

COMPRENSIÓN DE ELAPRASE

¿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

Consulte la Información de seguridad importante adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

ÍNDICE

Introducción	04
¿Qué es ELAPRASE?	05
¿Cómo funciona ELAPRASE?	06
Plazo de ELAPRASE	08
Servicios de soporte de Takeda Patient Support	10
Inscripción en Takeda Patient Support	11
Preguntas frecuentes	12
Información de seguridad importante	16
Recursos adicionales	18
Glosario	19

Para obtener más información
visite www.ELAPRASE.com



INTRODUCCIÓN

Vivir con síndrome de Hunter (también conocido como **mucopolisacaridosis II o MPS II**) puede ser un desafío, y procesar la transición a un tratamiento del que quizás no haya oído hablar antes puede ser abrumador. Este folleto proporciona una introducción a ELAPRASE para ayudarlo a comprender cómo funciona y qué esperar.

Para obtener más asesoramiento e información, hable con su médico y visite www.ELAPRASE.com, donde puede encontrar una variedad de recursos diseñados para ayudarlo a sentirse apoyado e informado durante todo su tratamiento.

La información contenida en este folleto no pretende reemplazar la atención y el asesoramiento que debe recibir de su médico.



INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (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 adicional en las **páginas 16 a 17** 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 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.

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 mismos.

ELAPRASE es una “terapia de reemplazo enzimático” porque es una formulación de la enzima iduronato-2-sulfatasa 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.

ELAPRASE puede afectar a las personas de manera diferente y la experiencia de cada persona con ELAPRASE será única.

Para obtener ayuda con la terminología resaltada en azul a lo largo de este folleto, consulte el glosario en la página 19.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (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 adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

¿CÓMO FUNCIONA ELAPRASE?

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.

Como se describe en la siguiente página, ELAPRASE tiene como objetivo reducir los niveles de GAG en las células.

¿CÓMO SE ADMINISTRA ELAPRASE?

ELAPRASE se administra por vía intravenosa (mediante **infusión** en una vena) una vez por semana o según lo recetado por un profesional de cuidados de la salud calificado, con el apoyo médico de emergencia adecuado disponible.

Las infusiones generalmente duran hasta 3 horas, pero los pacientes pueden requerir tiempos de infusión más prolongados si se producen reacciones de **hipersensibilidad**, y es posible que se necesite tiempo adicional para la preparación y la observación.



INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (CONTINUACIÓN)

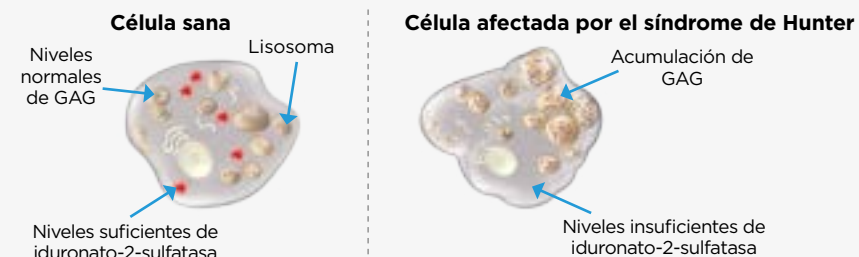
Los niños con mutaciones genéticas graves pueden estar en riesgo de padecer **reacciones alérgicas, efectos secundarios graves y desarrollo de anticuerpos**. En un estudio clínico en niños de 7 años y menores, los pacientes con ciertos tipos de mutaciones genéticas presentaron una mayor cantidad de reacciones 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 adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

Mecanismo de acción de ELAPRASE

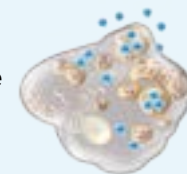
Célula sana frente a célula afectada por el síndrome de Hunter

En una célula sana, los GAG se descomponen y permanecen en un nivel saludable. En las células de un paciente con síndrome de Hunter, los GAG se acumulan en los lisosomas, lo que causa daño celular y en los órganos. Los lisosomas son compartimentos dentro de una célula.



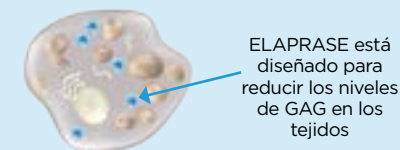
Cómo funciona ELAPRASE

Después de la administración, ELAPRASE se absorbe en las células, donde se pretende actuar en lugar de la enzima faltante para descomponer los GAG.



Célula tratada con ELAPRASE

Sólo ilustración. No pretende implicar significancia clínica.



Para obtener más información sobre la administración de ELAPRASE, consulte **Las Infusiones de ELAPRASE: Guía Sobre Qué Esperar**.

Consulte la Información de seguridad importante adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.



