



UNIVERSIDAD
COMPLUTENSE
MADRID

MEJORA DE LA ATENCIÓN FARMACÉUTICA EN PACIENTES TRATADOS CON MIGLUSTAT

ELENA SAIZ DE LA HOYA ÁLVAREZ

Tutora: Amparo Ibáñez

Convocatoria: febrero 2016



ÍNDICE

1. Resumen.....	3
2. Introducción.....	4
3. Metodología.....	7
4. Objetivos.....	7
5. Resultados.....	8
5.1 Información verbal.....	8
5.2 Información escrita.....	16
6. Conclusiones.....	16
7. Bibliografía.....	17

1.RESUMEN

Zavesca® es un medicamento que contiene como principio activo miglustat. Fue designado medicamento huérfano. El miglustat es un inhibidor de la enzima glucosilceramida sintasa, se utiliza para el tratamiento de dos enfermedades hereditarias que afectan al modo en el que el organismo procesa las grasas: adultos con enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada, a los que no puede administrárseles el tratamiento habitual de sustitución enzimática y a pacientes de todas las edades, con la enfermedad de Niemann-Pick tipo c. Estas dos enfermedades están catalogadas como enfermedades raras, en ambas se produce la acumulación de sustancias en el organismo, llamadas glucoesfingolípidos.

Objetivo: Mejora de la atención farmacéutica, a nivel hospitalario, en pacientes tratados con Zavesca® (miglustat).

Metodología: Se ha realizado en base a una revisión bibliográfica de artículos de actualidad, bases de datos y ficha técnica del medicamento.

Resultados: Para incrementar la atención farmacéutica a nivel hospitalario en los pacientes tratados con miglustat, desde el servicio de pacientes externo de farmacia, se llevarán a cabo dos acciones. Por un lado, se le proporcionará información verbal al paciente, que acaba de iniciar tratamiento, acerca de todo lo pertinente a éste y por otro, se le proporcionará un folleto informativo, a modo resumen, con los datos más relevantes que no debe olvidar.

Conclusión: Se trata de dos enfermedades genéticas, que acompañarán al paciente durante toda su vida y al tratarse de enfermedades catalogadas como raras, con una prevalencia tan escasa, los conocimientos acerca de la patología son limitados. El principal problema del tratamiento son los numerosos efectos secundarios, entre ellos cabe destacar la diarrea, que se produce en la mayoría de los casos. Éste hecho dificulta notablemente la adherencia al tratamiento.

2. INTRODUCCIÓN

¿Qué es la enfermedad de Gaucher tipo 1?

La enfermedad de Gaucher es una enfermedad hereditaria, autosómica y recesiva. Se ha subdividido en varias formas clínicas, de las cuales la tipo I es la más frecuente. Esta patología se caracteriza por un defecto genético en el catabolismo de los glucoesfingolípidos. Se produce por la deficiencia de la enzima beta-glucocerebrosidasa ácida, enzima encargada de metabolizar a los glucocerebrósidos en glucosa y ceramida. Como consecuencia, se produce la acumulación de este lípido (depósitos de glucocerebrósidos insolubles) en los macrófagos tisulares, las células diana que sufren las consecuencias directas del defecto enzimático. Los macrófagos se congestionan y agrandan pasando a denominarse “células de Gaucher”. Éstas células se encuentran principalmente en hígado, bazo y médula ósea, apareciendo de forma esporádica en pulmón, riñones e intestino. El macrófago activado por este depósito de glucoceramida es iniciador de una cascada inflamatoria global. Si no se sintetiza suficiente glucosilceramida hidrolasa (beta-glucosidasa), la glucosilceramida se deposita en el sistema retículoendotelial (bazo, hígado y médula ósea) dando lugar a manifestaciones clínicas. Con frecuencia se produce afectación ósea. También hepatomegalia, esplenomegalia y anemia. A su vez, aunque en raras ocasiones, pueden incluir complicaciones renales y pulmonares.

La enfermedad de Gaucher tipo 1 afecta tanto a mujeres como hombres, sin distinción de edad, aunque cabe destacar, que muchos de los pacientes se encuentran al final de la pubertad.

