

**IX. ANEXO**

**ANEXO N°1: Condiciones de uso**

El paciente a ser considerado para recibir alglucosidasa alfa debe cumplir con los siguientes criterios clínicos 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>	Paciente pediátrico sintomático y con diagnóstico de enfermedad de Pompe de inicio en la infancia confirmado con determinación de la actividad enzimática alfa glucosidasa ácida en leucocitos/fibroblastos de piel <1% del promedio normal o análisis de la mutación
<b>Grupo etario</b>	Pacientes de 1 a 17 años
<b>Tiempo máximo que el Comité Farmacoterapéutico puede aprobar el uso del medicamento en cada paciente</b>	1 año
<b>Condición clínica del paciente para ser apto de recibir el medicamento</b>	Cardiomiopatía hipertrófica (índice de masa ventricular izquierda $\geq 65$ g/m <sup>2</sup> por ecocardiograma) Saturación de O <sub>2</sub> $\geq 90\%$ o presión parcial de CO <sub>2</sub> $\leq 55$ mm Hg [venoso] o < 40 mm Hg [arterial] a cualquier FiO <sub>2</sub> No tener una anomalía congénita importante o clínicamente significativa intercurrente y no relacionada con la enfermedad de Pompe
<b>Presentar la siguiente información ADICIONAL debidamente documentada en el expediente del paciente de solicitud del medicamento.</b>	Evaluación de la función cardiaca mediante la puntuación Z de la masa ventricular y fracción de eyección Desarrollo motor (medido con la escala motora de Alberta infantil) Calidad de vida de los padres Requerimiento de ventilación Presencia de anticuerpos IgG anti-alglucosidasa alfa

DICTAMEN PRELIMINAR DE EVALUACIÓN DE TECNOLOGÍA SANITARIA N.º 040-SDEPFYOTS-DETS-IETSI-2019  
 EFICACIA Y SEGURIDAD DE ALGLUCOSIDASA ALFA EN EL TRATAMIENTO DE PACIENTES PEDIÁTRICOS CON ENFERMEDAD DE  
 POMPE DE INICIO EN LA INFANCIA



<p><b>Presentar la siguiente información debidamente documentada al término de la administración del tratamiento y al seguimiento con el Anexo N° 07 de la Directiva N° 003-IETSI-ESALUD-2016</b></p>	<p>Masa ventricular izquierda (puntuación Z) LVM-Z                  Fracción de eyección                  Tiempo hasta requerimiento de ventilación                  Sobrevida                  Efectos adversos generales                  Efectos adversos relacionados con la infusión                  Anticuerpos anti-alglucosidasa alfa</p>
<p><b>Criterios para la suspensión del medicamento</b></p>	<p>Luego de 2 años de seguimiento sin evidenciar mejoría o estabilización, con respecto a la medida basal</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>o</li> <li>Que ha criterio del médico tratante el paciente tenga una esperanza de vida estimada corta o pobre/bajo adherencia al tratamiento</li> <li>o</li> </ul> <p>Reacciones adversas relacionadas a la infusión del medicamento que comprometen la seguridad del paciente.</p>



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

