



VIMIZIM[®]
(elosulfase alfa)

VIMIZIM[®] (elosulfase alfa):
**LA BASE DEL MANEJO
DE MORQUIO A**



**Una guía exhaustiva para
ayudarle a manejar su afección**

INDICACIÓN

VIMIZIM[®] (elosulfase alfa) está indicado para pacientes que tienen mucopolisacaridosis de tipo IVA (MPS IVA; síndrome de Morquio A).

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

Durante las infusiones de VIMIZIM pueden presentarse reacciones alérgicas potencialmente mortales, llamadas anafilaxia. Los signos típicos de la anafilaxia son tos, sarpullido, opresión en la garganta, urticaria, rubor, cambios del color de la piel, baja presión arterial, falta de aliento, dolor de pecho y síntomas gastrointestinales como náuseas, dolor abdominal, arcadas y vómitos. Comuníquese con su médico o busque asistencia médica de inmediato si estos síntomas se producen durante las infusiones de VIMIZIM o posteriormente. Si usted tiene una enfermedad respiratoria, tal vez corra el riesgo de que su afección empeore repentinamente y quizás requiera una mayor vigilancia.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

BIOMARIN





USTED DESEMPEÑA UNA FUNCIÓN CLAVE EN EL MANEJO DE SU MORQUIO A



Obtenga los mejores cuidados posibles

Esta guía está diseñada para ayudarle a entender las estrategias del manejo de Morquio A. Esta información se basa en el documento “Recommendations for the Management of MPS IVA: Systematic Evidence- and Consensus-Based Guidance”. Estas guías fueron creadas por un panel de médicos expertos y con práctica en el manejo de la gama completa de síntomas asociados a Morquio A.

Estos expertos recomiendan manejar Morquio A mediante una estrategia combinada:

- Inicio de la terapia de reemplazo enzimático (TRE) para retrasar o detener la acumulación de glicosaminoglicanos (GAG)
- Evaluaciones sistemáticas de síntomas específicos para darles sus respectivos tratamientos

La información contenida en esta guía podrá ayudarles a usted y a su equipo de profesionales de la salud a estar mejor preparados para tomar decisiones críticas sobre su salud.

“Nunca es demasiado tarde, ni siquiera a los 40 años”.

—FANNY, 40 AÑOS

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.



VIMIZIM® (elosulfasa alfa): el único tratamiento que actúa sobre la causa de Morquio A

VIMIZIM es una terapia de reemplazo enzimático (TRE) que actúa para restablecer el funcionamiento de células dañadas o debilitadas por Morquio A.

Consulte esta guía para ayudarse a entender cómo actúa VIMIZIM y cómo incorporarlo a su plan de manejo integral.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

VIMIZIM®
(elosulfase alfa)

CONOZCA LOS HECHOS ACERCA DE MORQUIO A

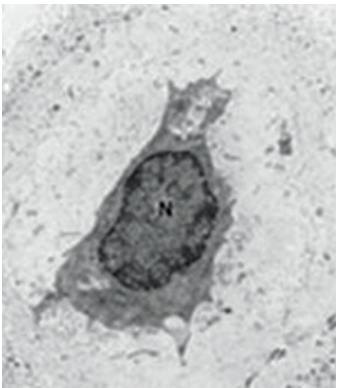


¿Qué es Morquio A?

Morquio A es una enfermedad hereditaria infrecuente y progresiva que afecta a los principales aparatos y sistemas de órganos del cuerpo. Se trata de una clase de mucopolisacaridosis (MPS), que es un tipo de trastorno de depósito lisosómico.

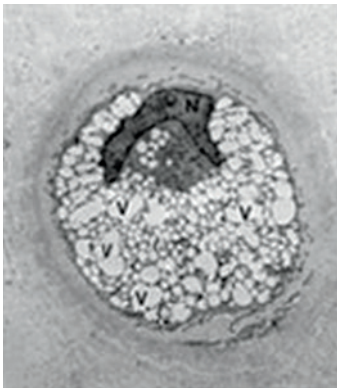
Las enzimas son proteínas que realizan ciertas funciones específicas en el cuerpo. Las personas con Morquio A no elaboran una cantidad suficiente de una enzima específica llamada *N*-acetilgalactosamina-6-sulfatasa (GALNS), que descompone y recicla unos desechos celulares llamados glicosaminoglicanos (GAG). Si el cuerpo no produce una cantidad suficiente de la enzima, los GAG se acumulan en los tejidos, los huesos y los órganos principales del cuerpo.

CÉLULA NORMAL



La GALNS descompone y recicla los GAG.

