

Zavesca® miglustat 100 mg cápsulas duras: Especialidad Medicinal aprobada por el Ministerio de Salud de la Nación (ANMAT) Certificado: N° 56224	
Titular de Autorización de comercialización:	Janssen Cilag Farmacéutica S.A. Mendoza 1259 Ciudad Autónoma de Buenos Aires
MÉDICO TRATANTE:	Nombre: Institución: Dirección: Teléfono:
PACIENTE:	Nombre y Apellido (completo y en letra de imprenta) Fecha de nacimiento: Edad: Dirección: Teléfono:

INTRODUCCIÓN

La agencia Europea de Medicamentos aprueba en el año 2000 el producto Zavesca®, principio activo Miglustat, como medicamento huérfano indicado para la enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada en adultos y en el 2006 para la enfermedad de Niemann Pick C, con síntomas neurológicos. La aprobación del producto se basa en el cociente favorable de beneficio/riesgo para todos los pacientes para los cuales está indicado.

La aprobación del producto se realiza bajo condiciones excepcionales, ya que los medicamentos huérfanos, están dirigidos a enfermedades raras (poco frecuentes) y en consiguiente requieren de más estudios de efectividad y calidad de vida como respaldo del beneficio clínico producido. Por esta razón es que resulta conveniente realizar un Plan de Gestión de Riesgos en el cual es necesario volcar información que se traduzca en generación de datos sobre la seguridad y eficacia del producto.

Usted, como portador de alguna de estas dos enfermedades, es considerado por su médico como candidato para recibir Zavesca® (miglustat). Para ello se recolectará información relacionada con su salud y su condición médica, que incluye información demográfica (sexo, fecha de nacimiento, fecha de diagnóstico de la enfermedad, etc), resultados de exámenes físicos, análisis de sangre, radiografías y otros procedimientos diagnósticos y médicos que puedan estar incluidos en su historia clínica. **Sin embargo, toda la información que figura en su historia clínica será mantenida en absoluta confidencialidad, sin identificarse a usted por su nombre en ningún registro ni publicación al respecto.**

Recordatorio: El paciente debe recibir una copia de este formulario de consentimiento firmado.

El manejo de la información médica obtenida se realiza de acuerdo con la Legislación Argentina sobre protección de Datos Personales (Ley 25.326, sancionada el 4 de octubre de 2000). Según establece la ley usted tiene derecho a acceder a sus datos personales en forma gratuita y a la posibilidad de solicitar correcciones. En caso de no poder tener acceso a sus datos personales, usted tiene el derecho de efectuar una presentación formal ante de la Dirección Nacional de Protección de Datos Personales.

Es importante que lea atentamente la información que se le provee a continuación y, si hay algo que no comprende acerca del medicamento, pregunte a su médico. **Asegúrese de haber tenido la oportunidad de realizar todas las preguntas que considere necesarias y que estas hayan sido respondidas a su entera satisfacción, antes de firmar este consentimiento.**

Es importante que usted sepa que el producto Zavesca® se encuentra aprobado por la Autoridad Sanitaria de la Nación y que la misma solicita recolectar datos que tengan que ver con la seguridad y eficacia del producto después de la comercialización del mismo, y que la misma Autoridad ha solicitado que los pacientes firmen un consentimiento informado antes de iniciar el tratamiento únicamente a efectos de tomar conocimiento de la condición huérfana del medicamento y de la necesidad de recolectar datos que aporten datos para su seguridad.

Información General:

Usted tiene diagnóstico de:

- Enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada;
- o posee manifestaciones neurológicas como consecuencia de la Enfermedad de Niemann Pick tipo C.

Para su condición, su médico considera que debe iniciar tratamiento con el medicamento **Zavesca® (miglustat)**.

El propósito de este documento es informarle sobre Zavesca®, su uso y efectos adversos.

1) QUE ES ZAVESCA® Y PARA QUE SE UTILIZA

Zavesca® pertenece a un grupo de medicamentos que tienen efecto sobre el metabolismo. Este medicamento se puede utilizar para la **Enfermedad de Gaucher Tipo 1**. Esta enfermedad se caracteriza porque el cuerpo no puede eliminar, por déficit de una enzima, una sustancia llamada glucosilceramida que se produce normalmente como consecuencia de la degradación de componentes del organismo. Al no poder eliminarse, la glucosilceramida se acumula dentro de determinadas células del sistema de defensa del cuerpo (sistema inmune) y consecuentemente puede producir aumento del tamaño del hígado, del bazo, alteraciones en la composición de la sangre y afectación de los huesos.

El tratamiento habitual para la Enfermedad de Gaucher Tipo 1 consiste en reemplazar la enzima faltante, esto se llama Terapia Enzimática de Sustitución (TES). Cuando el paciente por algún motivo no está en condiciones de recibir la TES, puede utilizarse Zavesca® que actúa reduciendo la formación de la glucosilceramida.

