

¿Está considerando la terapia genética ELEVIDYS?

COMIENCE HABLANDO CON SU MÉDICO



Esta guía de análisis puede ayudarlo a preparar una conversación con su médico sobre ELEVIDYS.

ELEVIDYS es una terapia genética de venta con receta que se usa para tratar a pacientes ambulatorios y no ambulatorios de al menos 4 años de edad con distrofia muscular de Duchenne (DMD) que tienen una mutación confirmada en el gen de la distrofina.

Su uso en pacientes no ambulatorios se aprobó mediante aprobación urgente, que permite que los fármacos se aprueben en función de un marcador que se considera con probabilidad razonable de predecir un beneficio clínico. El tratamiento con ELEVIDYS aumentó el marcador, la microdistrofina de ELEVIDYS (también llamada "microdistrofina"). La verificación del beneficio clínico puede ser necesaria para que ELEVIDYS continúe siendo aprobada en el caso de pacientes no ambulatorios con Duchenne.

Las siguientes preguntas se han creado en colaboración con padres de la comunidad de pacientes con enfermedad de Duchenne y pueden ser un punto de partida útil para su próxima conversación. Cada persona es única, así que omita o agregue las preguntas que sean pertinentes para usted y sus seres queridos. También puede imprimir esta guía y llevarla a su cita.

Para encontrar un centro de tratamiento que administre ELEVIDYS, visite [ELEVIDYS.com](https://www.elevidys.com).

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** completas en las páginas 6 y 7 y la **Información de prescripción** completa.

 **Elevidys**
delandistrogene
moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

ACERCA DE ELEVIDYS

→ ¿Cuál es el objetivo de la terapia genética ELEVIDYS?

→ ¿Cómo actúa ELEVIDYS?

→ ¿Qué recursos de apoyo hay disponibles antes, durante y después del tratamiento?

COMPRENDER LA ELEGIBILIDAD

→ ¿Quién es elegible?

→ ¿Es ELEVIDYS solo para mutaciones específicas?

→ ¿Qué es una prueba de anticuerpos y cómo podría influir en las opciones de tratamiento?

Consulte la [Indicación e Información importante de seguridad completas](#) en las páginas 6 y 7 y la [Información de prescripción completa](#).

 **Elevidys**
delandistrogene
moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

RESULTADOS DE ENSAYOS CLÍNICOS

→ ¿Cómo se estudió ELEVIDYS?

→ ¿Qué tan bien funcionó ELEVIDYS en los ensayos clínicos?

→ ¿Cuáles son las consideraciones de seguridad del tratamiento con ELEVIDYS?

EL PROCESO DE TRATAMIENTO

→ ¿Cómo y dónde se administra ELEVIDYS?

→ ¿Cómo es el proceso de tratamiento? ¿Cómo podría afectarme a mí o afectar a mis seres queridos?

→ ¿Qué esteroides adicionales se requieren?

Consulte la [Indicación e Información importante de seguridad completas](#) en las páginas 6 y 7 y la [Información de prescripción completa](#).

 **Elevidys**
delandistrogene
moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

EL PROCESO DE TRATAMIENTO *(continuación)*

→ ¿Cuánto tiempo lleva el tratamiento?

→ ¿Qué precauciones específicas debemos tomar y cómo podría verse afectada nuestra vida diaria justo después del tratamiento?

→ ¿Qué efectos secundarios podríamos experimentar? ¿Cuánto tiempo podrían durar y qué se puede hacer para manejarlos?

→ ¿Cuáles son los requisitos de seguimiento después del tratamiento y dónde se realiza?

Consulte la Indicación e Información importante de seguridad completas en las páginas 6 y 7 y la Información de prescripción completa.

 **Elevidys**
delandistrogene
moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

DESPUÉS DEL PROCESO DE TRATAMIENTO

→ ¿Cuáles son los próximos pasos de mi plan de atención después de recibir ELEVIDYS?

→ Después del tratamiento con ELEVIDYS, ¿son posibles otros tratamientos y oportunidades de ensayos clínicos?

