



Resultados del tratamiento con Myozyme

Recibir la terapia de sustitución enzimática con Myozyme va a ser sin duda una experiencia que alterará en cierto modo tu vida, no sólo a nivel físico sino también a nivel mental y emocional. A corto plazo te preocuparás por los detalles de la organización de tus citas para recibir el tratamiento y por las dudas que se plantean antes y después del tratamiento. Pero también es importante que te pares a pensar en cómo vas a abordar los efectos del tratamiento a largo plazo. ¿Qué harás si los beneficios del tratamiento tardan en aparecer más de lo previsto? ¿Cómo te plantearás los eventuales altos y bajos de tu estado de ánimo? ¿Cómo vas a enfocar tu futuro, teniendo en cuenta que el tratamiento con Myozyme prolongará probablemente tu vida? Este folleto te ofrece información sobre lo que puedes esperar y sobre cómo podéis prepararos tú y tu familia de la mejor forma posible.



P ¿Qué deberíamos esperar del tratamiento mi familia, mis amigos y yo mismo?

R Puede ocurrir que no notes inmediatamente los beneficios de Myozyme; sin embargo, Myozyme está trabajando en tu cuerpo a medida que se va distribuyendo por el organismo. Es posible

que necesites varias infusiones, repartidas a lo largo de varios meses, antes de que comiences a notar alguna diferencia. Esto es porque Myozyme es una sustancia de sustitución enzimática. Myozyme reemplaza la enzima alfa-glucosidasa que es deficiente o nula en tu organismo. Antes de que el alfa-glucosidasa de Myozyme empiece a mostrar sus efectos positivos, tiene que realizar cierto trabajo. El alfa-glucosidasa debe limpiar



Otros nombres para la enfermedad de Pompe

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

Resultados del tratamiento con Myozyme (continuar)

parte del exceso de glucógeno que está acumulado en tus músculos y tejidos. Esta tarea le lleva un tiempo. La cantidad de tiempo depende de la severidad de tu situación. Cuanto menos severo sea tu estado más rápido podrías observar una mejoría. Incluso, algunos pacientes afectados severamente por la enfermedad de Pompe que comenzaron a tratarse con Myozyme a través del programa de acceso extendido notaron una mejoría. Algunos de estos pacientes señalan que notan como su deterioro se frena. Hay pacientes que declaran tener más energía, respirar mejor, tener más apetito y tragar con más facilidad. Para leer las historias de estos pacientes que viven con la enfermedad de Pompe y su experiencia con Myozyme visita la página web de la International Pompe Association (Asociación Internacional de Pompe): www.worldpompe.org/testimonials.html.

Es importante que recuerdes que cada persona reacciona de forma diferente a la enzima. No hay garantías de que Myozyme tenga el mismo efecto en todas las personas.

P ¿Cuál sería la mejor manera de enfocar mis expectativas respecto al tratamiento con Myozyme?

R Los beneficios del tratamiento con Myozyme no son visibles en un día. Es posible que transcurran varios meses para constatar una mejoría, y algunos pacientes pueden no experimentar resultados visibles. Puede que cuando empieces el tratamiento estés muy animado y que con el paso del tiempo este entusiasmo decaiga. Tal vez, te

resulte difícil mantener la moral alta todo el tiempo y se te haga cuesta arriba continuar con los ejercicios físicos que te han mandado hacer. Puedes incluso dudar o estar impaciente. Todas estas reacciones son normales.

El desafío consiste en mantenerse positivo a pesar de los altibajos que inevitablemente tendrás. Hay que tener en cuenta que recibir el tratamiento de Myozyme es un gran paso adelante y te ofrece un nuevo porvenir. De hecho, disponer de un tratamiento para la enfermedad de Pompe es una experiencia increíble y sin precedente. Así que mantén alta la moral y piensa en todas las cosas buenas que puede aportarte el tratamiento-la oportunidad de mejorar la respiración, la movilidad, una mejor calidad de vida y más tiempo para compartir con tu familia y tus amigos.

Cuando empieces a notar una mejoría de tu estado físico, no abandones tu tabla de ejercicios ni tu dieta sana. Este enfoque te permitirá aprovechar al máximo el tratamiento con Myozyme. Podrías pensar en probar nuevos ejercicios (respiratorios, por ejemplo) que no eras capaz de hacer antes de comenzar con el tratamiento. Por supuesto, debes asegurarte de que estos ejercicios los supervise un experto, un fisioterapeuta o un ortofonista. Si no experimentas ninguna mejoría habla con tu especialista.

P ¿Cómo puedo planear mi futuro?

R En el pasado, si te hubieran diagnosticado la enfermedad de Pompe hubieras visto delante de ti un futuro lleno de desafíos físicos y emocionales. Si puedes recibir el tratamiento con Myozyme es probable que tu deterioro se reduzca y que notes ciertas mejoras físicas.

La disponibilidad del tratamiento requiere una modificación de tu estado de ánimo. Aunque nadie sabe con exactitud qué beneficios obtendrás del tratamiento con Myozyme, puedes considerar, sin lugar a dudas, el futuro con una perspectiva diferente. Gracias al tratamiento vivirás probablemente más tiempo. Por consiguiente, incluso si Myozyme tarda un tiempo en mostrar sus efectos positivos, puedes utilizar ese tiempo para adaptar tu estado de ánimo a la nueva situación y a pensar más a largo plazo. Tal vez puedes plantearte el tener una vivienda adaptada, en la evolución de tu carrera profesional, en tu jubilación, en las relaciones a largo plazo, y en los servicios de rehabilitación. Vivir con la enfermedad de Pompe tiene ya un nuevo enfoque que implica adaptarse de la forma más positiva posible a vivir con una enfermedad crónica.

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.