

Terapia genética ELEVIDYS para la distrofia muscular de Duchenne



ACERCA DEL PROCESO DE TRATAMIENTO

Una actualización sobre _____

Como sabrá, nuestro hijo tiene distrofia muscular de Duchenne, una enfermedad rara que hace que los músculos del cuerpo se debiliten y dañen con el tiempo.

Después de completar las pruebas necesarias para confirmar que es elegible, nuestro hijo pronto recibirá un tratamiento llamado ELEVIDYS, una terapia genética de venta con receta que se usa para tratar a pacientes ambulatorios y no ambulatorios de al menos 4 años con distrofia muscular de Duchenne 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.

Esta es una gran decisión y un momento emocionante para nuestra familia. Como usted es un adulto importante en la vida de nuestro hijo, queríamos compartir información sobre qué esperar durante el proceso de tratamiento de ELEVIDYS.

1 Qué hay que saber sobre ELEVIDYS

- ELEVIDYS es una **terapia genética** diseñada para **proporcionar instrucciones genéticas a los músculos de nuestro hijo** que él no tiene debido a la enfermedad de Duchenne
- ELEVIDYS es un **tratamiento de una sola vez** que permite al cuerpo producir un tipo de proteína que puede ayudar a los músculos en personas con Duchenne. Se administra una infusión en 1 día seguida de **citas semanales durante al menos 3 meses para seguimiento de seguridad***
- Nuestro hijo **recibirá ELEVIDYS en un centro de tratamiento especial**. El día del tratamiento será un gran día para nuestra familia

DÍA DEL TRATAMIENTO: _____ FINALIZACIÓN ANTICIPADA DE VISITAS SEMANALES*: _____

*Nuestro médico puede decidir controlar a nuestro hijo durante un período más largo o con mayor frecuencia.

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad** completas en las páginas 3 y 4 y la **Información de prescripción completa**.

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

2

Qué hay que saber sobre el proceso de tratamiento de ELEVIDYS

ANTES del día de tratamiento con ELEVIDYS, nuestro hijo deberá hacer lo siguiente:

-  Asistir a las **citas con el médico** para prepararse para el tratamiento
-  Tener cuidado de **no enfermarse**, ya que esto puede retrasar el tratamiento
-  Practicar un **lavado de manos adecuado** y tomar otras precauciones para mantenerse saludable
-  Tomar **medicamentos esteroides diarios** (de 1 día a 1 semana antes del tratamiento), además del uso actual de esteroides

DURANTE el período de seguimiento de 3 meses después del tratamiento, nuestro hijo deberá hacer lo siguiente:

-  Tomar **los medicamentos esteroides diarios** que se requieren para el tratamiento con ELEVIDYS (además del uso actual de esteroides)
-  Asistir a las **citas de seguimiento semanales***
-  Continuar practicando los hábitos de un **lavado de manos adecuado** y posiblemente otras precauciones para mantenerse saludable

*Nuestro médico puede decidir controlar a nuestro hijo durante un período más largo o con mayor frecuencia.

3

Cómo usted puede ayudar

Este tratamiento es un compromiso para nuestro hijo y nuestra familia. Implicará algunas faltas a la escuela y es posible que no respondamos como de costumbre. A continuación, se presentan algunas formas en las que usted puede ayudar en los próximos meses:



Apóyenos para mantenernos al día con sus medicamentos y sus citas. Haremos todo lo posible para planificar de manera proactiva con usted en torno a las necesidades y los plazos



Si nota que nuestro hijo no se siente bien, infórmenos como lo haría normalmente. Puede obtener más información sobre los posibles efectos secundarios relacionados con ELEVIDYS y qué debe tener en cuenta en la siguiente Información importante de seguridad



Refuerce una buena higiene con el lavado de manos habitual, tanto para usted como para nuestro hijo



Demuestre paciencia, apoyo y flexibilidad adicionales

USE ESTE ESPACIO PARA CUALQUIER OTRA NOTA SOBRE CÓMO AYUDAR (comidas, transporte compartido, cuidado de mascotas, etc.):

¡Estamos agradecidos por su apoyo durante este momento emocionante para nuestra familia!



Para obtener más información o acceder a otros recursos relacionados con el tratamiento con ELEVIDYS, visite ELEVIDYS.com

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

Consulte la **Indicación e Información importante de seguridad completas** en las páginas 3 y 4 y la **Información de prescripción completa**.

Información importante de seguridad

¿Qué es ELEVIDYS (delandistrogene moxeparvovec-rokl)?

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 contraindicado. 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 4](#) 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 3 y la Información de prescripción completa.



© 2024 Sarepta Therapeutics, Inc. 215 First Street, Cambridge, MA 02142.
Todos los derechos reservados. 10/24 C-GT01-US-0305-V1

SAREPTA, SAREPTA THERAPEUTICS, el logotipo de SAREPTA Helix 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.

