

COMPRENSIÓN DE **ELAPRASE**: DISCUSIONES CON EL MÉDICO

¿Qué es ELAPRASE[®] (idursulfasa)?

ELAPRASE es un medicamento recetado para pacientes con síndrome de Hunter.

Se ha demostrado que ELAPRASE mejoró la capacidad para caminar en pacientes de 5 años y mayores.

En pacientes de 16 meses a 5 años de edad, ELAPRASE no mostró mejoría en los síntomas relacionados con la enfermedad ni en los resultados clínicos a largo plazo; sin embargo, el tratamiento con ELAPRASE redujo el tamaño del bazo de manera similar que en los pacientes de 5 años y mayores.

Se desconoce si ELAPRASE es seguro y eficaz en niños menores de 16 meses de edad.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

RIESGO DE REACCIONES ALÉRGICAS GRAVES:

Algunos pacientes han experimentado reacciones alérgicas graves (incluidas las reacciones anafilácticas que representan un riesgo para la vida) durante y hasta las 24 horas posteriores al tratamiento, sin importar por cuánto tiempo recibieron ELAPRASE. Las reacciones anafilácticas son de carácter inmediato e incluyen problemas respiratorios, bajos niveles de oxígeno, presión arterial baja, ronchas y/o hinchazón de la garganta o de la lengua. Si un paciente (usted o su hijo) ha tenido una reacción anafiláctica, el paciente puede requerir un período extendido de observación por parte del equipo médico del paciente. Si usted o su hijo tienen problemas respiratorios, fiebre o una enfermedad respiratoria, usted o su hijo podrían estar en riesgo de empeoramiento mortal de esas condiciones debido a reacciones alérgicas a la ELAPRASE. Su equipo médico debe ser notificado de esas afecciones antes del tratamiento con ELAPRASE debido a que la información puede afectar el momento en que se realiza el tratamiento con ELAPRASE.

**Para pacientes
y cuidadores**

Para obtener mayor información,
visite www.ELAPRASE.com

CONTENIDOS



Introducción **04**

¿Qué es el síndrome de Hunter? **05**

¿Qué es ELAPRASE? **06**

¿Cómo se administra ELAPRASE? **07**

Equipo multidisciplinario **08**

Recursos **09**

Preguntas frecuentes **10**

Información de seguridad importante **12**

Glosario **14**

INTRODUCCIÓN

Qué analizaremos

Esta guía tiene como objetivo hablar sobre el síndrome de Hunter y el tratamiento con ELAPRASE. ELAPRASE (idursulfasa) es un medicamento de venta con receta para pacientes con síndrome de Hunter. Puede usar esta guía para analizar el síndrome de Hunter y ELAPRASE con su médico y para que lo ayude con cualquier pregunta que pueda tener sobre la enfermedad y el tratamiento.

El síndrome de Hunter es una enfermedad progresiva rara. Usted y su médico analizarán el síndrome de Hunter y ELAPRASE y por qué puede ser adecuado para usted o su niño.

Esta guía ha sido diseñada para que la lleve a las citas con su médico a fin de facilitar sus conversaciones sobre ELAPRASE. Algunas secciones se han puesto a disposición tanto en español como en inglés con la intención de ayudarlo a navegar por sus citas como hispanoparlante.

Le recomendamos que use esta guía para volver a consultarla antes de sus citas, preparar cualquier pregunta que pueda tener para su médico y tomar notas durante sus citas.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

Usted o su hijo deben estar controlados atentamente durante y después del tratamiento con ELAPRASE, y debe confirmar con su equipo médico antes de comenzar el tratamiento para que estén preparados para manejar las reacciones alérgicas graves, incluidas las reacciones anafilácticas. **Informe a su equipo médico de inmediato si se presenta cualquier signo de una reacción alérgica.** Los signos pueden incluir problemas respiratorios, presión arterial baja, erupción cutánea, ronchas, picazón, enrojecimiento, fiebre y/o dolor de cabeza.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de **ADVERTENCIA** sobre el riesgo de anafilaxia.

¿QUÉ ES EL SÍNDROME DE HUNTER?

