

EMPEZAR

con ELEVIDYS (delandistrogene moxeparvovec-rokl)

Su guía para el proceso del seguro y el capítulo siguiente en el viaje del tratamiento de la terapia genética de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) de su hijo



Jaylen
recibió tratamiento
con ELEVIDYS

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.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en las páginas 17 y 18 y la Información de prescripción completa para ELEVIDYS.

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



¿Cuál es el contenido?

¡Bienvenido! Este es un momento importante en el viaje del Duchenne de su hijo mientras se prepara para el tratamiento con ELEVIDYS, y es posible que para obtener la aprobación de su compañía de seguros para ayudar a cubrir los costos de la terapia genética se requieran muchos pasos. **Esta guía puede ayudarlo a navegar por el proceso del seguro.**

CAPÍTULO

1

Comprender su seguro

3

CAPÍTULO

2

Saber qué implica el viaje del tratamiento con ELEVIDYS

11

CAPÍTULO

3

Saber a quién recurrir para obtener ayuda

16

CAPÍTULO

4

Información importante de seguridad

17



SareptAssist está con usted en cada paso del camino a medida que comienza a recibir ELEVIDYS.

Comuníquese con nosotros directamente si tiene preguntas al 1-888-SAREPTA (1-888-727-3782), de lunes a viernes, de 8:30 a. m. a 6:30 p. m., hora del este.

Tipos de seguro

El seguro médico puede ayudar a pagar parte de su tratamiento con ELEVIDYS. La cantidad y los tipos de costos cubiertos **varían según el tipo de seguro que tenga.**

Los seguros privados (comerciales) y públicos (gubernamentales) son los tipos más comunes de seguro médico.



Privado o comercial

El seguro privado o comercial puede obtenerse a través de un empleador o adquiriéndolo directamente en una compañía de seguros o un intercambio de seguros estatal.

Los empleadores pueden ofrecer una variedad de planes durante su **periodo de inscripción abierta**, y cada plan puede variar en cobertura, costos y gastos de bolsillo.

Conocer el tipo de plan que tiene su empleador puede ayudarlo a comprender el tipo de cobertura que se ofrece. Comuníquese con el departamento de recursos humanos de su empleador o consulte materiales como el manual del empleado para obtener más información sobre su plan.



Público o patrocinado por el gobierno

Los planes públicos o patrocinados por el gobierno se proporcionan a nivel federal y estatal para las personas que reúnen los requisitos para recibir asistencia.

Medicaid y Medicare son tipos comunes de seguro público que brindan cobertura de salud a millones de estadounidenses.

La ley federal exige que los estados proporcionen cobertura de Medicaid a determinados grupos de personas, incluidos (entre otros):

- Familias de bajos ingresos*
- Mujeres embarazadas y niños que reúnan los requisitos
- Personas que reciben un ingreso complementario de seguridad

La elegibilidad doble se aplica a las personas que reciben cobertura médica tanto de Medicare como de Medicaid.

Algunos pacientes pueden ser elegibles para Medicaid como seguro secundario, lo que significa que Medicaid será el pagador del último recurso para los costos no cubiertos por su seguro comercial.

*Según las pautas federales de pobreza publicadas en enero de cada año. Tenga en cuenta que las pautas varían según el tamaño de la familia. Además, hay un conjunto de cifras para los 48 estados contiguos y Washington, DC; un conjunto para Alaska; y un conjunto para Hawái. <https://aspe.hhs.gov/topics/poverty-economic-mobility/poverty-guidelines>

Medicaid y Medicare

Las personas con Duchenne pueden tener cobertura de Medicaid o Medicare. A continuación, se presentan datos importantes sobre estos programas para ayudarlo a comprender las diferencias. **Su Administrador de Casos de SareptAssist puede compartir con usted información sobre los diferentes programas y cómo inscribirse.**

Medicaid es un programa de seguro federal y estatal conjunto que brinda cobertura a millones de personas, incluidas las siguientes:

