

Un tratamiento de dos componentes para adultos con enfermedad de Pompe de inicio tardío (EPIT) con un peso de 40 kg (88 libras) o más que no estén mejorando con su terapia de reemplazo enzimático (TRE) actual.

**POMBILITI + OPFOLDA**

→ **La mejora es posible**



Más información en [improvementispossible.com](https://www.improvementispossible.com)

EMMA Y MADDIE  
HERMANAS DIAGNOSTICADAS CON EPIT EN 2009

En un ensayo clínico, adultos con TRE previa que recibieron POMBILITI + OPFOLDA experimentaron mejoras en la marcha y la función respiratoria en comparación con los que recibieron el comparador\*

\*Un producto alglucosidasa alfa no aprobado en los EE. UU. + un placebo.

#### ¿Qué son POMBILITI y OPFOLDA?

POMBILITI y OPFOLDA son medicamentos de venta con receta utilizados en combinación para el tratamiento de adultos con enfermedad de Pompe de inicio tardío que pesan 40 kg (88 libras) o más y que no están mejorando con su terapia de reemplazo enzimático (TRE) actual.

Se desconoce si POMBILITI en combinación con OPFOLDA es seguro y eficaz en niños con enfermedad de Pompe de inicio tardío.

#### INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

**Advertencia: Reacciones de hipersensibilidad (incluida anafilaxia), reacciones asociadas a la infusión (RAI) y riesgo de insuficiencia cardiorrespiratoria aguda.**

**POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar efectos secundarios graves, incluidos:**

- **Reacciones de hipersensibilidad (incluida anafilaxia):** se han notificado reacciones de tipo alérgico graves y potencialmente mortales relacionadas con la infusión durante y después de POMBILITI en combinación con el tratamiento OPFOLDA. Su médico le informará de los signos y síntomas de las reacciones de hipersensibilidad que pueden incluir: dificultad para respirar o tragar; erupción cutánea o urticaria; presión arterial baja; hinchazón de los labios, la lengua, la garganta o la cara. Busque atención médica inmediatamente si se producen signos y síntomas. Si se produce una reacción grave, su médico puede decidir interrumpir inmediatamente la infusión y proporcionar atención médica. Pueden administrarse medidas de apoyo médico adecuadas y es posible que necesite permanecer bajo estricta observación durante y después de la infusión de POMBILITI.

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción](#) completa e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](https://www.improvementispossible.com).



EDUCACIÓN + ACCIÓN

 **Cuente con más información**



**JARED**  
DIAGNOSTICADO CON EPIT EN 1998

A Jared le gusta volar aviones de mando a distancia.

### INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

**POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar efectos secundarios graves, incluidos:**

- **Reacciones asociadas a la infusión (RAI):** se han notificado RAI graves relacionadas con la infusión durante o después de POMBILITI en combinación con OPFOLDA. Su médico le informará de los signos y síntomas de las reacciones de hipersensibilidad que pueden incluir: urticaria, picor, dificultad para respirar, rubefacción, escalofríos y presión arterial baja. Busque atención médica inmediatamente si se producen signos y síntomas. Si se producen RAI graves durante la infusión, su médico puede decidir interrumpir inmediatamente la infusión y proporcionar la atención médica adecuada. Si tiene una enfermedad subyacente aguda en el momento de la infusión de POMBILITI, puede tener un mayor riesgo de RAI. Si tiene enfermedad de Pompe avanzada, es posible que se vea comprometida la función cardíaca y respiratoria, lo que puede ponerlo en mayor riesgo de complicaciones graves por las RAI.

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción](#) completa e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).