OTRAS PREGUNTAS QUE TENGO



Para obtener más información sobre ELEVIDYS, visite [ELEVIDYS.com](https://www.elevidys.com) o comuníquese con SareptAssist al 1-888-SAREPTA (1-888-727-3782).

Los Administradores de Casos están disponibles de lunes a viernes, de 8:30 a. m. a 6:30 p. m., hora del Este.

Consulte la [Indicación e Información importante de seguridad completas](#) en las páginas 6 y 7 y la [Información de prescripción completa](#).

 **Elevidys**
delandistrogene
moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

Información importante de seguridad

¿Qué es ELEVIDYS?

ELEVIDYS es una terapia genética de venta con receta que se usa para tratar a pacientes ambulatorios de al menos 4 años de edad con distrofia muscular de Duchenne (DMD) que tienen una mutación confirmada en el gen *DMD*.

ELEVIDYS se aprobó mediante aprobación urgente para pacientes no ambulatorios de al menos 4 años de edad con DMD que tienen una mutación confirmada en el gen *DMD*. La aprobación urgente permite que los fármacos se aprueben en función de un marcador que se considera con probabilidad razonable de predecir un beneficio clínico. El tratamiento con ELEVIDYS aumentó el marcador, la microdistrofina de ELEVIDYS en el músculo esquelético. La verificación del beneficio clínico puede ser necesaria para que ELEVIDYS continúe siendo aprobada en el caso de pacientes no ambulatorios con DMD.

¿Quién no debe recibir ELEVIDYS?

Las personas con ciertos tipos de mutaciones, cualquier delección en el exón 8 y/o el exón 9 en el gen *DMD*, no deben recibir ELEVIDYS.

¿Cuál es la información más importante que debo saber sobre ELEVIDYS?

Se produjeron reacciones relacionadas con la infusión, incluida hipersensibilidad y reacciones alérgicas graves (anafilaxia), durante y después de la infusión de ELEVIDYS. Los síntomas pueden incluir frecuencia cardíaca rápida, respiración acelerada, hinchazón de labios, dificultad para respirar, ensanchamiento de las fosas nasales, urticaria, enrojecimiento y manchas en la piel, picazón o inflamación de los labios, erupción cutánea, vómitos, náuseas, escalofríos y fiebre. El médico lo controlará durante la infusión de ELEVIDYS y al menos 3 horas después. Si se produce una reacción relacionada con la infusión, el médico puede desacelerar o detener la infusión de ELEVIDYS y proporcionar tratamiento médico adicional según sea necesario. Póngase en contacto con un proveedor de servicios de salud de inmediato si se presentan síntomas relacionados con la infusión.

ELEVIDYS puede aumentar ciertos niveles de enzimas hepáticas y causar lesiones hepáticas graves agudas. Los pacientes recibirán corticoesteroides orales antes y después de la infusión con ELEVIDYS y se les harán análisis de sangre semanales para controlar los niveles de enzimas hepáticas durante 3 meses después del tratamiento. Póngase en contacto con un proveedor de servicios de salud inmediatamente si la piel y/o la parte blanca de los ojos del paciente se ven amarillentas o si el paciente no toma una dosis de corticoesteroides o la vomita.

La administración de ELEVIDYS puede retrasarse en los pacientes con enfermedad hepática aguda hasta que la afección se resuelva o esté bajo control. Los pacientes con insuficiencia hepática preexistente, infección hepática crónica o enfermedad hepática aguda pueden tener un mayor riesgo de lesión hepática grave aguda.

Se observó miositis inmunomediada (una respuesta inmunitaria que afecta los músculos) en pacientes con una mutación de delección en el gen *DMD* que está contraindicada. Los pacientes con determinadas delecciones de mutación (en los exones 1 a 17 y/o los exones 59 a 71) pueden estar en riesgo de una reacción grave de miositis inmunomediada. Los cuidadores deben ponerse en contacto con un proveedor de servicios de salud inmediatamente si el paciente tiene algún aumento inexplicable del dolor muscular, la sensibilidad o la debilidad, incluida la dificultad para tragar, respirar o hablar, ya que pueden ser síntomas de miositis.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 7 y la Información de prescripción completa.

