

RECOMENDACIONES PARA LOS TRATAMIENTOS DE REEMPLAZO ENZIMÁTICO EN SITUACIÓN EXCEPCIONAL DE PANDEMIA COVID 19

Dada la situación excepcional que estamos viviendo como consecuencia de la pandemia COVID 19 algunos profesionales con experiencia en enfermedades lisosomales pediátricas queremos constatar que:

- Los pacientes pediátricos afectos de enfermedades lisosomales son pacientes de riesgo de complicaciones graves tras infecciones respiratorias.
- El tratamiento enzimático sustitutivo es necesario y no se debe interrumpir pero la administración hospitalaria puede suponer un riesgo de contagio para estos pacientes.

Por ello y exclusivamente en estos meses de pandemia creemos que se pueden adaptar las pautas de infusión en caso necesario por la situación epidemiológica del centro, según la siguiente propuesta, siempre que el paciente esté estable, con más de 6-12 meses de infusión ininterrumpida y a criterio del facultativo responsable:

- Pacientes afectos de Mucopolisacaridosis (MPS) tipo I en fase previa al trasplante de progenitores hematopoyéticos: administración quincenal del doble de la dosis semanal
- Pacientes afectos de MPS tipo I en fase crónica y tipo II, tipo IV, tipo VI y tipo VII: administración quincenal de la dosis habitual o doble dosis en función del estado del paciente y del criterio médico.
- Pacientes afectos de enfermedad de Gaucher y Fabry: administración mensual de la dosis habitual o doble dosis en función del estado del paciente y del criterio médico.
- Pacientes afectos de enfermedad de Pompe y Wolman: dada la gravedad de la enfermedad de base es necesario la valoración individual del riesgo de contagio frente al aumento del intervalo de tratamiento.

En los casos en que se decida doblar la dosis debe tenerse en cuenta la preparación y el tiempo de infusión así como la posibilidad de reacciones anafilácticas.

Se asegurarán todas las medidas necesarias para evitar contagio durante el proceso de la administración en ámbito hospitalario y se realizarán controles periódicos de marcadores clínicos y bioquímicos con adaptación de las pautas en caso de que sea necesario.

Estas medidas son excepcionales y transitorias, deben revisarse en 2 meses según la evolución de la epidemia.

24 de marzo de 2020

Dr. Luis Aldamiz Echeverria, Hospital Universitario de Cruces, Barakaldo
Dra. Maria José de Castro, Hospital Universitario Santiago de Compostela
Dr. Antonio González Meneses, Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla
Dr. Luis González Gutierrez-Solana, Hospital Universitario Niño Jesús, Madrid
Dra. Mar O'Callaghan, Hospital Universitario Sant Joan de Deú, Barcelona
Dra. Mireia del Toro, Hospital Universitario Vall d'Hebron, Barcelona
Dr. Isidro Vitoria, Hospital Universitario La Fe, Valencia

Bibliografía relevante

Horovitz DD, Acosta AX, Giugliani R, Hlavatá A, Hlavatá K, Tchan MC et al. Alternative laronidase dose regimen for patients with mucopolysaccharidosis I: a multinational, retrospective, chart review case series. *Orphanet J Rare Dis.* 2016;11:51

Horovitz DD, Bartha AL, Souza CF, Canossac S, Curatic M et al. Enzyme replacement therapy in mucopolysaccharidosis type II with alternative dosing 1mg/kg idursulfase in every other week infusions *Mol Gen Metab* 2019;126:S17–S156

Yulan Q et al. Pharmacokinetic and Pharmacodynamic Modeling to Optimize the Dose of Vestronidase Alfa, an Enzyme Replacement Therapy for Treatment of Patients with Mucopolysaccharidosis Type VII: Results from Three Trials. *Clinical Pharmacokinetics* (2019) 58:673–683

Gaucher.-Kishnani PS, DiRocco M, Kaplan P, Mehta A, Pastores GM, Smith SE et al. A randomized trial comparing the efficacy and safety of imiglucerase (Cerezyme) infusions every 4 weeks versus every 2 weeks in the maintenance therapy of adult patients with Gaucher disease type 1. *Mol Genet Metab.* 2009 ;96:164-70.

Stirnemann J, Rose C, Serratrice C, Dalbès F, Lidove O et al. Impact of imiglucerase supply constraint on the therapeutic management and course of disease in French patients with Gaucher disease type 1. *Orpha J RareDis,* 2015: 10:62