

VIMIZIM™ (elosulfasa alfa): el único tratamiento diseñado para personas que tienen Morquio A (MPS IVA)

Durante las infusiones de VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) 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 aire, 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, incluida la advertencia importante, que aparece en la página 14.



AHORA HAY UN MEDICAMENTO DISEÑADO PARA EL SÍNDROME DE MORQUIO A.

Está hecho expresamente para usted, y podría cambiar su modo de vivir con su afección. Ahora usted dispone de VIMIZIM™ (elosulfasa alfa), la única enzimoterapia restitutiva (ERT por sus iniciales en inglés) aprobada por la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. para el tratamiento de personas con Morquio A. Este folleto puede ayudarle a saber más sobre Morquio A y su tratamiento con VIMIZIM.



Durante las infusiones de VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) 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 aire, 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.



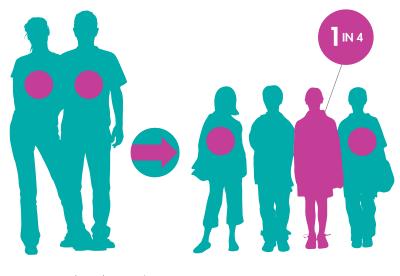
ÍNDICE

- **02** INTRODUCCIÓN
- **04** INFÓRMESE SOBRE MORQUIO A
- **06** INFÓRMESE SOBRE VIMIZIM™ (elosulfasa alfa)
- 11 EFECTOS SECUNDARIOS
- 12 SUS INFUSIONES DE VIMIZIM
- PROGRAMA DE APOYO A LOS PACIENTES Y LOS MÉDICOS DE BIOMARIN (BPPS)
- 14 INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

¿QUÉ CAUSA EL SÍNDROME DE MORQUIO A?

Morquio A es una enfermedad heredada en forma recesiva. Esto significa que ambos padres deben tener un gen defectuoso para transmitir el síndrome de Morquio A a sus hijos.

Si 2 padres portadores tienen hijos, cada embarazo tiene una probabilidad del 25% (1 en 4) de transmitir el síndrome de Morquio A a ese niño.



= Portadores de Morquio A

Las personas que nacen con Morquio A tienen una carencia o insuficiencia de una enzima llamada *N*-acetilgalactosamina-6-sulfatasa o GALNS. La enzima GALNS tiene la función de descomponer unas sustancias llamadas glicosaminoglicanos o GAG, que el cuerpo no puede usar. Ya que ciertos GAG no se descomponen sino que permanecen almacenados en los lisosomas (partes de una célula que ayudan a digerir y degradar materiales), Morquio A recibe el nombre de "enfermedad por depósito lisosómico".

Cuando falta la enzima GALNS, los GAG se acumulan en los lisosomas de las células en todos los tejidos y órganos del cuerpo. Esta acumulación puede causar serios problemas de salud tales como enfermedades cardíacas, anomalías del esqueleto, pérdida de la visión y la audición, y dificultades para respirar.



LAS ENZIMAS SON PROTEÍNAS QUE AYUDAN A REALIZAR CIERTAS FUNCIONES ESPECÍFICAS EN EL CUERPO.

¿CÓMO PUEDE AFECTARLE EL SÍNDROME DE MORQUIO A?

Cuando los GAG se acumulan en el cuerpo de personas con Morquio A, los resultados tienen el potencial de ser graves. Las personas afectadas por Morquio A tienen problemas físicos y complicaciones de los órganos que pueden ocasionar dificultades para realizar las actividades cotidianas y hacer necesario que usen ayudas para caminar o sillas de ruedas.

Los síntomas que acompañan al síndrome de Morquio A pueden ocasionar daños a múltiples órganos y sistemas.		
SÍNTOMAS ÓSEOS	SÍNTOMAS NO ÓSEOS	
Deformidades óseas	Problemas respiratorios	
Tronco corto	Problemas de las válvulas cardíacas	
Debilidad del cuello	Debilidad muscular	
Compresión de la médula espinal	Problemas oculares	
Piernas en X	Pérdida de la audición	
Hiperflexibilidad de las articulaciones	Problemas dentales	
Anomalías de la marcha	Agrandamiento del hígado	
Problemas de la columna vertebral	Agrandamiento del bazo	
Deformidades torácicas	Poca energía	

Un genetista puede ayudarle.

