

Hágase cargo de su enfermedad de Fabry



La enfermedad de Fabry puede ocasionar muchos desafíos, y defender la atención que necesita es una parte importante del manejo de su enfermedad.

Información de seguridad importante seleccionada

¿Qué es Galafold?

Galafold® (migalastat) es un medicamento de venta bajo receta que se usa para tratar a adultos con enfermedad de Fabry que presentan un cierto cambio genético (variante) en el gen α -galactosidasa (*GLA*) que responde (es susceptible) a Galafold.

Se desconoce si Galafold es seguro y eficaz en niños.

Antes de tomar Galafold, informe a su proveedor de atención médica sobre todas sus afecciones médicas, incluido si:

- Tiene problemas renales.
- Está embarazada o planea quedar embarazada. Se desconoce si Galafold provocará daños en su bebé en gestación.
- Está amamantando o planea amamantar. Galafold puede pasar a la leche materna. Hable con su proveedor de atención médica acerca de la mejor manera de alimentar a su bebé si toma Galafold.

Consulte la Información de seguridad importante en la última página y [haga clic aquí](#) para ver la Información de prescripción completa y las Instrucciones de uso, también disponibles en AmicusRx.com/PI/Galafold.pdf.

 **Galafold**®
(migalastat)

Índice

Introducción	3
Acerca de la enfermedad de Fabry	5
Su equipo de atención	7
Opciones de tratamiento	9
AMICUS ASSIST®	10

Su atención comienza con usted.



Debido a que la enfermedad de Fabry es una enfermedad rara, mantenerse informado y defender sus necesidades es una parte esencial del manejo de su atención.

Puede encontrarse con profesionales de atención médica que no conozcan la enfermedad de Fabry o que no atiendan regularmente a personas con enfermedad de Fabry. Dado que los síntomas pueden variar enormemente, puede ser su responsabilidad asegurarse de que sus síntomas se reconozcan y aborden adecuadamente.

Esta guía incluye información y consejos clave que pueden ayudarle a trabajar con su equipo de atención para manejar su enfermedad de Fabry.

Información de seguridad importante seleccionada (continuación)

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

Consulte la Información de seguridad importante en la última página y [haga clic aquí](#) para ver la Información de prescripción completa y las Instrucciones de uso, también disponibles en AmicusRx.com/PI/Galafold.pdf.

Comenzaremos revisando cómo la enfermedad de Fabry puede afectar a su cuerpo, tanto a largo plazo como diariamente. Ser capaz de comunicar claramente el impacto que la enfermedad de Fabry tiene en su vida puede ayudar a los profesionales de atención médica a elaborar un plan para manejar su enfermedad.

Como cada persona con enfermedad de Fabry es única, también lo es cada equipo de atención. Esta guía identifica a los especialistas que podrían participar en su atención, dependiendo de sus necesidades específicas. Tener un proveedor de atención médica que actúe como coordinador principal puede ayudar a garantizar que todos los miembros de su equipo de atención estén en sintonía. Pero recuerde: la persona más importante de su equipo de atención es usted.

Por último, esta guía cubrirá las opciones de tratamiento que pueden estar disponibles para usted. Si usted y su proveedor de atención médica deciden que Galafold® (migalastat) es adecuado para usted, AMICUS ASSIST®, nuestro programa de apoyo para pacientes, puede ayudarle a orientarse con el seguro y a comenzar el recorrido de su tratamiento.

Ser capaz de comunicar claramente el impacto que la enfermedad de Fabry tiene en su vida puede ayudar a los profesionales de atención médica a elaborar un plan para manejar su enfermedad.

Su enfermedad de Fabry es únicamente suya.

La enfermedad de Fabry es una enfermedad rara y progresiva que puede afectar a muchas partes del cuerpo.

Hay muchas variantes genéticas de la enfermedad de Fabry. La variante que usted tenga puede afectar cuáles de sus órganos se verán afectados, qué síntomas tendrá, cuándo aparecerán y qué tan graves se volverán. Algunos síntomas pueden ser notorios. Otros pueden no ser tan evidentes. Por eso, es importante trabajar con su médico para monitorear todas las diferentes partes del cuerpo que podrían verse afectadas por la enfermedad de Fabry. Monitorear la enfermedad de Fabry también puede ayudar a su médico a determinar qué tratamientos pueden ser adecuados para usted.