- El síndrome de Hunter es una afección genética rara, de por vida, progresiva, que afecta predominantemente a los niños.
- El síndrome de Hunter es una de las enfermedades de almacenamiento lisosómico en las que las moléculas de azúcar complejas largas llamadas glicosaminoglicanos (GAG) no pueden descomponerse ni acumularse en las células del cuerpo.
- Esta acumulación de GAG es causada por niveles faltantes o bajos de una enzima llamada iduronato-2-sulfatasa (I2S), que descompone los GAG.
- La acumulación de GAG se produce dentro de las células de todo el cuerpo y afecta a muchos órganos diferentes.

En este momento, si tiene alguna pregunta sobre el síndrome de Hunter, consulte a su médico. Es posible que desee analizar los síntomas específicos del síndrome de Hunter que está experimentando.

Este es un espacio para anotar cualquier pregunta o cuestión que le gustaría plantear a su médico, o tomar notas:



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

Cuando se produjeron reacciones alérgicas graves durante los ensayos clínicos, los tratamientos posteriores con ELAPRASE se manejaron con medicamentos para controlar la alergia antes o durante el tratamiento, una tasa más lenta de tratamiento con ELAPRASE y/o la interrupción temprana del tratamiento.

Consulte la Información de seguridad importante en las [páginas 12 a 13](#) y [HAGA CLIC AQUÍ](#) para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

¿QUÉ ES ELAPRASE?

- ELAPRASE es un medicamento recetado para pacientes con síndrome de Hunter.
- Se ha demostrado que ELAPRASE mejora la capacidad para caminar en pacientes de 5 años o más. En pacientes de 16 meses a 5 años, ELAPRASE no mostró mejoría en los síntomas relacionados con la enfermedad ni en los resultados clínicos a largo plazo; sin embargo, el tratamiento con ELAPRASE ha reducido el tamaño del bazo de manera similar a los pacientes de 5 años o más.
- Se desconoce si ELAPRASE es seguro y eficaz en niños menores de 16 meses.
- ELAPRASE es un tipo de terapia de reemplazo enzimático (TRE) destinada a pacientes con síndrome de Hunter que no pueden producir suficiente cantidad de la enzima iduronato-2-sulfatasa por sí misma.
- ELAPRASE es una “terapia de reemplazo enzimático” porque es una formulación de la enzima que falta o es baja en personas con síndrome de Hunter. ELAPRASE es una forma purificada de la enzima iduronato-2-sulfatasa producida por tecnología de ADN recombinante en una línea celular humana.
- El principio activo de ELAPRASE es una enzima que descompone los glicosaminoglicanos (GAG), que se acumulan dentro de las personas con síndrome de Hunter y causan los signos y síntomas de la afección. Por ejemplo, la acumulación de GAG dentro de órganos como el hígado y el bazo produce un tamaño de órgano agrandado.
- ELAPRASE puede afectar a las personas de manera diferente y la experiencia de cada persona con ELAPRASE será única.

En este punto, si desea que su médico repita algo que haya dicho o explicado, pídale que lo haga.

Estas son algunas preguntas que puede tener sobre ELAPRASE y que puede querer hacerle a su médico:

*¿Cuáles son los efectos secundarios de ELAPRASE?
What are the side effects of ELAPRASE?*

*¿ELAPRASE es un medicamento nuevo?
Is ELAPRASE a new medication?*

*¿Cómo puede ELAPRASE ayudar a controlar el síndrome de Hunter?
How can ELAPRASE help manage Hunter syndrome?*

*¿Cómo afecta ELAPRASE a las personas de manera diferente?
How does ELAPRASE affect individuals differently?*

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

Los niños con mutaciones genéticas graves pueden estar en riesgo de padecer reacciones alérgicas, efectos secundarios graves y desarrollo de anticuerpos. En un estudio clínico en niños de 7 años y menores, los pacientes con ciertos tipos de mutaciones genéticas presentaron una mayor cantidad de reacciones alérgicas, efectos secundarios graves y desarrollaron una respuesta inmunitaria al tratamiento. Esta respuesta inmunitaria puede interferir con la eficacia de ELAPRASE. Hable con su equipo médico acerca de si usted o su hijo pueden estar en riesgo.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

¿CÓMO SE ADMINISTRA ELAPRASE?

