



CONOZCA A
MAX.

MAX ES UN
NIÑO CON DMD
(DELECCIÓN DEL
EXÓN 52)

 **EXONDYS 51**
(eteplirsén) Injection

EXONDYS 51 (eteplirsén)

TRATAMIENTO APROBADO POR LA FDA PARA LA DISTROFIA MUSCULAR
DE DUCHENNE

EXONDYS 51 se utiliza para tratar a pacientes con distrofia muscular de Duchenne (DMD) que tienen una mutación confirmada en el gen de la distrofina, que puede ser tratada mediante la omisión del exón 51. EXONDYS 51 fue aprobado bajo aprobación acelerada. La aprobación acelerada 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 EXONDYS 51 aumentó el marcador, distrofina, en el músculo esquelético en algunos pacientes. La verificación del beneficio clínico puede ser necesaria para que EXONDYS 51 continúe siendo aprobado.

INFORMACIÓN IMPORTANTE SOBRE RIESGOS

Se han producido reacciones alérgicas, que incluyen sibilancias, dolor torácico, tos, frecuencia cardíaca rápida y urticaria en pacientes tratados con EXONDYS 51. Busque atención médica inmediata si se producen signos y síntomas de reacciones alérgicas.

Los efectos secundarios que se produjeron con una frecuencia al menos un 25 % mayor en 8 pacientes tratados con EXONDYS 51 mediante infusión intravenosa que en 4 pacientes tratados con infusión intravenosa inactiva fueron problemas de equilibrio (38 %, 0 %), vómitos (38 %, 0 %), e irritación cutánea (25 %, 0 %). Los efectos secundarios más frecuentes fueron problemas de equilibrio y vómitos.

Los efectos secundarios más frecuentes observados en más del 10 % de los pacientes que recibieron EXONDYS 51 (N = 163) en otros ensayos clínicos fueron dolor de cabeza, tos, erupción y vómitos.

Le animamos a que notifique a la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, 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 sobre riesgos anterior y la Información de prescripción de EXONDYS 51 (eteplirsén) completa adjunta.



DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE: UNA ENFERMEDAD PROGRESIVA QUE PRODUCE ATROFIA MUSCULAR

La distrofia muscular de Duchenne, a veces abreviada DMD o solo Duchenne, es una enfermedad genética rara que afecta principalmente a los niños varones.

Duchenne es causada por una mutación o cambio genético en el gen de la distrofina. Este cambio en el gen puede heredarse o producirse en forma espontánea.

Esta mutación impide que el cuerpo produzca suficiente o algo de distrofina, una proteína que los músculos necesitan para funcionar en forma correcta.

Sin distrofina, las células musculares se dañan y debilitan con el tiempo.

La mayoría de los músculos se ven afectados, incluidos aquellos responsables de caminar y levantar los brazos.

Duchenne es progresiva e irreversible.

EXONDYS 51 AYUDA AL CUERPO A PRODUCIR UNA FORMA MÁS CORTA DE LA PROTEÍNA DISTROFINA

EXONDYS 51 es un tratamiento aprobado por la FDA para la distrofia muscular de Duchenne en pacientes con una mutación genética del gen de la distrofina susceptible de omisión del exón 51. Aproximadamente el 13 % de las personas diagnosticadas con Duchenne tienen este tipo de mutación.

EXONDYS 51 fue aprobado en función de ensayos clínicos que mostraron un aumento en la cantidad de proteína distrofina encontrada en el músculo esquelético de algunos pacientes. Se considera que el aumento de la distrofina tiene una probabilidad razonable de predecir un beneficio clínico. La verificación del beneficio clínico puede ser necesaria para que EXONDYS 51 continúe siendo aprobado.

CONOZCA A GRAYSEN.
GRAYSEN ES UN NIÑO CON DMD
(DELECCIÓN DE LOS EXONES 48-50)



EXONDYS 51 tiene
más de **5 años de**
experiencia en
el mundo real

CÓMO FUNCIONA

EXONDYS 51 es una terapia de omisión de exón. El objetivo de la omisión del exón es permitir que el cuerpo produzca una forma más corta de la proteína distrofina. Veamos más detenidamente cómo:

El gen de la distrofina es el gen más grande del cuerpo, compuesto por 79 exones (porciones de un gen) que están unidos para formar las instrucciones para producir distrofina —una proteína que los músculos necesitan para funcionar correctamente.