TÉRMINO CLAVE

Variante: una mutación o cambio en un gen

MUJERES CON ENFERMEDAD DE FABRY

Hace tiempo se creía que las mujeres eran “solo portadoras” de la enfermedad de Fabry, lo que significa que podían transmitirla a sus hijos, pero no tenían ninguno de los efectos que tienen los hombres. Ahora sabemos que ambos sexos pueden tener síntomas y daños graves en los órganos. Aun así, es posible que las mujeres deban ser particularmente claras y persistentes al hablar sobre su enfermedad.

La enfermedad de Fabry puede afectar a su cuerpo de la siguiente manera.

La enfermedad de Fabry puede variar ampliamente de una persona a otra y afectar a varios órganos y provocar una variedad de síntomas. No todas las personas con enfermedad de Fabry tendrán los mismos síntomas.

RIÑONES

- Proteínas en la orina
- Disminución de la función renal
- Insuficiencia renal

CORAZÓN

- Latidos cardíacos irregulares (rápidos o lentos)
- Ataque cardíaco o insuficiencia cardíaca
- Corazón agrandado

CEREBRO

- Accidente isquémico transitorio (AIT)
- Accidente cerebrovascular

SISTEMA NERVIOSO

- Dolor en los nervios
- Intolerancia al calor, al frío o al ejercicio
- Dolor o ardor en las manos y los pies
- Vértigo/sensación de mareo

PULMONES

- Sibilancia
- Dificultad para respirar, falta de aire
- Bronquitis
- Tos crónica

PSICOLÓGICOS

- Sentimientos de culpa, preocupación, depresión, aislamiento y/o miedo

GASTROINTESTINALES

- Náuseas, vómitos, cólicos y diarrea
- Dolor/distensión abdominal después de comer, sensación de saciedad después de una pequeña cantidad de alimento
- Estreñimiento

OÍDOS

- Pérdida de la audición, zumbido en los oídos (acúfenos)

OJOS

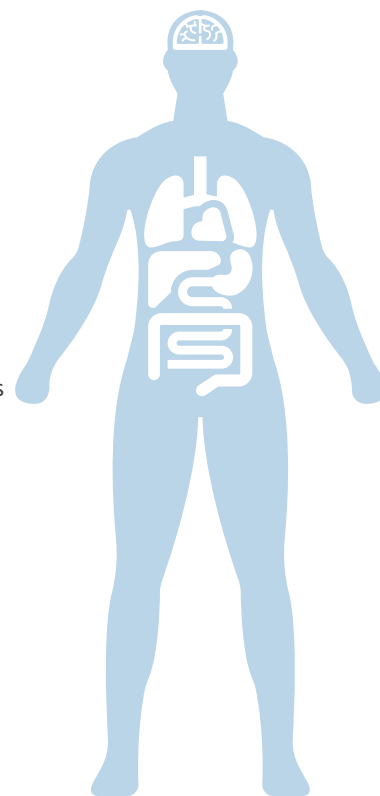
- Un patrón en espiral en la córnea
- Cataratas por enfermedad de Fabry

PIEL

- Sudar menos de lo normal o no sudar
- Pequeñas manchas rojas y oscuras, que aparecen principalmente entre el ombligo y la parte superior de los muslos

OTROS

- Fatiga, una sensación profunda de cansancio



No se ha establecido la relación entre la reducción de las sustancias grasas con Galafold y la mejora de los síntomas, las complicaciones o la calidad de vida.

Cómo trabajar con su equipo de atención.

Aunque tenga muchos especialistas que le brinden atención, podría tener que dar su opinión para recibir el tipo de atención que es mejor para usted. Puede encontrarse con algunos profesionales de atención médica que no estén familiarizados con la enfermedad de Fabry o con la gravedad de sus síntomas. O bien, al especializarse en un área en particular, pueden simplemente no tener un panorama completo de su enfermedad.

