



SU GUÍA PARA EL DÍA DEL TRATAMIENTO

Lo ayudaremos a prepararse para el tratamiento con POMBILITI + OPFOLDA

¿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** en la página 7, y en el bolsillo para ver 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 PombilitiOpfolda.com.



Establecimiento de expectativas para el tratamiento

Aunque ya está familiarizado con la terapia de reemplazo enzimático (TRE), es importante que sepa qué esperar cada vez que comience un nuevo tratamiento. POMBILITI™ (cipaglucohidasa alfa-atga) + OPFOLDA™ (miglustat) es 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 están mejorando su TRE actual.

Este folleto incluye:

- Instrucciones sobre cuándo y cómo tomar OPFOLDA
- Datos importantes sobre el ayuno cuando se toma OPFOLDA
- Información sobre el proceso de infusión con POMBILITI
- Consejos y herramientas adicionales para ayudarlo a prepararse para el tratamiento
- Descripción general del programa de apoyo al paciente AMICUS ASSIST® y cómo puede ayudar



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.

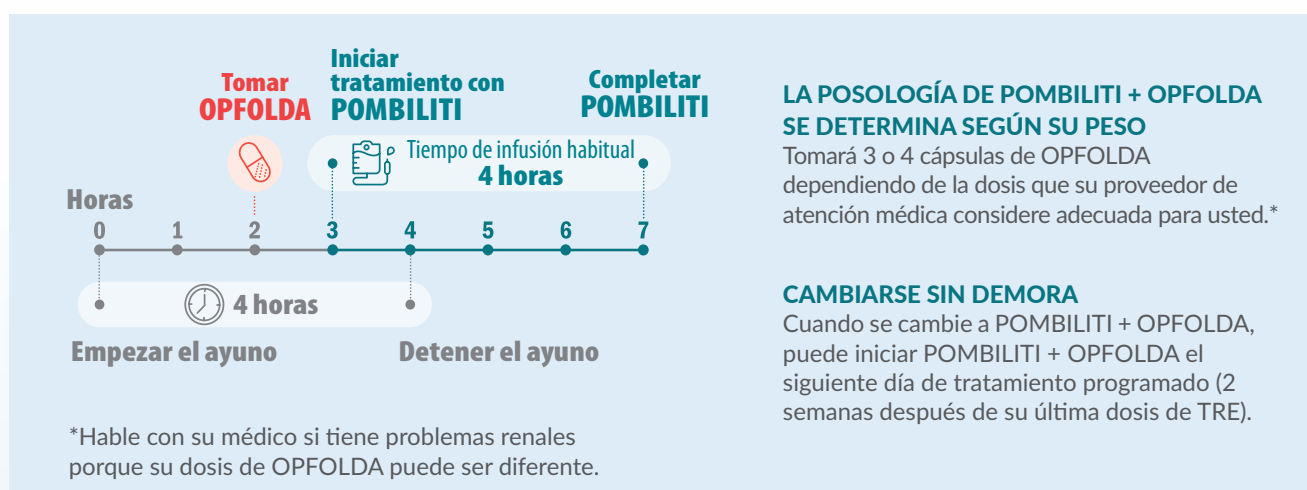
Consulte la Información importante de seguridad en la página 7, y en el bolsillo para ver la [Información de prescripción completa](#), incluida la **ADVERTENCIA DEL RECUADRO**, para POMBILITI e [Información de prescripción completa](#) e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en PombilitiOpfolda.com.



El día de su tratamiento de un vistazo

POMBILITI™ (cipaglucosidasa alfa-atga) es un terapia de reemplazo enzimático (TRE). OPFOLDA™ (miglustat) es un estabilizador de enzimas orales diseñado para estabilizar la POMBILITI en el torrente sanguíneo. Cada componente se diseñó para trabajar exclusivamente con el otro. POMBILITI + OPFOLDA deben tomarse en combinación en el momento adecuado en las circunstancias adecuadas. Ninguno de ellos debe tomarse con otro tratamiento para la enfermedad de Pompe de inicio tardío (EPIT). Por eso es importante que trabaje con su equipo de atención para establecer su rutina de tratamiento.

