



## Preparación, administración y monitorización de Myozyme

*La primera vez que recibas Myozyme, vivirás probablemente una experiencia totalmente nueva. Seguramente te plantearás muchas preguntas - y con razón. Después de todo, nunca te habías visto en una situación como ésta. Te preguntarás, por ejemplo: ¿Qué debo esperar del tratamiento? ¿Qué aspecto tiene Myozyme? ¿Cómo me lo pondrán? ¿Qué puedo hacer si no me gusta nada que me pinchen? ¿Cuánto tiempo durarán las infusiones? ¿Qué puedo hacer mientras recibo las infusiones? Considera este folleto como una primera etapa en la búsqueda de respuestas a tus preguntas sobre cómo se prepara y administra Myozyme, qué aspecto tiene y cuáles son las posibles reacciones de tu organismo. Asegúrate de anotar todas aquellas preguntas que quieras hacer y habla con tu médico antes de comenzar el tratamiento.*



### **P** ¿Cómo se prepara Myozyme?

**R** Myozyme se presenta en un vial de cristal que se conserva en la nevera hasta su utilización. Es un polvo de color blanco o blanco roto. Un farmacéutico reconstituye (mezcla) vial por vial de Myozyme en agua estéril antes de ser administrado al paciente. Cuando está mezclado, Myozyme tiene el aspecto de una solución transparente, incolora o amarillo pálido (ocasionalmente se pueden ver

algunas partículas en la solución ya mezclada, pero no influyen en la eficacia del tratamiento). Para evitar que las partículas de proteína penetren en el organismo, es necesario poner un filtro entre el sistema que se emplea para la infusión y tu cuerpo. Una vez que Myozyme se ha preparado, la solución permanece estable y disponible un corto período de tiempo para ser administrada al paciente. El proceso de preparación puede llevar varias horas, dependiendo del número de viales que se empleen.

### Otros nombres para la enfermedad de Pompe

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

## Preparación, administración y monitorización de Myozyme (continuar)

---

### **P** ¿Cómo se administra Myozyme?

**R** Después de haberlo mezclado en agua, Myozyme se introduce en una bolsa especial para perfusiones y después se inyecta al paciente por vía intravenosa (en la sangre). Antes de administrarte Myozyme, tu enfermera o médico te explicarán todo el proceso. Durante la infusión te monitorizarán atentamente para observar si tienes alguna reacción adversa al tratamiento y así poder intervenir de la forma adecuada si fuera necesario. Es posible que durante la infusión alguna partícula de proteína tapone el filtro. Si esto ocurriera la máquina de perfusión avisaría emitiendo una alarma sonora y el filtro debería cambiarse.

Al final de cada sesión de tratamiento es importante que el sistema de la infusión se “limpie” con un suero salino (una solución de cloruro de sodio en agua estéril) para garantizar que la totalidad de Myozyme ha pasado completamente por el equipo y se ha administrado al paciente.

La cantidad de Myozyme que recibas dependerá de tu peso corporal. La dosis recomendada es de 20mg/kg de peso corporal y administrada cada 2 semanas. En algunos estudios clínicos los pacientes de Pompe han recibido dosis de hasta 40mg/kg de peso corporal.

El procedimiento normal consiste en insertar el sistema de perfusión en una de tus venas. Esta operación se realiza sin problemas si tus venas son buenas y fácilmente accesible. Sin embargo, algunos pacientes tienen venas

muy finas o de difícil acceso. Los bebés y los niños suelen tener venas muy finas. Para estos pacientes un port-a-cath o un PICC line puede ser una opción.

El port-a-cath se implanta bajo la piel. Es un dispositivo pequeño que permite recibir las infusiones sin pinchazos. La ventaja es que así hay un acceso fácil a las venas. El inconveniente de este tipo de dispositivo es que hay un mayor riesgo de infección con respecto a una infusión intravenosa clásica.

Un PICC line es un tubo largo, fino y flexible llamado cateter. Se inserta en una de las venas grandes del brazo, cerca del pliegue del codo. Después se conduce hasta que la punta se sitúa en una vena grande que hay justo encima del corazón. El PICC line puede utilizarse para administrar el tratamiento con Myozyme. Puede utilizarse también para extraer análisis de sangre. El PICC line se puede dejar puesto durante varias semanas o meses. De esta forma se puede recibir el tratamiento sin que sea necesario efectuar pinchazos frecuentes. El inconveniente que se presenta una vez más es el riesgo superior de contraer infecciones.