Piense en los exones como los vagones de un tren de juguete, cada uno con una conexión especial que permite conectar un vagón a otro. Para que todos los vagones se muevan juntos como un tren, las conexiones entre vagones deben coincidir para que puedan conectarse entre sí.



Duchenne es causada por una mutación o cambio genético en el gen de la distrofina. En la mayoría de los casos, faltan uno o más exones. Esto provoca errores en las instrucciones para producir distrofina, y el cuerpo no es capaz de producir suficiente o ninguna proteína distrofina que funcione.

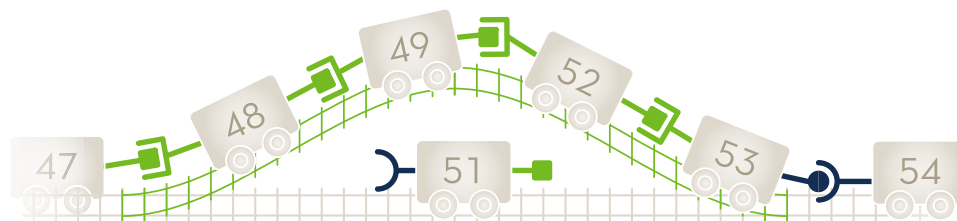
Si imaginamos el tren de juguete, faltarían uno o más vagones, lo cual deja a los restantes no conectados. En este ejemplo, podemos ver que falta el vagón 50. Esto hace que los vagones 49 y 51 no puedan conectarse.



La tecnología de omisión del exón permite al cuerpo producir proteína distrofina mediante la omisión de un exón específico. EXONDYS 51 funciona mediante la omisión de exón y el resultado es una forma más corta de la proteína distrofina.

Así que, con nuestro tren, apartaríamos ciertos vagones a un lado para “omitirlos”, y poder encontrar un vagón con la conexión adecuada para permitir la conexión del resto de los vagones. En nuestro ejemplo, se omitiría el vagón 51 para permitir que el vagón 49 se conecte con el vagón 52.

Este nuevo tren sería más corto, pero todos los vagones seguirían conectados.



-
- ▶ En algunos niños, se ha demostrado que las infusiones semanales de EXONDYS 51 ayudan al cuerpo a producir una forma más corta de la proteína distrofina.

EXONDYS 51: APROBADO POR LA FDA BAJO APROBACIÓN ACELERADA

Cuando se estudia un nuevo medicamento, a veces pueden tardar muchos años en ver si realmente tiene un efecto en cómo sobrevive, se siente o funciona un paciente. Existe una reglamentación denominada aprobación acelerada, que permite a la FDA aprobar medicamentos en un período más rápido según lo que se denomina “criterio de valoración indirecto”.

Un criterio de valoración indirecto es un marcador de algún tipo, por ejemplo, una medición de laboratorio, una prueba específica, un signo físico o una imagen radiográfica (como una radiografía). Se cree que este marcador predice un beneficio clínico, pero no es en sí mismo un indicador del beneficio clínico.

La aprobación acelerada se aplica a los medicamentos que se han estudiado en cuanto a seguridad y eficacia en el tratamiento de enfermedades graves o potencialmente mortales, y que proporcionan un beneficio significativo a los pacientes por encima de los medicamentos existentes.

La FDA puede otorgar la aprobación acelerada de un medicamento en función de ensayos clínicos que se consideren “adecuados y bien controlados”, y mostrar que el producto tiene un efecto sobre un criterio de valoración indirecto que es razonablemente probable que prediga un beneficio clínico.

La aprobación acelerada también requiere que, tras la aprobación, se realicen estudios adicionales adecuados y bien controlados, llamados ensayos confirmatorios, para verificar y describir el beneficio clínico.

 El aumento de la proteína distrofina en el músculo esquelético de algunos pacientes fue el criterio de valoración indirecto que respaldó la aprobación acelerada de EXONDYS 51.

 La FDA llegó a la conclusión de que un aumento de la distrofina en el músculo esquelético en algunos pacientes tratados con EXONDYS 51 era razonablemente probable que predijera un beneficio clínico.

POSIBLES EFECTOS SECUNDARIOS DE EXONDYS 51

Se han producido reacciones alérgicas, que incluyen sibilancias, dolor torácico, tos, frecuencia cardíaca rápida y urticaria en pacientes tratados con EXONDYS 51. Busque atención médica inmediata si se producen signos y síntomas de reacciones alérgicas.