ELAPRASE® (idursulfasa) es una marca global con más de 15 años de experiencia en el mundo real

ELAPRASE está disponible en 77 países* y cuenta con la aprobación de la FDA (Foods and Drugs Administration) desde 2006

elaprased
(idursulfase)

2001

Se inició el programa de ensayo clínico de terapia de reemplazo enzimático con idursulfasa.

1990-2000

Desarrollo de la idursulfasa, una forma purificada de la enzima I2S producida por tecnología de ADN recombinante en una línea celular humana.

1990

Descubrimiento de la terapia de reemplazo enzimático como posible tratamiento para el síndrome de Hunter.

1972

Se encontró el factor correctivo de Hunter, más tarde conocido como iduronato-2-sulfatasa (I2S), la deficiencia enzimática o el mal funcionamiento en pacientes con síndrome de Hunter.

1917

Se caracterizaron los primeros casos de síndrome de Hunter, más adelante también conocido como mucopolisacaridosis tipo 2 (MPS II).

ELAPRASE HOY EN DÍA

ELAPRASE es la primera y única TRE con más de 15 años de experiencia clínica aprobada para el tratamiento del síndrome de Hunter en los Estados Unidos. Además, está aprobado en 77* países.

10 años

2016

ELAPRASE alcanza la marca de los 10 años. Hasta julio de 2016, se habían inscrito 1200 pacientes de 134 clínicas en 33 países en la Encuesta de resultados (HOS), lo que la convierte en la mayor fuente global de datos sobre el síndrome de Hunter.

2005

La Encuesta de resultados de Hunter (*Hunter Outcome Survey*, HOS) comenzó la inscripción de pacientes. HOS es una encuesta observacional global a largo plazo patrocinada por Takeda de pacientes con MPS II establecida para comprender mejor la MPS II.

2006

ELAPRASE recibe la aprobación de la Administración de Alimentos y Medicamentos de EE. UU. (*Food and Drug Administration*, FDA). para su uso en pacientes con MPS II de 5 años de edad o más, según los datos del ensayo clínico fundamental en pacientes con MPS II de 5 a 31 años de edad

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (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 adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

*La información sobre indicaciones y riesgos puede variar según el país.

Consulte la Información de seguridad importante adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.



Takeda Patient Support

Luego de que usted y su médico eligen un camino hacia el tratamiento, Takeda Patient Support estará aquí para usted con una variedad de servicios personalizados para recorrido del tratamiento, incluso cuando necesita viajar lejos de su hogar.

Nuestros especialistas en apoyo están aquí para atender sus preguntas e inquietudes y ayudarlo a obtener las respuestas, recursos y herramientas que necesita. Algunas de las maneras en que podemos ayudar incluyen las siguientes:

- **Asistencia de Copago** para aquellos que son elegibles*, así como también asistencia para transitar las complejas cuestiones de reembolso y seguro
- **La coordinación** entre su farmacia especializada y su sitio de atención, aunque esté viajando fuera de su ciudad o reubicándose
- **La ayuda** para que encuentre información, material educativo y recursos en la comunidad sobre el síndrome de Hunter
- **Asistencia** durante las transiciones a lo largo de su vida, tales como la reubicación, mudarse a la universidad o cambiar de trabajo

*Para ser elegible, debe inscribirse en Takeda Patient Support y tener un seguro comercial. Se aplican otros términos y condiciones. Llámenos para obtener más detalles.

Para descargar el Formulario y comenzar con los servicios de Takeda Patient Support, visite www.ELAPRASE.com/getting-started-support/takeda-patient-support



Para conocer más sobre Takeda Patient Support, visite www.TakedaPatientSupport.com

Consulte la Información de seguridad importante adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

¿Desea que la persona que usted cuida comience a recibir servicios de apoyo para pacientes de Takeda?

Trabaje con su proveedor de atención médica para completar el Formulario de inicio para su tratamiento prescrito de Takeda para el síndrome de Hunter. Recuerde firmar la sección de autorización para pacientes del Formulario de inicio.

Nuestros especialistas en apoyo están aquí para atender sus preguntas e inquietudes y ayudarlo a obtener las respuestas, recursos y herramientas que necesite.



Nuestros especialistas en apoyo siempre están disponibles con solo un mensaje o llamado al **1-866-888-0660**, de lunes a viernes, de 8:30 a. m. a 8:00 p. m. hora del este.

Si el inglés no es su idioma de preferencia, hágaselo saber al especialista en apoyo. El equipo puede comunicarse telefónicamente en varios idiomas: incluido el español, entre otros, utilizando un servicio de traducción.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (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:
 - o dolor de cabeza
 - o picazón
 - o dolor muscular y óseo
 - o ronchas
 - o diarrea
 - o tos
- En pacientes de 7 años de edad y menores
 - o fiebre
 - o erupción
 - o vómitos
 - o ronchas

Consulte la Información de seguridad importante adicional en las **páginas 16 a 17** 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:

¿Qué es el síndrome de Hunter?