- Hogares de bajos ingresos
- Niños
- Adultos de edad avanzada
- Adultos
- Mujeres embarazadas
- Personas con discapacidades

Medicaid es administrado por los estados de acuerdo con los requisitos federales. Es posible que escuche los términos **Medicaid Fee-for-service (cargo por servicio) o Medicaid Managed Care (Atención administrada por Medicaid)**. Si está inscrito en Medicaid con cargo por servicios prestados, eso significa que el estado paga directamente a los proveedores de atención médica por los servicios de salud. Si está inscrito en un programa de Atención administrada de Medicaid, eso significa que forma parte de un plan de atención médica. En este caso, el estado paga el plan y, luego, el plan paga a los proveedores por los servicios.

Todos los programas de Medicaid brindan cobertura para medicamentos recetados, generalmente al costo más bajo para los beneficiarios.

Medicare ofrece seguro médico para las personas:

- A partir de los 65 años
- Menores de 65 años que tienen ciertas discapacidades
- De todas las edades con enfermedad renal terminal y esclerosis lateral amiotrófica (ELA)

Dentro de Medicare, hay diferentes partes que cubren diferentes necesidades de atención médica, tales como:



Los pacientes mayores de 20 años con Duchenne reúnen los requisitos para Medicare después de recibir beneficios del **Seguro de discapacidad del seguro social durante al menos 2 años**. Para obtener más información sobre cómo reunir los requisitos para Medicare, visite SSA.gov.

*Este es un plan de atención administrada que ofrece beneficios de las Partes A y B de Medicare y otros beneficios complementarios que posiblemente no ofrezcan los planes tradicionales de cargo por servicio de Medicare.



También existen programas estatales y federales especiales que cubren los costos asociados con Duchenne. Por ejemplo, además de Medicaid y Medicare, las personas pueden estar cubiertas por el Programa de seguro médico para niños (Children's Health Insurance Program, CHIP) o pueden reunir los requisitos para recibir beneficios por discapacidad. Consulte la página 5 para obtener detalles.

Programas estatales y federales especiales

Las personas con Duchenne pueden calificar automáticamente para uno o más de estos programas federales o estatales especiales que pueden **cubrir los costos de infusiones de fármacos, transporte, atención hospitalaria, visitas al médico y atención médica domiciliaria**. Es importante conocerlos y saber cómo inscribirse. Su Administrador de Casos de SareptAssist puede ayudar.



Ingreso complementario de seguridad o Seguro de discapacidad del seguro social

Cada estado tiene diferentes requisitos de calificación para la cobertura de **Medicaid**. Los niños con Duchenne pueden ser elegibles para recibir beneficios de la Administración del Seguro Social (Social Security Administration, SSA) a través de los programas de Ingreso complementario de seguridad o Seguro de discapacidad del seguro social, lo que significa que pueden calificar para Medicaid.



Programa de Seguro Médico para Niños (CHIP)

El CHIP es un programa estatal federal conjunto que ofrece **cobertura gratuita o de bajo costo para niños y adolescentes no asegurados menores de 19 años** de familias con ingresos demasiado altos como para calificar para Medicaid.



Asignaciones por motivos compasivos

El programa de asignaciones por motivos compasivos (Compassionate Allowances, CAL) de la SSA está disponible para adultos con Duchenne. Este programa identifica enfermedades médicas graves, incluida la enfermedad de Duchenne, que cumplen automáticamente con los estándares de la SSA para los beneficios por discapacidad, y **realiza un seguimiento rápido del proceso de solicitud de Medicaid**. Hoy en día, hay más de 250 afecciones en la lista.



Medicaid o una exención Katie Beckett (disponible en algunos estados)

Estos son programas ampliados que algunos estados pueden ofrecer a ciertos grupos de personas, según diferentes criterios en cada estado. **Estos programas de exención a menudo brindan cobertura para las familias de niños con necesidades de salud excepcionales que, de otro modo, podrían no reunir los requisitos para Medicaid y, a menudo, los ayudan a permanecer en sus hogares para recibir servicios de salud.**



Visite [Medicaid.gov](https://www.Medicaid.gov) para obtener más información sobre los programas de Medicaid en su estado. También puede preguntar a su Administrador de Casos de SareptAssist sobre qué programas pueden ser los mejores para usted.

