

IX. ANEXO

ANEXO N°1 – Condiciones de uso

El paciente a ser considerado para recibir alglucosidasa alfa debe cumplir con los siguientes criterios clínicos, los cuales deben ser acreditados por el médico tratante* al momento de solicitar la aprobación del medicamento al Comité Farmacoterapéutico correspondiente en cada paciente específico o en el Anexo N° 07 de la Directiva N° 003-IETSI-ESSALUD-2016:



Diagnóstico/condición de salud	Enfermedad de Pompe de inicio tardío.
Grupo Etario	Grupo etario Mayores de 8 años
Condición clínica del paciente para ser apto de recibir el medicamento	<p>Paciente con diagnóstico enfermedad de Pompe de inicio tardío confirmado con:</p> <ul style="list-style-type: none"> - Determinación de la actividad enzimática alfa glucosidasa ácida en leucocitos/fibroblastos de piel, y análisis de la mutación, que se encuentre documentado en la HCL^a que el paciente es sintomático: afectación de la función muscular (i.e. debilidad muscular detectable en el examen físico o alteraciones en biopsia muscular) y/ o respiratoria reducción de la CVF^b mayor a 10%) y/o dificultad para realizar actividades de la vida diaria.
Presentar la siguiente información ADICIONAL debidamente documentada en el expediente del paciente de la solicitud del medicamento	<ol style="list-style-type: none"> 1. Niveles de CPK^c 2. Niveles de transaminasas (TGO^d y TGP^e) 3. Electromiografía 4. Pruebas de función pulmonar (CVF) 5. Test de la caminata de 6 minutos 6. Polisomnografía 7. Evaluación cardiológica 8. Evaluación auditiva (audiometría).
Presentar la siguiente información debidamente documentada al seguimiento con el Anexo N° 07 de la Directiva N° 003-IETSI-ESALUD-2016	<ol style="list-style-type: none"> 1. Prueba de caminata de 6 minutos (cada 6 meses) 2. TGO-TGP-Albúmina —LDH^f (anual) - CPK-CK-MB^g (anual) 3. SF-36 Health survey (> de 18 años) 4. Pruebas de función pulmonar: CVF/VEF1^h (anual) 5. Estudio del sueño (anual) 6. Ecocardiograma y electrocardiograma (anual) 7. Reacciones adversas.



<p>Criterios para la suspensión del medicamento</p>	<p>Luego de 2 años de seguimiento sin evidenciar mejoría o estabilización, con respecto a la medida basal, de síntomas relacionados a la función muscular o respiratoria (medidos objetivamente a través de la distancia caminada y de la CVF),</p> <ul style="list-style-type: none">o Que ha criterio del médico tratante el paciente tenga una esperanza de vida estimada corta o pobre/bajo adherencia al tratamientoo Reacciones adversas relacionadas a la infusión del medicamento que comprometen la seguridad del paciente.
--	---

a. HCL: historia clínica, b. CVF: capacidad vital forzada, c. CPK: creatina-fosfocinasa d. TGO: aspartato aminotransferasa, e. TGP: alanina aminotransferasa, f. LDH: lactato deshidrogenasa, g. CK-MB: isoenzima MB de la creatina quinasa, h. VEF1: Volumen espiratorio forzado en un segundo.

*Médico especialista solicitante debe pertenecer a la especialidad de genética.