# ¿Qué es la enfermedad de Pompe de inicio tardío (EPIT)?

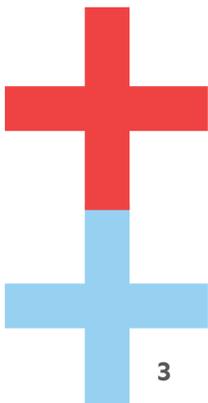
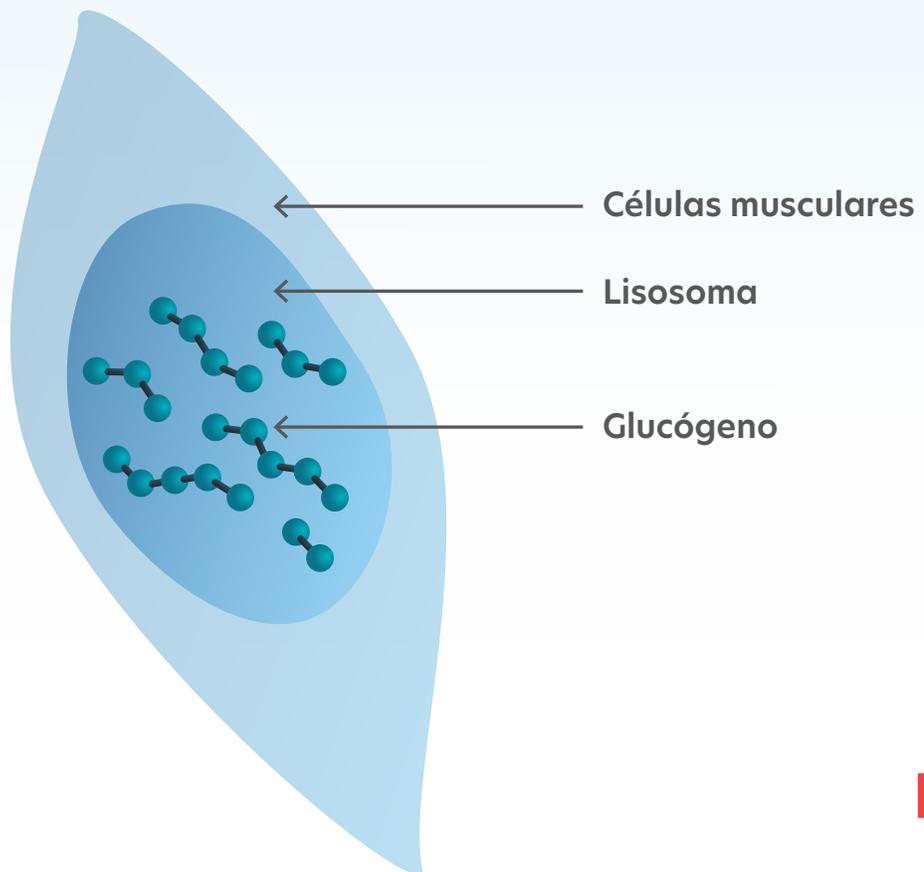
La **EPIT es una enfermedad lisosomal poco frecuente** causada por deficiencias en la enzima ácida alfa-glucosidasa, también conocida como GAA.

La **GAA es responsable de descomponer el glucógeno, un tipo de azúcar, en glucosa**. Esto ocurre en una parte de las células musculares denominadas lisosomas. Sin embargo, cuando no hay suficiente GAA activa disponible en los lisosomas, el exceso de acumulación de glucógeno puede causar daños irreparables en los músculos responsables de caminar y respirar.

La terapia de reemplazo enzimático (TRE) sustituye a la GAA natural que carecen las personas con EPIT. Pero puede volverse vulnerable y perder la función una vez infundida en el torrente sanguíneo.

## Retos del tratamiento para la EPIT

Muchas personas que solo recibieron TRE comenzaron a experimentar una disminución de 3-5 años después de iniciar el tratamiento.



**POMBILITI + OPFOLDA**



**trabajar  
en armonía**

**MADDIE**

DIAGNOSTICADA CON EPIT EN 2009

Hacer música es una de las aficiones favoritas de Maddie.

### INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

**POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar efectos secundarios graves, incluidos:**

- **Riesgo de insuficiencia cardiorrespiratoria aguda:** si es probable que desarrolle sobrecarga de volumen de líquido o tenga una afección respiratoria aguda o problemas cardíacos o respiratorios que requieran restricción de líquidos, puede estar en riesgo de empeoramiento de su afección cardíaca o respiratoria durante la infusión de POMBILITI. Su médico puede decidir que puede ser necesario que permanezca bajo estricta observación durante y después de la administración de POMBILITI.

**No tome POMBILITI en combinación con OPFOLDA si está embarazada.**

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción](#) completa e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).

# Una asociación intencionada para La EPIT



**POMBILITI™ (cipaglucoSIDasa alfa-atga)** es un terapia de reemplazo enzimático (TRE) que se **diseñó para administrar la enzima GAA activa directamente a las células musculares** para una absorción eficaz



**OPFOLDA™ (miglustat)** es el primer y único estabilizador de enzimas orales diseñado para la EPIT. OPFOLDA **estabiliza la POMBILITI en el torrente sanguíneo**

## Palabras que necesita saber

### Terapia de reemplazo enzimático

La terapia de reemplazo enzimático, o TRE, es un medicamento con receta que se infunde por vía intravenosa para sustituir las enzimas GAA ausentes o deficientes en personas con EPIT.

### Enzima ácida alfa-glucosidasa (GAA)

Proteína que descompone el glucógeno en glucosa, que se utiliza para la energía.

### Estabilizador enzimático

Cuando se infunde la TRE, el pH de la sangre puede hacer que pierda su función. OPFOLDA ayuda a estabilizar la POMBILITI y evitar que se vuelva inactiva mientras está en la sangre.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

**Antes de tomar POMBILITI en combinación con OPFOLDA, informe a su proveedor de atención médica sobre todas sus afecciones médicas, incluido si:**

- Tiene problemas renales.
- Está embarazada o planifica quedar embarazada. POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar daños al feto.