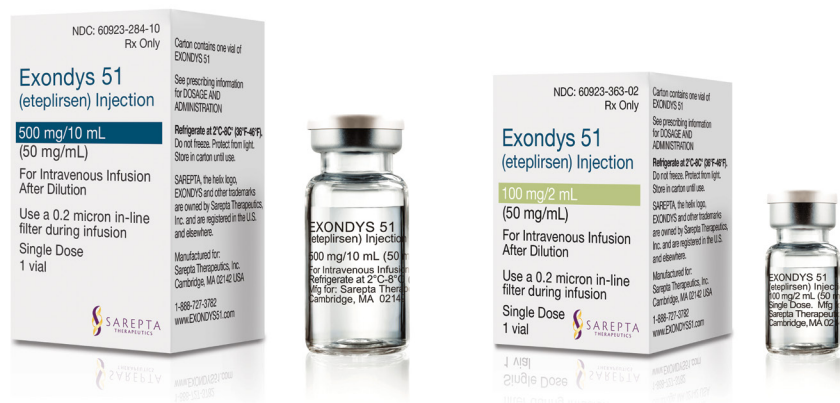
Los efectos secundarios que se produjeron con una frecuencia al menos un 25 % mayor en 8 pacientes tratados con EXONDYS 51 mediante infusión intravenosa que en 4 pacientes que recibieron placebo fueron:

- Problemas de equilibrio (38 %, 0 %)
- Vómitos (38 %, 0 %)
- Irritación cutánea (25 %, 0 %)

Los efectos secundarios más frecuentes fueron problemas de equilibrio y vómitos.

Los efectos secundarios más frecuentes observados en más del 10 % de los pacientes que recibieron EXONDYS 51 (N = 163) en otros ensayos clínicos fueron dolor de cabeza, tos, erupción y vómitos.

Hable con su médico si experimenta algún efecto secundario. 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).



TRATAMIENTO CON EXONDYS 51

A medida que se prepara para comenzar el tratamiento con EXONDYS 51, asegúrese de comentar cualquier pregunta que pueda tener con su médico. Además, la siguiente información le proporcionará respuestas a algunas preguntas frecuentes que pueda tener.



¿Qué es EXONDYS 51?

EXONDYS 51 se utiliza para tratar a pacientes con distrofia muscular de Duchenne (DMD) que tienen una mutación confirmada en el gen de la distrofina, que puede ser tratada mediante la omisión del exón 51. EXONDYS 51 fue aprobado bajo aprobación acelerada. La aprobación acelerada 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 EXONDYS 51 aumentó el marcador, distrofina, en el músculo esquelético en algunos pacientes. La verificación del beneficio clínico puede ser necesaria para que EXONDYS 51 continúe siendo aprobado.



¿Quién puede recibir EXONDYS 51?

Los pacientes que reciban EXONDYS 51 deben someterse a una prueba genética que muestre una mutación en el gen de la distrofina que pueda tratarse mediante la omisión del exón 51. Se necesita un proveedor de atención médica para interpretar su prueba genética para determinar si puede recibir EXONDYS 51.



¿Debo seguir tomando mis otros medicamentos mientras recibo EXONDYS 51?

Debe hablar con su médico sobre todos los medicamentos que esté tomando. Su médico es la mejor persona para aconsejarle sobre sus medicamentos.



¿Cómo se administra EXONDYS 51?

EXONDYS 51 se administra mediante infusión intravenosa (i.v.) una vez a la semana, a través de un filtro de 0.2 micrones en una vía. Una infusión i.v. es una forma de administrar el medicamento directamente en el torrente sanguíneo a través de una vena. Su médico puede comentar el uso de un puerto, que es un dispositivo instalado bajo la piel para su uso repetido en la administración de medicamentos i.v. La infusión de EXONDYS 51 siempre es administrada y supervisada por un proveedor de atención médica.



¿Qué cantidad de EXONDYS 51 recibiré?

La cantidad de EXONDYS 51 que se le administrará se basará en cuánto pesa. La dosis recomendada de EXONDYS 51 es de 30 miligramos por kilogramo de peso corporal, una vez a la semana.



¿Cuánto durará mi infusión?

EXONDYS 51 se administrará mediante infusión intravenosa durante 35-60 minutos.



¿Qué sucede si omito una infusión?

Si se omite una dosis de EXONDYS 51, esta se puede administrar tan pronto como sea posible después del momento programado. Hable con su médico si omite una dosis.



