# CELEBRE ESTE MOMENTO

## La terapia genética aprobada por la FDA para la enfermedad de Duchenne

**Austin**
Recibió tratamiento con ELEVIDYS

## 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 deleción en el exón 8 y/o el exón 9 en el gen *DMD*, no deben recibir ELEVIDYS.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

**Jaylen**
Recibió tratamiento
con ELEVIDYS

# La única terapia genética aprobada por la FDA para la enfermedad de Duchenne

- Se demostró un **aumento de la microdistrofina de ELEVIDYS** en los músculos.
- Se observó un **impacto** positivo **en la función motora** de pacientes ambulatorios con Duchenne en un ensayo clínico.
- Información de seguridad recopilada de **más de 150 participantes de ensayos clínicos tratados con ELEVIDYS***.
- A través de **años de estudio** se informó un **tratamiento de una sola vez** con un plan de monitoreo.

*La información de seguridad en pacientes no ambulatorios se limita a 8 participantes de ensayos clínicos.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

**¿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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# Cómo entender la elegibilidad

## ¿Quién es elegible para ELEVIDYS?

- ELEVIDYS está aprobada para pacientes con Duchenne de 4 años o más, independientemente de si son ambulatorios o no. 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. La participación de pacientes no ambulatorios estuvo limitada y no se estudió el impacto en la función motora de estos pacientes.

  Es posible que se necesite verificación del beneficio clínico para que ELEVIDYS continúe siendo aprobada para pacientes no ambulatorios con Duchenne. Hay estudios en curso para evaluar este posible impacto.

## ¿Quién determina la elegibilidad?

- Un médico de un centro de tratamiento que administra ELEVIDYS confirmará la elegibilidad.

## ¿Qué mutaciones genéticas pueden ser elegibles?

- Todas las mutaciones, excepto las deleciones en los exones 8 y/o 9.* Los pacientes con determinadas deleciones 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.

## ¿Cómo se confirma la elegibilidad?

- Se requiere una **prueba genética** para confirmar una mutación en el gen de la distrofina. Si ya se realizó una prueba, proporcione el informe a su médico para ver si es posible que se necesite una prueba actualizada.

  Se requiere una **prueba de anticuerpos** para medir los anticuerpos preexistentes contra el vector ELEVIDYS, llamado AAVrh74. Si los niveles son muy altos, es posible que ELEVIDYS no sea una opción.

  Su médico realizará **pruebas adicionales** para confirmar si ELEVIDYS es adecuado.

*Las mutaciones de duplicación en los exones 8 y/o 9 no están contraindicadas.

**Thomas**
Recibió tratamiento con ELEVIDYS

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# ELEVIDYS ayuda al cuerpo a producir una nueva versión de la distrofina

**En la enfermedad de Duchenne, una mutación genética, o cambio en el gen de la distrofina, evita que el cuerpo produzca distrofina.**

- Sin distrofina, **los músculos se dañan.**
- Con el tiempo, los pacientes con **Duchenne pierden fuerza muscular y la capacidad de realizar actividades cotidianas.**

CÉLULA MUSCULAR DE DUCHENNE SIN TRATAMIENTO

**El tratamiento que aumenta la distrofina es un paso temprano importante en un plan de tratamiento de Duchenne.**

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

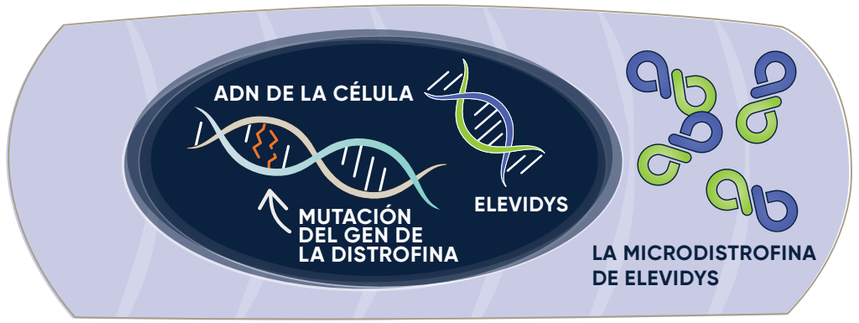
**¿Cuál es la información más importante que debo saber sobre ELEVIDYS? (continuación)**

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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

**ELEVIDYS administra un gen que le indica al cuerpo que produzca una nueva versión más corta de distrofina llamada microdistrofina de ELEVIDYS.**