### Mujeres que pueden quedar embarazadas:

- Su proveedor de atención médica comprobará si está embarazada antes de comenzar el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA.
- Debe utilizar un método anticonceptivo eficaz (anticoncepción) durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA y hasta al menos 60 días después de la última dosis.
- Informe a su proveedor de atención médica de inmediato si queda embarazada o cree que podría estar embarazada durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA.
- Está amamantando o planifica amamantar. Se desconoce si OPFOLDA solo o en combinación con POMBILITI pasa a la leche materna. **No dé el pecho** durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA. Hable con su proveedor de atención médica acerca de la mejor manera de alimentar a su bebé durante este período.

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción](#) completa e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).





**MADDIE Y EMMA**  
HERMANAS DIAGNOSTICADAS  
CON EPIT EN 2009

Maddie y Emma disfrutaron  
practicando yoga juntas con la  
mayor frecuencia posible.

**POMBILITI + OPFOLDA**



**mi asociación para  
La Mejoría**

#### **INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA**

**Informe a su proveedor de atención médica acerca de todos los medicamentos que usa**, incluidos los medicamentos de venta bajo receta y de venta libre, las vitaminas y los suplementos a base de hierbas.

**POMBILITI y OPFOLDA deben tomarse en combinación. POMBILITI en combinación con OPFOLDA se le administrará 1 vez cada dos semanas.**

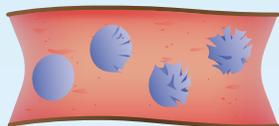
**Los efectos secundarios más frecuentes de POMBILITI en combinación con OPFOLDA incluyen:** dolor de cabeza, diarrea, cansancio, náuseas, dolor en la zona del estómago y fiebre.

POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar problemas de fertilidad en mujeres y hombres, lo que puede afectar la capacidad de tener hijos. Hable con su proveedor de atención médica si tiene dudas sobre la fertilidad.

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción](#) completa e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).

# Así es como funciona

## EN LA SANGRE



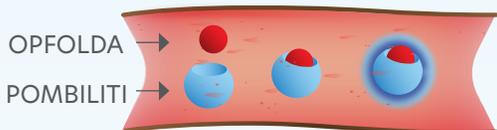
Las enzimas utilizadas en la terapia de reemplazo enzimático (TRE) pueden volverse vulnerables y perder la función antes de llegar a las células musculares, lo que limita la cantidad de TRE disponible para entrar en la célula y descomponer el glucógeno.



OPFOLDA está diseñado específicamente para estabilizar la POMBILITI y ayudarlo a mantener su función mientras viaja por la sangre.

La posología de POMBILITI + OPFOLDA se determina según su peso corporal real y su función renal. Su proveedor de atención médica le recetará la dosis adecuada para usted.

2.



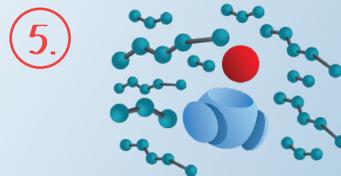
OPFOLDA se une a POMBILITI a medida que viaja a los lisosomas de las células musculares (centro de reciclaje de la célula).

Para obtener más información sobre cómo POMBILITI + OPFOLDA funcionan juntos para tratar la EPIT, visite [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).

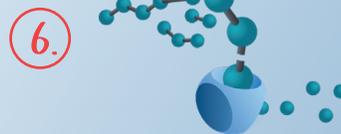
## EN LOS LISOSOMAS



Una vez dentro de los lisosomas de las células musculares, OPFOLDA se separa de POMBILITI.



POMBILITI se procesa en su forma más activa dentro de los lisosomas de las células musculares.



Ahora pasa a su forma más activa, POMBILITI comienza a funcionar como una enzima GAA que normalmente produce el organismo, lo que significa que tiene una capacidad similar para descomponer el glucógeno en glucosa.

3.  
 Ahora juntos, POMBILITI + OPFOLDA están listos para unirse a las células musculares y entrar en ellas.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

**POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar efectos secundarios graves, incluidos:**

- **Reacciones de hipersensibilidad (incluida anafilaxia):** se han notificado reacciones de tipo alérgico graves y potencialmente mortales relacionadas con la infusión durante y después de POMBILITI en combinación con el tratamiento OPFOLDA. Su médico le informará de los signos y síntomas de las reacciones de hipersensibilidad que pueden incluir: dificultad para respirar o tragar; erupción cutánea o urticaria; presión arterial baja; hinchazón de los labios, la lengua, la garganta o la cara. Busque atención médica inmediatamente si se producen signos y síntomas. Si se produce una reacción grave, su médico puede decidir interrumpir inmediatamente la infusión y proporcionar atención médica. Pueden administrarse medidas de apoyo médico adecuadas y es posible que necesite permanecer bajo estricta observación durante y después de la infusión de POMBILITI.