✓ Antecedentes históricos

La enfermedad de Gaucher fue descrita por primera vez, en 1882, por un dermatólogo francés llamado Phillipe Charles Ernst Gaucher. En 1924 el médico alemán H. Lieb, aisló un componente graso particular del bazo de personas con enfermedad de Gaucher. Diez años más tarde, un médico francés A. Aghion identificó este compuesto como un glucocerebrósido, componente de la membrana celular de los glóbulos rojos y blancos de la sangre. Groen en el año 1948, fue primero en describir la transmisión genética de

este trastorno, sugiriendo que se trataba de una enfermedad con carácter autosómico recesivo y cuya anomalía de base se hallaba localizada en el cromosoma 1. En 1965, el médico norteamericano Roscoe O. Brady y sus colaboradores demostraron que la acumulación del glucocerebrósido resulta de la deficiencia de la enzima glucocerebrosidasa.

✓ Epidemiología

Su incidencia aproximada en la población general es de 1/100.000 habitantes. Desde un punto de vista étnico, los judíos de origen Ashkenazi, son la población de mayor incidencia, 1/500-1/1000, siendo portadores 1 de cada 10-12 personas sanas.

En España la frecuencia de esta enfermedad es baja, se estima del orden de 1 entre 200.00 o 400.00. Es importante destacar, que debido a la alta proporción de sujetos asintomáticos, la frecuencia real podría ser de al menos el doble de la observada.

¿Qué es la enfermedad de Niemann-pick C?

La enfermedad de Niemann-Pick tipo C (NP-C) es una afección hereditaria, autosómica y recesiva asociada a dos genes: el NPC1 y NPC2, situados en los cromosomas 18 y 14 respectivamente. El 90% de los pacientes presentan mutación en el gen NPC1. Los productos de la expresión génica de NPC1 y NPC2 son importantes para el transporte normal del colesterol.

Esta enfermedad se caracteriza por la existencia de un defecto peculiar del transporte celular de los lípidos, lo cual conlleva a una acumulación de estos lípidos en los lisosomas que varía entre los diversos tejidos. En los tejidos periféricos como la piel, predomina la acumulación de colesterol no esterificado. En el hígado y el bazo se acumulan diversos lípidos como el colesterol no esterificado, glucoesfingolípidos, fosfolípidos y esfingomielina. La acumulación de glucoesfingolípidos se produce principalmente en el sistema nervioso central, incluido el cerebro. De manera habitual la enfermedad de Niemann-Pick tipo c se manifiesta clínicamente entre la mitad y el final de la infancia, también puede manifestarse en lactantes y en edad adulta. Los síntomas clínicos más característicos son: torpeza, dificultad de aprendizaje, ataxia, disfagia, disartria, cataplexia gelástica, disfunción respiratoria, epilepsia, problemas de sueño, problemas de audición, trastornos psiquiátricos...

✓ Antecedentes

La enfermedad de Niemann-Pick c, se describió por primera vez en 1914 por el pediatra alemán Albert Niemann, en unos niños de origen judío (Askenazes), grupo étnico de centro y este de Europa. En el año 1927 Ludwig Pick realizó un estudio tisular y diferenció esta patología de la enfermedad de Gaucher. Crocker, en 1961, diferenció los cuatro tipos de la enfermedad, A, B, C Y D. En el año 1966, Brady, aisló la enzima lisosomal esfingomielinasa, cuyo déficit produce los tipos A y B.

✓ Epidemiología

Existen muy pocos datos epidemiológicos sobre la enfermedad de Niemann-Pick tipo C. En la región occidental de Europa, se ha calculado una prevalencia de 1:150.000. En Australia, se ha calculado una prevalencia de 1:211.000. En general se piensa que NP-C se presenta con una frecuencia similar en todo el mundo, no obstante, se ha demostrado que es más frecuente en algunas poblaciones aisladas y sujetas a endogamia como la arcadiana francesa de Nueva Escocia (Canadá). Se ha subestimado la prevalencia de NP-C, en particular en los niños pequeños debido a las distintas formas de presentación clínica y a la elevada mortalidad de los lactantes.

¿Qué es Zavesca ®?