Conforme va progresando el síndrome de Morquio A, podrían verse afectadas distintas partes del cuerpo y quizás sea necesario consultar con diferentes médicos para ayudar a manejar la enfermedad. Uno de los médicos más importantes en el manejo de Morquio A es el genetista, quien desempeña una función decisiva en el diagnóstico y su tratamiento continuo. El genetista encabezará el tratamiento y coordinará con los demás especialistas que integran su equipo de profesionales de la salud.

Quizás necesite también atención de los siguientes médicos:

- Cardiólogo (especialista en el corazón)
- Otorrinolaringólogo (especialista en oídos, nariz y garganta)
- Cirujanos con experiencia en Morquio A (p. ej., un cirujano ortopédico)
- Neumólogo

PARA OBTENER MÁS INFORMACIÓN SOBRE MORQUIO A, VISITE WWW.MORQUIOSITY.COM.

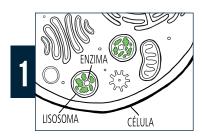


HÁGASE CARGO CON VIMIZIM™ (elosulfasa alfa)

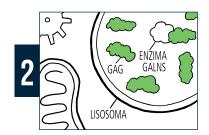
Nuevo medicamento: nuevas posibilidades.

VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) es la única ERT que trata la causa del síndrome de Morquio A. Aunque VIMIZIM podría ayudarle a llegar más lejos, no es una cura.

¿Cómo actúa VIMIZIM?



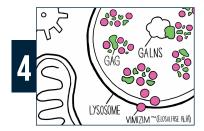
En el interior de cada célula hay unas estructuras llamadas lisosomas, las cuales contienen enzimas que ayudan a descomponer y reciclar unos materiales llamados glicosaminoglicanos o GAG.



Las personas afectadas por Morquio A no tienen una cantidad suficiente de la enzima GALNS. Esta importante enzima es un tipo de proteína que elimina ciertos GAG que se acumulan en los lisosomas.



En las personas que tienen Morquio A, los GAG se acumulan en los lisosomas de las células en todos los tejidos y órganos del cuerpo, lo cual tiene el potencial de causar serios problemas físicos.



Una infusión semanal de VIMIZIM compensa la deficiencia de la actividad de la enzima GALNS que su cuerpo necesita para descomponer la acumulación de ciertos GAG.



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

¿Cómo puede ayudarle VIMIZIM?

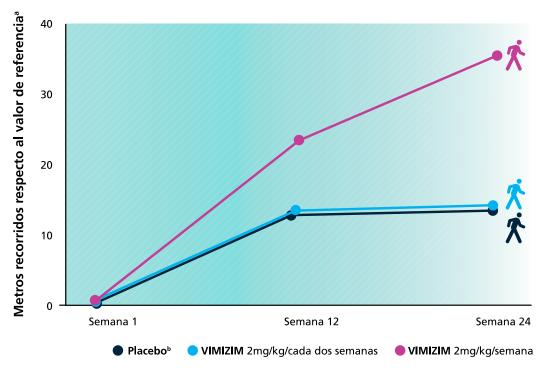
En términos sencillos: si usted tiene Morquio A, es porque tiene actividad deficiente de una enzima. VIMIZIM puede reponer la enzima que falta para restablecer la función de las células.

Durante las infusiones de VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) 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 aire, 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™ (elosulfasa alfa) PODRÍA HACERLE LLEGAR MÁS LEJOS.

En un ensayo clínico de 6 meses, las personas que recibieron VIMIZIM cada semana mejoraron su resistencia, medida a través de la prueba de caminata de 6 minutos (6MWT por sus iniciales en inglés).



Este gráfico muestra que, al final de un ensayo de 24 semanas, las personas tratadas con VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) una vez por semana caminaron en promedio un 23.9% más lejos que el valor de referencia.

En el ensayo participó también un grupo de personas que recibió VIMIZIM 2 mg/kg cada dos semanas. Sus resultados no demostraron mucha mejoría y, de hecho, fueron similares a los de las personas que recibieron un placebo.

¿Por qué se usa la 6MWT?

La 6MWT mide hasta dónde puede usted caminar en 6 minutos. Lo que es aún más importante, esta prueba mide su resistencia, es decir, hasta dónde puede esforzarse físicamente. La resistencia determina qué tan bien le funciona el cuerpo como un todo: desde el corazón y los pulmones hasta los huesos y los músculos. Si su resistencia mejora, los sistemas del cuerpo funcionan mejor conjuntamente.