El síndrome de Hunter es un trastorno genético que provoca la falta de una enzima específica, iduronato-2-sulfatasa. Esta enzima es necesaria para descomponer sustancias en el cuerpo llamadas glicosaminoglicanos (GAG). Dado que los pacientes con síndrome de Hunter no pueden descomponer estas sustancias, los GAG se acumulan gradualmente en la mayoría de los órganos del cuerpo y pueden dañarlos. Esto causa una variedad de signos y síntomas relacionados con la enfermedad, incluida la disminución de la función pulmonar y la disminución de la capacidad para caminar. Pregunte a su médico dónde encontrar más información sobre el síndrome de Hunter.

¿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.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (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 adicional en las **páginas 16 a 17** 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)

¿Por qué la información de prescripción de ELAPRASE dice que “En pacientes de 16 meses a 5 años de edad, no hay datos disponibles para demostrar una mejora en los síntomas relacionados con la enfermedad o el resultado clínico a largo plazo”?

Un ensayo clínico, que incluyó pacientes de 5 años o más, evaluó la capacidad para caminar y la función pulmonar, que se consideran síntomas relacionados con la enfermedad, y se llevó a cabo un estudio de extensión de 2 años para recopilar datos a más largo plazo. Estos síntomas no se evaluaron en el ensayo que incluyó pacientes de 16 meses a 7 años.

Para obtener mayor información sobre los ensayos clínicos de ELAPRASE, visite, www.ELAPRASE.com/what-is-elaprased/clinical-trials

¿Por qué la información de prescripción dice que “No se han establecido la seguridad y la eficacia de ELAPRASE en pacientes pediátricos menores de 16 meses de edad”?

Los ensayos clínicos que estudiaron ELAPRASE solo incluyeron pacientes de 16 meses o más.

¿ELAPRASE es un medicamento nuevo?

No, ELAPRASE ha sido aprobado por la FDA para su uso en los EE. UU. desde 2006, y también está aprobado en otros 77 países después de recibir las respectivas autorizaciones de comercialización. La información sobre indicaciones y riesgos puede variar según el país.



Consulte la Información de seguridad importante adicional en las **páginas 16 a 17** 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)

¿Cómo se administra el tratamiento con ELAPRASE?

ELAPRASE es administrado por vía intravenosa (mediante infusión en una vena) una vez a la semana por un profesional de cuidados de la salud capacitado.

Para obtener más información sobre la dosis y administración de ELAPRASE, consulte las **Infusiones De Elaprased: Guía Sobre Qué Esperar** (solo disponible en inglés), que puede proporcionar su médico o descargar de www.ELAPRASE.com/recursos

¿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 se produjeron en al menos tres pacientes de 5 años o más, fueron dolor de cabeza, picazón, dolor muscular y dolor óseo, urticaria, diarrea y tos. Entre 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.

¿Cómo puedo averiguar si puedo cambiar a infusiones en el hogar?

Hable con su médico sobre las infusiones en el hogar. Es posible que los pacientes que toleran las infusiones de ELAPRASE puedan recibir infusiones en el hogar bajo la supervisión de un profesional de cuidados de la salud.

¿Debe posponerse la infusión de ELAPRASE si no se siente bien?

Informe a su equipo de atención médica sobre cualquier enfermedad antes de la administración de la infusión de ELAPRASE y ellos decidirán si retrasarán la infusión de ELAPRASE. Si usted o su hijo tienen problemas respiratorios, fiebre o una enfermedad respiratoria, es posible que corran el riesgo de un empeoramiento potencialmente mortal de esas afecciones causadas por reacciones alérgicas a ELAPRASE.

PREGUNTAS FRECUENTES (CONTINUACIÓN)

Se debe informar a su equipo de atención médica sobre esas afecciones antes del tratamiento con ELAPRASE, ya que la información puede afectar el momento del tratamiento con ELAPRASE.

Consulte la Información de seguridad importante en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa.

¿Qué es Takeda Patient Support y cómo puede ayudarme?

Luego de que usted y su médico eligen un camino hacia el tratamiento, Takeda Patient Support estará aquí para usted con una variedad de servicios personalizados para recorrido del tratamiento, incluso cuando necesita viajar lejos de su hogar. Sabemos que vivir con el síndrome de Hunter es diferente para todos.

A medida que conozcamos un poco más sobre usted, comprendamos quién es y qué es importante para usted, podremos ayudarlo a obtener el apoyo que usted necesita a la hora de recibir tratamiento.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (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.