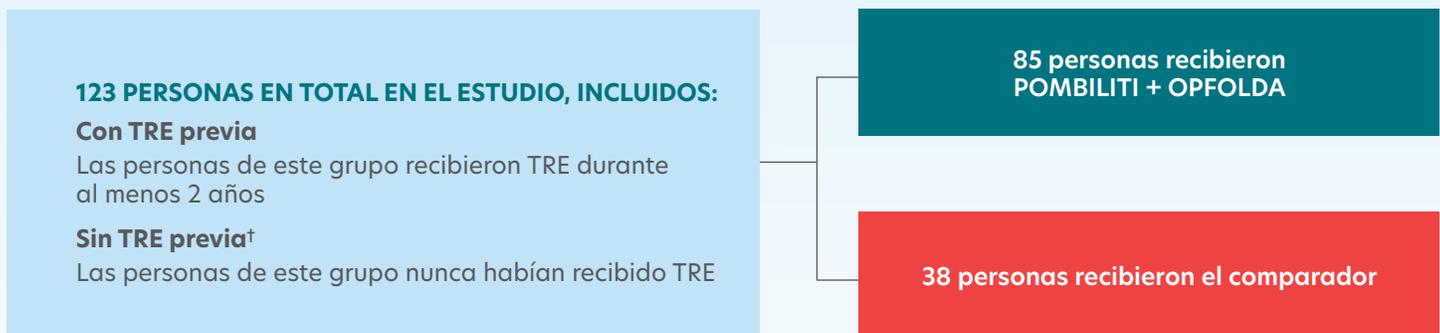
Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción](#) completa e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).

# POMBILITI + OPFOLDA ha demostrado mejorar la distancia caminada y la función respiratoria

frente al comparador\* en adultos con TRE previa

## DISEÑO DEL ESTUDIO

POMBILITI + OPFOLDA se evaluó en un estudio clínico controlado aleatorizado durante 52 semanas.



- El criterio de valoración principal (objetivo) del estudio era ver cuánta más distancia podían caminar en 6 minutos las personas que recibieron POMBILITI + OPFOLDA, utilizando la **prueba de marcha de 6 minutos (PM6M)**‡
- La **capacidad vital forzada (CVF)**, una prueba de la capacidad respiratoria, fue un criterio de valoración secundario clave (objetivo) del estudio
- Las personas con TRE previa estuvieron en tratamiento durante un promedio de 7.4 años antes del estudio

\*Un producto alglucosidasa alfa no aprobado en los EE. UU. + un placebo.

†POMBILITI + OPFOLDA no está aprobado para su uso en personas sin TRE previa.

‡Los resultados de la PM6M fueron numéricamente favorables, pero no cumplieron el criterio de valoración principal de superioridad estadística para la población completa del estudio.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

**POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar efectos secundarios graves, incluidos:**

- **Reacciones asociadas a la infusión (RAI):** se han notificado RAI graves relacionadas con la infusión durante o después de POMBILITI en combinación con OPFOLDA. Su médico le informará de los signos y síntomas de las reacciones de hipersensibilidad que pueden incluir: urticaria, picor, dificultad para respirar, rubefacción, escalofríos y presión arterial baja. Busque atención médica inmediatamente si se producen signos y síntomas. Si se producen RAI graves durante la infusión, su médico puede decidir interrumpir inmediatamente la infusión y proporcionar la atención médica adecuada. Si tiene una enfermedad subyacente aguda en el momento de la infusión de POMBILITI, puede tener un mayor riesgo de RAI. Si tiene enfermedad de Pompe avanzada, es posible que se vea comprometida la función cardíaca y respiratoria, lo que puede ponerlo en mayor riesgo de complicaciones graves por las RAI.

Consulte la **Información importante de seguridad** a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la **Información de prescripción** completa, incluida la **ADVERTENCIA DEL RECUADRO**, para POMBILITI e **Información de prescripción** completa e **Información para el paciente** para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).