- ELAPRASE es una infusión semanal administrada por vía intravenosa por un profesional de cuidados de la salud.
- Para recibir ELAPRASE, acudirá a un centro de tratamiento todas las semanas para recibir una infusión que puede durar hasta 3 horas; es posible que se requiera un tiempo de infusión más prolongado si se producen reacciones de hipersensibilidad. Este tiempo puede reducirse gradualmente a 1 hora si no se producen reacciones de hipersensibilidad. También puede haber tiempo adicional necesario para la preparación y la observación.
- La dosis de ELAPRASE depende de su peso, por lo que se lo pesará regularmente para calcular la mejor dosis de ELAPRASE para usted.
- Los pacientes serán monitoreados atentamente durante la infusión y durante un período posterior. Los pacientes deben notificar a su equipo de atención médica de inmediato si se produce algún síntoma de una reacción alérgica.

En este punto, si desea que su médico repita algo que haya dicho o explicado, pídale que lo haga.

Estas son algunas preguntas que le gustaría hacerle a su médico:

*¿Qué puedo hacer durante las infusiones?
What can I do during infusions?*

*¿Dónde está el centro de infusión al que debo ir?
Where is the infusion center that I should go to?*

*¿Quién me administrará la infusión?
Who will give me the infusion?*

*¿Qué debo llevar a mi primera infusión?
What should I bring to my first infusion?*

*¿Quién puede acompañarme a mis infusiones?
Who can come along with me to my infusions?*

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

Si usted o su hijo tienen problemas para respirar, otras enfermedades respiratorias, problemas cardíacos, o la susceptibilidad a sobrecarga de líquidos, usted o su hijo pueden estar en mayor riesgo de sufrir una sobrecarga de líquidos durante el tratamiento con ELAPRASE. Su equipo médico debe ser informado de esos problemas antes del tratamiento y usted debe confirmar con dicho equipo antes de comenzar el tratamiento que estén debidamente capacitados para detectar signos de sobrecarga de líquidos y proporcionar el apoyo médico necesario. Los pacientes en riesgo de sobrecarga de líquidos pueden requerir tiempo de observación más prolongado.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

EQUIPO MULTIDISCIPLINARIO

Su pediatra puede trabajar junto con muchos especialistas para diagnosticar y controlar el síndrome de Hunter. Estos pueden incluir:

-  Genetistas ([Geneticists](#))
-  Reumatólogos ([Rheumatologists](#))
-  Neurólogos ([Neurologists](#))
-  Cardiólogos ([Cardiologists](#))
-  Fisioterapeutas ([Physical therapists](#))
-  Fonoaudiólogos ([Speech therapists](#))
-  Enfermeros especialistas ([Specialist nurses](#))
-  Otorrinolaringólogos ([Otorhinolaryngologists](#))
-  Cirujanos ortopédicos ([Orthopedic surgeons](#))
-  Oftalmólogos ([Ophthalmologists](#))
-  Neumólogos ([Pneumologists](#))
-  Anestesiólogos ([Anesthesiologists](#))
-  Psicólogos ([Psychologists](#))
-  Trabajadores sociales ([Social workers](#))

Estas son algunas preguntas que tal vez desee hacerle a su médico:

*¿Por qué podría consultar a estos especialistas?
Why might I see these specialists?*

*¿Qué tipo de pruebas y evaluaciones se realizarán?
What kind of tests and assessments will be conducted?*

Este es un espacio para que tome notas:

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de ELAPRASE? Los efectos secundarios más frecuentes de ELAPRASE incluyen los siguientes:

- En pacientes de 5 años de edad y mayores:
 - dolor de cabeza;
 - picazón;
 - dolor muscular y óseo;
 - ronchas;
 - diarrea;
 - tos.
- En pacientes de 7 años de edad y menores:
 - fiebre;
 - erupción;
 - vómitos;
 - ronchas.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

RECURSOS

Recursos en español en el sitio web de ELAPRASE (www.ELAPRASE.com): Encuentre más recursos en el sitio web ELAPRASE.com, incluido el folleto Comprender ELAPRASE, que está diseñado para proporcionar una introducción a ELAPRASE y cómo funciona.