- La microdistrofina de ELEVIDYS es similar a la distrofina natural del cuerpo. Aunque no es exactamente igual a la distrofina, fue diseñada para ayudar a proteger los músculos del daño.
- El gen **solo necesita administrarse una vez** para hacer su trabajo: una vez dentro del cuerpo, proporciona las instrucciones necesarias para **producir la microdistrofina de ELEVIDYS.**




CÉLULA MUSCULAR DE DUCHENNE CON TRATAMIENTO

**Para obtener más información sobre cómo funciona ELEVIDYS, visite ELEVIDYS.com.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# El programa de ensayos clínicos de ELEVIDYS incluyó más de 200 personas en múltiples ensayos

### 3 A 20 AÑOS DE EDAD*

### PACIENTES AMBULATORIOS Y NO AMBULATORIOS†

### RANGO DE MUTACIONES GENÉTICAS‡

*ELEVIDYS está aprobada para su uso en pacientes con Duchenne con al menos 4 años.

†La información de seguridad en pacientes no ambulatorios se limita a 8 participantes de ensayos clínicos.

‡ELEVIDYS no se puede usar en ninguna persona con una deleción en el exón 8 y/o el exón 9 en el gen de la distrofina.

**Andrew**
Recibió tratamiento con ELEVIDYS

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

Se observó miositis inmunomediada (una respuesta inmunitaria que afecta los músculos) en pacientes con una mutación de deleción en el gen *DMD* que está contraindicada. Los pacientes con determinadas deleciones 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.

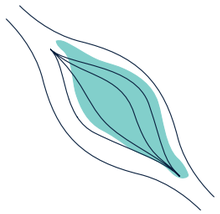
**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# Los ensayos clínicos se diseñaron para evaluar la seguridad y la eficacia

**Resultados medidos para conocer:**

**Si la microdistrofina de ELEVIDYS se producía en los músculos esqueléticos**



**Si la microdistrofina de ELEVIDYS funcionaba correctamente, medida a través del impacto en la función muscular**

**La seguridad, o qué efectos secundarios presentaban los pacientes después del tratamiento con ELEVIDYS**

## 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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

## Los ensayos midieron los resultados a lo largo del tiempo en un amplio rango de personas

### Estudio 1

- Ensayo controlado con placebo*
- 41 participantes ambulatorios
- 4-7 años de edad
- Ensayo de 2 partes, cada parte duró 48 semanas

**LOS OBJETIVOS PRINCIPALES FUERON MEDIR:**

- La microdistrofina de ELEVIDYS
- El impacto en la función muscular
- La seguridad

### Estudio 2 (también llamado "ENDEAVOR")

- Ensayo abierto†
- 48 participantes
- 3-20 años de edad
- Incluyó:
  - 40 participantes ambulatorios de 3-12 años
  - 8 participantes no ambulatorios de 10-20 años

**LOS OBJETIVOS PRINCIPALES FUERON MEDIR:**

- La microdistrofina de ELEVIDYS
- La seguridad

La función muscular no fue un objetivo principal en este estudio

### Estudio 3 (también llamado "EMBARK")

- Ensayo controlado con placebo*
- 125 participantes ambulatorios
- 4-7 años de edad
- Ensayo de 2 partes, cada parte duró 52 semanas. Los resultados de la parte 1 figuran en este folleto

**LOS OBJETIVOS PRINCIPALES FUERON MEDIR:**

- El impacto en la función muscular
- La seguridad

*Un ensayo controlado con placebo incluye el medicamento que se está estudiando y un placebo, una sustancia que no contiene medicamento activo. Luego, se comparan los resultados.

†En un ensayo abierto, todos los participantes saben que están tomando el medicamento que se está estudiando.



Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# En todos los ensayos, los participantes produjeron un promedio de 34 % a 51 % de microdistrofina de ELEVIDYS

Aumento promedio de la microdistrofina de ELEVIDYS 3 meses después del tratamiento

## PARTICIPANTES AMBULATORIOS

**Estudio 1**
PARTE 1

↑43%

6 participantes

**Estudio 1**
PARTE 2

↑41%

21 participantes

**Estudio 2**

↑51%

40 participantes

**Estudio 3**
PARTE 1

↑34%

17 participantes

En el estudio 3, debido a que los participantes que recibieron placebo (14 participantes) no recibieron ELEVIDYS, tuvieron 0 % de microdistrofina de ELEVIDYS.