# Resultados de la prueba de marcha y respiración en adultos con TRE previa



Los adultos con TRE previa que recibieron POMBILITI + OPFOLDA habían **MEJORADO LA DISTANCIA DE MARCHA** en comparación con los adultos que recibieron el comparador\*

- Las personas que recibieron POMBILITI + OPFOLDA **camminaron una media de 53.5 pies más lejos** desde el inicio del estudio
- Las personas que recibieron el comparador **camminaron una media de 2.3 pies más lejos** desde el inicio del estudio

■ POMBILITI + OPFOLDA (65 personas) ■ Comparador (30 personas)

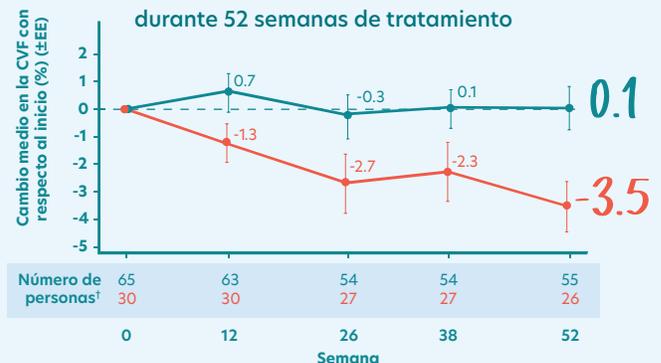
## DISTANCIA DE CAMINATA GANADA durante 52 semanas de tratamiento



Los adultos con TRE previa que recibieron POMBILITI + OPFOLDA habían **MEJORADO LA FUNCIÓN RESPIRATORIA** en comparación con los adultos que recibieron el comparador\*

- Las personas que recibieron POMBILITI + OPFOLDA experimentaron un **aumento** de la respiración de **una media del 0.1 %** desde el inicio del estudio
- Las personas que recibieron el comparador experimentaron una **disminución** de la respiración de **una media del 3.5 %** desde el inicio del estudio

## CAMBIO EN LA FUNCIÓN RESPIRATORIA durante 52 semanas de tratamiento



\*Los resultados de la PM6M y la CVF para el grupo con TRE previa fueron numéricamente favorables, pero no se analizaron para determinar la superioridad estadística de POMBILITI + OPFOLDA frente al comparador.

†El número de personas en cada punto temporal de la tabla cambió porque algunas personas se saltaron algunas de las pruebas y otras no completaron el estudio.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

**POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar efectos secundarios graves, incluidos:**

- Riesgo de insuficiencia cardiorrespiratoria aguda:** si es probable que desarrolle sobrecarga de volumen de líquido o tenga una afección respiratoria aguda o problemas cardíacos o respiratorios que requieran restricción de líquidos, puede estar en riesgo de empeoramiento de su afección cardíaca o respiratoria durante la infusión de POMBILITI. Su médico puede decidir que puede ser necesario que permanezca bajo estricta observación durante y después de la administración de POMBILITI.

**No tome POMBILITI en combinación con OPFOLDA si está embarazada.**

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción](#) completa e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).

# Medición del biomarcador

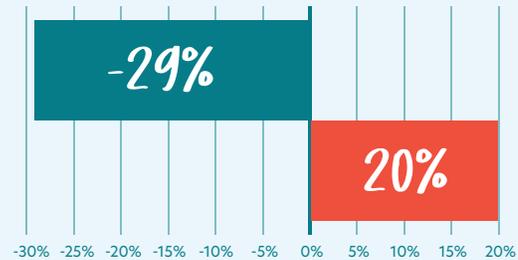
■ POMBILITI + OPFOLDA (64 personas) ■ Comparador (30 personas)



Los adultos con TRE previa que recibieron POMBILITI + OPFOLDA tuvieron **MEJORAS EN LAS MEDICIONES DE LA ACUMULACIÓN DE GLUCÓGENO**

- Los resultados más bajos de la prueba en Hex4 son un signo de que hay menos acumulación de glucógeno
- Las personas que recibieron POMBILITI + OPFOLDA experimentaron **una reducción media del 29 % en Hex4** frente a **un aumento medio del 20 %** con el comparador

RESULTADOS DE LA PRUEBA DE HEX4 después de 52 semanas de tratamiento



## Información de seguridad seleccionada

### Información sobre los efectos secundarios con POMBILITI + OPFOLDA

Los efectos secundarios más frecuentes ( $\geq 5\%$ ) notificados durante el estudio clínico fueron cefalea y diarrea.

Los efectos secundarios más frecuentes notificados en al menos el 5 % de los participantes tratados con POMBILITI + OPFOLDA en 3 ensayos clínicos fueron cefalea, diarrea, fatiga, náuseas, dolor abdominal y fiebre.

Las reacciones adversas graves notificadas en 2 o más personas tratadas con POMBILITI + OPFOLDA fueron reacciones alérgicas graves y urticaria. Un total de 5 personas tratadas con POMBILITI + OPFOLDA interrumpieron permanentemente la administración de POMBILITI debido a efectos secundarios, incluidos 4 que interrumpieron el tratamiento debido a un efecto secundario grave.

Consulte información de seguridad adicional en la página 12, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO para reacciones de hipersensibilidad (incluida anafilaxia), reacciones asociadas a la infusión (RAI) y riesgo de insuficiencia cardiorrespiratoria.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de POMBILITI en combinación con OPFOLDA. Llame a su médico para que le brinde asesoramiento médico acerca de los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) al [1-800-FDA-1088](tel:1-800-FDA-1088) o [www.fda.gov/medwatch](http://www.fda.gov/medwatch).