Sociedad de MPS (www.MPSSociety.org): El síndrome de Hunter es una de varias enfermedades de almacenamiento lisosómico conocidas como mucopolisacaridosis, y este sitio web tiene recursos, apoyo y formas de conectarse con otros pacientes.

Visite www.mppsociety.org/learn/education/booklets para obtener más información seleccionando la opción “Libretas de MPS y ML en español” en la parte superior de la página.”

Estos recursos no pretenden reemplazar la atención y el asesoramiento que debe recibir de su médico.

Al investigar el síndrome de Hunter, es importante recordar que la experiencia de cada paciente es única.

Puede parecer abrumador ver todos los recursos y la información, así que trate de recordar que es importante tomar descansos y cuidarse a sí mismo.

Al final de su cita, es posible que su médico le pregunte si tiene alguna otra pregunta. Si no se le ocurre nada, revise esta guía para ver si hay algo más que le gustaría preguntar.

Como alternativa, podría usar esto como una oportunidad para resumir lo que ha aprendido y repetir esto a su médico. Luego, su médico puede aclarar cualquier punto que no haya quedado claro y es posible que se sienta más seguro de haber comprendido todo.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

Los efectos secundarios más frecuentes que necesitaron atención médica fueron las reacciones alérgicas, como sarpullido, ronchas, picazón, enrojecimiento, fiebre y dolor de cabeza. **Informe a su equipo médico de inmediato si se presenta cualquier signo de una reacción alérgica.** Estos no son todos los posibles efectos secundarios de ELAPRASE.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

PREGUNTAS FRECUENTES

Estas son algunas preguntas frecuentes:

1. ¿Quién contrae el síndrome de Hunter?

El síndrome de Hunter es una enfermedad rara afecta principalmente a los niños. Es una afección genética, lo que significa que se hereda.

2. ¿Qué es ELAPRASE?

ELAPRASE es un medicamento recetado para pacientes con síndrome de Hunter. Se ha demostrado que ELAPRASE mejora la capacidad para caminar en pacientes de 5 años o más. En pacientes de 16 meses a 5 años, ELAPRASE no mostró mejoría en los síntomas relacionados con la enfermedad ni en el resultado clínico a largo plazo; sin embargo, el tratamiento con ELAPRASE ha reducido el tamaño del bazo de manera similar a los pacientes de 5 años o más. Se desconoce si ELAPRASE es seguro y eficaz en niños menores de 16 meses. Es un tipo de terapia de reemplazo enzimático destinada a pacientes con síndrome de Hunter que no pueden producir suficiente cantidad de la enzima iduronato-2-sulfatasa por sí misma.

3. ¿Cómo ayuda ELAPRASE a las personas con síndrome de Hunter?

En un estudio clínico de pacientes con síndrome de Hunter, de 5 a 31 años, se demostró que ELAPRASE aumenta significativamente la capacidad de los pacientes para caminar más lejos en comparación con aquellos que recibieron una infusión de medicamento inactivo. También se demostró que ELAPRASE mejora algunas otras medidas de actividad, como los niveles de GAG en la orina y el tamaño del hígado y el bazo.

Los resultados de las pruebas en una medida de la capacidad pulmonar, conocida como el porcentaje previsto de capacidad vital forzada (CVF), no fueron significativos.