Aumento promedio de la microdistrofina de ELEVIDYS 3 meses después del tratamiento

## PARTICIPANTES NO AMBULATORIOS

**Estudio 2**

↑40%

8 participantes

Las personas con Duchenne generalmente tienen **poca o ninguna distrofina.**

**¿CÓMO FUNCIONÓ?**

Los resultados se midieron mediante **una prueba llamada Western blot,** que examina una pequeña parte del músculo del cuerpo de una persona para averiguar **si se ha producido microdistrofina**. Los números reflejan la cantidad producida, en comparación con el inicio del ensayo, si el 100 % fuera el nivel típico en una persona sin Duchenne.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

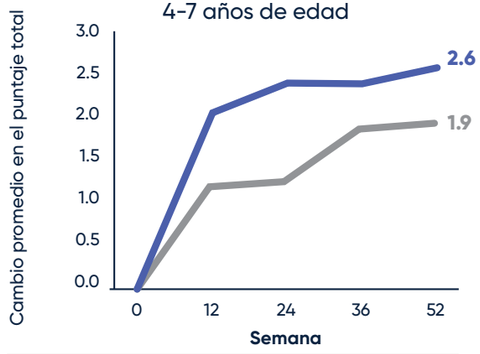
# Impacto en la función motora, medido por la Evaluación Ambulatoria North Star (NSAA)

La Evaluación Ambulatoria North Star (North Star Ambulatory Assessment, NSAA) es una medida amplia utilizada para monitorear la función ambulatoria general a lo largo del tiempo. Los participantes del estudio 3 tratados con ELEVIDYS obtuvieron un puntaje 0.7 puntos más alto, en promedio, que aquellos que recibieron placebo después de 1 año. La diferencia no fue estadísticamente significativa.

Cambio promedio en el puntaje de la NSAA 1 año después del tratamiento

**Estudio 3, parte 1**

4-7 años de edad




**Para obtener más información sobre la NSAA, visite ELEVIDYS.com**

Se observaron resultados similares en el estudio 1 cuando se midieron 48 semanas después del tratamiento en participantes de 4 a 7 años: aquellos que recibieron ELEVIDYS (20 participantes) obtuvieron un puntaje 0.8 puntos más alto, en promedio, que aquellos que recibieron placebo (sin ELEVIDYS, 21 participantes). La diferencia no fue estadísticamente significativa.

Todos los participantes recibieron dosis estables de esteroides al inicio del ensayo, independientemente de si recibían ELEVIDYS o placebo.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

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.

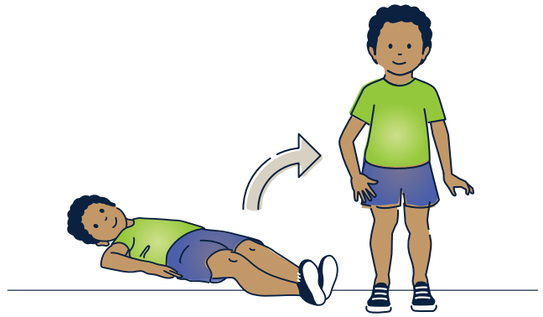
### ¿Hay que tener algo en cuenta para la programación de la vacunación y de ELEVIDYS?

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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# ELEVIDYS mejoró la velocidad de los participantes en el tiempo para levantarse del suelo



**Estudio 3, parte 1**

Cambio promedio en el tiempo para levantarse del suelo desde el inicio del ensayo hasta 1 año

124 participantes de 4 a 7 años

Participantes que recibieron ELEVIDYS *(63 personas)*
**0.27 segundos**
***más rápido***
**frente al inicio del ensayo**

Participantes que recibieron placebo *(61 personas)*
**0.37 segundos**
***más lento***
**frente al inicio del ensayo**

**Aquellos que recibieron ELEVIDYS pudieron levantarse del suelo**

***0.64 segundos más rápido***

**que aquellos que recibieron placebo (sin ELEVIDYS) después de 1 año (en promedio)**

**¿CÓMO FUNCIONÓ?**

Al comienzo del ensayo, **se pidió a los participantes que se pusieran de pie tan rápido como pudieran después de estar acostados boca arriba,** y se registró el tiempo. Luego, la mitad de los participantes recibió ELEVIDYS y la otra mitad recibió placebo (sin ELEVIDYS). **Un año después, todos repitieron la prueba** para ver si los resultados habían cambiado desde el inicio del ensayo. Aunque los resultados variaron entre los participantes, la diferencia promedio se indica anteriormente.

