

Conservar las pequeñas cosas que lo son todo

El tratamiento de una sola vez que ayuda a preservar las capacidades cotidianas*



Siga avanzando

* Medido por el impacto en la función motora a lo largo del tiempo (frente a placebo a 1 año y control externo durante 3 años) para la evaluación ambulatoria North Star, el tiempo para levantarse del suelo y el tiempo para caminar/correr 10 metros. Las evaluaciones adicionales a los 3 años se consideran exploratorias. Consulte con su médico para obtener más información.

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.

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



Colton
Recibió
ELEVIDYS
en 2024

¿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)



Elevidys

delandistrogene
moxeparvovec-roki

suspension for intravenous infusion



Jaylen
Recibió ELEVIDYS
en 2019*

El impacto de ELEVIDYS

La única terapia genética aprobada por la FDA

- ✓ Ha demostrado producir **microdistrofina de ELEVIDYS**
- ✓ **Impacto** demostrado **en la función motora**
- ✓ Información de seguridad de **más de 150 participantes en ensayos clínicos**
- ✓ Un **plan de monitoreo** informado por la guía de la FDA y expertos en Duchenne
- ✓ **Asistencia especializada** para cada paso de su proceso del tratamiento

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

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.

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

**Más de
1,000**
familias han dicho
SÍ a ELEVIDYS*

* Incluye ensayos clínicos
en todo el mundo y uso
comercial en los EE. UU.
hasta noviembre de 2025.

Visite [ELEVIDYS.com/connections](https://www.elevidys.com/connections)
para hablar con las familias de ELEVIDYS.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

Infección grave (continuación)

- 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.

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

"Jaxson está andando
en bicicleta; esto me
hizo llorar.
Es agradable llorar
sobre las cosas buenas
y felices".

Angela, cuyo hijo Jaxson
recibió ELEVIDYS

Los resultados
individuales
pueden variar.

"Julius camina 2 cuadras
hasta la parada de
autobús por su cuenta,
eso es un gran logro
para nosotros".

Matthew, cuyo hijo Julius
recibió ELEVIDYS

"Hemos observado que
Jason no se está cayendo
tanto y está muy orgulloso
de sí mismo".

Sylvia, cuyo hijo Jason
recibió ELEVIDYS

ELEVIDYS se estudió en más de 200 personas ambulatorias con diversas mutaciones genéticas

ESTUDIO 1

 **41**
PARTICIPANTES
AMBULATORIOS

 **4-7**
AÑOS

Ensayo controlado con placebo*
Ensayo de 2 partes, cada parte duró 48 semanas

LOS OBJETIVOS PRINCIPALES FUERON MEDIR:

- La microdistrofina de ELEVIDYS
- El impacto en la función motora necesaria para los movimientos cotidianos
- La seguridad

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación) ¿Cuál es la información más importante que debo saber sobre ELEVIDYS? (continuación) 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.

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

ESTUDIO 2 (también llamado "ENDEAVOR")

 **40**
PARTICIPANTES
AMBULATORIOS

 **3-12**
AÑOS

Ensayo abierto†

LOS OBJETIVOS PRINCIPALES FUERON MEDIR:

- La microdistrofina de ELEVIDYS
- La seguridad

ESTUDIO 3 (también llamado "EMBARK")

 **125**
PARTICIPANTES
AMBULATORIOS

 **4-7**
AÑOS

Ensayo controlado con placebo*
Ensayo de 2 partes, cada parte duró 52 semanas

LOS OBJETIVOS PRINCIPALES FUERON MEDIR:

- El impacto en la función motora necesaria para los movimientos cotidianos 1 año después de ELEVIDYS
- La seguridad

EVALUACIONES ADICIONALES:

Se recopilaban evaluaciones adicionales sobre los movimientos cotidianos 3 años después del tratamiento con ELEVIDYS. Estos resultados exploratorios ayudan a los investigadores a conocer ELEVIDYS a lo largo del tiempo. Aunque sugieren tendencias positivas, se necesitan más datos para confirmar el resultado. Consulte con su médico para obtener más información.

Consulte las páginas 12-13 para saber cómo se midió el impacto de ELEVIDYS en los movimientos cotidianos.

* 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.