Zavesca ® es un medicamento que contiene miglustat como principio activo. Se trata de un fármaco huérfano. El miglustat es un inhibidor de la enzima glucosilceramida sintasa. Esta enzima es responsable del primer paso de la síntesis de la mayor parte de los glucoesfingolípidos, mediando la degradación de la glucosilceramida. Los glucoesfingolípidos participan en procesos de crecimiento y diferenciación celular, organización de la membrana celular y señalización bioquímica. Además de ser, éstos, elementos estructurales esenciales para la síntesis de esfingolípidos, son también moléculas de señalización. La glucosilceramida al no ser degradada, se almacena dentro de los macrófagos tisulares. Éstos macrófagos se encuentran usualmente en el hígado, el bazo y la médula ósea; de forma ocasional, se almacenan en pulmón, riñón e intestino. El miglustat actúa como un inhibidor competitivo y reversible. El objetivo del

tratamiento con miglustat, es reducir la tasa de la biosíntesis de glucoesfingolípidos, de manera, que la cantidad de sustrato de los mismos, se reduzca a un nivel que permita la actividad residual de la enzima glucocerebrosidasa.

Debido a su mecanismo de acción, Zavesca® es un fármaco con numerosos efectos secundarios. Los principales efectos adversos son a nivel gastrointestinal, la mayor parte de pacientes sufren diarrea al comienzo del tratamiento, y en ocasiones, durante el transcurso de éste. No existen datos que afirmen posibles interacciones con otros fármacos, a excepción del principio activo imiglucerasa. Utilizar fármacos que contengan imiglucerasa de forma concomitante con Zavesca®, puede disminuir las concentraciones plasmáticas de éste último.

El miglustat está indicado en el tratamiento oral de pacientes adultos con la enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada, únicamente, en aquellos casos en los que no sea adecuado el tratamiento enzimático sustitutivo; y para el tratamiento de las manifestaciones neurológicas progresivas en pacientes adultos y pacientes pediátricos con enfermedad de Niemann-Pick C.

3. METODOLOGÍA

Se ha realizado una revisión bibliográfica. Para ello se han utilizado diversas fuentes de información. Por un lado, fuentes primarias (artículos), fuentes secundarias (Pubmed) y fuentes terciarias (Harrison, principios de medicina interna)

4. OBJETIVOS

El objetivo principal es la mejora de la atención farmacéutica, a nivel hospitalario, en pacientes tratados con miglustat.

Como objetivos secundarios se buscará:

- ✓ Mejorar de la adherencia al tratamiento, proporcionando la información necesaria para el completo conocimiento de éste.

- ✓ Evitar posibles interacciones farmacodinámicas.
- ✓ Evitar o minimizar efectos adversos. Para ello, será necesario, que el paciente se adhiera al tratamiento, evitar posibles interacciones farmacodinámicas y evitar o reducir los posibles efectos secundarios y reacciones adversas.

5. RESULTADOS

Con el fin de mejorar la atención farmacéutica, cuando el paciente comience el tratamiento, en el servicio de farmacia, el farmacéutico, le proporcionará información verbal con todos los detalles acerca de su tratamiento y un folleto informativo a modo de resumen, con aquello más importante que debe de recordar.

5.1 Información verbal

5.1.1 ¿Qué medicación voy a comenzar a tomar?

El nombre comercial del medicamento es Zavesca ®, laboratorio Actelion. El nombre genérico es miglustat. Cada cápsula dura, contiene 100 mg de principio activo, miglustat. Las cápsulas son de color blanco, llevan impreso “OGT 918” en negro en la tapa y “100” en negro en el cuerpo de la cápsula. Las cápsulas están envasadas en tiras blíster de ACLAR/ALU y se comercializan en una caja con un total de 84 cápsulas repartidas en 4 tiras de blíster, con 21 cápsulas en cada.

5.1.2 ¿Cómo debo de tomar la medicación?

Para extraer la cápsula, en primer lugar, se separará por la línea perforada, se retira el papel según indiquen las flechas y se extrae presionando a través del aluminio. Las cápsulas deberán de tragarse enteras con un vaso de agua, sin masticar ni triturar.

✓ Posología para pacientes con enfermedad de **Gaucher tipo 1**

La dosis es de 100mg tres veces al día. Una cápsula en el desayuno, otra en la comida y una última en la cena. En caso de diarrea, su médico, puede reducir la dosis a 100mg una o dos veces al día.

✓ Posología para pacientes con enfermedad de **Niemann-Pick c**

- *Adultos*: La dosis es de 200mg tres veces al día. Dos capsulas en el desayuno, comida y cena.

