



La velaglucerasa alfa reduce la cantidad de glucocerebrósido acumulada y corrige la fisiopatología de la enfermedad de Gaucher. La velaglucerasa alfa aumenta la concentración de hemoglobina y los recuentos plaquetarios, y reduce los volúmenes del hígado y el bazo en los pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1.

USO CLÍNICO

Terapia de sustitución enzimática (TSE) a largo plazo en pacientes con enfermedad de Gaucher de tipo 1 (A).

No se dispone de datos de eficacia y seguridad de ensayos clínicos para niños menores de 4 años.

DOSIS Y PAUTAS DE ADMINISTRACIÓN

60 unidades/kg en perfusión intravenosa, administradas cada 2 semanas. Ajustar en base a la evolución. Rango de dosis 10-60 unidades/kg cada 2 semanas.

No se han estudiado dosis superiores a 60 unidades/kg.

A los pacientes actualmente en tratamiento con terapia de sustitución enzimática con imiglucerasa para la enfermedad de Gaucher de tipo 1 puede cambiárseles a velaglucerasa, utilizando la misma dosis y frecuencia.

Insuficiencia renal y hepática:

No precisa ajuste de dosis.

Administración:

Reconstituir los viales y diluir el volumen necesario de solución reconstituida en suero salino fisiológico hasta un volumen total de 100 ml. Deberá administrarse en forma de perfusión intravenosa de 60 minutos de duración a través de un filtro de 0,2 µm de baja unión a proteínas.

Puede considerarse la administración domiciliaria bajo la supervisión de un profesional sanitario únicamente para los pacientes que hayan recibido al menos tres perfusiones y que las hayan tolerado bien.

CONTRAINDICACIONES

Reacción alérgica grave al principio activo o a alguno de los excipientes del medicamento.

PRECAUCIONES

Hipersensibilidad:

Se han comunicado reacciones de hipersensibilidad, incluidos síntomas compatibles con anafilaxia. La mayoría de las reacciones de hipersensibilidad ocurren normalmente hasta 12 horas después de la perfusión. Los síntomas de hipersensibilidad notificados con mayor frecuencia son náuseas, erupción, disnea, dolor de espalda, molestias torácicas (incluida, opresión torácica), urticaria, artralgia y cefalea. En caso de anafilaxia o reacciones graves de hipersensibilidad, interrumpir inmediatamente la infusión.

Reacciones relacionadas con la perfusión:

Fueron las reacciones adversas más frecuentemente observadas en los ensayos clínicos y mayoritariamente ocurrieron durante los primeros 6 meses de tratamiento. Las reacciones relacionadas con la perfusión se manifiestan a menudo como una reacción de hipersensibilidad, aunque también se han notificado reacciones adversas asociadas a la perfusión como fatiga, mareo, pirexia, aumento de la tensión arterial, prurito o visión borrosa. La **prevención y manejo de las reacciones relacionadas con la perfusión** según la gravedad de estas, incluidas las reacciones de hipersensibilidad incluye el tratamiento con medicamentos como antihistamínicos, antipiréticos o corticoesteroides, o la suspensión y reanudación del tratamiento con una disminución de la velocidad de la perfusión.

Inmunogenicidad:

En caso de reacción grave a la perfusión o de ausencia o pérdida del efecto, debe comprobarse si los pacientes presentan anticuerpos contra el fármaco.

EFFECTOS SECUNDARIOS

Se describen solo los frecuentes (1-10%), muy frecuentes (>10%) y los de relevancia clínica, para el resto, consultar la ficha técnica:

- Las reacciones adversas más graves en pacientes en estudios clínicos fueron reacciones de hipersensibilidad.
- Las reacciones adversas más frecuentes fueron las reacciones relacionadas con la perfusión (cefalea, mareos, hipotensión, hipertensión, náuseas, fatiga/astenia y pirexia/aumento de la temperatura corporal).
- Otros efectos clasificados son los siguientes:
 - Muy frecuentes ($\geq 1/10$): cefalea, mareos, dolor abdominal, dolor óseo, artralgia, dolor de espalda, fatiga.
 - Frecuentes ($\geq 1/100$ a $< 1/10$): taquicardia, disnea, hipertensión, hipotensión, rubor, náuseas, erupción, urticaria, prurito, molestias torácicas, prolongación del tiempo de tromboplastina parcial activada, positivo para anticuerpos neutralizantes.

INTERACCIONES FARMACOLÓGICAS

No se han realizado estudios sobre interacciones.

DATOS FARMACÉUTICOS

Excipientes (pueden ser diferentes según presentación comercial; consultar ficha técnica específica): sacarosa, citrato de sodio dihidratado (E331), ácido cítrico monohidratado (E330) y polisorbato 20.

Cada vial contiene 12,15 mg de sodio.

Conservación:

- Viales sin abrir: 3 años. Conservar los viales en 2-8 °C en el embalaje original para protegerlos de la luz. No congelar.
- Solución reconstituida y diluida para perfusión: se ha demostrado la estabilidad química y física durante el uso por 24 horas a una temperatura de 2-8 °C y protegidos de la luz. Desde el punto de vista microbiológico, el medicamento debe utilizarse inmediatamente. Si no se lo utiliza de inmediato, los tiempos de conservación en uso y las condiciones antes de la utilización son responsabilidad del usuario, y no deberán exceder las 24 horas a una temperatura de 2-8 °C.

Incompatibilidades: en ausencia de estudios de compatibilidad, este medicamento no debe mezclarse con otros.

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>

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 el 13/08/2020]. Disponible en: <https://cima.aemps.es/cima/publico/home.html>
- American Pharmacists Association (eds.). Pediatric and Neonatal Dosage Handbook. 24.^a edición. Hudson (OH): Lexi Comp; 2017.
- UpToDate (Pediatric drug information) [base de datos en Internet]. Waltham, MA: Wolters Kluwer Health Clinical Solutions; 2012 [consultado el 13/08/2020]. Disponible en: www.uptodate.com

Fecha de actualización: septiembre 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 del Medicamento