

¿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.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

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

Lesión hepática grave rápida e insuficiencia hepática rápida

- **ELEVIDYS puede aumentar ciertos niveles de análisis de laboratorio relacionados con el hígado y causar una lesión hepática grave rápida, insuficiencia hepática rápida y muerte.** Los pacientes con problemas hepáticos preexistentes pueden correr un mayor riesgo.
- Se ha producido una complicación de coágulos sanguíneos en el vaso sanguíneo del abdomen que ayuda a transportar la sangre desde los intestinos hasta el hígado.
- Los pacientes recibirán medicamentos corticoesteroides orales antes y después de la infusión de ELEVIDYS y necesitarán hacerse análisis de sangre semanales para controlar la función hepática durante 3 meses o más después del tratamiento.
- Durante al menos 2 meses después de la infusión de ELEVIDYS, permanezca cerca de un establecimiento de atención médica que el médico le recomiende.
- Póngase en contacto con un médico inmediatamente si la piel/el blanco de los ojos del paciente se ve amarillento o si el paciente omite o vomita una dosis de corticoesteroides.

¿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 no se recomienda para personas con:

- Problemas hepáticos preexistentes o infección hepática, debido al alto riesgo de lesión hepática grave rápida e insuficiencia hepática rápida
- Vacunación reciente (dentro de las 4 semanas del tratamiento con ELEVIDYS)
- Infecciones actuales o recientes (dentro de las 4 semanas del tratamiento con ELEVIDYS)

Consulte la **Información importante de seguridad** adicional en las páginas 7 y 8 y la **Información de prescripción** completa, incluido el recuadro de advertencia y la **Guía del medicamento**.

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

ACERCA DE ESTA GUÍA

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).

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?

Consulte la Información importante de seguridad en las páginas 7 y 8 y la Información de prescripción completa, incluido el recuadro de advertencia y la Guía del medicamento.

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

ENTENDER 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?

→ ¿Cuándo puedo hacerme una prueba de anticuerpos para saber si soy elegible?

RESULTADOS DEL ENSAYO CLÍNICO

→ ¿Cuánta microdistrofina produce ELEVIDYS en el organismo y qué impacto podría tener?

→ ¿Qué impacto tuvo ELEVIDYS en la función motora?

Consulte la Información importante de seguridad en las páginas 7 y 8 y la Información de prescripción completa, incluido el recuadro de advertencia y la Guía del medicamento.

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

RESULTADOS DEL ENSAYO CLÍNICO *(continuación)*

→ ¿Durante cuánto tiempo se ha realizado un seguimiento de las personas que participan en ensayos clínicos?

→ ¿Qué resultados podrían esperarse del tratamiento?

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

→ ¿Qué efectos secundarios podría experimentar mi hijo? ¿Cuándo es más probable que ocurran y cuánto tiempo durarán?

→ ¿Puede explicarme la advertencia sobre el riesgo para el hígado?

→ ¿Hay alguna información adicional sobre los posibles beneficios o riesgos de ELEVIDYS que debería tener en cuenta?

Consulte la Información importante de seguridad en las páginas 7 y 8 y la Información de prescripción completa, incluido el recuadro de advertencia y la Guía del medicamento.

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

EL PROCESO DE TRATAMIENTO

→ ¿Cómo y dónde se administra ELEVIDYS?

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

→ ¿Qué medicamentos adicionales se necesitan?

→ ¿Cuánto tiempo lleva el tratamiento?

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

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

Consulte la Información importante de seguridad en las páginas 7 y 8 y la Información de prescripción completa, incluido el recuadro de advertencia y la Guía del medicamento.

 **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



Estamos aquí para brindar ayuda en cada paso del camino.

Independientemente de en qué etapa del proceso de tratamiento se encuentre, ya sea que esté considerando si ELEVIDYS es adecuado para su hijo, preparándose para el tratamiento o gestionando la atención posterior al tratamiento, estamos aquí para ayudarle.

Conozca cómo puede ayudar nuestro equipo.

Consulte la Información importante de seguridad en las páginas 7 y 8 y la Información de prescripción completa, incluido el recuadro de advertencia y la Guía del medicamento.