CÉLULA CON MORQUIO A



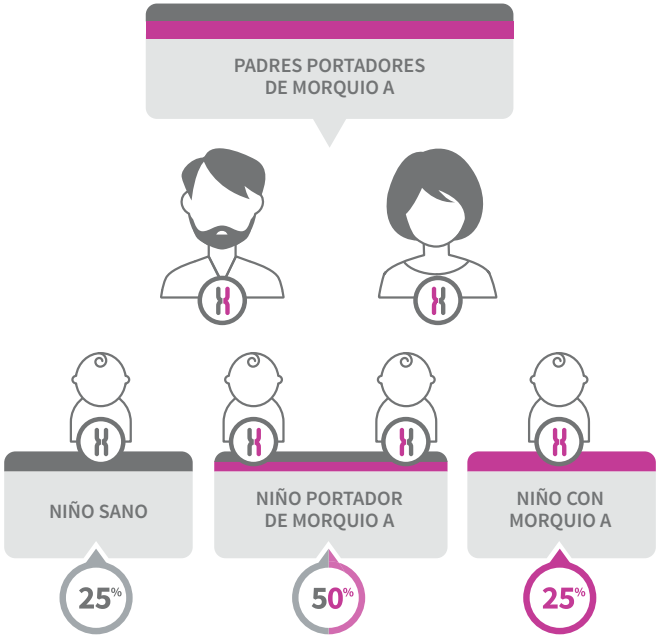
Sin una cantidad suficiente de GALNS, los GAG se acumulan en las células de todo el cuerpo.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.



¿Cuál es la causa de Morquio A?

Morquio A es una enfermedad heredada en forma recesiva. Esto significa que ambos progenitores deben tener una mutación genética (llamada también “variante”) en el gen *GALNS* para que sus hijos puedan verse afectados por el síndrome de Morquio A.



Si dos progenitores portadores tienen hijos, cada embarazo tiene una probabilidad del 25% (1/4) de transmitir la enfermedad de Morquio A a ese niño.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.



VIMIZIM
(elosulfase alfa)

SIGNOS Y SÍNTOMAS DE MORQUIO A



¿Cómo me afectará Morquio A?

Morquio A es una afección progresiva, lo cual significa que sus síntomas empeoran con el tiempo; también es heterogénea, lo cual significa que los signos, los síntomas y la gravedad son distintos en cada persona.



En muchas personas con Morquio A, los signos o síntomas pueden aparecer ya a los 2 o 3 años de edad; otras personas quizás no presenten síntomas iniciales (como rigidez de la cadera y dolor) sino hasta la segunda década de su vida.

Aunque Morquio A tiene un efecto diferente en cada persona, es frecuente que cause complicaciones como huesos de forma extraña, columna vertebral curva, piernas en X y crecimiento irregular del tórax.

Es importante saber que Morquio A no afecta la capacidad para pensar y aprender.

SIGNOS Y SÍNTOMAS

ÓSEOS

- Anomalías óseas
- Tronco corto
- Debilidad del cuello
- Compresión de la médula espinal
- Piernas en X
- Hiperflexibilidad de las articulaciones
- Anomalías de la marcha
- Problemas de la columna vertebral
- Deformidades torácicas

NO ÓSEOS

- Problemas respiratorios
- Problemas de las válvulas cardíacas
- Debilidad muscular
- Problemas oculares
- Pérdida de la audición
- Problemas dentales
- Agrandamiento del hígado
- Agrandamiento del bazo
- Poca energía

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

Los síntomas de Morquio A empeoran con el tiempo

La acumulación de GAG en las células del organismo puede afectar muchos de los aparatos o sistemas corporales. Ya que los síntomas de Morquio A podrían empeorar con el tiempo, es importante detectarlos en sus etapas iniciales para garantizar un tratamiento oportuno que retarde o detenga la acumulación de GAG.

Las personas que tienen Morquio A y baja resistencia física podrían tener dificultades para realizar las actividades habituales. La resistencia se refiere a cuánto puede una persona aguantar esfuerzos físicos. Es una medida de qué tan bien funciona el cuerpo como un todo: desde el corazón y los pulmones hasta los huesos y los músculos. Ya que Morquio A afecta múltiples partes del cuerpo, es imprescindible contar con un equipo de especialistas que ayude a manejar los cuidados médicos.



La resistencia física disminuyó con el tiempo en las personas con Morquio A



En un estudio de observación de 2 años, las personas con Morquio A presentaron **un deterioro continuo de la resistencia física.**

Las personas con Morquio A caminaron 21.9 metros menos de lo que habían recorrido al inicio del estudio, según la prueba de caminata de 6 minutos (6WMT; prueba que mide la distancia que una persona puede recorrer en 6 minutos).