¿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.

Consulte la Información de seguridad importante adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

Información de seguridad importante (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.

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

¿QUÉ OTROS RECURSOS TENGO A MI DISPOSICIÓN?

Sitios web

Sitio web de ELAPRASE (www.ELAPRASE.com): Más información sobre ELAPRASE y sus ensayos clínicos, así como acceso a muchos otros recursos.

Sociedad de MPS (www.mpssociety.org/es): El síndrome de Hunter es una de varias enfermedades de almacenamiento lisosómico y este sitio web tiene recursos y apoyo.

Guías de ELAPRASE

Comprensión de ELAPRASE: Discusiones con el médico (disponibles en español e inglés) Un folleto para que lleve a sus citas con el médico, diseñado para ayudarlo a tomar notas y hacer cualquier pregunta que pueda tener.

Infusiones de ELAPRASE: Qué esperar (solo disponible en inglés) Consejos prácticos sobre cómo prepararse para las infusiones.

Guía de reembolso de ELAPRASE (solo disponible en inglés) Orientación sobre la cobertura de ELAPRASE y el proceso de reembolso.

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

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (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 adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.



GLOSARIO



Terapia de reemplazo enzimático (TRE): - 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): - 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.



Hipersensibilidad: - se produce cuando el cuerpo de una persona tiene una reacción a una sustancia. Con respecto a ELAPRASE, pueden producirse reacciones alérgicas tras la administración y hasta 24 horas después del tratamiento, por lo que es importante que su médico esté preparado para manejar esto si se produce hipersensibilidad en un paciente. Consulte la Información de seguridad importante en las páginas 16 a 17 y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa.



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



Infusión: - terapia que requiere la administración de un fármaco a través de una aguja o catéter. ELAPRASE se administra mediante infusión, por lo que irá a un centro de infusión.



Mucopolisacaridosis (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 ser descompuestas.



Tecnología de ADN recombinante: - tecnología que se utiliza para combinar diferentes fragmentos de material genético que luego pueden codificar una nueva proteína. ELAPRASE está compuesto por una enzima, que es un tipo de proteína, que se crea utilizando este método.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (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 adicional en las **páginas 16 a 17** y **HAGA CLIC AQUÍ** para ver la Información de prescripción completa adjunta, incluido el recuadro de ADVERTENCIA sobre el riesgo de anafilaxia.

**Para obtener más 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. ELAPRASE Prescribing Information. 2. Whiteman DA, Kimura A. *Drug Des Devel Ther.* 2017; 11: 2467–2480. 3. Hunter C. *Proc R Soc Med.* 1917; 10: 104–116. 4. Martin R et al. *Pediatrics* 2008; 121(2): e377–386. 5. Cantz M et al. *J Biol Chem.* 1972; 247: 5456–5462. 6. Wilson PJ et al. *Proc Natl Acad Sci U S A.* 1990; 87: 8531–8535. 7. Sohn YB et al. *Orphanet J Rare Dis.* 2013; 8: 42. 8. Muenzer J et al. *Genet Med.* 2011; 13: 102–109. 9. Burton BK et al. *J Inherit Metab Dis.* 2017; 40: 867–874. 10. Muenzer J. *Rheumatology (Oxford).* 2011; 50 Suppl 5: v4–v12. 11. NORD. Mucopolysaccharidosis Type II. Disponible en: <https://rarediseases.org/rare-diseases/mucopolysaccharidosis-type-ii-2/>. Consultado en febrero de 2022. 12. NINDS NIH. Mucopolysaccharidoses Fact Sheet. Disponible en: <https://www.ninds.nih.gov/Disorders/Patient-Caregiver-Education/Fact-Sheets/Mucopolysaccharidoses-Fact-Sheet>. Consultado en febrero de 2022. 13. Healthline. What Is Infusion Therapy and When Is It Needed? Available at: <https://www.healthline.com/health/infusiontherapy#conditions-used-for>. Consultado en febrero de 2022. 14. National Human Genome Research Institute. Recombinant DNA (rDNA). Disponible de: <https://www.genome.gov/genetics-glossary/Recombinant-DNA>. Consultado en febrero de 2022.

©2024 Takeda Pharmaceuticals U.S.A., Inc., 500 Kendall Street, Cambridge, MA 02142. 1-877-TAKEDA-7 (1-877-825-3327). Todos los derechos reservados. TAKEDA[®], el logotipo DE TAKEDA[®] y el logotipo de TAKEDA Patient Support[™] son marcas comerciales o marcas registradas de Takeda Pharmaceutical Company Limited. ELAPRASE[®] y el logotipo de ELAPRASE[®] son marcas comerciales registradas de Shire Human Genetic Therapies, Inc. US-IDU-0193v3.0 07/24