Cómo se cubren los costos

Independientemente del tipo de plan que tenga (p. ej., privado o público), es posible que su compañía de seguros **comparta algunos de los costos de ELEVIDYS con usted**. Estos son algunos de los costos de los que usted puede ser responsable:



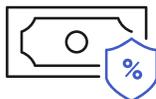
Prima

Monto que paga para participar en el plan de salud, que variará según el plan y el tipo de cobertura que seleccione (p. ej., individual, pareja, familia). Usted puede ser responsable de estos costos de forma quincenal, mensual, trimestral o anual.



Deducible

Monto establecido que paga cada año antes de que el plan cubra una parte de los costos.



Coseguro

Porcentaje de un cargo médico que paga después de haber recibido servicios de atención médica. Por lo general, el coseguro es un porcentaje fijo, lo que significa que siempre se le cobrará el mismo porcentaje (p. ej., 20 %) de la factura total cada vez.



Copago

Además del deducible, es posible que deba pagar un copago, o un monto específico en dólares, por cada visita al médico o medicamento. Este monto será inferior al deducible y, por lo general, es un costo fijo.

La Ley de Atención Asequible establece un límite máximo para el monto que los miembros del plan de salud deben pagar en gastos de bolsillo. Este límite corresponde a su deducible, coseguro o copago. Estos límites varían según el plan y el tipo de servicio de salud (p. ej., dentro de la red o fuera de la red).



¿Cómo cubre su plan los costos? Conocer los términos deducible, coseguro y copago puede ayudarlo a comprender sus gastos de bolsillo para el tratamiento de Duchenne.

¿Cómo funciona un deducible?



Para darle un ejemplo:

| | |
|--|-------------------------------|
| Supongamos que su deducible es de \$2000 . | \$2000 |
| Usted va al médico con dolor abdominal y paga \$100 por la visita al consultorio | -\$100 |
| Aún tiene \$1900 más para alcanzar su deducible | \$1900 |
| Usted paga una radiografía que su médico solicita | -\$500 |
| Aún tiene \$1400 para alcanzar su deducible | \$1400 |
| Según la radiografía, su médico recomienda una cirugía que cuesta \$2000 . Usted paga los \$1400 restantes de su deducible. | -\$1400 |
| Su deducible restante ahora es de \$0 | \$0 |
| El plan de seguro médico paga los \$600 restantes | \$600 |
| Su médico le recomienda una serie de seguimientos y, como usted ha cumplido con su deducible, solo es responsable de los montos de copago en sus citas (relacionados o no relacionados con un problema de salud en curso) durante el resto del año calendario. | Pagar monto del copago |

Deducible
 Pagado por usted
 Pagado por su plan de seguro médico

Muchos planes pagan por ciertos servicios, como controles o programas de manejo de enfermedades, antes de que usted haya cumplido con su deducible. Verifique los detalles de su plan.

Consulte la Información importante de seguridad en las páginas 17 y 18 y la Información de prescripción completa para ELEVIDYS.

ELEVIDYS® (delandistrogene moxeparvovec-rokl) es un medicamento especializado

ELEVIDYS requiere atención especial y se distribuye a través de una farmacia especializada para garantizar su manejo seguro.



Los medicamentos especiales pueden tener requisitos especiales de almacenamiento o implicar infusiones o inyecciones.

Según el plan, los productos especializados pueden estar cubiertos por el beneficio médico. Tanto el seguro privado como el seguro público ofrecen beneficios médicos.



El beneficio médico suele cubrir procedimientos o atención recibida en un hospital o en el consultorio de un médico.

Los medicamentos administrados en un entorno ambulatorio (p. ej., en el hogar, en el hospital, en el consultorio del médico, en la clínica de infusión independiente) pueden incurrir en costos adicionales para la visita.