EL DÍA DE TRATAMIENTO TIENE LUGAR CADA 2 SEMANAS, Y UNO DE ELLOS DEBERÍA TENER ESTE ASPECTO:



Es posible que su médico le recomiende tomar medicamentos como antihistamínicos, antipiréticos (reductores de la fiebre) o corticosteroides 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.

¿POR QUÉ TENGO QUE AYUNAR MIENTRAS TOMO OPFOLDA?

OPFOLDA requiere ayuno para unirse a POMBILITI en su torrente sanguíneo. Puede reanudar la bebida y la alimentación 2 horas después de tomar OPFOLDA.

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.

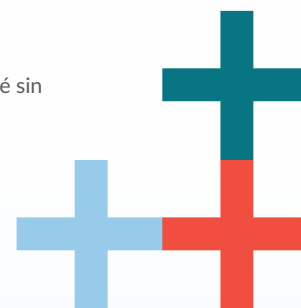
Consulte la [Información importante de seguridad en la página 7](#), y en el bolsillo para ver la [Información de prescripción completa](#), incluida la **ADVERTENCIA DEL RECUADRO**, para POMBILITI e [Información de prescripción completa](#) e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en PombilitiOpfolda.com.



Por qué es importante su rutina

Ahora que ya sabe por qué se toman juntos POMBILITI y OPFOLDA, es importante comprender cuándo y cómo se toma OPFOLDA. Se deben seguir las siguientes instrucciones cada 2 semanas cada día de tratamiento:

- **Asegúrese de tomar OPFOLDA exactamente como le indique su proveedor de atención médica**
- **No coma nada durante al menos 2 horas antes de tomar OPFOLDA**
- **Tome el OPFOLDA recetado aproximadamente 1 hora antes de la infusión**
- **Una vez que haya tomado OPFOLDA, asegúrese de no comer nada durante al menos 2 horas**
 - Está bien beber ciertos líquidos a lo largo del día de tratamiento. Puede tomar bebidas sin azúcar como agua, té o café sin crema, azúcar u otros edulcorantes. No beba otras bebidas ni coma alimentos durante el intervalo de ayuno.
- **2 horas después de tomar OPFOLDA, puede comer y beber lo que quiera**



¿QUÉ DEBO HACER DESPUÉS DE LA INFUSIÓN?

Una vez finalizada la infusión, recuerde programar su próxima cita de infusión. POMBILITI + OPFOLDA se debe administrar una vez cada 2 semanas.

Si tiene alguna pregunta, preocupación o problema con su tratamiento, asegúrese de ponerse en contacto con su equipo de atención sanitaria.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

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.

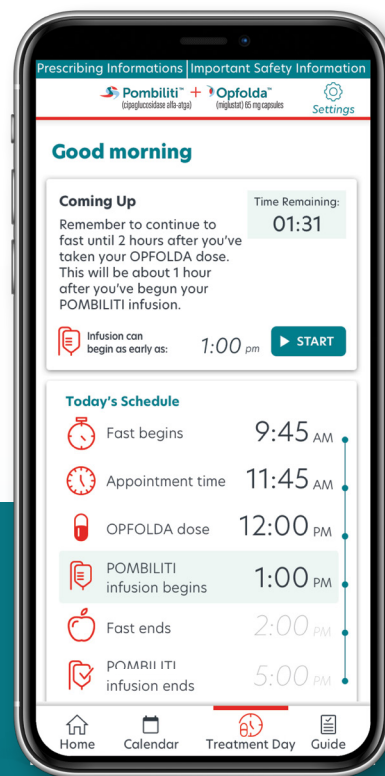
Consulte la Información importante de seguridad en la página 7, y en el bolsillo para ver la [Información de prescripción completa](#), incluida la **ADVERTENCIA DEL RECUADRO, para POMBILITI e [Información de prescripción completa](#) e [Información para el paciente](#) para OPFOLDA, también disponibles en PombilitiOpfolda.com.**

Herramientas para planificar con antelación

La aplicación POMBILITI™ (cipaglucosidasa alfa-atga) + OPFOLDA™ (miglustat) MyDay Pompe™ le permite mantenerse al tanto de su tratamiento proporcionando la información que necesita directamente en su dispositivo móvil.