Asegúrese de analizar lo siguiente con sus proveedores:

- La naturaleza y la gravedad de sus síntomas
- Cómo sus síntomas afectan a su vida diaria
- Resultados de las pruebas para monitorear su enfermedad de Fabry
- Sus antecedentes familiares de enfermedad de Fabry
- Cualquier objetivo que pueda tener que se vea afectado por su afección

¿NECESITA AYUDA?

Hemos creado una guía interactiva que le ayudará a dirigir su conversación en su próxima cita. Encuéntrala en FabryDiscussionDriver.com.

Hacer un seguimiento de la información médica puede ser un desafío, especialmente cuando consulta a muchos médicos y especialistas. Intente anotar sus síntomas, citas y resultados de las pruebas en un diario o registro para tener toda su información en un solo lugar.

Quiénes podrían estar en su equipo de atención.

La enfermedad de Fabry es una enfermedad progresiva, por lo que las pautas recomiendan que su equipo de atención monitoree cada sistema afectado. Según sus síntomas particulares, su equipo de atención podría incluir lo siguiente:



Genetista

Especialista principal que puede supervisar el tratamiento y el manejo de su enfermedad de Fabry.



Asesor genético

Ofrece orientación personalizada, basada en sus genes, para ayudar a tomar decisiones sobre su salud.



Nefrólogo

Utiliza una serie de pruebas para monitorear sus riñones y determinar cómo están funcionando.



Cardiólogo

Utiliza una serie de pruebas para monitorear su corazón y determinar cómo está funcionando.



Neurólogo/especialista en dolor

Monitorea su cerebro y su sistema nervioso, incluido cómo siente usted el dolor, el calor y el frío.



Gastroenterólogo

Monitorea su sistema gastrointestinal (GI) y ayuda a manejar los síntomas GI.



Psicólogo/psiquiatra

Le ofrece apoyo para lidiar con sentimientos de depresión y/o ansiedad.



Otros

Según sus síntomas particulares.

CONSEJO:

Puede ser útil elegir al proveedor de atención médica con el que se sienta más cómodo para que actúe como coordinador principal de su equipo de atención. De esta manera, usted no tendrá toda la carga de mantener a cada miembro del equipo de atención alineado.

Estos son solo algunos ejemplos de los diversos proveedores de atención médica que puede necesitar en su equipo de atención. Algunas personas con enfermedad de Fabry pueden tener solo un par de estos proveedores en su equipo de atención, mientras que otras podrían tener a todos y otros más.

Conozca sus opciones de tratamiento.

Hay muchas variantes genéticas de la enfermedad de Fabry. Según su variante y la evaluación de su médico, puede haber diferentes opciones de tratamiento adecuadas para usted.

Mientras que algunas personas reciben terapia de reemplazo enzimático por vía intravenosa (a través de una vía i.v.), otras también pueden ser consideradas para el tratamiento con Galafold® (migalastat). Galafold es la primera y única terapia oral para adultos con enfermedad de Fabry confirmada y una variante de *GLA* susceptible.

Las variantes genéticas se consideran “susceptibles” si se ha determinado que responden a Galafold. Hable con su médico para saber qué opciones de tratamiento pueden ser adecuadas para usted.

Galafold utiliza la enzima que usted ya tiene.
No es un reemplazo enzimático.



Galafold

Una opción oral para adultos con enfermedad de Fabry confirmada y una variante del gen *GLA* susceptible.



Terapia de reemplazo de enzimas (ERT)

Administrada por vía intravenosa (i.v.) para pacientes con enfermedad de Fabry.

Información de seguridad importante seleccionada (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de Galafold?

Los efectos secundarios más frecuentes de Galafold incluyen dolor de cabeza, congestión o secreción nasal y dolor de garganta, infección urinaria, náuseas y fiebre.

Estos no son todos los efectos secundarios posibles de Galafold. Llame a su proveedor de atención médica para que le brinde asesoramiento médico acerca de los efectos secundarios.

Consulte la **Información de seguridad importante en la última página** y [haga clic aquí](#) para ver la **Información de prescripción completa y las Instrucciones de uso, también disponibles en AmicusRx.com/PI/Galafold.pdf.**



En el caso de los adultos a los que se les recetó Galafold, AMICUS ASSIST® está a una llamada de distancia.

