

Tratamiento NAGLAZYME

Laboratorio: BioMarin Europe Ltd.
Aprobación FDA: 01/05/2005
Aprobación EMEA: 31/01/2006

Objetivos de la Asociación

Los objetivos genéricos de la Asociación, todos de interés general y sin ningún ánimo de lucro, son:

- Fomento de la investigación científica sobre las causas, desarrollo y terapia para las mucopolisacaridosis y síndromes relacionados.
- Asesoramiento, apoyo e información a las familias afectadas.
- Promoción de seminarios, conferencias y actos públicos para favorecer el intercambio de conocimiento y su divulgación entre el personal médico, científico y los pacientes.
- Promoción en general, de actuaciones de carácter preventivo y concretamente de aquellas que eviten la transmisión genética.
- Divulgación de las MPS y otros síndromes relacionados.
- Promoción de becas científicas, premios, etc.

Colabora con nosotros

Nuestros números de cuenta:

MPS ESPAÑA

CAIXA DE CATALUNYA: 2013-0112-13-0200482231
LA CAIXA: 2100-2390-65-0200012780

MPS CASTILLA-LA MANCHA

CAJA MADRID: 2038-3322-72-3001002650

MPS VALENCIA

LA CAIXA: 2100-1477-58-0200077556

MPS ANDALUCÍA

CAIXA DE CATALUNYA: 2113-1611-74-0200255501

Teléfonos de ayuda: **617 080 198**
661 710 152



MPS ESPAÑA

C/ Anselm Clavé, 1
08787 La Pobla de Claramunt
(Barcelona)

Tels. 617 080 198 - 661 710 152
Fax 93 808 71 14

CIF G-63282917
Nº Registro Nacional: 171505

Sedes:

MPS VALENCIA

C/ Coladores, 24 8ª puerta
46960 Aldaia (Valencia)
Tel. 689 931 219

MPS CASTILLA LA MANCHA

C/ Republica Argentina, 52
13610 Campo de Criptana
(Ciudad Real)
Telf.: 615 16 21 29

MPS ANDALUCÍA

Avda. Manolete, 21, 5º E
14005 Córdoba
Telf.: 629 309 896

MPS MURCIA

C/ Gabriel Luján, 1 Bloque 2 bj.E
30120 El Palmar (Murcia)
Telf.: 639 326 984

www.mpssp.org

info@mpssp.org



Asociación de las
Mucopolisacaridosis
y síndromes relacionados

SÍNDROME DE MAROTEAUX-LAMY

MPS VI

Viaja con nosotros
a la luz de la esperanza



MUCOPOLISACARIDOSIS

MPS I	Hurler, Hurler-Scheie, Scheie
MPS II	Hunter
MPS III	Sanfilippo A,B,C y D
MPS IV	Morquio A, B
MPS VI	Maroteaux-Lamy
MPS VII	Sly
MPS IX	Déficit de Hialuronidasa

MAROTEAUX-LAMY o MPS VI

Es también conocido por MPS VI es uno de los síndromes raros de las Mucopolisacaridosis. Este nombre es debido a un Doctor francés conocidos como Maroteaux y Dr. Lamy quien primero la describió en 1963.

Actualmente no hay cura para los individuos afectados de MPS VI. Aunque en EEUU ya ha sido aprobado por la FDA el Naglazyme por el Laboratorio Biomarin que en breve será aprobado en Europa para paliar grandes síntomas del síndrome.

Estos niños tienen el deterioro en la enzima esencial Dermatan Sulfata. Esta pérdida causa diferentes males, en todo el organismo siempre progresivamente. Esta enfermedad también la padecen los gatos siameses.

La esperanza de vida con MPSVI llega antes de la adolescencia hay otros casos sin embargo que llegan a la edad adulta. El promedio de la esperanza de vida se ha establecido sobre los 30 años.

En España hay detectados 6 casos durante los años 1994-2004.



HERENCIA

Las MPS son enfermedades hereditarias transmitidas a los hijos por padres portadores del mismo gen afecto.

A excepción de MPS II o enfermedad de Hunter, en que la madre es únicamente la portadora. La frecuencia hereditaria cuando los dos padres son portadores es de un 25% de que sea afecto. Menos en MPS II o enfermedad de Hunter que es de un 50% afecto.

Si existe antecedente familiar afectado por alguna de estas enfermedades mediante un examen prenatal se puede saber si el feto está afectado por una MPS.



TRATAMIENTO

NAGLAZYME® para MPS VI.

Es una terapia de reemplazo de la enzima que proporciona a los pacientes una versión recombinante de la enzima humana N-acetilgalactosamina 4-sulfatasa (arilsulfatasa B o ASB), la cual es deficiente en pacientes con MPS VI. NAGLAZYME (galsulfase) para MPS VI trata la deficiencia enzimática subyacente, proporcionando ASB recombinante humana (rhASB) por vía intravenosa, la cual puede ser asimilada por los lisosomas y reducir el almacenamiento de glicosaminoglicanos.

NAGLAZYME (galsulfase) está indicado para pacientes con mucopolisacaridosis VI (MPS VI). Se ha demostrado que NAGLAZYME mejora la capacidad de caminar y subir escaleras.

Centros con experiencia en MPS VI

Hospital de Vall d'Hebron de Barcelona

Hospital Sant Joan de Deu de Barcelona

Hospital Arnau de Vilanova Lleida

Hospital de Son Dureta de Mallorca

Hospital Materno-Infantil Las Palmas de Gran Canaria