Los estudios en curso continúan haciendo un seguimiento del impacto de ELEVIDYS a lo largo del tiempo

En personas con Duchenne, la pérdida muscular se debe a la falta de distrofina

Duchenne se debe a un cambio que se produce en el gen de la distrofina antes del nacimiento. **Este cambio impide que el cuerpo produzca distrofina, una proteína necesaria para que los músculos funcionen de forma correcta.**

Sin distrofina, los músculos se dañan de manera irreversible.

Con el tiempo, esto provoca una **pérdida continua de fuerza muscular**, lo que dificulta la marcha y la realización de las actividades cotidianas.



La intervención temprana puede ayudar a ralentizar el daño muscular. Hable con su médico sobre un plan de tratamiento que incluya tratamiento para aumentar la distrofina

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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

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.

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

ELEVIDYS proporciona al cuerpo una nueva versión de distrofina

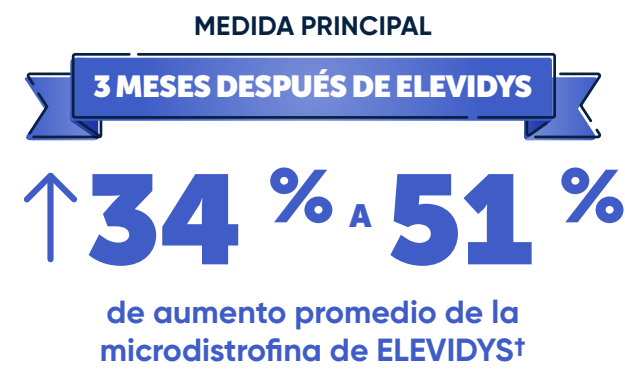
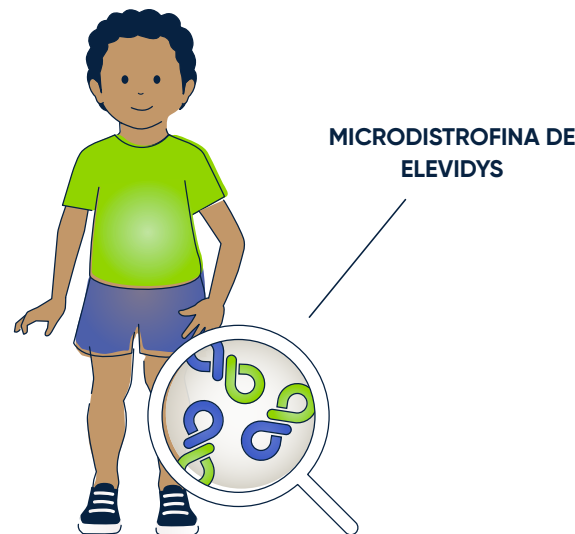
ELEVIDYS le indica al cuerpo que produzca una nueva versión más corta de distrofina, llamada microdistrofina de ELEVIDYS.

Esta nueva versión es similar a la distrofina natural del cuerpo. Aunque no es exactamente igual, ayuda a proteger los músculos del daño.



Para obtener más información sobre cómo funciona ELEVIDYS, [visite ELEVIDYS.com](https://www.elevidys.com)

Ha demostrado producir
microdistrofina de ELEVIDYS



El aumento promedio de la microdistrofina de ELEVIDYS fue **uniforme**

Las personas con Duchenne que no reciben tratamiento generalmente tienen **poca o nada de distrofina**

* Las evaluaciones adicionales se consideran exploratorias. Consulte con su médico para obtener más información.

† Resultados de la parte 1 del estudio 1 (6 participantes), parte 2 del estudio 1 (21 participantes), estudio 2 (40 participantes) y estudio 3 (17 participantes). En el estudio 3, debido a que las personas que recibieron placebo (14 participantes) no recibieron ELEVIDYS, tuvieron 0 % de microdistrofina de ELEVIDYS.

‡ Resultados del estudio 3 (16 participantes).

Max
Recibió ELEVIDYS
en 2020§

Potencie los momentos que
más importan



Duchenne afecta a cada persona de forma diferente.
Los resultados individuales pueden variar.

§ Participante de un ensayo clínico.