### Efectos secundarios adicionales

Los efectos secundarios notificados en al menos el 2 % de los adultos tratados con POMBILITI + OPFOLDA en los 3 ensayos clínicos incluyeron:

- dolores musculares
- dolor articular
- aumento de la presión arterial
- dolor
- temblores (agitación)
- indigestión
- debilidad
- estreñimiento
- hinchazón en el lugar de la infusión
- dolor en el costado (lateral)
- malestar
- sensación de quemazón u hormigueo
- recuento de plaquetas reducido

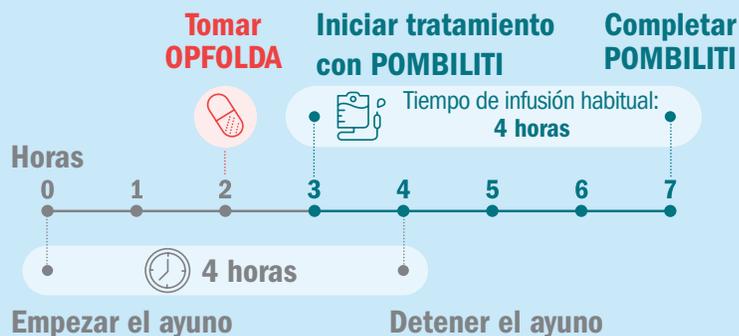
# Día de tratamiento en un vistazo

## Una rutina habitual cada 2 semanas

Tomar OPFOLDA por vía oral aproximadamente 1 hora antes de comenzar cada infusión de POMBILITI

Haberse administrado POMBILITI por vía intravenosa en un hospital o centro de infusión

Un día de tratamiento típico debe tener este aspecto:



**La posología de POMBILITI + OPFOLDA se determina según su peso corporal real**  
Tomará 3 o 4 cápsulas de OPFOLDA dependiendo de la dosis que su proveedor de atención médica considere adecuada para usted.\*

**Cambiarse sin demora**  
Cuando se cambie a POMBILITI + OPFOLDA, puede iniciar POMBILITI + OPFOLDA el siguiente día de tratamiento programado (2 semanas después de su última dosis de TRE).

\*Hable con su médico si tiene problemas renales porque su dosis de OPFOLDA puede ser diferente.

Es posible que su médico le recomiende tomar medicamentos como antihistamínicos, antipiréticos (reductores de la fiebre) o corticoesteroides antes de la infusión de POMBILITI, especialmente si tomó un medicamento con su TRE anterior. Tome siempre su medicamento exactamente como le indique su proveedor de atención médica.

### Una nota sobre el ayuno:

Evite los alimentos y la mayoría de los líquidos (puede beber bebidas sin azúcar como agua, té o café sin crema, azúcar u otros edulcorantes) 2 horas antes y 2 horas después de tomar OPFOLDA.

OPFOLDA debe tomarse mientras esté en ayunas para poder unirse a POMBILITI en su torrente sanguíneo cuando comience su infusión. Puede reanudar la bebida y la alimentación 2 horas después de tomar OPFOLDA.

### Realizar un seguimiento de su tratamiento

Lleve un registro de sus próximas citas, planifique su programa de ayuno y mucho más con la aplicación MyDay Pompe™. Escanee el código QR para descargarlo de la [App Store](#) o [Google Play](#).

MyDay   
Pompe



Apple, el logotipo de Apple y iPhone son marcas comerciales de Apple Inc., registradas en los EE. UU. y otros países y regiones. App Store es una marca de servicio de Apple Inc. Google Play y el logotipo de Google Play son marcas comerciales de Google LLC.

### INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

**Antes de tomar POMBILITI en combinación con OPFOLDA, informe a su proveedor de atención médica sobre todas sus afecciones médicas, incluido si:**

- Tiene problemas renales.
- Está embarazada o planifica quedar embarazada. POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar daños al feto.

#### Mujeres que pueden quedar embarazadas:

- Su proveedor de atención médica comprobará si está embarazada antes de comenzar el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA.
- Debe utilizar un método anticonceptivo eficaz (anticoncepción) durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA y hasta al menos 60 días después de la última dosis.
- Informe a su proveedor de atención médica de inmediato si queda embarazada o cree que podría estar embarazada durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA.
- Está amamantando o planifica amamantar. Se desconoce si OPFOLDA solo o en combinación con POMBILITI pasa a la leche materna. **No** dé el pecho durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA. Hable con su proveedor de atención médica acerca de la mejor manera de alimentar a su bebé durante este período.

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del folleto y en la página 12, y consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción](#) completa e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).

