

## IX. ANEXOS

### ANEXO N° 1 – Condiciones de uso

El paciente a ser considerado para recibir imiglucerasa 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:



<b>Diagnóstico/condición de salud</b>	Pacientes niños y adultos con diagnóstico de enfermedad de Gaucher tipo 1
<b>Grupo Etario</b>	Todas las edades
<b>Condición clínica del paciente para ser apto de recibir el medicamento</b>	<ol style="list-style-type: none"> <li>1. Paciente con diagnóstico de enfermedad de Gaucher tipo 1 confirmado con determinación de la actividad de enzima beta glucocerebrosidasa ácida en plasma o leucocitos o biopsia de tejidos o cultivo de fibroblastos.</li> <li>2. Uno o más de los siguientes criterios (forma severa):                     <ul style="list-style-type: none"> <li>- Plaquetas <math>\leq 60,000/mm^3</math> o episodios serios de sangrado;</li> <li>- Anemia sintomática, o hemoglobina <math>\leq 8g/dL</math>;</li> <li>- Necesidad de transfusiones;</li> <li>- Hepatomegalia y/o esplenomegalia moderada a severa<sup>16</sup> que causa dolor o distensión abdominal con síntomas funcionales;</li> <li>- Enfermedad ósea sintomática: crisis óseas, osteonecrosis, fracturas patológicas, lisis ósea, prótesis articulares; osteoporosis (criterios de DMO no validado en niños);</li> <li>- Niños: uno de los signos anteriores, retraso del crecimiento, o pubertad tardía.</li> </ul> </li> </ol>



<sup>16</sup> De acuerdo con la clasificación de Weinreb et al. (2002) en pacientes con EG tipo 1, la esplenomegalia se divide en: esplenomegalia leve (<5 veces el valor normal), esplenomegalia moderada (5-15 veces el valor normal) y esplenomegalia severa (>15 veces el valor normal), mientras que la hepatomegalia se divide en: hepatomegalia leve (<1.25 veces el valor normal), hepatomegalia moderada (1.25-2.5 veces el valor normal) y hepatomegalia severa (>2.5 veces el valor normal) (Weinreb et al. 2002).



**Presentar la siguiente información ADICIONAL debidamente documentada en el expediente del paciente de la solicitud del medicamento**

1. Resultados de análisis enzimático de  $\beta$ -GA
2. Estudio genético para identificar las mutaciones o alteraciones en la secuencia genética que originan la ausencia de actividad enzimática.
3. Hemograma
4. Evaluación del tamaño del bazo e hígado mediante resonancia magnética o tomografía computarizada volumétrica
5. Evaluación de la afección ósea mediante resonancia magnética y radiografía
6. Densitometría ósea por absorciometría dual de rayos X (DEXA)
7. Historia clínica y examen físico detallado que sustente el cumplimiento de los criterios de inicio de terapia de reemplazo enzimático
8. Resultados de Cuestionario de Calidad de Vida SF-36 (Versión española 1.4 junio de 1999)<sup>17</sup>



**Presentar la siguiente información debidamente documentada al seguimiento con el Anexo N° 07 de la Directiva N° 003-IETSI-ESALUD-2016**

1. Hemograma (cada 6 meses)
2. Historia clínica y examen físico detallado (cada 6 meses)
3. Reporte de eventos adversos (cada 6 meses)
4. Resultados de Cuestionario de Calidad de Vida SF-36 (cada 6 meses)
5. Evaluación del tamaño del bazo e hígado mediante resonancia magnética o tomografía computarizada volumétrica (cada 12 meses)
6. Evaluación de la afección ósea mediante resonancia magnética y radiografía (cada 12 meses)
7. Densitometría ósea por absorciometría dual de rayos X (DEXA) (cada 12 meses)



<sup>17</sup> Disponible en la Guía de actuación de pacientes con enfermedad de Gaucher desarrollada por la Fundación Española para el Estudio y Terapéutica de la Enfermedad de Gaucher y otras Enfermedades Lisosomales (FEETEG 2011).



**Criterios para la suspensión del medicamento**

1. Efectos adversos intolerables de la TRE<sup>18</sup>.
2. Enfermedades intercurrentes en donde se afecte la calidad o la esperanza de vida de tal manera que el paciente no obtiene beneficio ni ganancia significativa con la administración de TRE.
3. A solicitud del paciente adulto en pleno uso de sus facultades mentales.
4. Si el paciente no lleva en forma adecuada las medidas que permiten valorar la efectividad del tratamiento: falta de apego del paciente al régimen de dosis recomendado, el no asistir a 3 citas consecutivas, el no asistir a 5 citas en un espacio de 2 años.
5. Si la TRE no alivia los síntomas de la enfermedad que originalmente lo hicieron elegible para el tratamiento (no se logran los objetivos terapéuticos en un periodo de 12 meses de tratamiento).
6. La TRE no está justificada en los siguientes casos:
  - Pacientes asintomáticos.
  - Pacientes con complicaciones irreversibles tales como la necrosis avascular de cadera en donde pueda esperarse que no responderán a la TRE. En estos pacientes es improbable revertir las alteraciones óseas.
  - Pacientes que presenten otra enfermedad concomitante severa donde el pronóstico a largo plazo no puede verse influenciado por la TRE.
  - Presencia de alguna condición médica que razonablemente pueda comprometer la respuesta de la TRE.

\*Médico especialista solicitante debe pertenecer a la especialidad de hematología.

<sup>18</sup> TRE: Terapia de reemplazo enzimática.