En un estudio clínico de pacientes menores de 5 años, se observaron mejoras similares en los niveles de GAG en orina y el tamaño del bazo, pero no se evaluaron los síntomas relacionados con la enfermedad, como la capacidad para caminar. ELAPRASE no se ha estudiado en pacientes menores de 16 meses de edad en ensayos clínicos.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

RIESGO DE REACCIONES ALÉRGICAS GRAVES:

Algunos pacientes han experimentado reacciones alérgicas graves (incluidas las reacciones anafilácticas que representan un riesgo para la vida) durante y hasta las 24 horas posteriores al tratamiento, sin importar por cuánto tiempo recibieron ELAPRASE. Las reacciones anafilácticas son de carácter inmediato e incluyen problemas respiratorios, bajos niveles de oxígeno, presión arterial baja, ronchas y/o hinchazón de la garganta o de la lengua. Si un paciente (usted o su hijo) ha tenido una reacción anafiláctica, el paciente puede requerir un período extendido de observación por parte del equipo médico del paciente. Si usted o su hijo tienen problemas respiratorios, fiebre o una enfermedad respiratoria, usted o su hijo podrían estar en riesgo de empeoramiento mortal de esas condiciones debido a reacciones alérgicas a la ELAPRASE. Su equipo médico debe ser notificado de esas afecciones antes del tratamiento con ELAPRASE debido a que la información puede afectar el momento en que se realiza el tratamiento con ELAPRASE.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

PREGUNTAS FRECUENTES (CONTINUACIÓN)

4. ¿Cuáles son los efectos secundarios de ELAPRASE?

En algunos pacientes tratados con ELAPRASE se han producido reacciones alérgicas, incluida anafilaxia potencialmente mortal. Las reacciones anafilácticas incluyen problemas respiratorios, niveles bajos de oxígeno, presión arterial baja, urticaria y/o hinchazón de la garganta o la lengua. Informe a su profesional de cuidados de la salud de inmediato si nota que alguno de estos síntomas comienza.

En ensayos clínicos, los efectos secundarios más frecuentes que ocurrieron en al menos tres pacientes de 5 años o más fueron dolor de cabeza, picazón, dolor muscular y óseo, urticaria, diarrea y tos. Entre los pacientes de 7 años o menos, las reacciones adversas más frecuentes que se produjeron en al menos tres pacientes fueron fiebre, erupción, vómitos y urticaria.

HAGA CLIC AQUÍ para obtener la información completa sobre el perfil de riesgo y seguridad de ELAPRASE.

5. ¿Cómo recibiré mi tratamiento con ELAPRASE?

ELAPRASE es administrado por vía intravenosa por un profesional de cuidados de la salud capacitado, como un enfermero, en un centro de tratamiento.

Las infusiones iniciales pueden administrarse durante un período de aproximadamente 3 horas; este tiempo puede reducirse gradualmente a 1 hora si no se producen reacciones de hipersensibilidad. También puede haber tiempo adicional necesario para la preparación y la observación. Su profesional de cuidados de la salud puede brindarle más detalles sobre qué esperar y puede ayudarlo a planificar con anticipación.

Para obtener más información acerca de ELAPRASE y ver más preguntas frecuentes, visite www.ELAPRASE.com



¿Qué es ELAPRASE[®] (idursulfasa)?

ELAPRASE es un medicamento recetado para pacientes con síndrome de Hunter.

Se ha demostrado que ELAPRASE mejoró la capacidad para caminar en pacientes de 5 años y mayores.

En pacientes de 16 meses a 5 años de edad, ELAPRASE no mostró mejoría en los síntomas relacionados con la enfermedad ni en los resultados clínicos a largo plazo; sin embargo, el tratamiento con ELAPRASE redujo el tamaño del bazo de manera similar que en los pacientes de 5 años y mayores.

Se desconoce si ELAPRASE es seguro y eficaz en niños menores de 16 meses de edad.

Información importante de seguridad

RIESGO DE REACCIONES ALÉRGICAS GRAVES:

Algunos pacientes han experimentado reacciones alérgicas graves (incluidas las reacciones anafilácticas que representan un riesgo para la vida) durante y hasta las 24 horas posteriores al tratamiento, sin importar por cuánto tiempo recibieron ELAPRASE. Las reacciones anafilácticas son de carácter inmediato e incluyen problemas respiratorios, bajos niveles de oxígeno, presión arterial baja, ronchas y/o hinchazón de la garganta o de la lengua. Si un paciente (usted o su hijo) ha tenido una reacción anafiláctica, el paciente puede requerir un período extendido de observación por parte del equipo médico del paciente. Si usted o su hijo tienen problemas respiratorios, fiebre o una enfermedad respiratoria, usted o su hijo podrían estar en riesgo de empeoramiento mortal de esas condiciones debido a reacciones alérgicas a la ELAPRASE. Su equipo médico debe ser notificado de esas afecciones antes del tratamiento con ELAPRASE debido a que la información puede afectar el momento en que se realiza el tratamiento con ELAPRASE.