En el mismo estudio, las personas con Morquio A sufrieron **un deterioro de la mayoría de las medidas de la capacidad respiratoria.**

La función respiratoria (medida según las pruebas de funcionamiento pulmonar) reveló un deterioro en casi todas las medidas de la capacidad respiratoria de las personas al cabo de 2 años en comparación con los valores de referencia.

Este estudio no fue diseñado para determinar el efecto del tratamiento con VIMIZIM® (elosulfasa alfa); se desconoce el efecto que VIMIZIM pueda haber tenido en estas personas.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

VIMIZIM®
(elosulfase alfa)

HÁGASE CARGO DE SU MORQUIO A CON VIMIZIM® (elosulfasa alfa)



VIMIZIM MEJORA LA RESISTENCIA MEDIDA CON LA PRUEBA DE CAMINATA 6MWT

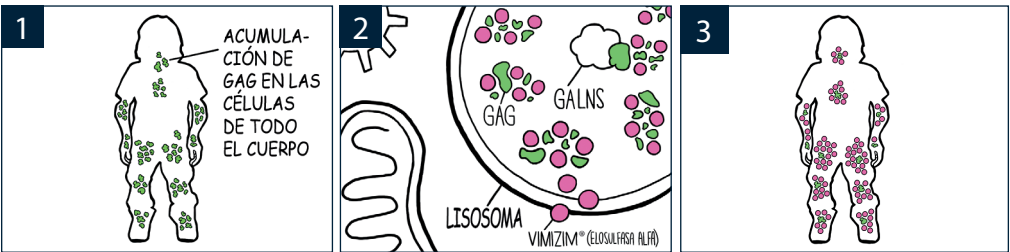


¿Qué es VIMIZIM?

VIMIZIM es la única terapia de reemplazo enzimático (TRE) aprobada por la Administración de Medicamentos y Alimentos de EE. UU. para el tratamiento de personas afectadas por Morquio A. VIMIZIM se fabricó para reponer la enzima GALNS que falta en las personas con Morquio A.

¿Cómo actúa VIMIZIM?

Las personas que tienen Morquio A carecen de suficiente actividad enzimática de la GALNS. VIMIZIM puede reponer la enzima que falta y así restablecer parte de la función de las células.



En las personas con Morquio A, los GAG se acumulan en los lisosomas de las células de tejidos y órganos de todo el cuerpo, lo que podría dar lugar a serios problemas.

Una infusión semanal de VIMIZIM compensa la deficiencia de la enzima GALNS que el cuerpo necesita para ayudar a reducir la acumulación de ciertos GAG.

Al recibir VIMIZIM todas las semanas, las personas con Morquio A pueden reducir la acumulación de ciertos GAG.

¿Cómo se administra VIMIZIM?

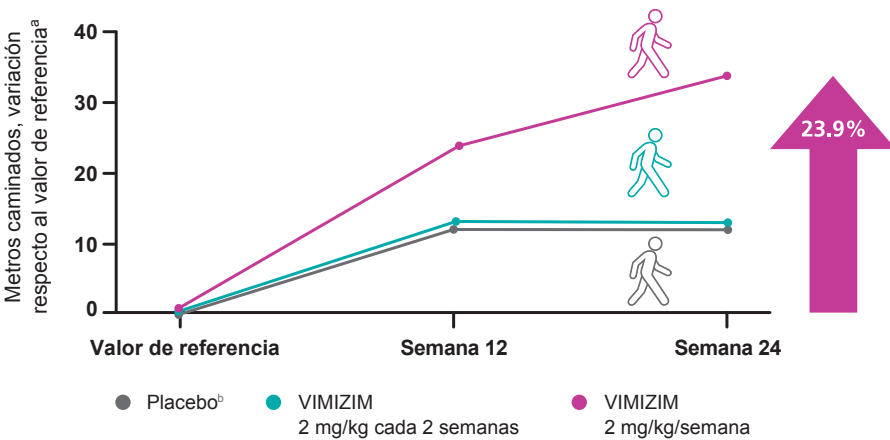
VIMIZIM se administra por infusión intravenosa (i.v.) directamente en una vena del cuerpo. Las infusiones tienen lugar una vez por semana y pueden tardar al menos 3.5 a 4.5 horas. Al principio usted recibirá las infusiones en un centro de infusiones; más adelante quizás pueda hacer trámites para que se las administren en su casa.



Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

VIMIZIM es la única TRE que trata la causa de Morquio A, y quizás le ayude a ir más lejos

En un ensayo clínico de 6 meses, las personas que recibieron infusiones semanales de VIMIZIM mejoraron su resistencia física según la prueba 6MWT.