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

Reacciones relacionadas con la infusión (continuación)

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



Múltiples herramientas midieron el impacto de ELEVIDYS en los movimientos cotidianos



La **evaluación ambulatoria North Star** (North Star Ambulatory Assessment, NSAA) examina qué tan bien los participantes pueden **realizar los movimientos cotidianos**, incluidas 17 actividades diferentes (que se muestran a continuación). **Cada movimiento se califica en una escala de 0 a 2**, donde 0 significa que la persona no puede completar el movimiento en absoluto, 1 significa que necesita ayuda y 2 significa que puede lograrlo de forma independiente. Estas calificaciones se comprobaron en diferentes momentos durante el estudio para realizar un seguimiento de los cambios a lo largo del tiempo. **Si una calificación aumenta en 1 o 2 puntos, significa que una persona mantuvo o mejoró su capacidad para realizar un movimiento.**



El **tiempo para levantarse** (time to rise, TTR) es una prueba que evalúa la rapidez con la que una persona puede **levantarse de estar acostada boca arriba**.



La prueba de **caminata/carrera de 10 metros** (10-meter walk/run, 10MWR) es una prueba que evalúa la rapidez con la que una persona puede **caminar o correr 10 metros (unos 30 pies)**.

La velocidad de los participantes se midió en puntos temporales específicos a lo largo del estudio. Estas pruebas ayudan a los médicos a predecir cuándo un niño puede perder la capacidad de caminar.

Evaluación de estos resultados

Para comprender el impacto de ELEVIDYS, los investigadores compararon los resultados de las personas que recibieron ELEVIDYS en el estudio 3 ("EMBARK") con otros 2 grupos que no recibieron ELEVIDYS. Todos los participantes tomaban dosis estables de esteroides al inicio del ensayo, independientemente de si recibían o no ELEVIDYS.



Placebo
Estos participantes del estudio 3 ("EMBARK") no recibieron ELEVIDYS. En su lugar, se les administró un placebo, que es un tratamiento que no contiene ningún medicamento real. Los resultados se midieron a 1 año y se compararon con los resultados de las personas que recibieron ELEVIDYS.

Control externo
Estas personas no recibieron ELEVIDYS ni participaron en el estudio 3 ("EMBARK"), pero tenían tanto de Duchenne como características similares (por ejemplo, edad, capacidad física) a las de las personas que lo hicieron. Los resultados se midieron a los 3 años y se compararon con los resultados de las personas que recibieron ELEVIDYS.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación) ¿Cuál es la información más importante que debo saber sobre ELEVIDYS? (continuación) Respuesta inmunitaria que afecta los músculos (miositis inmunomediada)

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

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



Con ELEVIDYS, los participantes obtuvieron una calificación mayor en pruebas que miden los movimientos cotidianos



EVALUACIÓN AMBULATORIA
NORTH STAR (NSAA)

MEDIDA PRINCIPAL

1 AÑO DESPUÉS DE ELEVIDYS

Con ELEVIDYS, las calificaciones de movimiento fueron

0.7 puntos más altas

frente a placebo[†] en niños de 4 a 7 años

La diferencia no fue estadísticamente significativa.

EVALUACIONES ADICIONALES*

3 AÑOS DESPUÉS DE ELEVIDYS

Con ELEVIDYS, las calificaciones de movimiento fueron

4.39 puntos más altas

frente a un control externo[†] en niños de 7 a 10 años

* Las evaluaciones adicionales se consideran exploratorias. Consulte con su médico para obtener más información.

[†] Medido por el cambio promedio en la calificación de NSAA.

Todos los participantes tenían características similares (p. ej., edad, capacidad física) al inicio del estudio y estaban recibiendo dosis estables de esteroides.



Thomas
Recibió ELEVIDYS
en 2022[‡]

[‡] Participante de un ensayo clínico.

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

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.