- *Población pediátrica*: El tratamiento en pacientes adolescentes de 12 años o más, corresponde a una dosis de 200mg tres veces al día. Desayuno, comida y cena. La dosis en pacientes de menos de 12 años, debe de ajustarse según la superficie corporal. A una superficie corporal mayor de 0,88 m², corresponde una dosis de 200mg. Si la superficie corporal es inferior a 0,88 m², la dosis que corresponde es de 100mg dos veces al día.

Puede ser necesario reducir la dosis por aparición de diarrea. En este caso, debe de ponerse en contacto con su médico para ajustar la nueva dosis, si precisa.

5.1.3 ¿Qué debo de saber, pues probablemente me sucederá al tomar este medicamento?

Es probable que sufra alguno de estos efectos secundarios:

✓ *Trastornos gastrointestinales*

El trastorno principal es la diarrea, o bien al inicio del tratamiento, o de forma intermitente durante el transcurso de este. Se produce en un 80% aproximadamente de casos. El mecanismo más probable es la inhibición de disacaridasas intestinales como la sacarasa-isomaltasa en el tracto gastrointestinal, lo que da lugar a una menor absorción de los disacáridos. En algunos pacientes puede ser necesaria la reducción temporal de la dosis.

✓ *Temblores*

Aproximademnte el 58% de los pacientes con enfermedad Niemann-Pick C y el 37% de los pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1, padecen temblores. Se

trata de un temblor fisiológico exagerado de las manos. Los temblores suelen aparecer al principio del tratamiento durante el primer mes y suelen cesar durante el tratamiento. Disminuir la dosis puede disminuir esta afectación.

✓ *Efectos sobre la espermatogénesis*

Los pacientes varones deberán mantener una anticoncepción eficaz mientras dure el tratamiento. El miglustat tiene un efecto adverso sobre la espermatogénesis y parámetros espermáticos, disminuye la fertilidad. Los pacientes varones deberán suspender el tratamiento antes de realizar intentos de concepción y mantener métodos anticonceptivos fiables durante los tres meses siguientes a la suspensión.

5.1.4 ¿Qué precauciones debo de tomar si pertenezco a alguno de estos grupos?

✓ *Poblaciones especiales*

Teniendo en cuenta la experiencia limitada que existe con el tratamiento, deberá emplearse con cautela en pacientes con insuficiencia renal o hepática. Existe una estrecha relación entre la función renal y el aclaramiento de miglustat, del mismo modo que existe un importante aumento en la exposición al miglustat en pacientes con insuficiencia renal grave. No se recomienda el uso de miglustat en pacientes con insuficiencia renal grave (aclaramiento de creatinina < 30ml/min/1,73m²).

✓ *Embarazo*

El miglustat atraviesa la placenta, no se debe de emplear durante el embarazo. Las mujeres en edad fértil deben de usar métodos anticonceptivos.

✓ *Lactancia*

No se sabe con certeza si el fármaco se excreta o no, por la leche materna. No se recomienda el uso de este medicamento durante la lactancia.

✓ *Otras recomendaciones*

- Se recomienda un control regular de los niveles de vitamina B1, debido a la alta prevalencia de déficit de vitamina B12 en pacientes con enfermedad de Gaucher tipo 1.
- Deberán someterse todos los pacientes, a evaluación neurológica basal y periódica. Los pacientes que desarrollan síntomas de entumecimiento y hormigueo deberán someterse nuevamente a una evaluación exhaustiva de los riesgos y beneficios del tratamiento, pudiendo resultar necesaria la interrupción del mismo.
- Se han comunicado casos aislados de disfunción cognitiva durante los ensayos clínicos en la enfermedad de Gaucher tipo 1. Se recomienda una evaluación basal y periódica de las funciones cognitivas en todos los pacientes tratados con este medicamento.

5.1.5 ¿Qué efectos adversos puedo sufrir?

✓ Trombocitopenia

Se trata de una reacción adversa frecuente, entre 1 de cada 100 y 1 de cada 10 personas. Se produce una disminución de la cantidad de plaquetas circulantes, en el torrente sanguíneo, por debajo de los niveles normales. Se trata del principal trastorno linfático, pero pueden producirse otras afectaciones hematológicas.