Todos los participantes recibieron dosis estables de esteroides al inicio del ensayo, independientemente de si recibían ELEVIDYS o placebo.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

**¿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.

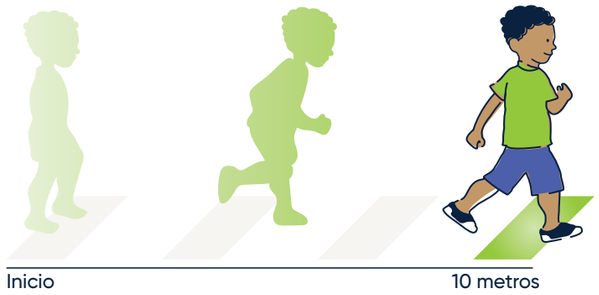
**¿Cuáles son los efectos secundarios posibles o probables de ELEVIDYS?**

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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# Los participantes tratados con ELEVIDYS pudieron caminar/correr más rápido en una prueba de función motora




**Estudio 3, parte 1**

Cambio promedio en el tiempo de caminata/corrida de 10 metros desde el inicio del ensayo hasta 1 año

124 participantes de 4 a 7 años

Participantes que recibieron ELEVIDYS *(63 personas)*
**0.34 segundos**
***más rápido***
**frente al inicio del ensayo**

Participantes que recibieron placebo *(61 personas)*
**0.08 segundos**
***más lento***
**frente al inicio del ensayo**

**Aquellos que recibieron ELEVIDYS pudieron caminar/correr 10 metros**
***0.42 segundos más rápido***
**que aquellos que recibieron placebo (sin ELEVIDYS) después de 1 año (en promedio)**

**¿CÓMO FUNCIONÓ?**

Al comienzo del ensayo, **se pidió a los participantes que corrieran o caminaran 10 metros (aproximadamente 30 pies) tan rápido como pudieran,** y se registró el tiempo. Luego, la mitad de los participantes recibió ELEVIDYS y la otra mitad recibió placebo (sin ELEVIDYS). **Un año después, todos repitieron la prueba** para ver si los resultados habían cambiado desde el inicio del ensayo. Aunque los resultados variaron entre los participantes, la diferencia promedio se indica anteriormente.

Todos los participantes recibieron dosis estables de esteroides al inicio del ensayo, independientemente de si recibían ELEVIDYS o placebo.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

**¿Cuáles son los efectos secundarios posibles o probables de ELEVIDYS? (continuación)**

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.

**¿Quién no debe recibir ELEVIDYS?**

Las personas con ciertos tipos de mutaciones, cualquier deleción 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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional 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 deleción 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 deleción en el gen *DMD* que está contraindicada. Los pacientes con determinadas deleciones 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.

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.



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

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 de prescripción completa para ELEVIDYS.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# Información de seguridad de más de 150 personas

**En todos los ensayos, se produjeron 5 efectos secundarios frecuentes en el 5 % o más de los participantes**

| Efecto secundario | ELEVIDYS N = 156 |
|---|---|
| Vómitos | 65 % |
| Náuseas | 43 % |
| Lesión hepática | 40 % |
| Fiebre | 28 % |
| Cantidad baja de plaquetas | 8 % |

**Los mismos efectos secundarios frecuentes se observaron en el estudio 3 en comparación con el grupo de placebo**

| Efecto secundario | ELEVIDYS n = 63 | Placebo n = 62 |
|---|---|---|
| Vómitos | 64 % | 19 % |
| Náuseas | 40 % | 13 % |
| Lesión hepática | 41 % | 8 % |
| Fiebre | 32 % | 24 % |
| Cantidad baja de plaquetas | 3 % | 0 % |

- La información de seguridad en pacientes no ambulatorios se limita a 8 participantes de ensayos clínicos.
- Para ayudar a reducir la probabilidad de efectos secundarios, se necesitan esteroides relacionados con el tratamiento 1 semana antes de la infusión (si no está tomando esteroides) o 1 día antes de la infusión (si ya está recibiendo un régimen de esteroides). Estos esteroides continuarán por al menos 2 meses después del tratamiento.
- Estos son los efectos secundarios más frecuentes. Hable con el médico de su hijo acerca de todos los posibles efectos secundarios de ELEVIDYS.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# Plan de monitoreo diseñado específicamente para brindar apoyo después del tratamiento

## Las personas tratadas con ELEVIDYS se monitorean semanalmente por al menos 3 meses para asegurar su bienestar.

Su médico solicitará análisis de sangre para monitorear la **función hepática** (semanalmente durante los primeros 3 meses); **recuentos de plaquetas** (semanalmente durante las primeras 2 semanas) y **niveles de troponina I** (semanalmente durante el primer mes). Se podría necesitar monitoreo más frecuente.

