

# Guía para pacientes y cuidadores sobre la administración domiciliar de ▼Pombiliti (cipaglucosidasa alfa)

Lea esta información conjuntamente con el prospecto del producto disponible en: [https://cima.aemps.es/cima/dochtml/p/1221714001/P\\_1221714001.html](https://cima.aemps.es/cima/dochtml/p/1221714001/P_1221714001.html).

Información sobre prevención de riesgos acordada con la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). *Abril 2024*

Disponible en la página web de la AEMPS [www.aemps.gob.es](http://www.aemps.gob.es)

- ▼ Este medicamento está sujeto a seguimiento adicional, es importante comunicar los efectos adversos que pudiera usted tener. Puede consultar la forma de hacerlo en el prospecto del medicamento.

## IMPORTANTE

Este manual contiene información de seguridad importante que debe conocer sobre su tratamiento con Pombiliti. Debe leer toda la información exhaustivamente antes de iniciar la terapia domiciliaria.

**Conserve este documento en un lugar de fácil acceso, ya que puede tener que volver a leerlo.**

- Si tiene alguna duda, consulte a su médico.
- Este medicamento se le ha recetado solamente a usted, y no debe dárselo a otras personas, aunque tengan los mismos síntomas que usted, ya que puede perjudicarles.
- Si desarrolla algún efecto adverso, usted/su cuidador deberán notificarlo a su médico o personal responsable de administrar la perfusión.
- Para más información, consulte el prospecto incluido con su medicamento y accesible en:

[https://cima.aemps.es/cima/dochtml/p/1221714001/P\\_1221714001.html](https://cima.aemps.es/cima/dochtml/p/1221714001/P_1221714001.html)

# ÍNDICE

1

**Terapia domiciliaria con Pombiliti**

---

4

2

**Aspectos generales del tratamiento en el domicilio**

---

2.1 Profesional sanitario encargado de la perfusión

5

2.2 Pretratamiento y tratamiento de urgencia

6

---

3

**Reacciones adversas**

---

7

3.1 Notificación de efectos adversos

8

---

4

**Diario de perfusiones para la terapia domiciliaria de Pombiliti (cipaglucosidasa alfa)**

---

9

# 1 TERAPIA DOMICILIARIA CON POMBILITI

El objetivo de este documento es proporcionarle asesoramiento sobre cómo debe administrarse Pombiliti en su domicilio.

Algunas personas con enfermedad de Pompe que están siendo tratadas con Pombiliti pueden recibir las perfusiones en su domicilio.

Su médico valorará el tratamiento domiciliario tras administrar las primeras perfusiones en el hospital y confirmar que no le generan reacciones adversas relevantes tras varios meses de administración. Asimismo, tendrá en cuenta otros aspectos, como si usted padece otras enfermedades o la capacidad de cumplir los requisitos de la perfusión domiciliaria.

La terapia domiciliaria se realizará bajo la dirección del médico y la administrará un profesional sanitario adecuadamente formado que se encargará de monitorizarle durante y después de cada perfusión.



**Nota:** La dosis y la velocidad de perfusión en el domicilio deben regirse por las guías proporcionadas por el médico responsable del tratamiento según lo dispuesto en el diario de perfusiones, y no se debe cambiar sin el acuerdo previo del médico responsable del tratamiento y la supervisión del profesional sanitario encargado de realizar la perfusión.

## 2

# ASPECTOS GENERALES DEL TRATAMIENTO EN EL DOMICILIO

La administración de Pombiliti en el entorno domiciliario, se realizará una vez el médico responsable del tratamiento haya comprobado si el paciente en cuestión cumple una serie de requisitos. Se le propondrá este tipo de administración, y usted deberá aceptar. El médico responsable del tratamiento es el encargado de la organización y supervisión global de esta administración.

- El domicilio debe ser propicio para la administración del tratamiento mediante terapia domiciliaria, siendo un entorno limpio con electricidad, agua, acceso telefónico, refrigeración y espacio físico para poder guardar los suministros para las perfusiones.
- Usted/su cuidador ha sido informado de que la perfusión siempre tiene que administrarse en presencia de un profesional sanitario adecuadamente formado, como por ejemplo, personal de enfermería.
- Debe tener la capacidad física y mental para recibir las perfusiones en el domicilio.
- Tiene venas sanguíneas accesibles que permiten la inserción de una aguja de perfusiones o dispone de un dispositivo de acceso venoso central.

### 2.1 El profesional sanitario encargado de la perfusión:

- Llevará a cabo la **coordinación** junto con el médico responsable del tratamiento y usted/su médico para la organización del tratamiento en el domicilio.
- Estará **calificado para administrar perfusiones intravenosas (i.v.)**.
- Habrá recibido **formación con respecto a la administración de Pombiliti**.
- **Conocerá los posibles efectos adversos** (incluyendo reacciones alérgicas graves) y cómo proceder en caso de que aparezcan.
- **Seguirá las indicaciones para la preparación y administración de Pombiliti** según lo dispuesto en la guía para profesionales sanitarios.
- **Cumplirá estrictamente con la dosis y velocidad de perfusión de Pombiliti prescritas** conforme a lo indicado en la guía para profesionales sanitarios.

- Registrará cada administración de Pombiliti en el diario de perfusiones.
- Será el responsable de establecer una pauta apropiada y realizar el seguimiento de las perfusiones.

## 2.2 Pretratamiento y tratamiento de urgencia

### Diario de perfusiones

- Al final de esta Guía se incluye un Diario de perfusiones para la terapia domiciliar de Pombiliti (cipaglucosidasa alfa) que se utilizará como medio de comunicación entre todas las personas implicadas en la administración de Pombiliti en el domicilio.
- El diario de perfusiones se debe conservar en el domicilio y usted, su cuidador, su médico responsable del tratamiento y/o el profesional sanitario encargado de la perfusión se encargarán de actualizarlo.
- Le administrarán Pombiliti según la dosis y velocidad de perfusión exactas que haya decidido su profesional sanitario y esté recogido en el diario de perfusiones.
- Todas las administraciones de Pombiliti en el domicilio deben registrarse en el diario de perfusiones.
- Usted y/o su cuidador deben llevar el diario de perfusiones al hospital en cada cita médica para su comprobación y, posteriormente, se lo llevarán de vuelta al domicilio.
- En el diario de perfusiones, el médico responsable del tratamiento debe indicar claramente qué es lo que hay que hacer y administrar en caso de observarse un efecto adverso de la perfusión.
- Todos los errores en la medicación y/o efectos adversos asociados a la perfusión se deben registrar en el diario de perfusiones.

### 3 REACCIONES ADVERSAS

Al igual que cualquier otro medicamento, este puede producir efectos adversos, aunque no todas las personas los desarrollen. En los estudios clínicos se observaron reacciones asociadas a la perfusión que consisten en efectos adversos principalmente en el momento de recibir el tratamiento o poco después. La mayoría de estas reacciones fueron leves o moderadas. Algunas de las reacciones adversas asociadas a la perfusión o al medicamento pueden ser graves o potencialmente mortales.

Los síntomas de [reacciones asociadas a la perfusión](#) graves o potencialmente mortales son:

- Dificultad para respirar
- Hinchazón (agrandamiento)
- Fiebre
- Escalofríos
- Mareos
- Enrojecimiento y picor en piel
- Sarpullido

Los síntomas de [reacciones alérgicas](#) graves o potencialmente mortales son:

- Sarpullido
- Hinchazón (agrandamiento) de los ojos
- Dificultad para respirar prolongada
- Tos
- Hinchazón (agrandamiento) de los labios, la lengua o la garganta
- Picor en la piel
- Urticaria

Su médico u otro de los profesionales sanitarios involucrados en su tratamiento, establecerán si se tiene que administrar algún tipo de medicación antes de su perfusión de Pombiliti. Esta medicación pueden ser antihistamínicos orales (medicamentos que disminuyen las reacciones alérgicas), antipiréticos (medicamentos que disminuyen la fiebre) y/o corticosteroides (medicamentos que disminuyen los procesos inflamatorios).