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

Con ELEVIDYS, los participantes se levantaron del suelo más rápido



TIEMPO PARA LEVANTARSE

1 AÑO DESPUÉS DE ELEVIDYS

MEDIDA PRINCIPAL



con ELEVIDYS frente a placebo† en niños de 4 a 7 años

3 AÑOS DESPUÉS DE ELEVIDYS

EVALUACIONES ADICIONALES*



con ELEVIDYS frente a control externo† en niños de 7 a 10 años

Levantarse del suelo más rápido después del tratamiento sugiere un retraso en el avance de la enfermedad

* Las evaluaciones adicionales se consideran exploratorias. Consulte con su médico para obtener más información.
† Medido por el cambio promedio en el tiempo para levantarse del suelo.
Todos los participantes tenían características similares (p. ej., edad, capacidad física) al inicio del estudio y estaban recibiendo dosis estables de esteroides.



“Aproximadamente un mes después del tratamiento, vi que Carter llegaba a la cima del tobogán en el patio de juegos. Anteriormente necesitaba ayuda para esto, así que me sorprendió”.

Kristen, cuyo hijo Carter recibió ELEVIDYS en 2023‡

Duchenne afecta a cada persona de forma diferente. Los resultados individuales pueden variar.

‡ Participante de un ensayo clínico.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)
¿Quién no debe recibir ELEVIDYS?
Las personas con un determinado tipo de mutación genética, llamada deleción, que afecta a cualquier parte o a todo el exón 8 y/o el exón 9 del gen *DMD*, no deben recibir ELEVIDYS.

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

Con ELEVIDYS, los participantes caminaban o corrían más rápido



CAMINATA/CARRERA DE 10 METROS

1 AÑO DESPUÉS DE ELEVIDYS

MEDIDA PRINCIPAL



con ELEVIDYS
frente a placebo†
en niños de 4 a 7 años

3 AÑOS DESPUÉS DE ELEVIDYS

EVALUACIONES ADICIONALES*



con ELEVIDYS frente
a control externo†
en niños de 7 a 10 años

Caminar/correr más rápido después del tratamiento sugiere un retraso en el avance de la enfermedad

* Las evaluaciones adicionales se consideran exploratorias. Consulte con su médico para obtener más información.

† Medido por el cambio promedio en el tiempo de caminata/carrera de 10 metros.

Todos los participantes tenían características similares (p. ej., edad, capacidad física) al inicio del estudio y estaban recibiendo dosis estables de esteroides.



Andrés
Recibió
ELEVIDYS
en 2019‡

‡ Participante de un ensayo clínico.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación) ¿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.

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

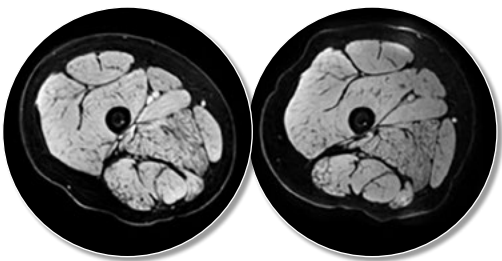
Impacto de ELEVIDYS en la pérdida muscular, medida por la cantidad de grasa en los músculos

En las personas con Duchenne, las células musculares dañadas son reemplazadas por células grasas con el tiempo. Para ayudar a evaluar el impacto de ELEVIDYS, los investigadores midieron el cambio en la grasa dentro de 5 grupos musculares de los brazos y las piernas. Después de 1 año, se compararon los resultados entre las personas que recibieron ELEVIDYS y las que recibieron placebo.

Estas imágenes muestran los resultados de 2 participantes en el ensayo clínico: uno recibió ELEVIDYS y el otro, placebo.

Músculo frente a depósito de grasa medido mediante RM después de 1 año

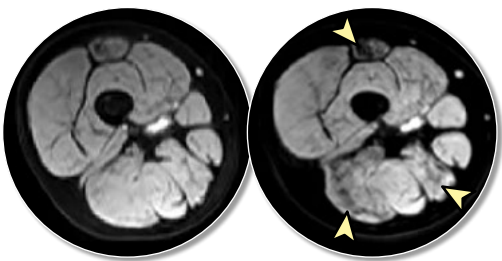
CON ELEVIDYS



INICIO DEL ENSAYO
7.4 %

1 AÑO
6.4 %

CON PLACEBO



INICIO DEL ENSAYO
7.7 %

1 AÑO
10.7 %

ENTENDER ESTOS RESULTADOS

- La resonancia magnética (RM) se utiliza para mostrar la diferencia entre el músculo y la grasa en el cuerpo.
- Las flechas de la imagen de la parte inferior derecha apuntan a nuevos depósitos de grasa en el músculo del muslo después de 1 año.
- Estos resultados adicionales proceden de un grupo más pequeño de participantes en el ensayo. Estos resultados exploratorios ayudan a los investigadores a obtener información sobre ELEVIDYS. Se necesitan más datos para confirmar el resultado. Consulte con su médico para obtener más información.



