocidad de perfusión no deben cambiarse para las perfusiones posteriores sin consultarlo con el profesional sanitario prescriptor del tratamiento.

Figura 1: Tratamiento clínico de reacciones leves a moderadas.

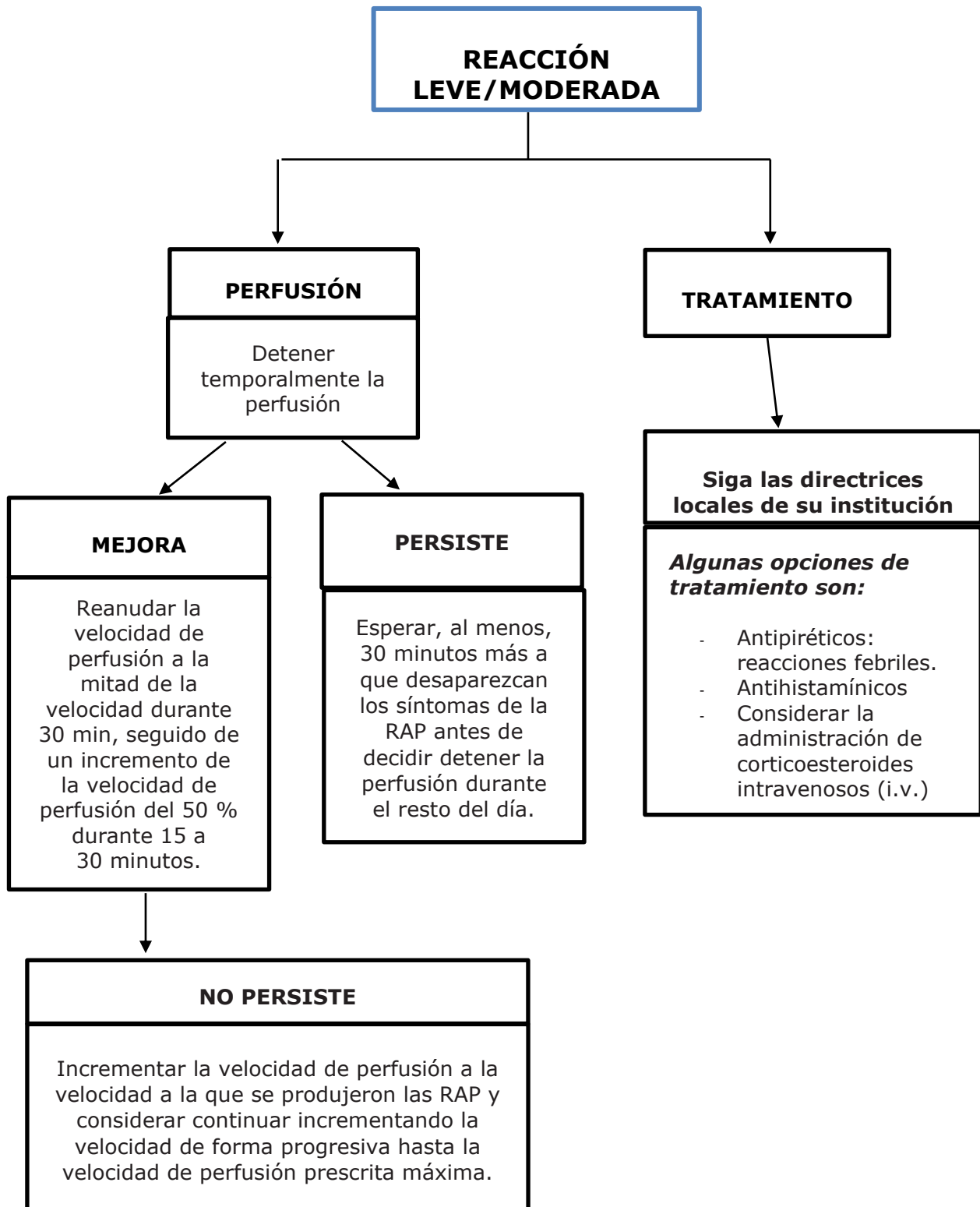
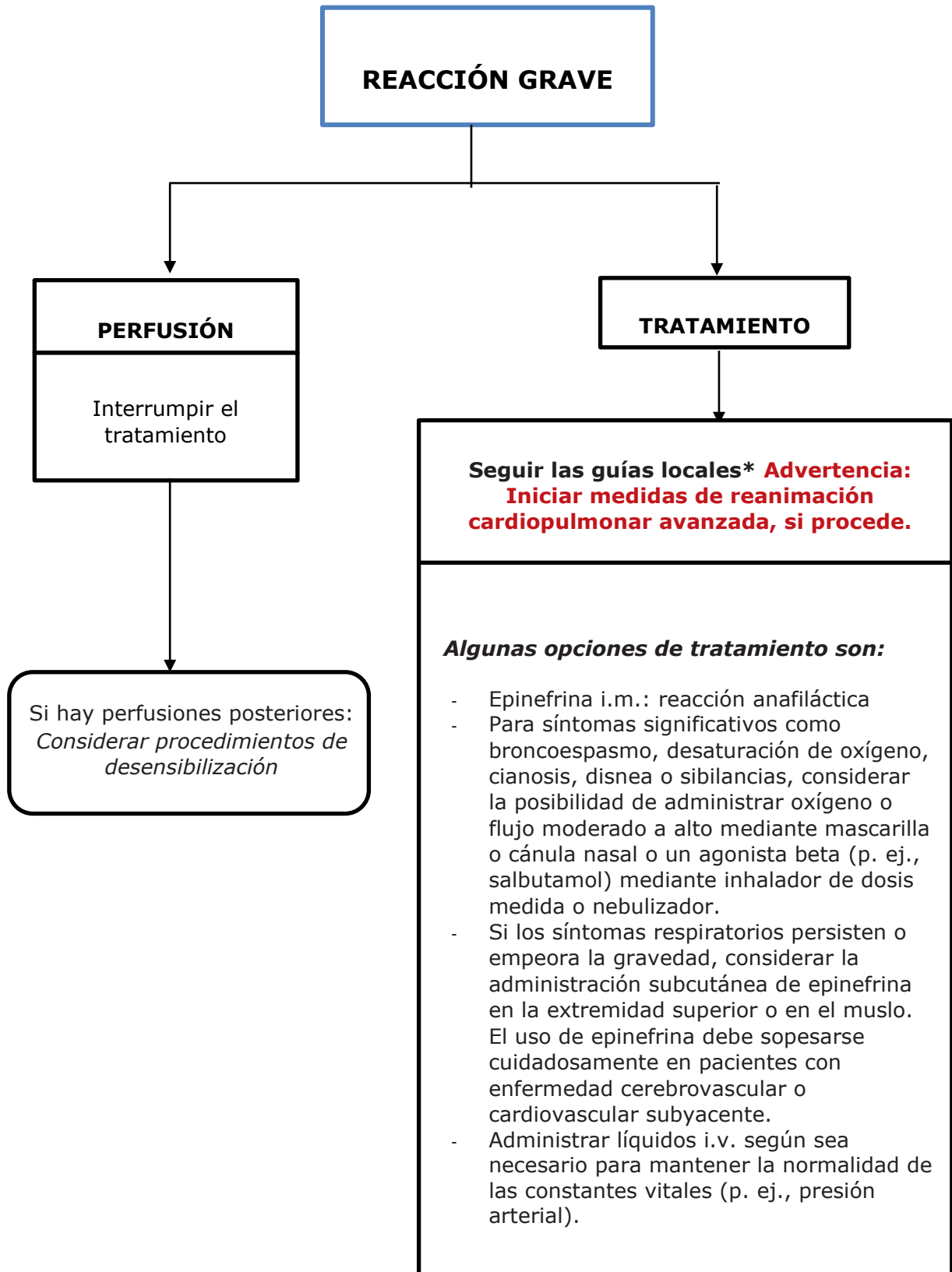