Si tus venas son de difícil acceso, podría ser una buena idea que hablaras con tu médico sobre estas opciones.

**P** Y si tengo venas de fácil acceso, pero me dan miedo los agujas ¿qué se puede hacer?

**R** Cada persona reacciona de forma distinta ante las agujas. No creas que eres la única persona que teme los pinchazos frecuentes. Lo más importante es que tengas presente que los profesionales sanitarios están ahí para ayudarte. Coméntales tus temores antes de empezar la infusión. Si quieres más información sobre cómo manejar el miedo a las agujas puedes descargar el folleto titulado “*Needle fear*” de la página web de la International Pompe Association:

[www.wordlpompe.org/NeedleFear.pdf](http://www.wordlpompe.org/NeedleFear.pdf)

**P** ¿Cómo se desarrolla una infusión de Myozyme?

**R** La infusión de Myozyme durará generalmente de 4 a 5 horas por sesión. Cuando vayas a recibir el tratamiento por primera vez, tu médico te explicará el procedimiento a seguir y tomará nota de toda la información médica relevante sobre tu estado físico. Tal vez, tengas que esperar un momento antes de comenzar infusión, en ningún caso deberás esperar demasiado puesto que Myozyme se debe usar enseguida una vez que la mezcla está lista. Cuando llegue, conectarán Myozyme al sistema de perfusión intravenoso y éste irá colocado a la bomba electrónica especial que se encargará de infundir el tratamiento en tu cuerpo.

Durante la sesión de tratamiento puedes leer, ver la televisión, hacer ejercicio o simplemente permanecer acostado y relajarte. Los niños pueden jugar, leer o ver un video. Si lo necesitas puedes ir al baño. El especialista que esté contigo te monitorizará y observará a medida que la infusión progrese. No dudes en comunicarle cómo te sientes y hazle saber si te preocupa algo.

**P** ¿Qué pasa si tengo una reacción alérgica durante la infusión?

**R** La mayoría de los efectos secundarios que se han presentado durante la administración de Myozyme han sido de ligeros a moderados. Entre las reacciones más frecuentes se encuentran: náuseas, vómitos, dolor de cabeza, tos y agitación. Si tienes una reacción ligera o pasajera, la infusión puede continuar. Si la reacción es más severa, se debe disminuir la velocidad de la infusión o pararla inmediatamente.

Algunos pacientes toman antes de la infusión un antiestamínico oral o un antipirético. Esta medida preventiva ayuda a controlar las reacciones menores.

Si no te encuentras bien o tienes fiebre antes de recibir el tratamiento es importante que se lo digas al médico o a la enfermera. Los efectos secundarios pueden aparecer con mayor rapidez si no te encuentras bien.

## Preparación, administración y monitorización de Myozyme (continuar)

---

Además, hay que tener en cuenta que como con todo tratamiento médico existe siempre un riesgo de reacción alérgica. Si tuvieras una reacción alérgica severa, el especialista que esté contigo parará inmediatamente la infusión y te administrará los cuidados médicos apropiados.

Una asistencia médica apropiada debe ser fácilmente accesible mientras recibes la infusión de Myozyme. Para obtener información más detallada sobre los posibles efectos secundarios de Myozyme, consulta las siguientes páginas web:

Si vives en Europa:

[www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm](http://www.emea.eu.int/humandocs/Humans/EPAR/myozyme/myozyme.htm)

(Para leer esta información en Español sigue entonces las instrucciones en la publicación *Fuentes de información complementarias de Treatment Edition* en página 7)

Si vives en Estados Unidos o en otro país que no esté en Europa:

[www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.LabelApprovalHistory](http://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/drugsatfda/index.cfm?fuseaction=Search.LabelApprovalHistory).

### **P** ¿Cómo me encontraré los días siguientes a la infusión?

**R** Justo después de la infusión y en el transcurso de la tarde-noche puedes sentirte cansado. Es normal, pasarse un día entero en el hospital te puede hacer sentir aletargado. Volverás a tener energía y a sentirte mucho mejor después de unos días. Algunos pacientes se sienten activos y con energía todo el tiempo entre infusión e infusión. Otros, sin embargo, sienten un declive de energía justo antes de la siguiente infusión. Cada persona responde de forma diferente antes y después de las infusiones.

---

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.