Las infusiones que se realizan en el entorno ambulatorio, como ELEVIDYS, generalmente están cubiertas por el beneficio médico, mientras que las infusiones domiciliarias pueden estar cubiertas por la farmacia o el beneficio médico, según su plan.

Formularios de fármacos y autorización previa

¿Qué es un formulario?

La mayoría de los planes de salud tienen un **formulario como parte de sus beneficios de farmacia**. El formulario es una lista de fármacos recetados que se agrupa en diferentes categorías o niveles y ayuda a determinar el costo del fármaco. El monto que puede tener que pagar por el fármaco está determinado por el nivel. Por lo general, un formulario de fármacos incluye **4 o 5 niveles**.

Este es un ejemplo de una estructura de nivel típica:

| | | |
|----------------------|---|--|
| NIVEL 1 | Fármacos genéricos o de menor costo, incluidos algunos corticosteroides | Estos tratamientos están cubiertos por el beneficio de farmacia y pueden usarse en el hogar o administrarse en el consultorio de un proveedor. |
| NIVELES 2 A 3 | Medicamentos de marca o genéricos más costosos | |
| NIVEL 4 | Fármacos de marca más costosos | |
| NIVEL 5 | Fármacos especializados, como infusiones o los medicamentos más costosos | Algunos fármacos especializados administrados por un proveedor o en un entorno ambulatorio están cubiertos por el beneficio médico . Los costos de bolsillo pueden diferir según si un fármaco está cubierto por la farmacia o el beneficio médico. |

¿Qué es una autorización previa?

ELEVIDYS puede requerir una autorización previa, que es un proceso que los planes de salud utilizan para garantizar que el fármaco se utilice adecuadamente y para controlar mejor el uso de medicamentos más costosos.

Si su plan de salud requiere una autorización previa, significa que su médico debe presentar documentación que explique por qué ELEVIDYS es necesario antes de que el plan lo cubra. Los **requisitos de autorización previa varían según el plan**.



Su médico, el personal de su consultorio y el Administrador de Casos de SareptAssist pueden ayudar a guiarlo a través del proceso de autorización previa. Continúe leyendo para obtener más información.

Su equipo de asistencia estará con usted en cada paso del camino.

Una vez que usted y su médico decidan que ELEVIDYS es adecuado para usted o su familiar, Sarepta tendrá recursos que pueden ayudarlo a transitar las complejidades del acceso al tratamiento. El proceso es diferente para cada persona. Varía debido a muchos factores, como el tipo de seguro que tiene, las necesidades de su tratamiento y las opciones de asistencia financiera. Será importante que conozca a su equipo de atención médica, que será su pareja en el viaje de su tratamiento y puede ayudarlo con su situación específica.



Conozca a su equipo de asistencia

En el médico o la clínica

Médico: confirma la elegibilidad suya para recibir ELEVIDYS, receta medicamentos y brinda atención médica.

Enfermero: brinda atención y administra medicamentos.

Personal de oficina: maneja citas y problemas administrativos, como facturación y pagos; ayuda con autorizaciones previas y apelaciones para ayudar a los pacientes a obtener acceso a los medicamentos.

En el plan de salud

Servicios para miembros: maneja las preguntas sobre la póliza de seguro y el procesamiento de reclamos.

Director médico: es responsable de ayudar a elaborar formularios y revisar autorizaciones y apelaciones previas.

Su equipo de Sarepta

Administrador de Casos de SareptAssist: uno de sus contactos clave para preguntas sobre sus beneficios de seguro, la administración del tratamiento y el acceso a los medicamentos.

Administrador de acceso del paciente (Patient Access Manager, PAM): trabaja con usted y su Administrador de Casos de SareptAssist para navegar por el proceso de rechazo y apelación.

Administrador de acceso al mercado y reembolso (Director Market Access and Reimbursement, DMAR): proporciona apoyo para el acceso y reembolso para consultorios médicos y compañías de seguros.