✓ Pérdida de apetito y peso

Son trastornos que se producen con elevada frecuencia, 1 de cada 10 personas tratadas.

✓ Trastornos del sistema nervioso

Son muy frecuentes los temblores, al menos, 1 de cada 10 personas lo sufren. Frecuentemente, entre 1 de cada 100 y 1 de cada 10, se producen trastornos como neuropatía periférica, ataxia, amnesia, parestesia, hipostesia, cefalea, mareo.

✓ Trastornos gastrointestinales

Con elevada frecuencia, más de 1 de cada 10 personas, se produce diarrea, flatulencia y dolor abdominal. Con frecuencia, se producen náuseas, vómitos, distensión y/o molestia abdominal, estreñimiento y dispepsia.

✓ Espasmos musculares y debilidad muscular

Se producen con frecuencia, entre 1 persona de cada 100 y 1 de cada 10 personas.

✓ Trastornos generales

Frecuentes, afectando a entre 1 de cada 100 y 1 de cada 10. Fatiga, astenia, escalofríos y sensación de malestar.

5.1.6 ¿Existen contraindicaciones?

Puede desarrollar hipersensibilidad al principio activo o a alguno de los excipientes.

Cada cápsula contiene 100 mg de miglustat y excipientes.

- Contenido de las cápsulas: Almidón glicolato sódico, povidona (K30), estearato magnésico.
- Cápsula: Gelatina, agua, dióxido de titanio (E171).
- Tinta de impresión: óxido de hierro negro (E172) y goma laca.

5.1.7 ¿Existen interacciones con otros fármacos?

Existen datos limitados que sugieren que la administración simultánea de miglustat e imiglucerasa puede dar lugar a una disminución de exposición al miglustat. Pueden disminuir la cantidad de miglustat en su cuerpo si ha utilizado o está utilizando Cerezyme®, u otros medicamentos que contengan imiglucerasa, que en ocasiones se usan de forma concomitante con miglustat. Informe a su médico o farmacéutico si está utilizando o ha utilizado recientemente otros medicamentos, incluso los adquiridos sin receta.

5.1.8 ¿Cómo debo modificar mi alimentación? Pautas alimentarias a seguir:

El tratamiento con miglustat, de forma ocasional y principalmente en las etapas iniciales, puede provocar intolerancias alimentarias. Las intolerancias alimentarias las producen los hidratos de carbono, especialmente un tipo de azúcares llamados disacáridos. Es importante recordar que cada persona tiene una capacidad de tolerancia distinta.

Se recomienda iniciar la dieta al comienzo del tratamiento para reducir la probabilidad de síntomas gastrointestinales. Se seguirán tres fases en la dieta. La primera fase será restrictiva en lactosa, en la segunda se introducirán disacáridos sencillos y finalmente, en la tercera, se incluirá el disacárido lactosa.

✓ *Primera fase de la pauta alimentaria*

La duración aproximada de esta fase es un mes. Para asegurar una correcta tolerancia digestiva, se caracterizará por una dieta restrictiva de lactosa y muy baja en disacáridos.

Alimentos permitidos y desaconsejados

ALIMENTOS	PERMITIDOS	DESACONSEJADOS
Leche	Leche baja en lactosa Leche en polvo sin lactosa	Leche de vaca/oveja/cabra Leche semidesnatada y desnatada Leche condensada
Bebidas	Bebidas de soja Batido de almendras	Bebidas con lactosa
Quesos	Queso curado o semicurado Tofu	Queso fresco
Yogures	Yogur de soja	Yogur entero natural y frutas Yogur desnatado natural y frutas Yogures pasteurizados después de la fermentación.
Postres lácteos	Ninguno	Postres elaborados con leche (natillas, crema catalana..)
Fruta	Toda	Cítricos con moderación

Helados	Helados caseros	Helados cremosos de cualquier sabor Helados de hielo.
Salsas	Bechamel (preparada con leche permitida)	
Pastelería	Elaborados con batido de soja.	Pastelería elaborada con leche. Galletas de soja.
Otros	Tofu	Frutos secos