AMICUS ASSIST es un servicio diseñado para proporcionar asistencia y apoyo para el medicamento Galafold® (migalastat).* Como parte del programa, se le asignará un administrador de casos exclusivo que le brindará apoyo continuo.

AMICUS ASSIST se especializa en ayudar a identificar posibles fuentes de asistencia financiera, incluido lo siguiente:



Asistencia para copagos[†]: los pacientes elegibles con seguro comercial pueden pagar tan solo \$0 por mes por Galafold.



Programa de asistencia para pacientes: para pacientes elegibles, sin seguro o con seguro insuficiente.[‡]



Apoyo continuo durante todo el recorrido de su tratamiento.



Apoyo de fundaciones benéficas independientes:

AMICUS ASSIST puede ayudar a identificar fundaciones benéficas independientes que pueden brindar apoyo. Estas fundaciones existen independientemente de Amicus y tienen sus propios requisitos de elegibilidad y procesos de solicitud. La disponibilidad del apoyo de las fundaciones la determinan solamente las fundaciones.

Comuníquese al 1-833-AMICUS-A (1-833-264-2872). Lunes a viernes | 8 a. m. a 8 p. m., hora del Este

*Las personas deben tener Galafold recetado para una indicación aprobada para poder ser elegibles para el apoyo de AMICUS ASSIST.

[†]La asistencia para copagos solo está disponible para pacientes con seguro comercial (privado) de fármacos de venta bajo receta. Los pacientes no son elegibles para recibir asistencia para copagos si están inscritos en un programa de seguro con financiamiento estatal o federal, incluidos, entre otros, Medicare, Medicaid, TRICARE, VA, DOD o un programa estatal de asistencia para fármacos de venta bajo receta; o en los casos prohibidos por la ley. La oferta está sujeta a los límites máximos del programa. La oferta solo está disponible para residentes de los EE. UU. que tienen una receta válida para un producto de Amicus. Amicus se reserva el derecho de rescindir, revocar o modificar esta oferta sin previo aviso.

[‡]El programa de asistencia para pacientes proporciona productos gratuitos a quienes reúnen los requisitos. Comuníquese con AMICUS ASSIST para obtener detalles.

Amicus no ofrece declaraciones ni garantías con respecto al reembolso o la cobertura de ningún servicio o artículo. La información proporcionada a través del programa AMICUS ASSIST no constituye asesoramiento médico ni pretende reemplazar una consulta con un proveedor de atención médica autorizado o pagador(es) externo(s) correspondiente(s). Amicus se reserva el derecho a modificar el programa en cualquier momento sin previo aviso.



Usted se encarga.

Recuerde que el miembro más importante de su equipo de atención es usted, así que haga escuchar su voz.

Para obtener más información y recursos, visite Galafold.com.

Información de seguridad importante

¿Qué es Galafold?

Galafold® (migalastat) es un medicamento de venta bajo receta que se usa para tratar a adultos con enfermedad de Fabry que presentan un cierto cambio genético (variante) en el gen α -galactosidasa (GLA) que responde (es susceptible) a Galafold.

Se desconoce si Galafold es seguro y eficaz en niños.

Antes de tomar Galafold, informe a su proveedor de atención médica sobre todas sus afecciones médicas, incluido si:

- Tiene problemas renales.
- Está embarazada o planea quedar embarazada. Se desconoce si Galafold provocará daños en su bebé en gestación.
- Está amamantando o planea amamantar. Galafold puede pasar a la leche materna. Hable con su proveedor de atención médica acerca de la mejor manera de alimentar a su bebé si toma Galafold.

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

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de Galafold?

Los efectos secundarios más frecuentes de Galafold incluyen dolor de cabeza, congestión o secreción nasal y dolor de garganta, infección urinaria, náuseas y fiebre.

Estos no son todos los efectos secundarios posibles de Galafold. Llame a su proveedor de atención médica 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) llamando al 1-800-FDA-1088. También puede informar los efectos secundarios a Amicus Therapeutics llamando al 1-877-4AMICUS.

[Haga clic aquí](#) para consultar la Información de prescripción completa, incluida la Información para el paciente y las Instrucciones de uso, también disponibles en AmicusRx.com/PI/Galafold.pdf.