 **Elevidys**
delandistrogene
moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

Información importante de seguridad

(continuación)

¿Cuál es la información más importante que debo saber sobre ELEVIDYS? (cont.)

Se ha observado miocarditis (inflamación del corazón) en los días posteriores a la infusión de ELEVIDYS. El médico del paciente realizará análisis de sangre semanales durante el primer mes después del tratamiento para evaluar la troponina I (una proteína del corazón que puede detectar daños en las células musculares del corazón). Los cuidadores deben ponerse en contacto con un proveedor de servicios de salud inmediatamente si el paciente comienza a tener dolor en el pecho y/o dificultad para respirar. Si el paciente presenta síntomas cardíacos, puede ser necesario un seguimiento más frecuente.

Los pacientes necesitan hacerse análisis de sangre para verificar que no tengan anticuerpos que impidan que puedan recibir ELEVIDYS, ya que la introducción de la terapia genética podría aumentar el riesgo de una reacción alérgica grave o evitar los niveles terapéuticos deseados. El tratamiento con ELEVIDYS no se recomienda para pacientes que tengan anticuerpos altos contra el vector, la parte de la terapia genética utilizada para administrar ELEVIDYS.

Debido a la necesidad de seguir un esquema de administración de corticoesteroides, una infección (por ejemplo, resfriado, gripe, gastroenteritis [infección estomacal], otitis media [infección auditiva], bronquiolitis [infección respiratoria], etc.) antes o después de la infusión de ELEVIDYS podría provocar complicaciones más graves. Los cuidadores deben ponerse en contacto con un proveedor de servicios de salud inmediatamente si ven cualquier síntoma de infección, como tos, sibilancias, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.

¿Hay que tener algo en cuenta para la programación de la vacunación y de ELEVIDYS?

Las vacunas de los pacientes deben estar actualizadas según las pautas de vacunación actuales. Las vacunas deben recibirse al menos 4 semanas antes de iniciar el esquema de administración de corticoesteroides necesario antes de recibir ELEVIDYS.

¿Hay que tener en cuenta alguna precaución al manipular los desechos corporales de un paciente?

La eliminación del vector de ELEVIDYS se produce principalmente a través de los desechos corporales. Los pacientes y los cuidadores deben mantener una higiene de manos adecuada, como lavarse las manos cuando entren en contacto directo con los desechos corporales del paciente. Coloque los materiales potencialmente contaminados que puedan contener los líquidos/desechos corporales del paciente en una bolsa con cierre hermético y deséchelos en la basura normal. Estas precauciones deben tomarse hasta 1 mes después de la infusión de ELEVIDYS.

¿Cuáles son los efectos secundarios posibles o probables de ELEVIDYS?

Los efectos secundarios más frecuentes que se produjeron en pacientes que recibieron tratamiento con ELEVIDYS fueron vómitos, náuseas, lesión hepática, fiebre y disminución de las cantidades de plaquetas.

La información de seguridad proporcionada aquí no es completa. Hable con el médico del paciente sobre cualquier efecto secundario que le preocupe al paciente o que no desaparezca.

Le animamos a que notifique a la FDA los efectos secundarios negativos de los fármacos con receta. Visite www.fda.gov/medwatch o llame al 1-800-FDA-1088. También puede informar efectos secundarios a Sarepta Therapeutics al 1-888-SAREPTA (1-888-727-3782).

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 6 y la Información de prescripción completa.



© 2024 Sarepta Therapeutics, Inc. 215 First Street, Cambridge, MA 02142. Todos los derechos reservados.
12/24 C-GT01-US-0347-V1

SAREPTA, SAREPTA THERAPEUTICS, el logotipo de SAREPTA Helix, SAREPTASSIST, el logotipo de SAREPTASSIST y ELEVIDYS son marcas comerciales de Sarepta Therapeutics, Inc. registradas en la Oficina de Patentes y Marcas de los Estados Unidos y pueden estar registradas en varias otras jurisdicciones. El logotipo de ELEVIDYS es una marca comercial de Sarepta Therapeutics, Inc.