Usted o su hijo deben estar controlados atentamente durante y después del tratamiento con ELAPRASE, y debe confirmar con su equipo médico antes de comenzar el tratamiento para que estén preparados para manejar las reacciones alérgicas graves, incluidas las reacciones anafilácticas. **Informe a su equipo médico de inmediato si se presenta cualquier signo de una reacción alérgica.** Los signos pueden incluir problemas respiratorios, presión arterial baja, erupción cutánea, ronchas, picazón, enrojecimiento, fiebre y/o dolor de cabeza.

Cuando se produjeron reacciones alérgicas graves durante los ensayos clínicos, los tratamientos posteriores con ELAPRASE se manejaron con medicamentos para controlar la alergia antes o durante el tratamiento, una tasa más lenta de tratamiento con ELAPRASE y/o la interrupción temprana del tratamiento.

Los niños con mutaciones genéticas graves pueden estar en riesgo de padecer reacciones alérgicas, efectos secundarios graves y desarrollo de anticuerpos. En un estudio clínico en niños de 7 años y menores, los pacientes con ciertos tipos de mutaciones genéticas presentaron una mayor cantidad de reacciones alérgicas, efectos secundarios graves y desarrollaron una respuesta inmunitaria al tratamiento. Esta respuesta inmunitaria puede interferir con la eficacia de ELAPRASE. Hable con su equipo médico acerca de si usted o su hijo pueden estar en riesgo.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de **ADVERTENCIA** sobre el riesgo de anafilaxia.

Información importante de seguridad (continuación)

Si usted o su hijo tienen problemas para respirar, otras enfermedades respiratorias, problemas cardíacos, o la susceptibilidad a sobrecarga de líquidos, usted o su hijo pueden estar en mayor riesgo de sufrir una sobrecarga de líquidos durante el tratamiento con ELAPRASE. Su equipo médico debe ser informado de esos problemas antes del tratamiento y usted

debe confirmar con dicho equipo antes de comenzar el tratamiento que estén debidamente capacitados para detectar signos de sobrecarga de líquidos y proporcionar el apoyo médico necesario. Los pacientes en riesgo de sobrecarga de líquidos pueden requerir tiempo de observación más prolongado.

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de ELAPRASE?

Los efectos secundarios más frecuentes de ELAPRASE incluyen los siguientes:

- En pacientes de 5 años de edad y mayores:
 - dolor de cabeza;
 - picazón;
 - dolor muscular y óseo;
 - ronchas;
 - diarrea;
 - tos.
- En pacientes de 7 años de edad y menores:
 - fiebre;
 - erupción;
 - vómitos;
 - ronchas.

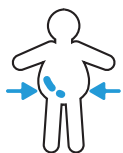
Los efectos secundarios más frecuentes que necesitaron atención médica fueron las reacciones alérgicas, como sarpullido, ronchas, picazón, enrojecimiento, fiebre y dolor de cabeza. **Informe a su equipo médico de inmediato si se presenta cualquier signo de una reacción alérgica.** Estos no son todos los posibles efectos secundarios de ELAPRASE.

Le recomendamos que informe sobre los efectos secundarios negativos de los fármacos recetados a la FDA. Visite www.fda.gov/medwatch o llame al 1-800-FDA-1088.

Para obtener información adicional sobre la seguridad, **HAGA CLIC AQUÍ** para obtener la Información de prescripción completa, incluido el Recuadro de advertencia de Riesgo de anafilaxia, y hable con su médico.

GLOSARIO

Esta es una serie de palabras o frases que puede escuchar que su médico menciona con frecuencia o que puede ver durante su investigación sobre el síndrome de Hunter.



Distensión abdominal (Abdominal distension) – Hinchazón o agrandamiento del abdomen. Esto puede ocurrir en pacientes con síndrome de Hunter debido al agrandamiento del hígado o el bazo.