En el caso de que ocurra una reacción adversa moderada, se puede disminuir la velocidad de perfusión o bien se puede interrumpir temporalmente para tratarla.

Su médico puede tomar la decisión de reducir la velocidad de perfusión o administrarle otros medicamentos para evitar la reaparición de dichas reacciones.

Si no se siente bien debido a la medicación durante la terapia domiciliaria o poco después de su administración:

- Indíquelo al responsable de la administración
  - El responsable de la administración la interrumpirá inmediatamente.
  - Se contactará con el médico responsable del tratamiento, su persona designada o los servicios de urgencia (ver instrucciones en el diario de perfusiones) de inmediato.
  - Puede que las perfusiones posteriores deban administrarse en el hospital o un entorno clínico hasta que su médico prescriptor considere que ya tolera bien las perfusiones.
- Si no se siente bien por cualquier otro motivo (p. ej., tiene un resfriado o una enfermedad que se parece a la gripe), debe informar a su médico o al profesional sanitario para la terapia domiciliaria. Es posible que la perfusión se deba reprogramar.

### 3.1 Notificación de efectos adversos

Si experimenta cualquier tipo de efecto adverso, consulte a su médico o farmacéutico, incluso si se trata de posibles efectos adversos que no aparecen en el prospecto. También puede comunicarlos directamente a través del Sistema Español de Farmacovigilancia de medicamentos de Uso Humano: <https://www.notificaRAM.es>.

→ Asimismo, puede notificarlo también llamando directamente al número gratuito (+34) 900 941 616 o contactando por correo electrónico: [drugsafety@amicusrx.com](mailto:drugsafety@amicusrx.com).

# Diario de perfusiones para la terapia domiciliaria de Pombiliti (cipaglucosidasa alfa)

Si experimenta cualquier tipo de efecto adverso, consulte a su médico o farmacéutico, incluso si se trata de posibles efectos adversos que no aparecen en el prospecto. También puede comunicarlos directamente a través del Sistema Español de Farmacovigilancia de medicamentos de Uso Humano: <https://www.notificaRAM.es>.

<b>DATOS DE LA ADMINISTRACIÓN</b> (A CUMPLIMENTAR POR EL MÉDICO RESPONSABLE DEL TRATAMIENTO)	
Fecha de la primera administración	
Primera perfusión en el domicilio	

<b>PAUTA POSOLÓGICA DE POMBILITI</b>	
Dosis de Pombiliti	
Dosis de miglustat	
Frecuencia	
Velocidad de perfusión	
Volumen de reconstitución requerido (ml)	
Volumen total en la bolsa de perfusión (ml)	
Medicamentos antes del tratamiento (si fuera aplicable)	
Actividades realizadas en el domicilio por el profesional sanitario encargado de la perfusión	

## **ACCIONES NECESARIAS EN CASO DE REACCIÓN ASOCIADA A LA PERFUSIÓN GRAVE O REACCIÓN DE HIPERSENSIBILIDAD**

(A CUMPLIMENTAR POR EL MÉDICO RESPONSABLE DEL TRATAMIENTO)

**1°** Detener la perfusión

**2°** Llamar a los servicios de urgencias

**3°** Llamar al médico responsable del tratamiento

Número de teléfono

Nombre del médico

Nombre del centro

Dirección

**4°** Medicamento para urgencias

Medicación (incluyendo dosis)

**5°** Persona de contacto del paciente

Nombre

Teléfono

### **CUMPLIMENTAR ESTE FORMULARIO PARA CADA SESIÓN DE PERFUSIÓN**

Se ha informado al paciente/cuidador de los riesgos asociados a la terapia domiciliar de Pombiliti, y se ha proporcionado una formación adecuada con respecto al uso de medicamentos para urgencias. En caso de una reacción asociada a la perfusión, se interrumpirá inmediatamente la administración. Las acciones necesarias en caso de una reacción asociada a la perfusión grave, incluyendo los datos de contacto en situaciones urgentes, se describen en el diario de perfusiones. Conservar esta información en un lugar de fácil acceso durante la perfusión.

