

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:



Diagnóstico/ condición de salud	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
Grupo etario	Pacientes de 1 a 17 años
Tiempo máximo que el Comité Farmacoterapéutico puede aprobar el uso del medicamento en cada paciente	1 año
Condición clínica del paciente para ser apto de recibir el medicamento	Cardiomiopatía hipertrófica (índice de masa ventricular izquierda $\geq 65 \text{ g/m}^2$ por ecocardiograma) Saturación de $\text{O}_2 \geq 90\%$ o presión parcial de $\text{CO}_2 \leq 55 \text{ mm Hg}$ [venoso] o $< 40 \text{ mm Hg}$ [arterial] a cualquier FiO_2 No tener una anomalía congénita importante o clínicamente significativa intercurrente y no relacionada con la enfermedad de Pompe
Presentar la siguiente información ADICIONAL debidamente documentada en el expediente del paciente de solicitud del medicamento.	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>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</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>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</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 tratamiento o <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.

