



Tratamiento enzimático sustitutivo a largo plazo en pacientes diagnosticados de mucopolisacaridosis tipo I o enfermedad de Hurler (deficiencia de  $\alpha$ -L-iduronidasa) para el tratamiento de las manifestaciones no neurológicas.

## **USO CLÍNICO**

Terapia de reemplazo enzimático a largo plazo en pacientes con diagnóstico confirmado de mucopolisacaridosis I (MPS I) (deficiencia de  $\alpha$ -L-iduronidasa) o síndrome de Hurler para tratar las manifestaciones no neurológicas de la enfermedad.

## **DOSIS Y PAUTAS DE ADMINISTRACIÓN**

La dosis recomendada es de 100 U (0,58 mg) por kg de peso en perfusión continua intravenosa una vez a la semana.

La administración se debe realizar en un periodo aproximado de 3 a 4 horas con un filtro de 0,2 micras de baja unión a proteínas. El volumen y velocidad de administración se determinan en función del peso del paciente:

### **Pacientes que pesan 20 kg o menos:**

La dilución se prepara hasta un volumen total de 100 ml con cloruro sódico al 0.9%, y la velocidad de infusión recomendada es la siguiente:

- 2 ml/h (10  $\mu$ g/kg/h) en 15 minutos.
- 4 ml/h (20  $\mu$ g/kg/h) en 15 minutos.
- 8 ml/h (50  $\mu$ g/kg/h) en 15 minutos.
- 16 ml/h (100  $\mu$ g/kg/h) en 15 minutos.
- 32 ml/h (200  $\mu$ g/kg/h) en aproximadamente 3 horas.

### **Pacientes que pesan más de 20 kg:**

La dilución se prepara hasta un volumen total de 250 ml con cloruro sódico al 0.9%, y la velocidad de infusión recomendada es la siguiente:

- 5 ml/h (10  $\mu$ g/kg/h) en 15 minutos.
- 10 ml/h (20  $\mu$ g/kg/h) en 15 minutos.
- 20 ml/h (50  $\mu$ g/kg/h) en 15 minutos.
- 40 ml/h (100  $\mu$ g/kg/h) en 15 minutos.
- 80 ml/h (200  $\mu$ g/kg/h) en aproximadamente 3 horas.

La primera administración sería deseable realizarla bajo supervisión directa, recomendado el ingreso

hospitalario durante el periodo de la administración y unas 3 horas posteriores a la misma. Se recomienda premedicación con antihistamínico oral y antitérmico 360 minutos previos a la misma.

## **CONTRAINDICACIONES**

Hipersensibilidad a la laronidasa o a alguno de sus excipientes.

## **PRECAUCIONES**

- Posibilidad de desarrollar reacciones asociadas con la perfusión, algunas de estas reacciones pueden ser graves, con fallo respiratorio, distrés, broncoespasmo y bradicardia, pudiendo aparecer hasta 3 horas después de suspendida la perfusión intravenosa. Se recomienda instaurar premedicación con antipiréticos o antihistamínicos.
- Si aparece reacción en relación con la perfusión se debe detener hasta la resolución de los síntomas, administrar antihistamínicos, paracetamol o corticoides. Reiniciando posteriormente la infusión a la velocidad de 1/2-1/4 respecto la velocidad que tuvo lugar la reacción.
- En los pacientes que presentan una afectación grave preexistente de las vías respiratorias altas deberán ser controlados cuidadosamente ya que se han notificado reacciones graves asociadas a la perfusión.
- En los pacientes con enfermedad aguda subyacente se ve incrementado el riesgo de reacciones asociadas a la perfusión.

## **EFFECTOS SECUNDARIOS**

Las reacciones asociadas con la perfusión son las más frecuentes, pudiendo llegar a ser graves. Otros efectos adversos que se han descrito en los ensayos clínicos clasificados como muy frecuentes son los siguientes: cefalea, taquicardia, aumento de la presión arterial, disminución de la saturación de oxígeno, rubefacción, escalofríos, náuseas, dolor abdominal, erupción cutánea, artropatía, artralgia, dolor de espalda y de las extremidades.

## **INTERACCIONES FARMACOLÓGICAS**

Debe evitarse su uso con cloroquina y prociana debido al posible riesgo de interferencia con la recaptación intracelular de laronidasa.

## **DATOS FARMACÉUTICOS**

**Presentaciones comerciales:** las presentaciones disponibles en España pueden consultarse *online* en el Centro de Información de Medicamentos de la AEMPS (CIMA), <http://www.aemps.gob.es/cima>, y en <https://www.aeped.es/comite-medicamentos/pediamecum> en el enlace "Presentaciones" correspondiente a cada ficha.

## **BIBLIOGRAFÍA**

- Fichas técnicas del Centro de Información *online* de Medicamentos de la AEMPS-CIMA [base de datos en Internet]. Madrid, España: Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) [consultado el 23/11/2020]. Disponible en: <https://cima.aemps.es/cima/publico/lista.html>

- 
- American Pharmacists Association (ed.). Pediatric and Neonatal Dosage Handbook. 18.<sup>a</sup> edición. Hudson (OH): Lexi Comp; 2010.
  - British Medical Association, Royal Pharmaceutical Society of Great Britain, Royal College of Paediatrics and Child Health and Neonatal and Paediatric Pharmacists Group. BNF for children 2012-13. Basingstoke (UK): BMJ Group, Pharmaceutical Press and RCPCH; 2013.
  - Micromedex Healthcare® Series [base de datos en Internet]. Greenwood Village, Colorado: Thomson Micromedex Drugdex® System. 1974-2013. Disponible en: <http://www.thomsonhc.com/home/dispatch>
  - UpToDate (Pediatric drug information) [base de datos en Internet]. Waltham, MA: Wolters Kluwer Health Clinical Solutions 2020 [consultado el 23/11/2020]. Disponible en: [www.uptodate.com](http://www.uptodate.com)

**Fecha de actualización:** noviembre de 2020.

**La información disponible en cada una de las fichas del Pediamécum ha sido revisada por el Comité de Medicamentos de la Asociación Española de Pediatría y se sustenta en la bibliografía citada. Estas fichas no deben sustituir en ningún caso a las aprobadas para cada medicamento por la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS) o la Agencia Europea del Medicamento (EMA).**