



Tratamiento enzimático sustitutivo a largo plazo con N-acetilgalactosamina 4-sulfatasa humana obtenida mediante tecnología de ADN recombinante.

## **USO CLÍNICO**

Tratamiento de la enfermedad de Maroteaux-Lamy (mucopolisacaridosis tipo VI) (**A**). Aunque no se incluyera a pacientes <5 años en el ensayo pivotal, se recomienda empezar el tratamiento tan pronto como sea posible en niños <5 años afectados de una forma grave de la enfermedad, para evitar así la aparición de alteraciones irreversibles propias de la enfermedad.

La información disponible en pacientes <1 año es limitada.

## **DOSIS Y PAUTAS DE ADMINISTRACIÓN**

Intravenosa: perfusión intravenosa de 1 mg/kg, 1 vez a la semana. Volumen de infusión (SSF 0,9%):

- Si <20 kg de peso o restricción hídrica: 100 ml.
- Si >20 kg de peso: 250 ml.

Para minimizar la aparición de reacciones a la infusión, se recomienda infundir durante un periodo de 4 horas. En la primera hora, administrar un 2,5% del total de la solución y el volumen restante durante las siguientes 3 horas.

No se ha evaluado la seguridad y eficacia en pacientes con insuficiencia renal o hepática. Por lo tanto, no se puede recomendar ningún régimen de dosificación alternativo.

## **CONTRAINDICACIONES**

Hipersensibilidad al principio activo o a alguno de los excipientes.

## **PRECAUCIONES**

Se ha observado la aparición de reacciones asociadas a la infusión. En los ensayos clínicos habitualmente respondieron a la interrupción o ralentización de la perfusión. Previo al inicio de la perfusión se recomienda establecer un régimen de premedicación (antihistamínicos o paracetamol) para minimizar la aparición de posibles reacciones adversas.

Como sucede con cualquier otro medicamento proteico de administración intravenosa, pueden aparecer reacciones de hipersensibilidad graves de tipo alérgico. Si se producen dichas reacciones, se recomienda la inmediata interrupción de la perfusión y la instauración de un tratamiento de soporte adecuado.

## **EFFECTOS SECUNDARIOS**

Las reacciones adversas más frecuentes notificadas en los ensayos clínicos (56% de los pacientes tratados) fueron las reacciones propias a la infusión, que se caracterizan por la presencia de pirexia, escalofríos, exantema, urticaria y disnea. Entre las reacciones adversas graves se han notificado edema laríngeo, apnea, dificultad respiratoria, angioedema y reacción anafilactoide.

En niños <1 año, el perfil general de seguridad resultó ser consistente con el perfil de seguridad en niños mayores.

## **INTERACCIONES FARMACOLÓGICAS**

Desconocidas.

## **DATOS FARMACÉUTICOS**

Concentrado para solución para perfusión 1 mg/ml. Viales con 5 ml.

**Excipientes:** cloruro sódico, fosfato sódico monobásico monohidrato, fosfato sódico dibásico heptahidrato, polisorbato 80, agua para preparaciones inyectables.

**Conservación:** conservar en nevera (entre 2 °C y 8 °C).

**Presentaciones comerciales:** las presentaciones disponibles en España pueden consultarse *online* en el Centro de Información de Medicamentos de la AEMPS (CIMA), <http://www.aemps.gob.es/cima>, y en <https://www.aeped.es/comite-medicamentos/pediamecum> en el enlace "Presentaciones" correspondiente a cada ficha.

## **BIBLIOGRAFÍA**

- Fichas técnicas del Centro de Información *online* de Medicamentos de la AEMPS-CIMA [base de datos en Internet]. Madrid, España: Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) [consultado en diciembre de 2020]. Disponible en: <https://cima.aemps.es/cima>

**Fecha de actualización:** diciembre de 2020.

**La información disponible en cada una de las fichas del Pediamécum ha sido revisada por el Comité de Medicamentos de la Asociación Española de Pediatría y se sustenta en la bibliografía citada. Estas fichas no deben sustituir en ningún caso a las aprobadas para cada medicamento por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) o la Agencia Europea del Medicamento (EMA).**