Zavesca® está aprobado en la Argentina para ser indicada en el tratamiento oral de pacientes adultos con la enfermedad de Gaucher tipo 1 leve o moderada. Zavesca® se utilizará únicamente

Recordatorio: El paciente debe recibir una copia de este formulario de consentimiento firmado.

en aquellos casos en los que no sea adecuado el tratamiento enzimático sustitutivo. Zavesca® también puede utilizarse en la **Enfermedad de Niemann Pick Tipo C**. En esta enfermedad, también hay una acumulación anormal de sustancias, especialmente en el cerebro, hígado y bazo.

Esta acumulación en las células del cerebro puede llevar a alteración progresiva de algunas funciones neurológicas y a la afectación del conocimiento y la conducta. Zavesca® está aprobado en la Argentina para tratar las manifestaciones neurológicas progresivas en pacientes adultos y pacientes pediátricos con Enfermedad de Niemann Pick tipo C.

2) QUÉ SE DEBE SABER ANTES DE TOMAR ZAVESCA®

No se debe tomar Zavesca® en caso de alergia (hipersensibilidad) a miglustat o a cualquiera de los demás componentes de Zavesca®. Debe tenerse especial cuidado con Zavesca® en caso de padecer enfermedad renal, enfermedad hepática o enfermedad inflamatoria intestinal. Si éste fuera el caso, el médico podrá ajustar la dosis.

Según el caso en particular, el médico podrá indicar o realizar algunas de las siguientes pruebas, antes y/o durante el tratamiento con Zavesca®, para un mejor seguimiento terapéutico:

- Exploración física de los nervios de los brazos y las piernas
- Medición de los niveles de vitamina B12 en sangre
- Monitorización del crecimiento en niños o adolescentes con Enfermedad de Niemann Pick C
- Monitorización del recuento de plaquetas en sangre en pacientes con enfermedad de Niemann-Pick C.
- Prueba de embarazo.

El médico puede indicar una modificación en la dieta de los pacientes tratados con Zavesca® para reducir la ingesta de lactosa e hidratos de carbono, o recomendar la toma de Zavesca® alejado de las comidas. Esto se debe a que se han reportado casos de diarrea con el tratamiento con Zavesca® y las medidas mencionadas disminuyen este efecto. En caso de diarrea, el médico puede recetar medicamentos antidiarreicos como la loperamida o reducir temporalmente la dosis. Si la diarrea no responde a estas medidas o si se presentan otras molestias abdominales, el médico puede decidir realizar estudios adicionales.

Uso de otros medicamentos

En pacientes con Enfermedad de Gaucher Tipo 1, el uso simultáneo de Zavesca® y Cerezyme®, u otros medicamentos que contengan imiglucerasa, puede disminuir la cantidad de Zavesca® en el cuerpo. Zavesca® puede tomarse con o sin alimentos.

Embarazo y lactancia

No se debe utilizar Zavesca® en pacientes embarazadas o que tienen intención de quedar embarazadas, ya que el miglustat atraviesa la placenta. Los estudios en animales han demostrado toxicidad reproductiva, incluida la distocia (parto difícil). Las mujeres en edad fértil deberán emplear un método anticonceptivo eficaz mientras dure el tratamiento con Zavesca®. Las mujeres en edad fértil en tratamiento con Zavesca® deben ser derivadas al médico ginecólogo para recibir asesoramiento sobre la utilización de métodos anticonceptivos confiables. Zavesca® no está recomendado durante la lactancia.

Recordatorio: El paciente debe recibir una copia de este formulario de consentimiento firmado.

A los pacientes varones se les aconseja que empleen métodos anticonceptivos confiables durante el tratamiento con Zavesca® y hasta tres meses después de finalizar el mismo. Antes de realizar intentos de concepción, los varones deberán suspender el tratamiento con Zavesca® y mantener métodos anticonceptivos fiables durante los 3 meses siguientes a la suspensión. Los estudios realizados en ratas han demostrado que le miglustat tiene un efecto adverso sobre la espermatogénesis y los parámetros espermáticos y que disminuye la fertilidad.

Niños y adolescentes

No administre este medicamento a niños y adolescentes (menores de 18 años de edad) con enfermedad de Gaucher tipo 1 porque se desconoce si funciona en esta enfermedad.

Conducción y uso de maquinas

Zavesca® puede producir mareos. Se recomienda no conducir ni manejar herramientas o maquinas si se experimentan mareos.

3) COMO TOMAR ZAVESCA®

Zavesca® se toma bajo indicación médica.

La dosis sugerida es:

- Para enfermedad de Gaucher tipo 1: en adultos, la dosis habitual es de una capsula tres veces al día (mañana, tarde y noche): En total, 300 mg diarios.
- Para la enfermedad de Niemann Pick C: en adultos y adolescentes, la dosis habitual es de dos cápsulas tres veces al día (mañana, tarde y noche). En total, 600 mg diarios. En el caso de pacientes menores de 12 años, el médico ajustara la dosis en base al área de superficie corporal.

El médico recomendará la dosis más adecuada para cada paciente. En el caso de problemas renales, el médico puede indicar una dosis inicial inferior. Es posible que el médico reduzca la dosis de Zavesca® en caso de que se presente diarrea durante el tratamiento con Zavesca®.