## INDICACIONES E INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

### **POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar efectos secundarios graves, incluidos:**

- **Reacciones de hipersensibilidad (incluida anafilaxia):** se han notificado reacciones de tipo alérgico graves y potencialmente mortales relacionadas con la infusión durante y después de POMBILITI en combinación con el tratamiento OPFOLDA. Su médico le informará de los signos y síntomas de las reacciones de hipersensibilidad que pueden incluir: dificultad para respirar o tragar; erupción cutánea o urticaria; presión arterial baja; hinchazón de los labios, la lengua, la garganta o la cara. Busque atención médica inmediatamente si se producen signos y síntomas. Si se produce una reacción grave, su médico puede decidir interrumpir inmediatamente la infusión y proporcionar atención médica. Pueden administrarse medidas de apoyo médico adecuadas y es posible que necesite permanecer bajo estricta observación durante y después de la infusión de POMBILITI.
- **Reacciones asociadas a la infusión (RAI):** se han notificado RAI graves relacionadas con la infusión durante o después de POMBILITI en combinación con OPFOLDA. Su médico le informará de los signos y síntomas de las reacciones de hipersensibilidad que pueden incluir: urticaria, picor, dificultad para respirar, rubefacción, escalofríos y presión arterial baja. Busque atención médica inmediatamente si se producen signos y síntomas. Si se producen RAI graves durante la infusión, su médico puede decidir interrumpir inmediatamente la infusión y proporcionar la atención médica adecuada. Si tiene una enfermedad subyacente aguda en el momento de la infusión de POMBILITI, puede tener un mayor riesgo de RAI. Si tiene enfermedad de Pompe avanzada, es posible que se vea comprometida la función cardíaca y respiratoria, lo que puede ponerlo en mayor riesgo de complicaciones graves por las RAI.
- **Riesgo de insuficiencia cardiorrespiratoria aguda:** si es probable que desarrolle sobrecarga de volumen de líquido o tenga una afección respiratoria aguda o problemas cardíacos o respiratorios que requieran restricción de líquidos, puede estar en riesgo de empeoramiento de su afección cardíaca o respiratoria durante la infusión de POMBILITI. Su médico puede decidir que puede ser necesario que permanezca bajo estricta observación durante y después de la administración de POMBILITI.

### **No tome POMBILITI en combinación con OPFOLDA si está embarazada.**

### **Antes de tomar POMBILITI en combinación con OPFOLDA, informe a su proveedor de atención médica sobre todas sus afecciones médicas, incluido si:**

- Tiene problemas renales.
- Está embarazada o planifica quedar embarazada. POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar daños al feto.

#### **Mujeres que pueden quedar embarazadas:**

- Su proveedor de atención médica comprobará si está embarazada antes de comenzar el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA.
- Debe utilizar un método anticonceptivo eficaz (anticoncepción) durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA y hasta al menos 60 días después de la última dosis.
- Informe a su proveedor de atención médica de inmediato si queda embarazada o cree que podría estar embarazada durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA.
- Está amamantando o planifica amamantar. Se desconoce si OPFOLDA solo o en combinación con POMBILITI pasa a la leche materna. **No** dé el pecho durante el tratamiento con POMBILITI en combinación con OPFOLDA. Hable con su proveedor de atención médica acerca de la mejor manera de alimentar a su bebé durante este período.

**Informe a su proveedor de atención médica acerca de todos los medicamentos que usa**, incluidos los medicamentos de venta bajo receta y de venta libre, las vitaminas y los suplementos a base de hierbas.

### **POMBILITI y OPFOLDA deben tomarse en combinación. POMBILITI en combinación con OPFOLDA se le administrará 1 vez cada dos semanas.**

**Los efectos secundarios más frecuentes de POMBILITI en combinación con OPFOLDA incluyen:** dolor de cabeza, diarrea, cansancio, náuseas, dolor en la zona del estómago y fiebre.

POMBILITI en combinación con OPFOLDA puede causar problemas de fertilidad en mujeres y hombres, lo que puede afectar la capacidad de tener hijos. Hable con su proveedor de atención médica si tiene dudas sobre la fertilidad.

**Estos no son todos los posibles efectos secundarios de POMBILITI y OPFOLDA.** Llame a su médico para que le brinde asesoramiento médico acerca de los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a FDA al [1-800-FDA-1088](tel:1-800-FDA-1088) o [www.fda.gov/medwatch](http://www.fda.gov/medwatch).

### **¿Qué son POMBILITI y OPFOLDA?**

POMBILITI y OPFOLDA son medicamentos de venta con receta utilizados en combinación para el tratamiento de adultos con enfermedad de Pompe de inicio tardío que pesan 40 kg (88 libras) o más y que no están mejorando con su terapia de reemplazo enzimático (TRE) actual.