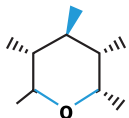
Terapia de reemplazo enzimático (TRE) (Enzyme replacement therapy (ERT)) – Tratamiento que funciona reemplazando la enzima faltante o deficiente en una enfermedad. ELAPRASE es una TRE y está diseñado para reemplazar la enzima iduronato-2-sulfatasa en pacientes con síndrome de Hunter.



Glicosaminoglicanos (GAG) (Glycosaminoglycans (GAGs)) – Moléculas de azúcar largas que son un componente del tejido conectivo en el cuerpo. Los GAG también pueden denominarse mucopolisacáridos y acumularse en pacientes con síndrome de Hunter.



Hepatomegalia (Hepatomegaly) – Hígado agrandado El hígado en pacientes con síndrome de Hunter puede hincharse debido a la acumulación de las moléculas de azúcar largas que el cuerpo no puede descomponer.



Iduronato-2-sulfatasa (I2S) (Iduronate-2-sulfatase (I2S)) – Este es el nombre de la enzima que falta o es deficiente en personas con síndrome de Hunter. ELAPRASE contiene una forma purificada de esta enzima, que está diseñada para descomponer las moléculas de azúcar complejas largas.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

Usted o su hijo deben estar controlados atentamente durante y después del tratamiento con ELAPRASE, y debe confirmar con su equipo médico antes de comenzar el tratamiento para que estén preparados para manejar las reacciones alérgicas graves, incluidas las reacciones anafilácticas. **Informe a su equipo médico de inmediato si se presenta cualquier signo de una reacción alérgica.** Los signos pueden incluir problemas respiratorios, presión arterial baja, erupción cutánea, ronchas, picazón, enrojecimiento, fiebre y/o dolor de cabeza.

Cuando se produjeron reacciones alérgicas graves durante los ensayos clínicos, los tratamientos posteriores con ELAPRASE se manejaron con medicamentos para controlar la alergia antes o durante el tratamiento, una tasa más lenta de tratamiento con ELAPRASE y/o la interrupción temprana del tratamiento.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de **ADVERTENCIA** sobre el riesgo de anafilaxia.

GLOSARIO (CONTINUACIÓN)



Infusión (Infusion) – Terapia que requiere la administración de un fármaco a través de una aguja o catéter. ELAPRASE se administra mediante infusión.



Mucopolisacárido (Mucopolysaccharide) – Una molécula de azúcar compleja y larga que se encuentra en el cuerpo.



Mucopolisacaridosis (MPS) tipo II (Mucopolysaccharidosis (MPS) II) – Un nombre alternativo para el síndrome de Hunter. El síndrome de Hunter es un tipo de conjunto de enfermedades llamadas mucopolisacaridosis, que implican la acumulación de moléculas de azúcar largas que no pueden descomponerse.



Equipo multidisciplinario (Multidisciplinary team) – Dado que el síndrome de Hunter puede afectar múltiples órganos del cuerpo, puede requerir múltiples especialistas para ayudar a manejar la enfermedad.



Esplenomegalia (Splenomegaly) – Bazo agrandado. El bazo en pacientes con síndrome de Hunter puede hincharse debido a la acumulación de moléculas de azúcar largas que el cuerpo no puede descomponer.

Si no está seguro del significado de las palabras o frases que utiliza su médico, pídale que se las explique. Si prefiere buscarlas después de su cita, aquí hay algo de espacio para anotarlas:

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

Los niños con mutaciones genéticas graves pueden estar en riesgo de padecer reacciones alérgicas, efectos secundarios graves y desarrollo de anticuerpos. En un estudio clínico en niños de 7 años y menores, los pacientes con ciertos tipos de mutaciones genéticas presentaron una mayor cantidad de reacciones alérgicas, efectos secundarios graves y desarrollaron una respuesta inmunitaria al tratamiento. Esta respuesta inmunitaria puede interferir con la eficacia de ELAPRASE. Hable con su equipo médico acerca de si usted o su hijo pueden estar en riesgo.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 12 a 13** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

**Para obtener mayor información,
visite www.ELAPRASE.com**

¿Qué es ELAPRASE® (idursulfasa)?