Enfermero educador de Duchenne (Duchenne Nurse Educator, DNE): brinda capacitación para la administración del fármaco; responde preguntas generales que usted pueda tener sobre ELEVIDYS y/o el proceso de infusión.

Farmacia especializada/distribuidor de fármacos

Farmacéutico: coordina el envío de medicamentos, revisa las órdenes del médico y consulta a las familias si es necesario.

Enfermero/coordinador: facilita contratos/citas con organismos de atención médica domiciliaria.

Equipo de asistencia dedicado: coordina el envío de medicamentos al centro o al hogar, envía los suministros necesarios y colabora con la coordinación de atención médica domiciliaria.

Pasos importantes para tener acceso a ELEVIDYS

Una vez que su médico haya enviado un Formulario de inscripción para terapia genética de Sarepta, existen **5 pasos clave para obtener acceso** al producto e iniciar la terapia. Su Administrador de Casos de SareptAssist estará con usted en cada paso del proceso.

1

Envío del formulario de inscripción

Su médico completará y enviará el formulario de inscripción en la terapia genética de SareptAssist, que iniciará el proceso de SareptAssist. Su Administrador de Casos de SareptAssist se pondrá en contacto con usted para darle la bienvenida y explicarle cómo puede ayudarle.

2

Investigación de beneficios

Este proceso determina el tipo de seguro que tiene y la cobertura esperada que proporciona para ELEVIDYS, incluidas las pólizas de autorización previa y los gastos de bolsillo. El proceso de autorización previa a menudo implica una apelación y tiempo adicional. **Su Administrador de Casos de SareptAssist trabajará con usted para ayudarlo a comprender los beneficios de su seguro específicos y los siguientes pasos.**

3

Centro de tratamiento

Recibirá tratamiento en un hospital donde tendrá apoyo directo de proveedores de atención médica que se especializan en administrar ELEVIDYS. Sarepta se asocia con instituciones hospitalarias antes del tratamiento para garantizar que estén preparados para ELEVIDYS y que tengan implementados los pasos necesarios para facilitar la infusión.

4

Inicio del tratamiento

Una vez que se hayan confirmado los beneficios de su seguro y usted haya recibido la aprobación para la infusión, **su equipo de Sarepta trabajará en estrecha colaboración con usted y su proveedor de atención médica para programar el tratamiento y coordinar la logística de la entrega.** Este proceso variará según su proveedor de seguro y lugar del tratamiento. Luego, su enfermero instructor de Duchenne guiará a su equipo de atención médica a través del proceso de administración del fármaco.

5

Apoyo continuo

Su Administrador de Casos de SareptAssist trabajará con usted a lo largo de su tratamiento. Después del tratamiento, se comunicarán con usted para recordarle las visitas de seguimiento clave posteriores a la infusión y los análisis de laboratorio. El personal del estudio continuará comunicándose con usted periódicamente y le ofrecerá apoyo mientras sea necesario.



