

## Tratamiento ELAPRASE

Laboratorio: SHIRE, Human Genetic Therapies  
Aprobación FDA: 24/07/2006  
Aprobación EMEA: 11/01/2007  
Aprobación España: 28/05/2007

## 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 61 12

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

[www.mpssp.org](http://www.mpssp.org)

[info@mpssp.org](mailto:info@mpssp.org)



Asociación de las  
Mucopolisacaridosis  
y síndromes relacionados

## SÍNDROME DE HUNTER MPS II

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

## HUNTER o MPS II

El Síndrome de Hunter es también conocido como MPS II, su descubridor Charles Hunter, un profesor en Medicina en Manitoba (Canadá) fue quien primero lo describe en 2 hermanos con el síndrome en el año 1917.

Hay dos formas del Síndrome de Hunter, uno Leve "Hunter B" y otro Severo "Hunter A".

Todos los individuos con Hunter tienen una deficiencia de la enzima llamada Iduronata Sulfatasa que resulta de la acumulación de Mucopolisacáridos. La acumulación de estos mucopolisacáridos es la responsable de muchos problemas que afectan al individuo con Hunter.

Actualmente existe un tratamiento que mejora su calidad de vida llamado Elaprased fabricado por el laboratorio Shire y es exactamente la enzima (I2S) que pierden por la orina y clínicamente demuestra minimizar los síntomas de la enfermedad.

De Hunter de 1994 hasta 2006 se han recogido 38 casos en España con vida.

De acuerdo con la severidad del síndrome la esperanza de vida es variable. Los pacientes menos afectados tienen una vida relativamente normal con algunos problemas físicos sin que el corazón y el pecho estén afectados. Hay casos clínicos que han vivido hasta los 50 ó 60 años. Hubo un caso de un hombre afectado que llegó a los 87 años. Por desgracia los pacientes afectados severamente mueren a edades muy tempranas.

## 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

IDURSULFASA O ELAPRASE, es el primer y único medicamento para el Síndrome de Hunter o MPS II comercializado por el laboratorio Shire. El producto que se administra en infusiones semanales, sustituye a la enzima que los pacientes afectados del síndrome no pueden producir en cantidades suficientes. El tratamiento puede mejorar considerablemente la

calidad de vida de los pacientes afectados y crea una etapa de esperanza para los pacientes y sus familias. Idursulfasa es una forma purificada de la enzima lisosomal iduronato 2 sulfatasa y se produce por tecnología del DNA recombinante en una línea de células humanas.

Shire está recogiendo activamente datos clínicos de los pacientes afectados por el síndrome de Hunter como parte del estudio de resultados a largo plazo en Hunter, llamado Hunter Outcome Survey (HOS). El HOS está diseñado para la recopilación, análisis y divulgación de esta información permitirá un mejor conocimiento del síndrome de Hunter y mejor educación sobre la enfermedad a escala mundial.

El tratamiento con I2S se ha mostrado eficaz en:

- Mejorar el rendimiento en 6 minutos caminando.
- Mejorar y estabilizar la capacidad vital forzada
- Disminuir el tamaño visceral.
- Disminuir la eliminación de GAGs en Orina.
- No se han observado efectos adversos importantes.
- En general los pacientes toleran bien las infusiones.

## Centros con experiencia en MPS II

Hospital Niño Jesús (Madrid).  
Hospital Sant Joan de Déu (Barcelona).  
Hospital Miguel Servet (Zaragoza).  
Hospital La Fé (Valencia).  
Hospital de Cruces (Bilbao).  
Hospital Materno-Infantil de Asturias.  
Hospital San Juan de Alicante.  
Hospital Vall d'Hebrón (Barcelona).  
Hospital Virgen del Macarena (Sevilla).  
Hospital Son Llatzer (Mallorca).  
Hospital Trias i Pujol (Badalona-Bcn).  
Hospital Torrecárdenas (Almería).  
Hospital Río Hortega (Valladolid).  
Hospital Materno Infantil de Canarias (Las Palmas de Gran Canaria)  
Hospital San Agustín (Linares)  
Hospital Clínico de Salamanca  
Hospital Cristal Piñor (Orense)  
Hospital Materno Infantil de Badajoz  
Hospital Virgen de Arrixaca (Murcia)  
Hospital Clínico Lozano Blesa (Zaragoza)