<b>Fecha de la primera administración</b>	
<b>Primera perfusión en el domicilio</b>	
<b>SESIÓN DE PERFUSIÓN</b>	
<b>Fecha de la perfusión</b>	
<b>Profesional sanitario encargado de la perfusión</b>	
<b>Cuidador, si estuviera presente</b>	
<b>DOSIS</b>	
<b>Dosis de miglustat</b>	
<b>Hora de la dosis de miglustat</b>	
<b>Dosis de Pombiliti</b>	
<b>Peso del paciente (kg)</b>	
<b>Número de lote de Pombiliti</b>	
<b>Hora de inicio de la perfusión de Pombiliti</b>	
<b>Volumen de reconstitución requerido (ml)</b>	
<b>Número de viales utilizados</b>	
<b>Duración de la perfusión</b>	
<b>Velocidad de perfusión</b>	
<b>Problemas/Comentarios relacionados con la perfusión, si los hubiera (incluyendo reacciones asociadas a la perfusión, acción tomada y resultado):</b>	
<b>Actividades realizadas en el domicilio por el profesional sanitario encargado de la perfusión:</b>	

### **CUMPLIMENTAR ESTE FORMULARIO PARA CADA SESIÓN DE PERFUSIÓN**

Se ha informado al paciente/cuidador de los riesgos asociados a la terapia domiciliar de Pombiliti, y se ha proporcionado una formación adecuada con respecto al uso de medicamentos para urgencias. En caso de una reacción asociada a la perfusión, se interrumpirá inmediatamente la administración. Las acciones necesarias en caso de una reacción asociada a la perfusión grave, incluyendo los datos de contacto en situaciones urgentes, se describen en el diario de perfusiones. Conservar esta información en un lugar de fácil acceso durante la perfusión.

<b>Fecha de la primera administración</b>	
<b>Primera perfusión en el domicilio</b>	

<b>SESIÓN DE PERFUSIÓN</b>	
<b>Fecha de la perfusión</b>	
<b>Profesional sanitario encargado de la perfusión</b>	
<b>Cuidador, si estuviera presente</b>	

<b>DOSIS</b>	
<b>Dosis de miglustat</b>	
<b>Hora de la dosis de miglustat</b>	
<b>Dosis de Pombiliti</b>	
<b>Peso del paciente (kg)</b>	
<b>Número de lote de Pombiliti</b>	
<b>Hora de inicio de la perfusión de Pombiliti</b>	
<b>Volumen de reconstitución requerido (ml)</b>	
<b>Número de viales utilizados</b>	
<b>Duración de la perfusión</b>	
<b>Velocidad de perfusión</b>	

**Problemas/Comentarios relacionados con la perfusión, si los hubiera (incluyendo reacciones asociadas a la perfusión, acción tomada y resultado):**

**Actividades realizadas en el domicilio por el profesional sanitario encargado de la perfusión:**

### **CUMPLIMENTAR ESTE FORMULARIO PARA CADA SESIÓN DE PERFUSIÓN**

Se ha informado al paciente/cuidador de los riesgos asociados a la terapia domiciliar de Pombiliti, y se ha proporcionado una formación adecuada con respecto al uso de medicamentos para urgencias. En caso de una reacción asociada a la perfusión, se interrumpirá inmediatamente la administración. Las acciones necesarias en caso de una reacción asociada a la perfusión grave, incluyendo los datos de contacto en situaciones urgentes, se describen en el diario de perfusiones. Conservar esta información en un lugar de fácil acceso durante la perfusión.

<b>Fecha de la primera administración</b>	
<b>Primera perfusión en el domicilio</b>	

<b>SESIÓN DE PERFUSIÓN</b>	
<b>Fecha de la perfusión</b>	
<b>Profesional sanitario encargado de la perfusión</b>	
<b>Cuidador, si estuviera presente</b>	

<b>DOSIS</b>	
<b>Dosis de miglustat</b>	
<b>Hora de la dosis de miglustat</b>	
<b>Dosis de Pombiliti</b>	
<b>Peso del paciente (kg)</b>	
<b>Número de lote de Pombiliti</b>	
<b>Hora de inicio de la perfusión de Pombiliti</b>	
<b>Volumen de reconstitución requerido (ml)</b>	
<b>Número de viales utilizados</b>	
<b>Duración de la perfusión</b>	
<b>Velocidad de perfusión</b>	

**Problemas/Comentarios relacionados con la perfusión, si los hubiera (incluyendo reacciones asociadas a la perfusión, acción tomada y resultado):**

**Actividades realizadas en el domicilio por el profesional sanitario encargado de la perfusión:**

### **CUMPLIMENTAR ESTE FORMULARIO PARA CADA SESIÓN DE PERFUSIÓN**

Se ha informado al paciente/cuidador de los riesgos asociados a la terapia domiciliar de Pombiliti, y se ha proporcionado una formación adecuada con respecto al uso de medicamentos para urgencias. En caso de una reacción asociada a la perfusión, se interrumpirá inmediatamente la administración. Las acciones necesarias en caso de una reacción asociada a la perfusión grave, incluyendo los datos de contacto en situaciones urgentes, se describen en el diario de perfusiones. Conservar esta información en un lugar de fácil acceso durante la perfusión.

<b>Fecha de la primera administración</b>	
<b>Primera perfusión en el domicilio</b>	
<b>SESIÓN DE PERFUSIÓN</b>	
<b>Fecha de la perfusión</b>	
<b>Profesional sanitario encargado de la perfusión</b>	
<b>Cuidador, si estuviera presente</b>	
<b>DOSIS</b>	
<b>Dosis de miglustat</b>	
<b>Hora de la dosis de miglustat</b>	
<b>Dosis de Pombiliti</b>	
<b>Peso del paciente (kg)</b>	
<b>Número de lote de Pombiliti</b>	
<b>Hora de inicio de la perfusión de Pombiliti</b>	
<b>Volumen de reconstitución requerido (ml)</b>	
<b>Número de viales utilizados</b>	
<b>Duración de la perfusión</b>	
<b>Velocidad de perfusión</b>	
<b>Problemas/Comentarios relacionados con la perfusión, si los hubiera (incluyendo reacciones asociadas a la perfusión, acción tomada y resultado):</b>	
<b>Actividades realizadas en el domicilio por el profesional sanitario encargado de la perfusión:</b>	

### **CUMPLIMENTAR ESTE FORMULARIO PARA CADA SESIÓN DE PERFUSIÓN**

Se ha informado al paciente/cuidador de los riesgos asociados a la terapia domiciliar de Pombiliti, y se ha proporcionado una formación adecuada con respecto al uso de medicamentos para urgencias. En caso de una reacción asociada a la perfusión, se interrumpirá inmediatamente la administración. Las acciones necesarias en caso de una reacción asociada a la perfusión grave, incluyendo los datos de contacto en situaciones urgentes, se describen en el diario de perfusiones. Conservar esta información en un lugar de fácil acceso durante la perfusión.

<b>Fecha de la primera administración</b>	
<b>Primera perfusión en el domicilio</b>	
<b>SESIÓN DE PERFUSIÓN</b>	
<b>Fecha de la perfusión</b>	
<b>Profesional sanitario encargado de la perfusión</b>	
<b>Cuidador, si estuviera presente</b>	
<b>DOSIS</b>	
<b>Dosis de miglustat</b>	
<b>Hora de la dosis de miglustat</b>	
<b>Dosis de Pombiliti</b>	
<b>Peso del paciente (kg)</b>	
<b>Número de lote de Pombiliti</b>	
<b>Hora de inicio de la perfusión de Pombiliti</b>	
<b>Volumen de reconstitución requerido (ml)</b>	
<b>Número de viales utilizados</b>	
<b>Duración de la perfusión</b>	
<b>Velocidad de perfusión</b>	
<b>Problemas/Comentarios relacionados con la perfusión, si los hubiera (incluyendo reacciones asociadas a la perfusión, acción tomada y resultado):</b>	
<b>Actividades realizadas en el domicilio por el profesional sanitario encargado de la perfusión:</b>	