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

Información importante de seguridad

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

Lesión hepática grave rápida e insuficiencia hepática rápida

- **ELEVIDYS puede aumentar ciertos niveles de análisis de laboratorio relacionados con el hígado y causar una lesión hepática grave rápida, insuficiencia hepática rápida y muerte.** Los pacientes con problemas hepáticos preexistentes pueden correr un mayor riesgo.
- Se ha producido una complicación de coágulos sanguíneos en el vaso sanguíneo del abdomen que ayuda a transportar la sangre desde los intestinos hasta el hígado.
- Los pacientes recibirán medicamentos corticoesteroides orales antes y después de la infusión de ELEVIDYS y necesitarán hacerse análisis de sangre semanales para controlar la función hepática durante 3 meses o más después del tratamiento.
- Durante al menos 2 meses después de la infusión de ELEVIDYS, permanezca cerca de un establecimiento de atención médica que el médico le recomiende.
- Póngase en contacto con un médico inmediatamente si la piel/el blanco de los ojos del paciente se ve amarillento o si el paciente omite o vomita una dosis de corticoesteroides.

Infección grave

- Dado que los pacientes tomarán corticoesteroides como parte del tratamiento con ELEVIDYS, esto puede reducir la capacidad de su sistema inmunitario para combatir las infecciones y facilitar la aparición de infecciones. Contraer una infección (como un resfriado, gripe, virus estomacal, infección de oído, infección del pecho) antes o después de la infusión de ELEVIDYS podría provocar problemas de salud más graves, incluida la muerte.
- Póngase en contacto con un médico de inmediato si nota signos de infección, como tos, sibilancias, estornudos, goteo nasal, dolor de garganta o fiebre.
- La vacunación debe completarse al menos 4 semanas antes de iniciar los corticoesteroides que forman parte del tratamiento con ELEVIDYS.
- ELEVIDYS no debe administrarse a pacientes con infección.

Inflamación del músculo cardíaco

- Se ha producido inflamación grave y potencialmente mortal del músculo cardíaco después de la infusión de ELEVIDYS.
- Los pacientes necesitarán hacerse análisis de sangre semanales de una proteína cardíaca que puede detectar daños en las células musculares del corazón durante el primer mes después del tratamiento.
- Póngase en contacto con un médico de inmediato si el paciente comienza a sentir dolor en el pecho y/o dificultad para respirar o falta de aliento.

Reacciones relacionadas con la infusión

- Se produjeron reacciones relacionadas con la infusión, incluidas hipersensibilidad y reacciones alérgicas graves (anafilaxia), durante y después de la infusión de ELEVIDYS.
- Póngase en contacto con un médico de inmediato si nota frecuencia cardíaca rápida, respiración rápida, labios hinchados, falta de aliento, ensanchamiento de las fosas nasales, urticaria, piel enrojecida y con manchas, picazón o inflamación de los labios, erupción, 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.

Consulte la **Información importante de seguridad** adicional en la **página 8** y la **Información de prescripción completa**, incluido el **recuadro de advertencia**, y la **Guía del medicamento**.

Información importante de seguridad

(continuación)

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

Respuesta inmunitaria que afecta los músculos (miositis inmunomediada)

- Hay pacientes que han tenido una respuesta inmunitaria que afecta a los músculos, lo que incluye reacciones graves y potencialmente mortales, aproximadamente 1 mes después de recibir la infusión de ELEVIDYS.
- Póngase en contacto con un médico inmediatamente si el paciente experimenta un aumento inexplicable del dolor muscular, sensibilidad o debilidad, incluidos dificultad para tragar, respirar o hablar.

Anticuerpos contra ELEVIDYS

- Los pacientes necesitan hacerse análisis de sangre para asegurarse de que no tienen anticuerpos que puedan impedirles recibir ELEVIDYS. Los niveles altos de anticuerpos pueden impedir que el medicamento actúe como se espera.
- El tratamiento con ELEVIDYS no se recomienda para pacientes que tengan anticuerpos altos contra el vector, la parte de la terapia génica utilizada para administrar ELEVIDYS.

Debe analizar los posibles beneficios y riesgos de ELEVIDYS con su médico.

¿Quién no debe recibir ELEVIDYS?

Las personas con un determinado tipo de mutación genética, llamada delección, que afecta a cualquier parte o a todo el exón 8 y/o el exón 9 del gen *DMD*, no deben recibir ELEVIDYS.

¿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. La vacunación debe completarse al menos 4 semanas antes de iniciar los corticoesteroides que forman parte del tratamiento con 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 más frecuentes de ELEVIDYS?

Los efectos secundarios más frecuentes que se produjeron en pacientes tratados con ELEVIDYS fueron vómitos, náuseas, lesión hepática, fiebre, menor número de plaquetas, que son un tipo de célula sanguínea que ayudan a detener el sangrado, y niveles más altos de proteína cardíaca, que puede detectar daños en las células musculares del corazón.

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 7 y la Información de prescripción completa, incluido el recuadro de advertencia, y la Guía del medicamento.