Colton
Recibió ELEVIDYS
en 2024

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.

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

ELEVIDYS ralentizó el avance de la enfermedad*

En función de múltiples mediciones de los movimientos cotidianos, los resultados muestran:



✓ ELEVIDYS ayudó a las personas a **obtener una calificación *más alta* en las pruebas de los movimientos cotidianos**



✓ ELEVIDYS ayudó a las personas a **levantarse del suelo *más rápido***



✓ ELEVIDYS ayudó a las personas a **caminar/correr *más rápido***

Los resultados se midieron hasta **3 años después del tratamiento**

* Los resultados se evaluaron al cabo de 1 año frente a placebo y a los 3 años frente a control externo. Las evaluaciones adicionales a los 3 años se consideran exploratorias. Consulte con su médico para obtener más información.



“Desde ELEVIDYS, Nathaniel puede mantener mejor el ritmo de sus amigos en la escuela y cuando pasan el rato”.

Carolyn, cuyo hijo Nathaniel recibió ELEVIDYS en 2024

Duchenne afecta a cada persona de forma diferente. Los resultados individuales pueden variar.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación) ¿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.

Consulte la **Información importante de seguridad adicional** 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.



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

Respuesta inmunitaria que afecta los músculos (miositis inmunomediada)

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

Anticuerpos contra ELEVIDYS

- Los pacientes necesitan hacerse análisis de sangre para asegurarse de que no tienen anticuerpos que puedan impedirles recibir ELEVIDYS. Los niveles altos de anticuerpos pueden impedir que el medicamento actúe como se espera.
- El tratamiento con ELEVIDYS no se recomienda para pacientes que tengan anticuerpos altos contra el vector, la parte de la terapia 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 de prescripción completa**, incluido el recuadro de advertencia, y la **Guía del medicamento**.



Su hijo seguirá un plan de monitoreo detallado, informado por la FDA y expertos en Duchenne, después del tratamiento

Austin
Recibió ELEVIDYS
en 2021*

* Participante de un ensayo clínico.

Seguridad medida en más de 150 personas

Los efectos secundarios más frecuentes generalmente ocurren en las primeras 2 semanas e incluyen vómitos (tan pronto como el día de la infusión), náuseas, fiebre y recuento bajo de plaquetas.

Los efectos secundarios adicionales que podrían producirse incluyen:

- **En el primer mes:** inflamación del músculo cardíaco (miocarditis) y niveles más altos de troponina I, una proteína cardíaca que puede indicar daño en las células musculares del corazón.
- **En los primeros 2 meses:** una respuesta inmunitaria que afecta los músculos (conocida como miositis inmunomediada) y lesión hepática.

Se observaron efectos secundarios en el estudio 3 cuando se comparó 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 %
Recuento bajo de plaquetas	3 %	0 %

- La mayoría de los efectos secundarios se produjeron en los 3 meses posteriores al tratamiento con ELEVIDYS y no se han observado nuevos problemas de seguridad 3 años después del tratamiento
- 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, incluido el recuadro de advertencia, y la [Guía del medicamento](#).

Un tratamiento cuidadoso y un proceso de monitoreo informado por la FDA y expertos en Duchenne

ELEVIDYS no se recomienda para aquellos con problemas hepáticos preexistentes, vacunaciones recientes (en las últimas 4 semanas) o infecciones actuales/recientes (en las últimas 4 semanas).

CONFIRMACIÓN DE LA ELEGIBILIDAD

- Necesitará:
 - Una prueba genética
 - Una prueba de anticuerpos específica de ELEVIDYS
 - Pruebas adicionales que su médico pueda considerar importantes
- Es posible que su hijo no sea elegible para ELEVIDYS en función de estos resultados. ELEVIDYS no se puede usar en ninguna persona con una delección total o parcial en el exón 8 o el exón 9 del gen *DMD*.