^a El 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 sobre VIMIZIM, las personas debían ser capaces de caminar por lo menos 30 metros.

^b Un placebo es una sustancia inofensiva que no contiene ningún medicamento.



VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) PUEDE AYUDARLE A CAMBIAR SU MODO DE VIVIR CON MORQUIO A.

Al comprometerse a recibir VIMIZIM, usted hace un compromiso con su salud.

En estudios clínicos, VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) ayudó a la mayoría de las personas a aumentar su resistencia medida a través de la 6MWT, y les permitió llegar aún más lejos independientemente de la seriedad de sus síntomas de Morquio A.

Morquio A afecta a cada persona de forma diferente, por lo que sus resultados del tratamiento con VIMIZIM serán específicos para usted. Quizás no note una diferencia inmediatamente. Sin embargo, recuerde que VIMIZIM actúa a nivel celular para reponer la enzima GALNS deficiente.

Consideraciones de seguridad

En ensayos clínicos, los efectos secundarios observados con más frecuencia durante las infusiones de VIMIZIM fueron fiebre, vómitos, dolor de cabeza, náuseas, dolor abdominal, escalofríos y cansancio.

Consulte la información importante de seguridad, incluida la advertencia importante, que aparece en la página 14.





¿CUÁLES SON LOS POSIBLES EFECTOS SECUNDARIOS DE VIMIZIM™ (elosulfasa alfa)?

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%)

También hay reacciones serias y graves asociadas a VIMIZIM™ (elosulfasa alfa), tales como reacciones de hipersensibilidad y reacciones alérgicas potencialmente mortales (anafilaxia) con síntomas como urticaria, hinchazón, tos, falta de aire 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 debe administrarse más lentamente o suspenderse, y quizás se le administre algún otro medicamento. Si se presenta una reacción alérgica grave, deberá suspenderse de inmediato la infusión y usted deberá recibir 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 que podrían aparecer al tratarse con VIMIZIM. Hable con su médico si se le presenta algún síntoma que le provoque molestias o que no desaparezca.

La seguridad y eficacia en pacientes pediátricos menores de 5 años de edad no se ha determinado y se está evaluando en la actualidad.

Durante las infusiones de VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) 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 aire, 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™ (elosulfasa alfa) es un medicamento IV que se administra por infusión directamente dentro de una vena de su cuerpo. Las infusiones tienen lugar una vez por semana. Debe saber que las infusiones tardan al menos de 3.5 a 4.5 horas. También debe prepararse para programar el tiempo de transporte, que variará según la distancia que tenga que recorrer para llegar al centro de infusión. Hable con sus empleadores o profesores acerca de sus tratamientos y procure elaborar un plan para compensar las faltas al trabajo o el colegio. Si usted es estudiante, haga arreglos para obtener sus tareas de antemano o pregunte si puede conseguir un tutor que le ayude a recuperar las clases o asignaciones perdidas.

Para sentirse a gusto durante la infusión, llévese:

- un juego
- un libro
- una película
- una almohada, manta o animal de peluche familiar
- su refrigerio favorito

Usted no está a solas.

Si aún no ha iniciado su tratamiento con VIMIZIM, quizás le preocupen las posibles barreras que podrían obstaculizar su camino. Por ejemplo: ¿cómo llegará al centro? No se preocupe: podrá conseguir ayuda de gente verdaderamente dedicada que le atenderá con esmero. En la página siguiente se enterará de un método sencillo para obtener acceso directo a VIMIZIM.

PODRÁ INICIAR SU TRATAMIENTO CON VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) HOY MISMO.

BioMarin ofrece un programa para las personas que tienen Morquio A llamado Apoyo a los Pacientes y los Médicos de BioMarin (BPPS por sus siglas en inglés), dedicado a ayudarle a acceder al tratamiento con VIMIZIM™ (elosulfasa alfa). Este servicio, disponible en forma gratuita a todas las personas que tienen Morquio A, ofrece apoyo confidencial y personalizado para ayudarle a satisfacer sus necesidades de atención médica. El objetivo de este servicio es ayudarle con las gestiones del sistema de atención médica y a tener acceso al tratamiento con VIMIZIM así como a otros recursos que le ayudarán a manejar el síndrome de Morquio A. Llame al **1-855-MORQUIO (1-855-667-7846)** o envíe un correo electrónico a **bpps@bmrn.com** para averiguar cómo puede ayudarle el BPPS.