- Este gráfico muestra que, al final de un ensayo de 24 semanas, las personas tratadas con VIMIZIM una vez por semana caminaron en promedio una distancia 23.9% mayor que el valor de referencia.
- Las personas que recibieron VIMIZIM cada dos semanas no mostraron mucha mejoría, y sus resultados fueron similares a los de quienes recibieron un placebo.

Información importante de seguridad destacada

Durante cualquier infusión de VIMIZIM puede producirse la anafilaxia, desde apenas 30 minutos después del comienzo de la infusión y hasta 3 horas más tarde, e incluso en etapas tan tardías del tratamiento como en la infusión 47. Se han observado reacciones de hipersensibilidad ya a los 30 minutos después del comienzo de la infusión y hasta 6 días después.

^aEl valor de referencia es una medida del rendimiento de una persona antes de comenzar a recibir un tratamiento en un ensayo clínico. Para poder participar en el ensayo clínico de VIMIZIM, las personas debían ser capaces de caminar entre 30 y 325 metros.

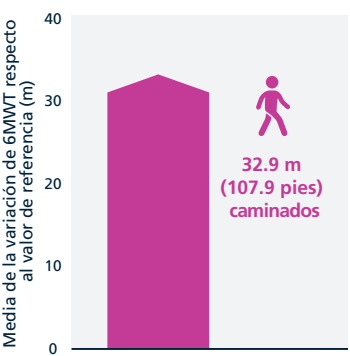
^bUn placebo es una sustancia que no contiene medicamento.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

VIMIZIM®
(elosulfase alfa)

VIMIZIM® (elosulfasa alfa) PUEDE APORTAR BENEFICIOS DURADEROS

Mantenerse bajo tratamiento con VIMIZIM una vez por semana puede ayudar a conservar o mejorar la resistencia física y la capacidad respiratoria



Mayor resistencia física

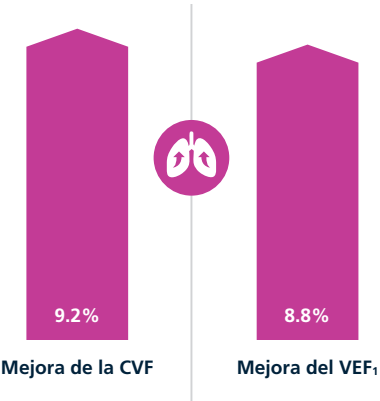
Los resultados de un estudio de prolongación de 2 años mostraron un aumento de 32.9 metros en la prueba 6MWT en comparación con el valor de referencia.

El hecho de poder caminar más lejos indica un mejor funcionamiento del cuerpo entero, desde el corazón y los pulmones hasta los huesos y los músculos.

Mayor capacidad respiratoria

El estudio de prolongación de 2 años mostró que la función respiratoria de las personas (medida según las pruebas de la función pulmonar) mejoró frente al valor de referencia.

El hecho de poder expulsar un mayor volumen de aire indica un mejor funcionamiento del aparato respiratorio, desde los pulmones hasta los músculos.



En el estudio de prolongación de 2 años se demostró que los beneficios de VIMIZIM se pueden mantener a largo plazo y que coinciden con los resultados del estudio primario (aunque no hubo un grupo de placebo disponible para hacer comparaciones).

6MWT: prueba para medir la distancia que se puede caminar en 6 minutos; VEF1: máximo volumen de aire que se puede expulsar con fuerza en 1 segundo; CVP: volumen de aire que puede expulsarse con fuerza de los pulmones después de inhalar lo más profundamente posible.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de VIMIZIM?

Efectos secundarios más comunes de VIMIZIM observados con mayor frecuencia que con un placebo		
Efecto secundario	VIMIZIM 2 mg/kg/sem N = 58 n (%)	Placebo N = 59 n (%)
Fiebre	19 (33%)	8 (14%)
Vómitos	18 (31%)	4 (7%)
Dolor de cabeza	15 (26%)	9 (15%)
Náuseas	14 (24%)	4 (7%)
Dolor abdominal	12 (21%)	1 (1.7%)
Escalofríos	6 (10.3%)	1 (1.7%)
Cansancio	6 (10.3%)	2 (3.4%)

Sepa que VIMIZIM también está asociado a reacciones severas y graves, tales como reacciones de hipersensibilidad y reacciones alérgicas potencialmente mortales (anafilaxia) con síntomas como urticaria, hinchazón, tos, dificultad para respirar y rubor. En 6 ensayos clínicos, el 18.7% de los pacientes tratados con VIMIZIM presentó reacciones de hipersensibilidad y el 7.7% tuvo signos y síntomas indicativos de anafilaxia.