¿Dónde recibiré mi infusión?

Puede recibir sus infusiones en el consultorio de su médico, en un centro de infusión o en su hogar. Es posible que usted y su médico tengan que analizar estas opciones, incluido si la terapia en el hogar es una opción para usted.

PREGUNTAS PARA MI MÉDICO





APOYO, A SU LADO

EL APOYO PERSONALIZADO EMPIEZA AQUÍ.

SareptAssist es un programa de apoyo diseñado para ayudar a los pacientes que buscan información sobre EXONDYS 51 (eteplirsén). Nuestro equipo especializado proporcionará información sobre:

- Beneficios del seguro
- Opciones de asistencia financiera
- Logística del tratamiento
- Opciones de infusiones semanales
- Educación y apoyo continuos

EMPEZAR



Para obtener más información o para inscribirse en el programa, llame al 1-888-SAREPTA (1-888-727-3782) o visite SareptAssist.com.

Los gerentes de casos están disponibles de lunes a viernes, de 8:30 A. M. a 6:30 P. M., hora del este.

Hay disponibles gerentes de casos que hablan español e intérpretes para otros idiomas.

Consulte la Información importante sobre riesgos en la portada y la Información de prescripción de EXONDYS 51 (eteplirsén) completa adjunta.



RECORRIENDO EL PROCESO



Inscripción en SareptAssist

Con su consentimiento y firma, su médico completará y enviará el formulario de INICIO de SareptAssist, lo que dará comienzo al proceso de SareptAssist. El formulario de INICIO autoriza a su gerente de casos a iniciar una investigación de beneficios para comprender sus beneficios actuales del seguro.



Llamada de bienvenida

El gerente de casos dedicado se pondrá en contacto con usted para darle la bienvenida y explicarle cómo pueden ayudar.



Investigación de beneficios

El gerente de casos trabajará con usted para ayudarlo a comprender los beneficios de su seguro y los siguientes pasos. Según el tipo de seguro que tenga y de sus otras circunstancias relevantes, el gerente de casos le proporcionará información sobre las opciones de asistencia financiera para las que podría ser elegible.



Opciones de ubicación para el tratamiento

Puede recibir sus infusiones en el consultorio de su médico, en un centro de infusión o en su hogar. Es posible que usted y su médico tengan que analizar estas opciones, incluido si la terapia en el hogar es una opción para usted.



Inicio de EXONDYS 51

Una vez que se hayan confirmado sus beneficios del seguro, el gerente de casos trabajará estrechamente con la farmacia proveedora (farmacia especializada u hospitalaria) para facilitar el acceso al tratamiento y coordinar la entrega del fármaco a su ubicación de tratamiento. La farmacia lo llamará para programar los envíos de EXONDYS 51.



Apoyo continuo

El gerente de casos se compromete a trabajar con usted durante su recorrido con el tratamiento y se pondrá en contacto con usted periódicamente. A medida que cambien sus necesidades (p. ej., tiene un seguro nuevo, cambia de dirección, está planeando unas vacaciones, etc.), el gerente de casos puede mantenerlo informado de sus opciones para ayudar a evitar interrupciones del tratamiento.



EXONDYS 51

(eteplirsén) Injection

Programa de apoyo al paciente SareptAssist

Gerentes de casos experimentados y dedicados que están aquí para ayudarlo durante su recorrido con el tratamiento.



1-888-SAREPTA (1-888-727-3782)

Visite [SareptAssist.com](https://www.sareptassist.com)

Los gerentes de casos están disponibles de lunes a viernes,
de 8:30 a. m. a 6:30 p. m., hora del este

Hay disponibles gerentes de casos que hablan español e intérpretes para otros idiomas. SareptAssist es un recurso disponible solo para aquellos a quienes se les ha recetado EXONDYS 51. SareptAssist solo está disponible en los EE. UU.

Consulte la Información importante sobre riesgos en la portada y la Información de prescripción de EXONDYS 51 (eteplirsén) completa adjunta.



©2022 Sarepta Therapeutics, Inc. 215 First Street, Cambridge, MA 02142. Todos los derechos reservados.

07/22 C-SRP-51-US-0488

SAREPTA, SAREPTA THERAPEUTICS, el logotipo helicoidal de SAREPTA, SAREPTASSIST, el logotipo de SAREPTASSIST, SUPPORT, BY YOUR SIDE, EXONDYS, EXONDYS 51, y el logotipo de EXONDYS 51 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.