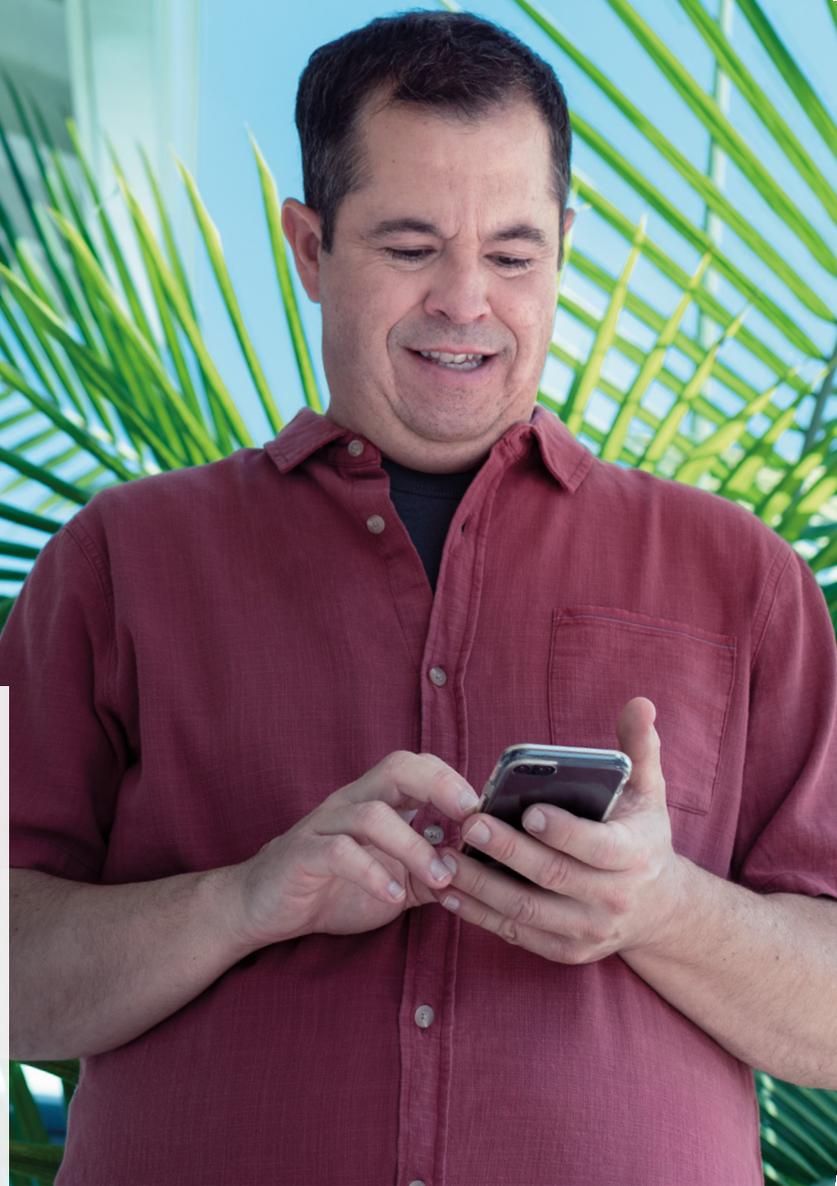
Se desconoce si POMBILITI en combinación con OPFOLDA es seguro y eficaz en niños con enfermedad de Pompe de inicio tardío.

Consulte la [Información de prescripción](#) completa, incluida la **ADVERTENCIA DEL RECUADRO**, para POMBILITI e [Información de prescripción completa](#) e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en [improvementispossible.com](http://improvementispossible.com).



## Apoyo durante cada paso del tratamiento

AMICUS ASSIST proporciona un apoyo integral a las personas a las que se les ha prescrito un tratamiento con Amicus Therapeutics. Un coordinador de educación para pacientes y un administrador de casos están a su lado para ayudarlo.



**Su coordinador de educación para pacientes (Patient Education Liaison, PEL)** está a su disposición para responder a sus preguntas sobre el tratamiento, enseñarle a prepararse para las perfusiones y ayudarlo a mantener conversaciones más productivas con su equipo de atención.



**Su administrador de casos** puede ayudarlo a explorar su cobertura de seguro, coordinar sus entregas con receta, encontrar posibles fuentes de asistencia financiera, y más.

Recuerde que, aunque su PEL y su administrador de casos están disponibles para proporcionar apoyo durante su tratamiento, ellos no proporcionan asesoramiento médico. Su proveedor de atención médica es el recurso al que puede acudir para cualquier pregunta relacionada con su atención.

**Puede ponerse en contacto con AMICUS ASSIST de lunes a viernes de 8:00 a.m. a 8:00 p.m. ET llamando al [1-833-AMICUS-A \(1-833-264-2872\)](tel:1-833-AMICUS-A)**