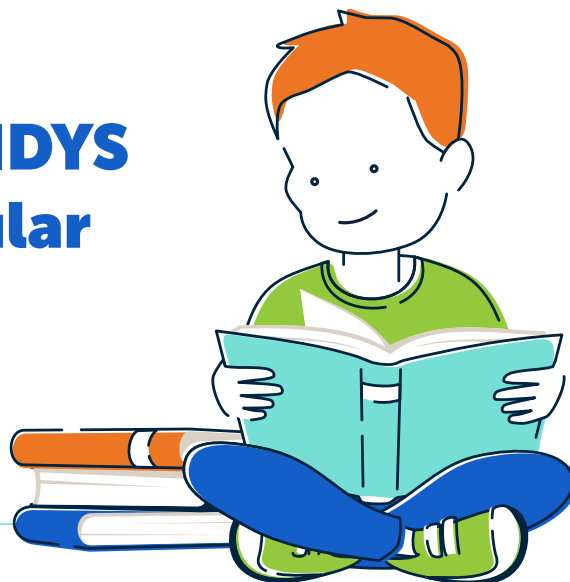


Terapia genética ELEVIDYS para la distrofia muscular de Duchenne

ACERCA DEL PROCESO DE TRATAMIENTO



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 4 y 5 y la **Información de prescripción** completa, incluido el recuadro de advertencia y la **Guía del medicamento**.

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

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 de al menos 4 años con distrofia muscular de Duchenne que tienen una mutación confirmada en el gen de la distrofina.

Esta es una gran decisión y un momento emocionante para nuestra familia. Como usted es un adulto importante en la vida de nuestro hijo, queremos 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*: _____

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 tal vez tomar otras precauciones para mantenerse saludable
- ✓ Tomar **medicamentos esteroides diariamente** (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.

Consulte la **Información importante de seguridad** adicional en las páginas 4 y 5 y la **Información de prescripción** completa, incluido el recuadro de advertencia y la **Guía del medicamento**.

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

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.



Refuerce una buena higiene lavándose las manos con regularidad, tanto usted como nuestro hijo.



Si nota que nuestro hijo no se siente bien, infórmenos como lo haría normalmente. Dado que nuestro hijo tomará medicamentos esteroides diarios 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.

También 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.



Demuestre más paciencia, apoyo y flexibilidad.

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

Consulte la Información importante de seguridad adicional en las páginas 4 y 5 y la Información de prescripción completa, incluido el recuadro de advertencia y la Guía del medicamento.

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 5 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? (cont.)

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 genética 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 4 y la Información de prescripción completa, incluido el recuadro de advertencia y la Guía del medicamento.



© 2026 Sarepta Therapeutics, Inc. 215 First Street, Cambridge, MA 02142. Todos los derechos reservados. 02/26 C-GT01-US-0305-V2
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.