PREPARACIÓN PARA EL TRATAMIENTO

- Su hijo deberá permanecer cerca de un establecimiento de atención médica adecuado durante al menos 2 meses después del tratamiento. Puede hablar con el médico para encontrar el establecimiento adecuado para este seguimiento continuo.
- Inicie el tratamiento con esteroides orales justo antes de ELEVIDYS para ayudar a reducir la probabilidad de efectos secundarios. Estos son adicionales a los esteroides que su hijo ya pueda recibir.
- Hable con su médico sobre qué esperar del tratamiento en función de su punto de partida. El avance de Duchenne es diferente para cada persona.

DÍA DEL TRATAMIENTO

- 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.

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

DURANTE LOS PRIMEROS 3 MESES

- A su hijo se le realizarán exámenes médicos y análisis de sangre semanales para comprobar:
 - Función hepática (semanalmente durante 3 meses)
 - Recuento de plaquetas (semanalmente durante 2 semanas)
 - Niveles de troponina I (semanalmente durante 1 mes)

Puede ser necesario un monitoreo más prolongado o más frecuente, dependiendo de los resultados de las pruebas de su hijo.

Durante este tiempo, tomar esteroides orales relacionados con el tratamiento ayudará a reducir el riesgo de una respuesta inmunitaria.*

Obtenga más información sobre el proceso del tratamiento en [ELEVIDYS.com](https://www.elevidys.com)

* 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.



Una comunidad de apoyo

El programa **Conexiones con la comunidad de ELEVIDYS (ELEVIDYS Community Connections)** proporciona a las familias que están considerando el tratamiento una oportunidad para conectarse directamente con otros padres cuyos hijos han recibido ELEVIDYS.

- ✓ Escuche de primera mano su experiencia con ELEVIDYS
- ✓ Hágales preguntas
- ✓ Obtenga más información acerca del proceso de tratamiento

Visite [ELEVIDYS.com/connections](https://www.elevidys.com/connections) para conectarse hoy

Sarepta ofrece apoyo a lo largo de todo el proceso del tratamiento

Elegir un tratamiento para Duchenne es una decisión importante que viene con muchas preguntas. Estamos aquí para ayudarle.

Nuestros asistentes de educación para pacientes pueden ayudarle a:

- ✓ Obtener respuestas a preguntas sobre ELEVIDYS
- ✓ Obtener más información sobre qué esperar con el tratamiento
- ✓ Prepararse para hablar con su médico
- ✓ Acceder a recursos útiles

Nuestro equipo de SareptAssist puede ayudarle a:

- ✓ Explorar los beneficios de su seguro
- ✓ Considerar opciones de asistencia financiera
- ✓ Facilitar citas y logística

SareptAssist es un recurso disponible en los EE. UU. solo para aquellos a quienes se les ha recetado ELEVIDYS.

Los asistentes de educación para pacientes (Patient Education Liaisons, PEL) no proporcionan asesoramiento médico y no sustituyen a su equipo médico. Asegúrese siempre de hablar primero con su médico sobre cualquier pregunta sobre su atención médica.

¡Conéctese con un asistente de educación para pacientes hoy mismo!

PatientEducation@Sarepta.com

1-888-848-6374

Mantenga su impulso con ELEVIDYS

Thomas
Recibió ELEVIDYS
en 2022*

- ✓ Ha demostrado producir **microdistrofina de ELEVIDYS**
- ✓ **Impacto** demostrado en la **función motora**
- ✓ El tratamiento con ELEVIDYS **ralentizó el avance de la enfermedad**
- ✓ Información de seguridad de **más de 150 participantes en ensayos clínicos**
- ✓ Un **plan de monitoreo** informado por la guía de la FDA y expertos en Duchenne
- ✓ **Asistencia especializada** para cada paso de su proceso del tratamiento



Una comunidad de

más de 1,000 personas[†]

* Participante de un ensayo clínico.

† Incluye ensayos clínicos en todo el mundo y uso comercial en los EE. UU. hasta noviembre de 2025.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los efectos secundarios más frecuentes 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. 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 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.
08/26 C-GT01-US-0348-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.



Elevidys

delandistrogene
moxeparvovec-rokl
suspension for intravenous infusion