¿QUÉ FUNCIONES INCLUYE LA APLICACIÓN?

- Notificaciones que le ayudan a estar al tanto de cada paso del día de tratamiento
- Calendarios que se pueden utilizar para gestionar las próximas citas
- Recursos e información sobre qué esperar el día de tratamiento



Descargue la aplicación POMBILITI + OPFOLDA MyDay Pompe hoy escaneando el código QR o visitando [App Store](#) o [Google Play](#).

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

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 la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) al 1-800-FDA-1088 o www.fda.gov/medwatch.

Consulte la **Información importante de seguridad** en la página 7, y en el bolsillo para ver 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 PombilitiOpfolda.com.



AMICUS ASSIST®:

Una cara amistosa en cada paso

Está bien tener preguntas. Y puede contar con AMICUS ASSIST para ayudarlo a encontrar respuestas. AMICUS ASSIST es un programa de apoyo al paciente compuesto por coordinadores de educación para pacientes (Patient Education Liaisons, PEL) y gerentes de casos para ayudarlo durante su proceso.



¿QUÉ ES UN PEL?

Su PEL asignado está disponible para ofrecer educación y apoyo durante el tratamiento:



Responder preguntas sobre la EPIT y su tratamiento



Proporcionarle consejos para ayudarlo a prepararse para sus días de tratamiento



Ayuda para mantener conversaciones más productivas con su equipo de atención

Recuerde que, aunque su PEL está disponible para proporcionar apoyo durante su tratamiento, los PEL no proporcionan asesoramiento médico. Su proveedor de atención médica es el recurso al que puede acudir para cualquier pregunta relacionada con su atención.

QUÉ ES UN GERENTE DE CASO?

Su gerente de casos le ayudará a navegar por el acceso al tratamiento y los recursos financieros:



Verificar y explicar su cobertura del seguro



Ayudar a coordinar las entregas de las recetas



Identificar posibles fuentes de asistencia financiera

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 la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) al 1-800-FDA-1088 o 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 PombilitiOpfolda.com.



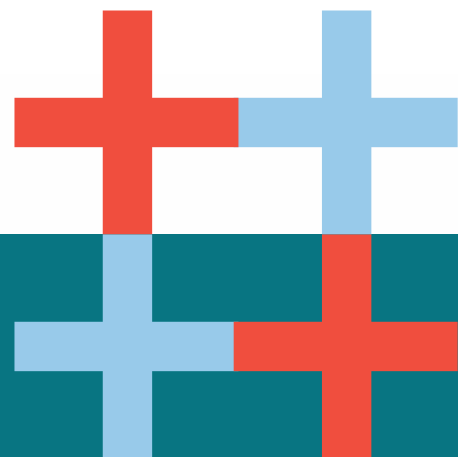
¿Tiene preguntas o inquietudes sobre el día del tratamiento?

Si necesita ayuda mientras recibe el tratamiento, asegúrese de hablar y notificar a su equipo de atención médica. Ellos sabrán cómo ayudarlo mejor.

También puede ponerse en contacto con su coordinador de educación para pacientes o gerente de casos de AMICUS ASSIST® si tiene otras preguntas sobre su día de tratamiento.



Para obtener más información sobre el proceso de infusión, no dude en ponerse en contacto con AMICUS ASSIST, de lunes a viernes, de 8:00 A.M. A 8:00 P.M. ET, al **1-833-AMICUS-A (1-833-264-2872)**.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

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 en la página 7**, y en el bolsillo para ver 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 **PombilitiOpfolda.com**.



POMBILITI™, OPFOLDA™ y MyDay Pompe™ son marcas comerciales y AMICUS ASSIST® es una marca comercial registrada de Amicus Therapeutics, Inc.
© 2023 Amicus Therapeutics. Todos los derechos reservados. PP-AT-US-0006-0124