Como medida preventiva, antes de las infusiones de VIMIZIM usted deberá recibir medicamentos tales como antihistamínicos para reducir el riesgo de tener reacciones. Si se produce una reacción, la infusión deberá realizarse más lentamente o suspenderse, y quizás se administre algún otro medicamento. Si se produce una reacción alérgica severa, deberá suspenderse de inmediato la infusión y administrarse un tratamiento médico adecuado.

La anafilaxia puede surgir como consecuencia de la sensibilidad a moléculas proteínicas (como las enzimas) administradas por vía intravenosa. El enfermero que le administre la infusión le hará revisiones mientras usted recibe el tratamiento, para asegurarse de que todo procede bien. Si usted presenta una reacción, el enfermero interrumpirá la infusión inmediatamente y le dará un medicamento para tratar dicha reacción.

La anafilaxia puede producirse durante cualquier infusión de VIMIZIM y hasta 3 horas después. Es importante que usted esté pendiente de cómo se siente después de la infusión y una vez que esté en su casa. Si nota algún signo de anafilaxia, llame a su médico inmediatamente.

Si usted tiene una enfermedad respiratoria, tal vez le empeore a causa de una reacción de hipersensibilidad y quizás requiera una mayor vigilancia por parte del enfermero.

Estos no son todos los efectos secundarios posibles de VIMIZIM. Si tiene algún síntoma que le moleste o que no desaparezca, consulte con su médico. La seguridad y la eficacia en pacientes pediátricos menores de 5 años de edad no se han determinado y se están evaluando en la actualidad.

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de VIMIZIM a largo plazo?

En el estudio de prolongación a largo plazo no se notificó ninguna reacción adversa grave. De los 176 pacientes inscritos en el estudio de fase 3 de 24 semanas de duración, 173 continuaron al estudio de prolongación de 120 semanas. Las reacciones adversas más frecuentes estuvieron asociadas a las inyecciones y se manejaron con tratamientos sintomáticos y/o modificación de la tasa de infusión. En el grupo que recibió 2 mg/kg/semana de VIMIZIM en un tratamiento de 120 semanas, la tasa de suspensión del medicamento por eventos adversos fue del 1.8%.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.



EL MANEJO DE MORQUIO A

Un plan de manejo personalizado es la clave del éxito

Los signos, los síntomas y la gravedad de Morquio A son distintos para cada persona. Por este motivo, le recomendamos que colabore con su equipo de profesionales de la salud a fin de desarrollar un plan de manejo que establezca expectativas de tratamiento realistas.

Su plan personalizado para el manejo de Morquio A comprende:

- establecer objetivos y desarrollar un plan junto con su equipo de tratamiento;
- cumplir con el plan y el horario de los tratamientos;
- determinar su respuesta con el paso del tiempo.

Si bien algunas personas presentarán una mejoría en su resistencia física, otra medida del éxito es también frenar el deterioro. Antes del comienzo de su tratamiento, le recomendamos que converse con su médico para determinar un plan individual. También es posible que su médico haga varias evaluaciones antes de que se inicie su tratamiento.

Muchas personas con Morquio A se someten a las siguientes evaluaciones:



Resistencia física

- ✓ **Prueba de caminata de 6 minutos (6MWT):** mide hasta dónde se puede caminar en 6 minutos.
- ✓ **Prueba de caminata cronometrada de 25 pies (T25FWT):** se realiza en las personas que tienen dificultades para caminar.



Capacidad respiratoria

- ✓ **Capacidad vital forzada (CVF):** mide el volumen de aire que puede expulsarse con fuerza después de respirar lo más hondo posible.
- ✓ **Volumen espiratorio forzado (VEF₁):** mide el máximo volumen de aire que puede expulsarse con fuerza en 1 segundo.
- ✓ **Ventilación voluntaria máxima (VVM):** es el volumen total de aire que puede exhalarse durante 12-15 segundos de respiraciones rápidas y profundas.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

Su alianza con el equipo de profesionales de la salud

Ya que Morquio A afecta distintas partes del cuerpo, usted tendrá que consultar con diferentes médicos y especialistas que le ayuden a manejar su afección. El genetista se hará cargo de coordinar muchos de los aspectos de su plan de tratamiento, como por ejemplo sus pruebas y citas médicas, además de ocuparse de organizar su tratamiento con VIMIZIM® (elosulfase alfa).

Cuanto más entienda usted sobre las formas en que pueden brindarle ayuda los distintos miembros de su equipo de profesionales de la salud, y mientras más sepan sus especialistas sobre Morquio A, mejor podrá colaborar con ellos para manejar sus cuidados integrales.



Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

VIMIZIM
(elosulfase alfa)

EL MANEJO DE MORQUIO A: MÉDICOS Y ESPECIALISTAS

Cada uno de los miembros de su equipo de profesionales de la salud puede ayudarle a manejar aspectos de Morquio A específicos. Familiarícese con las funciones de cada médico y especialista para que entre todos puedan ayudar a garantizar que usted reciba los mejores cuidados posibles.



Geneticista/pediatra

*El geneticista examina los efectos de los genes en el cuerpo.
El pediatra se especializa en el tratamiento de los niños.*

Estos especialistas se centran principalmente en los siguientes aspectos:

- Antecedentes médicos
- Resistencia física (6MWT)
- Crecimiento
- Carga de la enfermedad (evaluación del dolor y de cuestionarios sobre calidad de vida reproducibles y apropiados para la edad)



Ortopédico

Se especializa en corregir problemas relacionados con el esqueleto y lleva a cabo evaluaciones de compresión de la médula espinal.

Las afecciones más frecuentes de los huesos y las articulaciones son las siguientes:

- Escoliosis (curvatura de la columna vertebral)
- Baja estatura
- Piernas en X
- Hiperflexibilidad de las articulaciones
- Dificultades para caminar

Las personas con Morquio A corren un mayor riesgo de sufrir complicaciones quirúrgicas. Es importante hablar con el equipo de atención médica para planificar las intervenciones quirúrgicas.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.



Cardiólogo

Se especializa en la salud del corazón y el aparato circulatorio.

Salud cardíaca (para detectar anomalías)
Morquio A puede causar anomalías en las válvulas cardíacas, lo que limita la cantidad de sangre que el corazón es capaz de bombear. En consecuencia, puede que el corazón se acelere para satisfacer la demanda corporal de sangre. Se pueden producir fuertes aumentos de la presión arterial cuando la persona se incorpore desde una posición acostada.



Neumólogo

Se encarga de los pulmones y la respiración.

Pruebas de la función respiratoria (para evaluar el funcionamiento de los pulmones)
Los problemas respiratorios pueden tener varias causas:

- Vías respiratorias estrechas y torcidas
- Caja torácica de forma anormal
- Espesamiento de la flema
- Enfermedad obstructiva o restrictiva
- Apnea del sueño obstructiva



Neurocirujano

Cirujano especializado en problemas del cerebro, la médula espinal y los nervios.

Función neurológica (pruebas que evalúan la compresión de la médula espinal)

Algunos de los síntomas de compresión de la médula espinal son los siguientes:

- Inestabilidad de la marcha
- Debilidad de las extremidades superiores e inferiores
- Dolor o sensaciones anómalas del cuerpo (disestesia)
- Problemas urinarios
- Parálisis



Oftalmólogo

Se especializa en la salud de los ojos.

Visión (exámenes de la vista)

Algunas personas con Morquio A presentan irregularidades en la forma de sus cristalinios y córneas, que pueden causar visión borrosa y sensibilidad a la luz.



Otorrinolaringólogo

Se especializa en la salud del oído, la nariz y la garganta.

Audición

Es importante tratar rápidamente cualquier infección de las vías respiratorias o el oído medio, ya que a veces pueden dar lugar a la pérdida de la audición. La presencia de anomalías en la estructura del oído también puede causar pérdida de la audición.



Dentista

Se especializa en el mantenimiento de la boca y los dientes.

Evaluación odontológica (de los dientes)

Puede que los dientes de las personas con Morquio A luzcan un tanto diferentes de los de las personas que no tienen esta enfermedad. Morquio A podría debilitar el esmalte y causar otros problemas que pueden ocasionar caries.



Gastroenterólogo

Se especializa en enfermedades del tubo digestivo.

Maneja síntomas relacionados con el tubo digestivo, como estreñimiento o diarrea, hernias, problemas del bazo o hinchazón del hígado.



Fisioterapeuta

Se especializa en el manejo de discapacidades, disfunción o dolor de origen físico.

Evaluación física

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

EL MANEJO DE MORQUIO A CON SU EQUIPO DE PROFESIONALES DE LA SALUD



Con la ayuda de su geneticista y el equipo de profesionales de la salud, usted puede hacerse cargo de su Morquio A

Este cuadro está adaptado de las más recientes guías para el manejo de Morquio A, publicadas en 2019. Aquí se ofrece un resumen de algunas de las evaluaciones que su equipo de atención médica podría realizar, junto con recomendaciones sobre la frecuencia con que deberían realizarse.