El médico es quien determina la duración del tratamiento. No deberá tomarse más Zavesca® del indicado.

En caso de olvidar una toma de Zavesca® deberá consultarse al médico. Se recomienda no interrumpir el tratamiento con Zavesca® sin consultar previamente con el médico.

4) POSIBLES EFECTOS ADVERSOS

Al igual que todos los medicamentos, Zavesca® puede producir efectos adversos o no deseados.

Además de la consulta con su médico tratante, usted también podrá solicitar información llamando al 0800-122-0238 (línea gratuita) Janssen ARGENTINA y/o a “ANMAT responde” al 0800-333-1234 (línea gratuita).

Se han reportado casos de pérdida de peso, falta/disminución del apetito, diarrea, flatulencia (gases), dolor/distensión abdominal, dispepsia; constipación, náuseas y vómitos, neuropatía periférica, dolor de cabeza, mareos, alteraciones de la coordinación, hipoestesias (reducción de la sensibilidad táctil), espasmos musculares o debilidad muscular, fatiga, escalofríos, dificultad para dormir, olvidos, disminución de la libido y disminución de los niveles sanguíneos de

Recordatorio: El paciente debe recibir una copia de este formulario de consentimiento firmado.

plaquetas (trombocitopenia). Los síntomas neurológicos y la trombocitopenia pueden deberse a la enfermedad subyacente. Algunos pacientes que tomaron Zavesca® reportaron algunos problemas en los nervios como hormigueo o entumecimiento y temblor en las manos y pies. En algunos casos, aunque raramente, puede ocurrir alguna reacción alérgica al Zavesca®.

Tenga en cuenta que es fundamental que le informe a su médico sobre cualquier nuevo síntoma o condición médica una vez iniciado su tratamiento con Zavesca®. Si considera que alguno de los efectos adversos que sufre es grave, informe inmediatamente a su médico.

5) CONSERVACION DE ZAVESCA®

Mantener fuera del alcance y de la vista de los niños. No utilizar Zavesca® después de la fecha de vencimiento que aparece en el envase. Conserva a temperatura inferior a 30° C.

CONSETIMIENTO INFORMADO

1. Información sobre el medicamento

- He leído y comprendido la información sobre Zavesca® y he tenido la oportunidad de efectuar preguntas y las mismas han sido respondidas.
- Recibiré una copia de este consentimiento Informado con las firmas correspondientes
- Recibiré también el prospecto aprobado por la Autoridad Sanitaria (ANMAT)
- He recibido información sobre el uso y seguridad de Zavesca®.

2. Uso de mi información medica

- Comprendo que al firmar este formulario de consentimiento autorizo el acceso a mis registros médicos a las personas de Actelion representada en Argentina por por Janssen Cilag farmacéutica S.A y a las autoridades regulatorias locales (ANMAT).
- Comprendo que cierta información obtenida de mis registros médicos se guardará en sistemas de archivo manual y computarizado, aunque no se identificarán por mi nombre.
- Autorizo a que mis datos de salud (sin identificación filiatoria alguna) sean recolectados y procesados con fines de cumplimentar un Plan de Manejo de Riesgos requerido por la ANMAT.

PÁGINA DE FIRMAS

Al firmar este consentimiento informado declaro que:

- He leído este formulario y he tenido el tiempo necesario para tomar mi decisión
- Mi médico me ha informado sobre los riesgos y beneficios del tratamiento con **ZAVESCA®**.
- He entendido la información y mis preguntas han sido respondidas a mi entera satisfacción
- Estoy de acuerdo en permitir que el personal y otras personas tengan acceso a mi información médica, asegurando mi confidencialidad en la forma descrita en este formulario.

Recordatorio: El paciente debe recibir una copia de este formulario de consentimiento firmado.

- Basado en esta información y de forma voluntaria estoy de acuerdo en recibir el tratamiento descrito en este formulario

Firma del paciente: Nombre del paciente:	Fecha: DNI Nro.:
Firma del representante Legal: <i>(Madre/padre si el sujeto es menor de 18 años o tutor legal)</i> Nombre del Representante Legal: Relación con el paciente:	Fecha: DNI Nro.:
Firma del testigo: <i>(se requiere en caso de que el paciente sea vulnerable por su condición cultural, social, educativa o económica)</i> Nombre del testigo:	Fecha: DNI Nro.:

Firma del médico: Yo certifico que he brindado al paciente información sobre el medicamento Zavesca®. He respondido las preguntas y he presenciado las firmas anteriores. He explicado lo antes descrito al paciente, al testigo y/o representante legal autorizado a prestar consentimiento por el paciente (cuando corresponda) en la fecha indicada en este formulario de consentimiento.

Nombre del médico tratante (en imprenta)	
Número de matrícula médica	

Fecha (DD/MM/AAAA)

Firma y sello del médico tratante

Recordatorio: El paciente debe recibir una copia de este formulario de consentimiento firmado.