Dieta a seguir

Desayuno	<ul style="list-style-type: none"> - Leche sin lactosa (200cc= 1 taza) con azúcar - Queso semicurado 50g (equivalente) - Fruta (1 pieza)
½ Mañana	<ul style="list-style-type: none"> - Queso semicurado 50g (equivalente) - Carne de membrillo
Almuerzo	<ul style="list-style-type: none"> - Arroz (45g en cocido) (equivalente) con verdura - Carne (sin restricción) con guarnición de verdura - Fruta (1 pieza)
Merienda	<ul style="list-style-type: none"> - Yogur de soja (1 pieza) - Fruta (1 pieza)
Cena	<ul style="list-style-type: none"> - Patata (50 g en crudo) (equivalente) con verdura - Pescado (sin restricción) con guarnición de verdura - Aceite sin restricción - Fruta (1 pieza)
Antes de acostarse	<ul style="list-style-type: none"> - Yogur de soja (1 unidad) (equivalente)

✓ *Segunda fase de la pauta alimentaria*

Se podrá introducir más cantidad de disacáridos en forma de arroz, pasta italiana, legumbres, pan, frutos secos... Siempre y cuando la tolerancia a la fase inicial sea correcta y las deposiciones estables.

✓ *Tercera fase de la pauta alimentaria*

Esta fase se caracteriza por la inclusión de la lactosa, disacárido de la leche, en la dieta. Previamente verificada la tolerancia, se podrá introducir la lactosa en forma de yogur de leche de vaca, observando la tolerancia digestiva. Si tolera dos yogures al día, puede introducir leche, por la tarde, acompañada de otros alimentos ya tolerados.

Otras recomendaciones dietéticas:

Hidratación: Es muy importante vigilar la hidratación. Debe de ingerir 1 litro de agua al día. En caso de diarrea, 1,5 litros de agua o bebida isotónica.

Control de peso: Se debe de realizar un control de peso una vez a la semana. En caso de pérdida comunicárselo a su médico. Es muy importante no perder peso.

5.1.9 ¿Qué debo de hacer si tomo más cantidad de Zavesca® de la prescrita?

Si toma más cápsulas de las que se le indicó, debe consultarlo con su médico de inmediato. En ensayos clínicos se ha empleado Zavesca a dosis diez veces superiores a la dosis recomendada, esto causó una reducción de los leucocitos sanguíneos y otros efectos secundarios similares a los ya descritos.

5.1.10 ¿Qué debo hacer si olvido tomar una dosis?

Tome la siguiente cápsula cuando corresponda. No debe de tomar una dosis doble para compensar las dosis olvidadas.

5.1.11 ¿Qué ocurre si interrumpe el tratamiento?

No interrumpa el tratamiento con miglustat sin consultar con su médico. Si tiene cualquier otra duda sobre el uso de este medicamento, pregunte a su médico o farmacéutico.

5.1.12 ¿Cómo debo de almacenarlo?

Se debe de mantener fuera del alcance y de la vista de los niños. No utilice miglustat después de la fecha de caducidad que aparece en el envase. Se debe de conservar a temperatura inferior a 30°C. Pregunte a su farmacéutico cómo deshacerse de los envases y de los medicamentos que no necesita.

5.2 Información escrita:

Se le entregará al paciente, en la consulta de la farmacia, un folleto informativo con aquellos datos más importantes, acerca del tratamiento que debe recordar. Ver anexo 1.

6. CONCLUSIÓN

El comité decidió que los beneficios de Zavesca® (miglustat) son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su comercialización. En un principio, fue autorizado bajo circunstancias “excepcionales”, ya que, al tratarse de una enfermedad rara, se disponía de información limitada sobre el medicamento en el momento de su autorización.

En el estudio de la enfermedad de Gaucher tipo 1, se observaron después de un año, disminuciones moderadas en el volumen del hígado (12%) y en el volumen del bazo (19%). También se registraron ligeras mejoras en los recuentos sanguíneos. En los pacientes con enfermedad de Niemann-Pick c, se observaron signos de mejoría en la capacidad de tragar y en la actividad intelectual, así como una estabilización de la tasa en la que los síntomas empeoraban.

La mejora de la atención farmacéutica en pacientes tratados con Zavesca® es un pilar fundamental para el éxito terapéutico. Por un lado, se trata de enfermedades huérfanas, afectan a un pequeño porcentaje de la población y como tal, los pacientes afectados se tienen que enfrentar a problemas como: la desinformación sobre especialistas o centros médicos, el desconocimiento del origen de la enfermedad, la inexistencia de protocolo, escasos medicamentos... Por otro lado, al tratarse de enfermedades genéticas, están presentes durante toda la vida del paciente, incluso si los síntomas no aparecen inicialmente.