Para ayudar a reducir el riesgo de efectos secundarios, su hijo deberá tomar esteroides durante el tratamiento. Su hijo comenzará a tomarlos poco antes del día de la infusión y continuará haciéndolo por al menos 2 meses.*

| DÍA DEL TRATAMIENTO | DURANTE LAS PRIMERAS 2 SEMANAS | DURANTE LOS PRIMEROS 2 MESES | DURANTE LOS PRIMEROS 3 MESES |
|---|---|---|---|
| **El equipo de asistencia del centro de tratamiento supervisará atentamente para detectar cualquier reacción relacionada con la infusión** por al menos 3 horas después del tratamiento. | Los efectos secundarios más frecuentes, que generalmente ocurren en las **primeras 2 semanas**, incluyen vómitos (ya en el día de la infusión), náuseas, fiebre y recuento bajo de plaquetas. | Los efectos secundarios que podrían ocurrir en los **primeros 2 meses** incluyen:<br>• Respuesta inmunitaria que afecta los músculos (miositis mediada por el sistema inmunitario)<br>• Inflamación del corazón (miocarditis)<br>• Lesión hepática (no hubo casos de insuficiencia hepática en los ensayos clínicos) | **Se continuará monitoreando la función hepática** por al menos 3 meses |

**En ensayos clínicos, la mayoría de los efectos secundarios se produjeron dentro de los 2 meses de tratamiento, pero se recomienda monitorear a las personas tratadas con ELEVIDYS por 3 meses o más, si es necesario.**

*Su médico puede ajustar este tiempo, o la dosis, según la respuesta de la persona a ELEVIDYS, lo que incluye ayudar a abordar cualquier cambio en las pruebas de función hepática. Es importante que siga los consejos de su médico sobre el consumo de esteroides relacionados con el tratamiento con ELEVIDYS, incluso en el período de disminución gradual de la dosis.



## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# ELEVIDYS ofrece un camino diferente

ELEVIDYS se ha estudiado en más de 200 participantes de ensayos clínicos.* Sin embargo, debido a que la progresión de Duchenne es diferente para cada persona, **puede ser útil hablar con su médico sobre qué esperar del tratamiento** según su punto de partida.

- Hablar sobre lo que usted o su hijo pueden hacer ahora ayudará a **crear una línea de base para usar en el seguimiento del progreso.**

**Explore las historias familiares de ELEVIDYS en ELEVIDYS.com**

*La información de seguridad en pacientes no ambulatorios se limita a 8 participantes de ensayos clínicos.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

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.

**Consulte la Información importante de seguridad adicional y la Información de prescripción completa.**



Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion

# Celebre este momento

## La única terapia genética aprobada por la FDA para la enfermedad de Duchenne

SAREPTASSIST

### APOYO, A SU LADO

**El equipo de SareptAssist está a su disposición en el 1-888-SAREPTA (1-888-727-3782) de lunes a viernes, 8:30 a. m. a 6:30 p. m., zona horaria del Este.**

Hay disponibles Administradores de Casos que hablan español e intérpretes para otros idiomas.

## INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

Se observó miositis inmunomediada (una respuesta inmunitaria que afecta los músculos) en pacientes con una mutación de deleción en el gen *DMD* que está contraindicada. Los pacientes con determinadas deleciones 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 y la Información de prescripción completa.**

SAREPTA THERAPEUTICS

© 2025 Sarepta Therapeutics, Inc. 215 First Street, Cambridge, MA 02142. Todos los derechos reservados.
02/25 C-GT01-US-0348-V1

SAREPTA, SAREPTA THERAPEUTICS, el logotipo helicoidal de SAREPTA, SAREPTASSIST, el logotipo de SAREPTASSIST, y SUPPORT, BY YOUR SIDE y ELEVIDYS son marcas comerciales de Sarepta Therapeutics, Inc. registradas en la Oficina de patentes y marcas comerciales de los EE. UU. y pueden estar registradas en varias otras jurisdicciones. El logotipo de ELEVIDYS es una marca comercial de Sarepta Therapeutics, Inc.

Elevidys
delandistrogene moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion