



## Indicaciones, eficacia y seguridad de Myozyme

*Myozyme ya está disponible en el mercado de muchos países del mundo para los pacientes de Pompe. Para muchas personas, como para ti, el simple hecho de que exista un tratamiento para luchar contra los síntomas de la enfermedad de Pompe es una buena noticia. Sin embargo, antes de poder comenzar el tratamiento con Myozyme que, probablemente, seguirás toda la vida, debes saber si eres un candidato potencial para recibirlo y si el medicamento te lo reembolsarán. Si ya te han diagnosticado la enfermedad de Pompe, la respuesta será probablemente un "sí". Por otro lado y como es natural, te preocupará la eficacia y la seguridad del tratamiento tanto si es para ti, tu hijo o algún miembro de tu familia. Genzyme ha dirigido diferentes estudios clínicos con el fin de evaluar la seguridad y la eficacia de Myozyme, y continúa actualmente realizando estudios que investigan como mejorar el tratamiento. Este folleto contiene información para ayudarte a tomar decisiones meditadas después de haberte informado bien sobre tu posible tratamiento con Myozyme.*



### **P** ¿Quién debe recibir tratamiento con Myozyme?

**R** Myozyme es un tratamiento enzimático sustitutivo (TSE) para la enfermedad de Pompe. En Europa el prospecto de Myozyme dice: *Myozyme está indicado como terapia de sustitución enzimática de por vida para pacientes con diagnóstico confirmado de padecer la enfermedad de Pompe (déficit de alfa glucosidasa ácida). Los beneficios de*

*Myozyme en pacientes que presentan la forma tardía de la enfermedad de Pompe no se han establecido todavía.*

En Estados Unidos, el prospecto de Myozyme dice: *Myozyme (alfa alglucosidasa) está indicada para usarla en pacientes con la enfermedad de Pompe (deficiencia de GAA). Se ha comprobado que Myozyme mejora la supervivencia sin ventilación asistida en los pacientes afectados por la forma infantil de la enfermedad de Pompe siendo comparados*



### **Otros nombres para la enfermedad de Pompe**

Deficiencia de alfa-glucosidasa ácida, deficiencia de maltasa ácida, glucogenosis tipo II, deficiencia lisosomal de alfa glucosidasa.

## Indicaciones, eficacia y seguridad de Myozyme (continuar)

---

*con los datos existentes de bebés no tratados. Sin embargo, la utilización de Myozyme en pacientes que presentan otras formas de la enfermedad de Pompe no se ha estudiado todavía de manera adecuada para asegurar su seguridad y eficacia.*

El prospecto en Canadá es similar al de Estados Unidos.

### **P** ¿Cuáles son los resultados de los ensayos clínicos con Myozyme?

**R** Se han realizado diversos ensayos clínicos dirigidos a bebés y a enfermos de más edad afectados por la enfermedad de Pompe. Los resultados obtenidos en muchos de estos estudios han hecho posible la aprobación de Myozyme en la Unión Europea, Estados Unidos y Canadá, y, serán utilizados con el fin de facilitar la aprobación de Myozyme en otros países a lo largo de los próximos años

Un estudio clínico pivote, iniciado en 2003, fue particularmente interesante para demostrar la eficacia y seguridad de Myozyme. En este estudio el 83% de los pacientes tratados con Myozyme estaban vivos y no necesitaban ningún tipo de asistencia respiratoria invasiva a la edad de 18 meses, comparado con el 2% de los pacientes del grupo histórico. El ensayo incluía 18 bebés afectados por la enfermedad de Pompe. Estos pacientes comenzaron a recibir la terapia a la edad de 6 meses o menos. Aproximadamente el 39% de los pacientes tratados con Myozyme tuvieron reacciones alérgicas, de ligeras a moderadas,

asociadas a la infusión. Dos pacientes presentaron reacciones alérgicas severas relacionadas con la infusión.

En un segundo ensayo clínico, se incluyeron 21 bebés más mayores y niños pequeños afectados por una progresión más rápida y en un estadio más avanzado de la enfermedad de Pompe (la edad comprendida era de 6 meses a 3'5 años). Estos pacientes recibieron 20 mg/kg de Myozyme cada 2 semanas durante 52 semanas (26 perfusiones). Después de 52 semanas de tratamiento los resultados mostraron una tasa de supervivencia del 73% con respecto a una tasa del 37% de un grupo de referencia sin tratar. De 10 pacientes que no necesitaban asistencia respiratoria invasiva al comienzo del estudio, el 50% de ellos continuaron sin necesitarla después de las 52 semanas de tratamiento.

Para obtener más información sobre los ensayos clínicos con Myozyme consulta las siguientes páginas web:  
[www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) y  
[www.worldpompe.org](http://www.worldpompe.org)

### **P** ¿Cuál es la eficacia de Myozyme?

**R** La gran mayoría de los bebés afectados por la enfermedad de Pompe tratados con Myozyme presentaron una mejoría de la función cardíaca y una estabilización o mejoría de los parámetros de la curva de crecimiento.

Las respuestas motoras y respiratorias al tratamiento fueron más variables. Los bebés afectados por la enfermedad de Pompe que

## Indicaciones, eficacia y seguridad de Myozyme (continuar)

---

mostraron una mejoría a nivel motor fueron aquellos que su punto de partida presentaba una mejor preservación de la función motora y una cantidad de glucógeno menor en los cuádriceps al comienzo de los ensayos clínicos. Una proporción alta de los pacientes que obtuvieron mejores resultados a nivel motor mostraron también estabilidad o mejoría en los parámetros de la curva de crecimiento (especialmente en el peso). La mayoría de los bebés independientemente de los resultados obtenidos a nivel motor u otros parámetros medidos al comienzo de los ensayos clínicos presentaron una inversión de la cardiomiopatía (un problema del músculo cardíaco).

Los resultados indican que para los bebés afectados por la enfermedad de Pompe cuanto más precoz sea el diagnóstico y el comienzo del tratamiento con Myozyme mayores serán las posibilidades de obtener resultados positivos.

**P** ¿Cuál es la seguridad de Myozyme? (Ver también el apartado dedicado a las precauciones relativas al tratamiento)

**R** No se ha realizado ningún estudio formal para determinar si Myozyme puede interactuar con otros medicamentos. Sin embargo, como Myozyme es una proteína humana recombinante es muy poco probable que haya interacciones entre Myozyme y otros medicamentos.

No se ha realizado ningún estudio sobre la capacidad de conducir vehículos o de usar máquinas si se administra Myozyme. No se ha hecho ninguna prueba para conocer la interacción de Myozyme y las bebidas alcohólicas.

Salvo necesidad absoluta, Myozyme no debe administrarse durante el embarazo. Se aconseja también no alimentar a los bebés con leche materna si la madre está recibiendo tratamiento con Myozyme puesto que la enzima alfa glucosidasa pasa a la leche materna.

Una asistencia médica apropiada debe ser fácilmente accesible mientras se recibe el tratamiento con Myozyme. Para obtener información más detallada sobre los posibles efectos secundarios de Myozyme visita las siguientes páginas web:

Si vives en Europa consulta la dirección [www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPA\\_R/myozyme/myozyme.htm](http://www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPA_R/myozyme/myozyme.htm). (Para leer esta información en Español sigue entonces las instrucciones en la publicación *Fuentes de información complementarias de Treatment Edition* en pagina 7)

Si vives en Estados Unidos o en otro país fuera de Europa:  
<http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/>

---

Esta publicación tiene como objetivo difundir información general sobre los temas que se tratan. Se distribuye como un servicio público de la Asociación Internacional de Pompe, esta asociación no ofrece servicios médicos ni otro tipo de servicios profesionales. La medicina es una ciencia en continua evolución. El error humano y los cambios en la práctica impiden garantizar una precisión absoluta en temas tan complejos. Estas informaciones deben confirmarse con otras fuentes, principalmente con tu médico. Por favor, recuerda que la eficacia de Myozyme varía de una persona a otra.