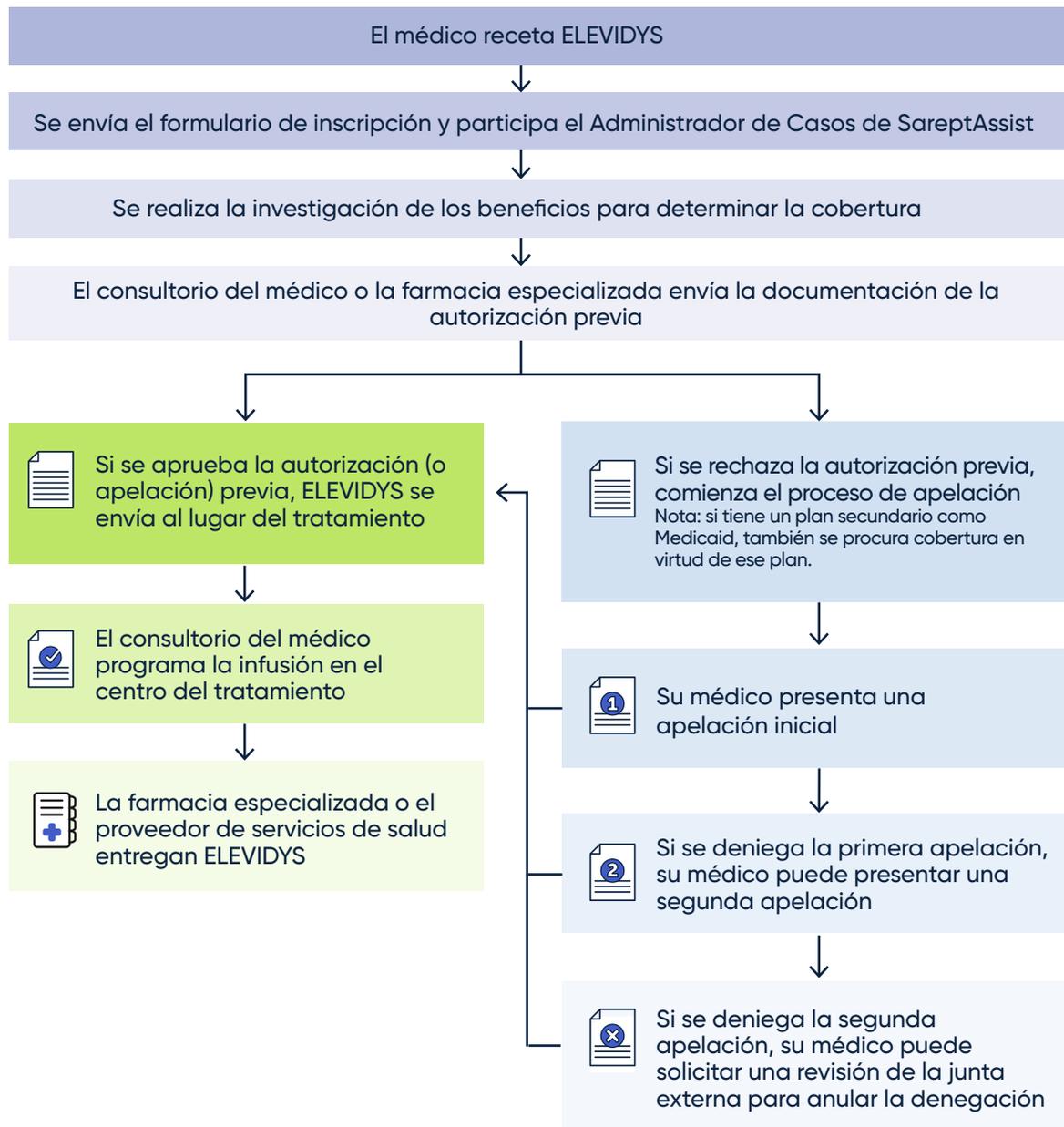
¡CONSEJO!

Comuníquese con su Administrador de Casos de SareptAssist si tiene alguna pregunta. Siempre comuníquese con su médico antes de tomar cualquier decisión sobre su tratamiento para Duchenne.

CAPÍTULO
2

Investigación de beneficios: Proceso de autorización de medicamentos de Duchenne

El primer paso principal para tener acceso a ELEVIDYS es obtener una autorización previa de su compañía de seguros. Este puede ser un proceso largo y difícil, pero su Administrador de Casos de SareptAssist estará allí para ayudarlo desde el principio. Para comprender mejor lo que sucede habitualmente durante el proceso de autorización, a continuación se proporciona una breve descripción general.



Motivos comunes de las denegaciones



¿Por qué se deniega una autorización previa?

Existen varios motivos por los cuales se puede denegar una autorización previa para ELEVIDYS. Los motivos frecuentes incluyen los siguientes:

- El medicamento solo está cubierto para un rango de edad específico
- Se proporcionó información incompleta, como falta de evaluaciones clínicas adecuadas
- El paciente no ha recibido un régimen de tratamiento con esteroides
- El fármaco está excluido de la cobertura
- ELEVIDYS no se considera medicamento necesario en función de los criterios específicos del plan



¿Qué puede hacer?

