



I risultati del trattamento con il Myozyme

Ricevere la terapia enzimatica sostitutiva è senza dubbio un'esperienza che cambia la vita, non solo dal punto di vista fisico, ma anche mentale ed emozionale. Sarai impegnato nella pianificazione del tuo tempo, nell'organizzazione dei dettagli per ricevere il trattamento e nel gestire le eventuali difficoltà che potrebbero insorgere prima o dopo il trattamento. Ma è fondamentale dedicare anche un po' di tempo a pensare in che modo affronterai gli effetti di un trattamento a lungo termine. Cosa succederebbe se ci volesse più tempo del previsto per riscontrare i primi benefici? Sarai in grado di gestire le possibili, diverse, emozioni a cui andrai incontro? E come progetterai il tuo futuro, considerando che la terapia con il Myozyme, probabilmente, ti accompagnerà per tutta la vita? Questo documento può darti suggerimenti relativi alla gestione delle tue aspettative ed aiutarti nel percorso da affrontare insieme ai tuoi familiari.



D Cosa dovremmo attenderci in seguito al trattamento io, la mia famiglia, i miei amici?

R Potresti non osservare, in tempi brevi, evidenti benefici; in ogni caso il Myozyme continuerà a lavorare all'interno dei tuoi tessuti. Potresti aver bisogno di numerose infusioni, per diversi mesi, prima di cominciare ad osservare delle novità. Ciò è dovuto al tipo di terapia che stai

effettuando. Con la terapia enzimatica sostitutiva, il Myozyme tenta di reintegrare l'enzima alfa-glucosidasi acida di cui il tuo corpo è carente o totalmente privo. L'enzima presente nel Myozyme potrà cominciare a mostrare effetti benefici evidenti, solo dopo aver liberato i muscoli e i tessuti dall'eccesso di glucosio che si è accumulato. Per fare tutto ciò è necessario del tempo. La quantità di tempo occorrente è legata dalla gravità delle condizioni del paziente. Nelle forme meno

Altre definizioni della Malattia di Pompe

Deficit di alfa-glucosidase acida, deficit di maltasi acida, malattia da accumulo di glicogeno di Tipo II.

I risultati del trattamento con il Myozyme (continua)

avanzate è più rapida la possibilità di rilevare i primi miglioramenti. Ci sono, in ogni caso, pazienti che hanno iniziato il trattamento ad uno stadio grave della malattia riscontrando egualmente evidenti benefici. Per alcuni di questi pazienti, non si è più evidenziata una progressione della malattia. Molti dichiarano di sentirsi più in forze, di riuscire a respirare meglio, di avere più appetito e di riuscire a deglutire con più facilità.

Visita il sito dell'Associazione Internazionale Pompe

www.worldpompe.org/testimonials.html per leggere le testimonianze dei pazienti, la loro convivenza con la malattia di Pompe, la loro esperienza col Myozyme. È importante sottolineare che l'enzima può agire in modo diverso in ogni paziente. Non ci sono garanzie che l'enzima possa avere la stessa efficacia su ogni paziente.

D Come posso gestire le mie aspettative durante il trattamento con il Myozyme?

R I benefici del trattamento non si vedranno in una notte. Potrebbero volerci mesi per osservare i primi effetti positivi e alcuni dei pazienti potrebbero anche non riscontrare alcun beneficio visibile. Così, mentre all'inizio del trattamento sarai sicuramente molto fiducioso per i risultati, nel tempo quest'ottimismo potrebbe venire meno. Potrebbe essere difficile ritrovare la fiducia e aver voglia di continuare a seguire i programmi richiesti dalla terapia. Potrai sentirti insicuro e impaziente. Queste reazioni sono da considerarsi tutte normali.

La sfida sta nel mantenere una condizione mentale positiva malgrado gli inevitabili alti e bassi. Dopotutto, poter ricevere il trattamento con il Myozyme rappresenta un enorme passo avanti per la prospettiva di un nuovo futuro. Avere a disposizione una terapia per la malattia di Pompe è una realtà da considerarsi possibile. Perciò tieni alto il tuo spirito e pensa a tutti i benefici che potresti ottenere con questo trattamento – la possibilità di migliorare le tue capacità di respirazione e l'abilità dei tuoi movimenti, una migliore qualità di vita e una maggiore quantità di tempo da trascorrere insieme alla tua famiglia e ai tuoi amici. Quando comincerai a notare i primi miglioramenti nella tua condizione fisica, attieniti rigorosamente alle indicazioni suggerite per ciò che riguarda la fisioterapia e la dieta. Questo ti permetterà di trarre il massimo beneficio dal trattamento col Myozyme. Dovresti anche considerare la possibilità di provare ad eseguire nuovi esercizi, ad esempio per la respirazione, che non saresti stato in grado di fare prima dell'inizio della cura. Ovviamente ogni nuovo tentativo dovrà essere eseguito in presenza di un esperto, un fisioterapista o un logopedista. Se non osservi alcun miglioramento, cerca di discuterne esaurientemente con il tuo specialista.

D Come posso pianificare il mio futuro?

R In passato, se ti fosse stata diagnosticata la malattia di Pompe, avresti immaginato un futuro pieno di ostacoli fisici ed emotivi. Se sei in grado di

I risultati del trattamento con il Myozyme (continua)

ricevere la terapia con il Myozyme, al momento, ci sono speranze che la progressione della malattia sia contenuta e che, con ogni probabilità, tu possa ottenere anche dei miglioramenti fisici.

La disponibilità a ricevere il trattamento richiede, comunque, anche un cambiamento nel tuo approccio mentale. Sebbene nessuno sia in grado di prevedere con certezza quali benefici potrai ottenere a seguito della terapia, potrai considerarla comunque uno strumento in più per una nuova prospettiva di vita. Tutto ciò aumenterà la tua fiducia nei confronti di qualità e durata della vita.

Quindi, se l'intervento del Myozyme avrà bisogno di tempo per manifestare i primi benefici, utilizza questo periodo per iniziare a considerare il tuo futuro di vita in una prospettiva migliore. Potresti voler pensare all'organizzazione di una casa accogliente, ad una carriera lavorativa, a goderti la pensione, ad instaurare relazioni stabili e a gestire nel modo più efficiente i programmi di riabilitazione. Riuscire a farcela, convivendo con la malattia di Pompe, dipenderà molto da quanto tu sarai grado di gestire la tua condizione cronica con ottimismo e gioia di vivere.

La presente pubblicazione si prefigge di fornire informazioni generali sul tema trattato. Viene distribuita come servizio pubblico erogato dall'International Pompe Association, fermo restando che l'International Pompe Association non si impegna a fornire prestazioni mediche o altri servizi professionali. La medicina è una scienza in costante evoluzione. L'errore umano e i cambiamenti della prassi medica non consentono di garantire la precisione di materiali che trattano una materia così complessa. Le presenti informazioni devono essere pertanto confermate da altre fonti, in particolare fonti mediche.