Especialista	Evaluación a considerar	Frecuencia sugerida
Geneticista/ pediatra	Resistencia (prueba de caminata durante 6 minutos o de caminata cronometrada de 25 pies)	Al inicio y luego anualmente
	Crecimiento	Cada cita
	Análisis de orina (niveles de glicosamino- glicanos urinarios [GAGu])	Al inicio y luego cada 6 meses
	Carga de la enfermedad (dolor; calidad de vida; actividades de la vida diaria; fatiga; uso de silla de ruedas/ayudas para caminar)	Anualmente
Radiólogo	Cerebro (RM o TC)	Al momento del diagnóstico y según indicación clínica
	Caderas, extremidades inferiores y anomalías óseas	Al momento del diagnóstico y según indicación clínica
	Columna vertebral completa (RM o TC para detectar lesiones y cambios al conducto vertebral o la médula espinal)	Anualmente, según indicación clínica
	Radiografía comun (en posición sentada o de pie) de la columna cervical y toracolumbar	Al momento del diagnóstico y luego cada 2-3 años, según indicación clínica
Cardiólogo	Evaluaciones de signos vitales, como saturación de oxígeno; mediciones de presión arterial del brazo y pierna derechos; auscultación cuidadosa; ecocardiografía, y ECG	Al momento del diagnóstico y luego anualmente, según indicación clínica
Neumólogo	Pruebas de la función respiratoria por espirometría (niños mayores de 5 años de edad). Frecuencia respiratoria y saturación de oxígeno arterial antes y después de las pruebas anuales de resistencia	Al inicio y luego anualmente hasta que el niño deje de crecer; luego cada 2-3 años
	Estudio del sueño durante la noche	Al momento del diagnóstico y luego cada 3 años

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.

Especialista	Evaluación a considerar	Frecuencia sugerida
Neurólogo	Función neurológica y exámenes espinales para detectar cualquier problema	Cada cita (como mínimo cada 6 meses)
Oftalmólogo	Examen ocular que comprenda: agudeza visual; refracción; examen con lámpara de hendidura de la córnea; evaluación oftalmoscópica (con inclusión del nervio óptico), y medición de la presión intraocular	Al inicio y cada 6 meses (o por lo menos anualmente)
Otorrino- laringólogo (oídos, nariz y garganta)	Evaluación de la audición (incluida timpanometría)	Cada 3-6 meses (niños) Cada 6-12 meses (adultos)
	Visualización de las vías respiratorias superiores con examen mediante fibra óptica	Al momento del diagnóstico y luego anualmente
Dentista	Evaluación odontológica, con conside- ración de profilaxis de la endocarditis subaguda para ciertos procedimientos	Anualmente
Fisioterapeuta/ terapeuta ocupacional/ terapeuta de lenguaje	Evaluación y apoyo de la función de las extremidades y los problemas del habla, según se requiera	Según indicación clínica

TC: tomografía computarizada; ECG: electrocardiograma; RM: resonancia magnética.
Adaptado del documento “Recommendations for the Management of MPS IVA: Systematic Evidence- and Consensus-Based Guidance” (Akyol et al. *Orphanet J Rare Dis.* 2019;14:137).

Su equipo de atención médica puede ayudarle a determinar qué evaluaciones son las más importantes para usted y con qué frecuencia deben hacérselas.

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa.



BioMarin RareConnections™: Apoyo poco común para enfermedades raras



Las enfermedades raras como Morquio A pueden plantear desafíos poco comunes. BioMarin RareConnections se pone a su disposición para ayudarle a superar estas dificultades con los recursos y la asistencia que usted necesite para tener acceso a VIMIZIM® (elosulfasa alfa).

Cuando usted se inscriba en BioMarin RareConnections, se le pondrá en contacto con un coordinador de casos a dedicación exclusiva; esta persona puede ofrecerle una amplia gama de servicios de apoyo para el producto que le ayudarán iniciar y mantener el tratamiento con VIMIZIM.

Entre los servicios ofrecidos figuran los siguientes:

- Ayudarle a entender la cobertura de su seguro y opciones de asistencia económica;
- Trabajar junto con usted y su farmacia de especialidades para coordinar las entregas y la administración de VIMIZIM;
- Ofrecerle apoyo continuo sobre el producto.

Para saber más sobre BioMarin RareConnections,
llame al **1-866-906-6100**

de lunes a viernes entre las 6 A. M. y las 5 P. M. hora del Pacífico,
o envíe un correo electrónico a: support@biomarin-rareconnections.com

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción (**Prescribing Information**) completa.

Manejo de su atención en caso de emergencia

En la eventualidad de que ocurra una emergencia, es de importancia crítica informar a los profesionales de la salud de que usted tiene Morquio A y que hay riesgos especiales asociados a los cuidados de emergencia.