Se trata de un fármaco con numerosos efectos adversos: pérdida de peso, pérdida de apetito, temblores, diarrea, flatulencias, dolor abdominal... Al inicio del tratamiento, y en numerosas ocasiones, durante el transcurso de éste, los pacientes sufren diarrea. Por este motivo suele ser necesario reducir la dosis de fármaco, incluso llegar a suprimirla. Éste hecho afecta notablemente a la adherencia del tratamiento y por lo tanto al éxito terapéutico. Por otro lado, la necesidad de una modificación en la dieta y la supresión de alimentos tan extendidos como puede ser la leche de vaca, afecta al día a día habitual del paciente.

7. BIBLIOGRAFÍA

- ✓ MEDLINE (<http://www.ncbi.nlm.nih.gov/PubMed>) y SCIELO (<http://scielo.isciii.es>) utilizando las palabras clave: “miglustat”, “Gaucher disease treatment” y “Niemann-Pick disease treatment”.
- ✓ Ficha técnica de Zavesca ®, Agencia Española del Medicamento.
- ✓ Harrison. Principios de Medicina Interna, 18e
Dan L. Longo, Dennis L. Kasper, J. Larry Jameson, Anthony S. Fauci, Stephen L. Hauser, Joseph Loscalzo.
- ✓ Fundación feeteg, fundación española para el tratamiento de la enfermedad de Gaucher y otras enfermedades lisosomales.
- ✓ Fundación Niemann pick España.
- ✓ Actelion, helthcare professional.

ANEXO I

¿QUÉ ES ZAVESCA®?

Se trata de un inhibidor de la enzima glucosilceramida sintasa. Evita la acumulación de glucoesfingolípidos en el organismo.

Se utiliza para el tratamiento de:

- Enfermedad de Gaucher tipo I
- Enfermedad de Niemann-Pick tipo C

ASPECTO



Las cápsulas son de color blanco. Llevan impreso "OGT 918" en negro en la tapa y "100" en el cuerpo de la cápsula. La caja contiene un total de 84 cápsulas repartidas en 4 tiras de blister con 21 cápsulas en cada una.

POSOLÓGIA

Comprimidos a tomar para una dosis de ___ mg/___h			
100 mg			
200 mg			

¿CÓMO SE ADMINISTRA?

Las cápsulas deben de tragarse ENTERAS con un vaso de agua SIN MASTICAR NI TRITURAR.



EFFECTOS ADVERSOS

- Pérdida de apetito y peso.
- Diarrea, flatulencia y dolor abdominal.
- Temblores
- Espasmos musculares y debilidad muscular.
- Trombocitopenia (disminución cantidad de plaquetas)

ALIMENTOS PROHIBIDOS

- Leches con lactosa
- Yogures y postres lácteos con lactosa
- Queso fresco
- Pastelería elaborada con leche



ANEXO 1

INFORMACIÓN AL PACIENTE

MIGLUSTAT

ZAVESCA[®]100-
(miglustat) capsules



Servicio de Farmacia

Unidad de Atención Farmacéutica

Pacientes Externos

¿QUÉ HACER SI OLVIDO TOMAR UNA DOSIS?

Se debe tomar la siguiente cápsula cuando corresponda, NUNCA se debe tomar DOSIS SOBRESALE para compensar la dosis olvidada.

¿QUÉ HACER SI TOMO MÁS CANTIDAD DE LA PRESCRITA?

Debe consultar a su médico de inmediato.

CONSERVACIÓN

Se debe conservar a temperatura inferior a 30°C. No consumir después de la fecha de caducidad.

OTRAS CONSIDERACIONES

- En caso de duda consulte con su farmacéutico.
- Antes de iniciar el tratamiento debe de informar si se encuentra embarazada, cree poder estarlo o pretende quedarse en estado.
- Debe evitar la lactancia si está tomando Zavesca[®].
- Debe vigilar su hidratación, se recomienda ingerir al menos 1L de agua al día.
- Es necesario llevar a cabo un control semanal del peso.