Usted es una parte fundamental de su propio equipo de atención médica. Las medidas que puede tomar mientras atraviesa el proceso de investigación de beneficios incluyen las siguientes:

- Llamar a su Administrador de Casos de SareptAssist al 1-888-SAREPTA (1-888-727-3782), de lunes a viernes, de 8:30 A. M. A 6:30 p. M., hora del este. Hay disponibles miembros del equipo que hablan español e intérpretes también de otros idiomas
- Comunicarse directamente con su compañía de seguros si tiene preguntas sobre la cobertura
- Compartir cualquier comunicación que pueda recibir de su aseguradora con su Administrador de casos de SareptAssist y el consultorio de su médico
- Registrarse regularmente con el consultorio de su médico o el personal del consultorio en su centro de infusión
- Hacer un seguimiento con las citas clínicas programadas con el consultorio de su médico para las evaluaciones necesarias
- Recurrir a organizaciones de defensa de pacientes para obtener asistencia
- Compartir sus experiencias

Opciones de asistencia financiera

Según el tipo de seguro que tenga y otras circunstancias relevantes, es posible que reúna los requisitos para participar en programas de asistencia financiera. Su Administrador de Casos de SareptAssist puede ayudarlo a proporcionar información sobre las opciones y ver si es elegible para los siguientes programas de Sarepta.



Programa de asistencia con el copago para pacientes

Este programa puede ayudar con algunos costos de bolsillo de ELEVIDYS (no con los costos de suministros u otros costos relacionados con el tratamiento). Es para personas elegibles en los Estados Unidos con seguro comercial únicamente, no seguro gubernamental, como Medicaid, a quienes se les receta un tratamiento con un producto de Sarepta.

Hable con su Administrador de Casos de SareptAssist sobre qué opciones de asistencia financiera pueden ser mejores para usted en función de sus necesidades.



Múltiples organizaciones benéficas independientes

Existen varios programas que ofrecen asistencia financiera, como el Programa de Asistencia Familiar de Duchenne.

Su Administrador de Casos de SareptAssist puede proporcionarle más información y derivarlo a estas opciones de terceros.



Puede confiar en su Administrador de Casos de SareptAssist y en los otros miembros de su equipo de asistencia para mantenerse informado sobre sus opciones y navegar por el viaje de su tratamiento a medida que cambien sus necesidades (p. ej., seguro nuevo, cambio de dirección).

Cómo puede ayudar Sarepta

SareptAssist, nuestro programa de apoyo al paciente, está diseñado para proporcionarle la información para transitar el proceso de tratamiento.

Nuestro equipo especializado proporcionará información sobre:

- Comprender los requisitos del tratamiento
- Beneficios del seguro
- Opciones de asistencia financiera
- Logística del tratamiento que se administra una sola vez
- Educación y apoyo continuos



Recuerde que, si bien su médico es su primer punto de contacto para todas las necesidades médicas, su **Administrador de Casos de SareptAssist** se compromete a trabajar con usted durante el viaje del tratamiento y se reportará regularmente.

Para obtener más información, visite SareptAssist.com.



Estamos comprometidos a asociarnos con usted, sus médicos y su plan de salud para ayudarlo a acceder a ELEVIDYS para que pueda concentrarse en el próximo capítulo.

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 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.

Información importante de seguridad (continuación)

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

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 17 y la Información de prescripción completa para ELEVIDYS.

©2025 Sarepta Therapeutics, Inc. 215 First Street, Cambridge, MA 02142 Todos los derechos reservados. 02/25 C-GT01-US-0349-V1 SAREPTA, SAREPTA THERAPEUTICS, el logotipo de SAREPTA Helix, SAREPTASSIST, el logotipo de SAREPTASSIST, ELEVIDYS y el logotipo de 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.