Si los profesionales de la salud no están familiarizados con este trastorno, indíqueles que consulten MPSER.com. Este sitio web está dedicado a informar a los profesionales de la salud sobre los riesgos especiales asociados a la atención de emergencia de personas con Morquio A, y ofrece lo siguiente:

- Consejos para ayudar a prevenir las lesiones de la médula espinal
- Técnicas para proteger las vías respiratorias, en caso de que una persona con Morquio A necesite ayuda para respirar
- Métodos para vigilar los signos de problemas del corazón

"He aprendido que no debemos concentrarnos en el pasado, sino más bien pensar en el futuro. Tenemos que ser fuertes".

—SARAH, 17 AÑOS

Consulte la información importante de seguridad que aparece a lo largo de este documento, la advertencia importante sobre el riesgo de anafilaxia y la información de prescripción (**Prescribing Information**) completa.

VIMIZIM
(elosulfase alfa)

INDICACIÓN

VIMIZIM® (elosulfasa alfa) está indicado para pacientes que tienen mucopolisacaridosis de tipo IVA (MPS IVA; síndrome de Morquio A).

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

Durante las infusiones de VIMIZIM pueden presentarse reacciones alérgicas potencialmente mortales, llamadas anafilaxia. Los signos típicos de la anafilaxia son tos, sarpullido, opresión en la garganta, urticaria, rubor, cambios del color de la piel, baja presión arterial, falta de aliento, dolor de pecho y síntomas gastrointestinales como náuseas, dolor abdominal, arcadas y vómitos. Comuníquese con su médico o busque asistencia médica de inmediato si estos síntomas se producen durante las infusiones de VIMIZIM o posteriormente. Si usted tiene una enfermedad respiratoria, tal vez corra el riesgo de que su afección empeore repentinamente y quizás requiera una mayor vigilancia.

VIMIZIM es un medicamento de venta con receta médica. Antes de comenzar el tratamiento con VIMIZIM, es importante que hable de sus antecedentes de salud con su médico. Infórmele si tiene alguna enfermedad o está tomando otros medicamentos, y si le tiene alergia a algún medicamento. Además dígame al médico si usted está embarazada o planeando un embarazo, o si es una madre lactante. Su médico determinará si VIMIZIM es adecuado para usted. Si tiene alguna pregunta o si desea obtener más información acerca de VIMIZIM, comuníquese con su médico.

Durante cualquier infusión de VIMIZIM puede producirse la anafilaxia, desde apenas 30 minutos después del comienzo de la infusión y hasta 3 horas más tarde, e incluso en etapas tan tardías del tratamiento como en la infusión 47. Se han observado reacciones de hipersensibilidad ya a los 30 minutos después del comienzo de la infusión y hasta 6 días después.

El tratamiento con VIMIZIM puede dar lugar a reacciones severas y graves, incluso reacciones alérgicas potencialmente mortales (anafilaxia), urticaria, hinchazón, tos, dificultad para respirar y rubor. Antes de las infusiones de VIMIZIM, usted deberá recibir medicamentos como antihistamínicos para reducir el riesgo de reacciones. Si se produce una reacción, la infusión deberá realizarse más lentamente o suspenderse, y quizás se administre algún otro medicamento. Si se produce una reacción alérgica severa, deberá suspenderse de inmediato la infusión y administrarse un tratamiento médico adecuado.

Si tiene alguna enfermedad febril o respiratoria aguda en el momento de la infusión de VIMIZIM, quizás corra un mayor riesgo de presentar complicaciones potencialmente mortales a causa de las reacciones de hipersensibilidad. Si usted recibe aporte complementario de oxígeno o presión positiva continua en las vías respiratorias (CPAP), debe tener dicho tratamiento a su disposición durante su infusión en caso de que se le presente una reacción repentina o le dé somnolencia o sueño extremos por los antihistamínicos.

El proceso patológico natural de la MPS IVA puede dar lugar a lesiones en la médula espinal, caracterizadas por dolor de espalda, entumecimiento y parálisis y pérdida de control de la vejiga y del intestino. Si le aparece alguno de estos síntomas, comuníquese con su médico inmediatamente.

Los efectos secundarios observados con más frecuencia durante las infusiones de VIMIZIM fueron fiebre, vómitos, dolor de cabeza, náuseas, dolor abdominal, escalofríos y cansancio. Estos no son todos los posibles efectos secundarios de VIMIZIM. Si tiene algún síntoma que le moleste o que no desaparezca, consulte con su médico.

Llame a su médico para pedirle consejos sobre los efectos secundarios. Podrá notificar los efectos secundarios a BioMarin llamando al 1-866-906-6100, o a la FDA visitando www.fda.gov/medwatch o llamando al 1-800-FDA-1088.

Para obtener más información, llame a BioMarin RareConnections™ al 1-866-906-6100.

Consulte la información de prescripción ([Prescribing Information](#)) completa, incluida la advertencia importante.