El BPPS puede ayudarle a iniciar su tratamiento con VIMIZIM.

Cuando se comunique con el BPPS se le presentará su coordinador de casos, que le ayudará a tramitar todos los detalles de su tratamiento y confirmar que su seguro cubra VIMIZIM. Su coordinador de casos también le pondrá en contacto con otras personas en BioMarin que le ayudarán a interactuar con su equipo de profesionales de la salud y le darán información sobre VIMIZIM o Morquio A a usted y su familia. También se dispone de coordinadores de casos de habla hispana.

¿Llegó el momento de comenzar?

Para poder beneficiarse del BPPS, usted tendrá que hacer dos cosas:

- firmar y devolver los formularios de autorización del paciente y el proveedor. Para obtener estos formularios, solicíteselos a su genetista o al BPPS, o pida el kit introductorio de VIMIZIM en **www.vimizim.com**.
- Si aún no lo ha hecho, solicite a su médico que confirme su diagnóstico de Morquio A mediante un análisis que determina los niveles de la enzima *N*-acetilgalactosamina-6 sulfatasa (GALNS) en sangre o células de la piel.

Es fácil ponerse en contacto con el BPPS.

Con mucho gusto le atenderemos en el BPPS siempre que usted tenga alguna pregunta o inquietud. Aproveche la información de contacto siguiente para averiguar cómo el BPPS le puede ayudar a iniciar su tratamiento con VIMIZIM.



1-855-MORQUIO (1-855-667-7846)



1-888-863-3361



bpps@bmrn.com



www.vimizim.com

También se dispone de coordinadores de casos de habla hispana.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

INDICACIÓN

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

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

Durante las infusiones de VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) 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 aire, 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 que se vende solo con receta. Antes de comenzar a usar VIMIZIM para su tratamiento, es importante que hable de su historia clínica con su médico. Infórmele si usted tiene alguna enfermedad o está tomando otros medicamentos, y si le tiene alergia a algún medicamento. Además dígale 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.

La anafilaxia puede producirse durante cualquier infusión de VIMIZIM y hasta 3 horas después; además, se han observado reacciones de hipersensibilidad en apenas 30 minutos después de comenzar la infusión y hasta 6 días después.

El tratamiento con VIMIZIM puede dar lugar a reacciones serias y graves, incluso reacciones alérgicas potencialmente mortales (anafilaxia), urticaria, hinchazón, tos, falta de aire y rubor. Antes de las infusiones de VIMIZIM, usted deberá recibir medicamentos tales como antihistamínicos, para reducir el riesgo de reacciones. Si se produce una reacción, la infusión debe administrarse más lentamente o suspenderse, y quizás se le administre algún otro medicamento. Si se presenta una reacción alérgica grave, deberá suspenderse de inmediato la infusión y usted deberá recibir 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 el 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 el 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 efectos secundarios que podrían aparecer al tratarse con VIMIZIM. Hable con su médico si se le presenta algún síntoma que le provoque molestias o que no desaparezca.

Llame a su médico para pedirle consejos sobre los efectos secundarios. Podrá notificar los efectos secundarios a la FDA llamando al 1-800-FDA-1088.

Para obtener más información, llame al Programa de Apoyo a los Pacientes y los Médicos de BioMarin (BPPS) al 1-855-MORQUIO (1-855-667-7846).

Consulte la información completa sobre prescripción que se adjunta, incluida la advertencia importante, o visite www.VIMIZIM.com.

"HAY MUCHAS MÁS COSAS QUE QUIERO HACER CON MI VIDA."



¿LLEGÓ EL MOMENTO **DE COMENZAR?**

VIMIZIM™ (elosulfasa alfa), la única ERT indicada para Morquio A, podría avudarle a:

- Reponer la enzima GALNS deficiente
- Mejorar la resistencia, medida según la 6MWT

Cuando le llegue el momento de comenzar el tratamiento con VIMIZIM, visite nuestro sitio web: www.vimizim.com, o sencillamente comuníquese con el BPPS:



1-855-MORQUIO (1-855-667-7846)



1-888-863-3361



😒 bpps@bmrn.com



₩ www.vimizim.com

Durante las infusiones de VIMIZIM™ (elosulfasa alfa) 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 aire, 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, incluida la advertencia importante, que aparece en la página 14.