ELAPRASE es un medicamento recetado para pacientes con síndrome de Hunter.

Se ha demostrado que ELAPRASE mejoró la capacidad para caminar en pacientes de 5 años y mayores.

En pacientes de 16 meses a 5 años de edad, ELAPRASE no mostró mejoría en los síntomas relacionados con la enfermedad ni en los resultados clínicos a largo plazo; sin embargo, el tratamiento con ELAPRASE redujo el tamaño del bazo de manera similar que en los pacientes de 5 años y mayores.

Se desconoce si ELAPRASE es seguro y eficaz en niños menores de 16 meses de edad.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

RIESGO DE REACCIONES ALÉRGICAS GRAVES:

Algunos pacientes han experimentado reacciones alérgicas graves (incluidas las reacciones anafilácticas que representan un riesgo para la vida) durante y hasta las 24 horas posteriores al tratamiento, sin importar por cuánto tiempo recibieron ELAPRASE. Las reacciones anafilácticas son de carácter inmediato e incluyen problemas respiratorios, bajos niveles de oxígeno, presión arterial baja, ronchas y/o hinchazón de la garganta o de la lengua. Si un paciente (usted o su hijo) ha tenido una reacción anafiláctica, el paciente puede requerir un período extendido de observación por parte del equipo médico del paciente. Si usted o su hijo tienen problemas respiratorios, fiebre o una enfermedad respiratoria, usted o su hijo podrían estar en riesgo de empeoramiento mortal de esas condiciones debido a reacciones alérgicas a la ELAPRASE. Su equipo médico debe ser notificado de esas afecciones antes del tratamiento con ELAPRASE debido a que la información puede afectar el momento en que se realiza el tratamiento con ELAPRASE.

1. Wraith JE *et al. Eur J Pediatr.* 2008; 167: 267-277. 2. ELAPRASE Prescribing Information.
3. Scarpa M *et al. Orphanet J Rare Dis.* 2011; 6(72): 1-18. 4. Burton BK, Guiglian R. *Eur J Pediatr.* 2012;
171: 631-639. 5. Martin R *et al. Pediatr.* 2008; 121(2): e377-386. 6. Cambridge Dictionary. Distension.
Disponible en: <https://link.edgepilot.com/s/4ca9249f/RgmK10zkh06ErgAqU6Xavw?u=https://dictionary.cambridge.org/dictionary/english/distension>. Acceso en marzo 2022. 7. NORD. Mucopolysaccharidosis Type II. Disponible en: <https://link.edgepilot.com/s/Offae892/ZQlv3sj9lkykETObXGQL9w?u=https://rarediseases.org/rare-diseases/mucopolysaccharidosis-type-ii-2/>. Acceso en marzo 2022. 8. NINDS NIH. Mucopolysaccharidoses Fact Sheet. Disponible en: <https://link.edgepilot.com/s/206986bf/gYFQqnxLQ0mf4r1qOP7BRg?u=https://www.ninds.nih.gov/Disorders/Patient-Caregiver-Education/Fact-Sheets/Mucopolysaccharidoses-Fact-Sheet>. Acceso en marzo 2022. 9. Healthline. What Is Infusion Therapy and When Is It Needed? Disponible en: <https://link.edgepilot.com/s/Oa89691d/OZvd3ccgWUyLiKlv5dmsHA?u=https://www.healthline.com/health/infusiontherapy%23conditions-used-for>. Acceso en marzo 2022.

©2023 Takeda Pharmaceuticals U.S.A., Inc., 300 Shire Way, Lexington, MA 02421. 1-877-TAKEDA-7 (1-877-825-3327).
Todos los derechos reservados. TAKEDA® y el logotipo de TAKEDA® son marcas comerciales registradas de Takeda Pharmaceutical Company Limited. ELAPRASE® y el logotipo de ELAPRASE® son marcas comerciales registradas de Shire Human Genetic Therapies, Inc. US-IDU-0197v2.0 08/23