Figura 2: Tratamiento clínico de reacciones graves, p. ej., reacciones de hipersensibilidad/anafilácticas



*Las contraindicaciones siempre deben sopesarse frente al beneficio o la necesidad de usar adrenalina para salvar la vida en caso de reacciones anafilácticas amenazantes para la vida.

3.4 NOTIFICACIÓN DE SOSPECHAS DE REACCIONES ADVERSAS

Se recuerda la importancia de notificar las sospechas de reacciones adversas 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.

4 BIBLIOGRAFÍA

1. Ficha Técnica de Myozyme®: https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/myozyme-epar-product-information_en.pdf
2. Ditters IAM, van der Beek NAME, Brusse E, van der Ploeg AT, van den Hout JMP, Huidekoper HH. Home-based enzyme replacement therapy in children and adults with Pompe disease; a prospective study. *Orphanet J Rare Dis.* 2023 May 8;18(1):108.
3. Fiumara A, Lanzafame G, Sapuppo A, Arena A, Cirnigliaro L, Barone R. Positive Impact of Home ERT for Mucopolysaccharidoses and Pompe Disease: The Lesson Learnt from the COVID-19 Pandemic. *Healthcare (Basel).* 2023 Apr 19;11(8):1176.
4. Heinrich R, Claus F, Schoenfelder T. The patients` perspective on home-based infusion: A longitudinal observational study in the German healthcare setting for patients with lysosomal storage disorders treated with enzyme replacement therapy. *Mol Genet Metab Rep.* 2023 Mar 29;35:100971.