



El único tratamiento sin corticoesteroides indicado para la distrofia muscular de Duchenne en personas a partir de los 6 años, independientemente de su variante genética o capacidad para caminar.*

PROTECCIÓN

DE LA FUERZA Y LA FUNCIÓN DE LOS MÚSCULOS[†]

*El ensayo clínico sobre DUVYZAT no incluyó a personas que no podían caminar por sí solas.

[†]Medido por la prueba de subir 4 escalones en comparación con corticoesteroides solos.



Ryan, ha recibido DUVYZAT durante más de 4 años.

Indicación

¿Qué es DUVYZAT?

DUVYZAT es un medicamento con receta médica que se utiliza para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en personas de 6 años de edad en adelante. Se desconoce si DUVYZAT es seguro y eficaz en niños menores de 6 años de edad.

Información importante de seguridad

¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT?

- **Recuentos bajos de plaquetas en sangre (trombocitopenia).** Las plaquetas son importantes para la coagulación de la sangre, y una disminución de su número puede provocar un aumento del riesgo de hemorragia o hematomas. Su profesional de la salud comprobará su recuento sanguíneo antes de iniciar DUVYZAT y regularmente durante el tratamiento para detectar cualquier signo de trombocitopenia. Llame a su profesional de la salud de inmediato si observa alguna hemorragia inusual o pequeñas manchas rojas o moradas en la piel.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 14 a 15.

Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento en la solapa.

Comprender la distrofia muscular de Duchenne

¿Qué es la distrofia muscular de Duchenne?



La distrofia muscular de Duchenne (a menudo denominada DMD o Duchenne) es un trastorno genético poco frecuente que afecta principalmente a los niños varones. Los síntomas de Duchenne comienzan a aparecer en la primera infancia. Las personas con Duchenne tienen una mutación (o cambio) en un gen específico que causa esta enfermedad. Esto lleva a la falta de distrofina y a la hiperactividad de la histona deacetilasa (HDAC). La distrofina es una proteína que cumple un rol en la fuerza muscular, y las HDAC son una enzima que, cuando está hiperactiva, interfiere en la capacidad del cuerpo para reparar los músculos dañados.



Cuando alguien tiene Duchenne, sus músculos se debilitan con el tiempo. Esto dificulta que puedan caminar, levantar los brazos y realizar tareas diarias. Con el tiempo, las personas con Duchenne pierden la capacidad de caminar. Además de los síntomas físicos, las personas con Duchenne también pueden tener diferencias intelectuales, incluidas dificultades con la atención, la memoria y el aprendizaje.



La distrofia muscular de Duchenne es una afección progresiva, lo que significa que los síntomas empeoran con el tiempo y no pueden revertirse. Por ese motivo, el diagnóstico y la atención tempranos son importantes. Si bien aún no existe una cura, hay opciones de tratamiento disponibles para ayudar a las personas con Duchenne. Algunos tratamientos pueden ayudar a manejar los síntomas, mientras que otros pueden retrasar la progresión de la enfermedad.

El diagnóstico de la distrofia muscular de Duchenne lo antes posible es importante porque el tratamiento temprano puede ayudar a preservar la función muscular.

Información importante de seguridad (cont.)

¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT? (cont.)

- **Aumento de los niveles de grasa (triglicéridos) en la sangre.** Es posible que no tenga ningún síntoma, por lo que su profesional de la salud le hará análisis de sangre antes de comenzar el tratamiento con DUVYZAT y con regularidad durante este para comprobar sus niveles de triglicéridos.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 14 a 15.

2 Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento en la solapa.



“
Se puede superar el miedo que genera el diagnóstico aunque hagamos las cosas de manera muy diferente.
”
— Gisela y Carlos, padres de Naythan, que toma DUVYZAT™ (givinostat) desde hace más de 4 años.

DUVYZAT es un inhibidor de las HDAC

DUVYZAT no es un corticoesteroide y funciona de manera diferente que otros tipos de medicamentos para la enfermedad de Duchenne. Se puede usar para todas las variantes genéticas.



Un análisis más profundo de la inhibición de las HDAC



Cómo deben actuar las HDAC en los músculos sanos

Las histonas deacetilasas (HDAC) son enzimas ubicadas en las células del cuerpo que desempeñan un rol clave en el mantenimiento y la reparación de los músculos. Hacen esto al indicar a las proteínas cómo reparar la fibra muscular.



DUVYZAT y la inhibición de las HDAC

Se cree que DUVYZAT actúa inhibiendo (bloqueando) la hiperactividad de las HDAC. Esto es diferente de cómo actúan otros tipos de medicamentos para ayudar a las personas con distrofia muscular de Duchenne.



Cómo actúan las HDAC en la distrofia muscular de Duchenne

En la distrofia muscular de Duchenne, las enzimas HDAC se tornan hiperactivas. El aumento de la actividad de las HDAC causa inflamación muscular crónica, disminución de la reparación muscular y reemplazo del músculo con grasa y tejido cicatricial.



VEA QUÉ HACE QUE DUVYZAT ACTÚE DE MANERA DIFERENTE A OTROS TIPOS DE MEDICAMENTOS PARA LA Distrofia muscular de Duchenne.

Información importante de seguridad (cont.)

¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT? (cont.)

- **Deposiciones acuosas flojas frecuentes (diarrea) y vómitos.** DUVYZAT puede provocar vómitos y diarrea de moderada a grave. Si se produce diarrea, debe hacer un seguimiento de la frecuencia y la gravedad de sus síntomas de diarrea, beber mucho líquido y ponerse en contacto con su profesional de la salud.



Hable con su proveedor de atención médica sobre DUVYZAT, un medicamento único y sin corticoesteroides para la distrofia muscular de Duchenne.



Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 14 a 15.
Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento en la solapa.

Cómo se estudió DUVYZAT



El ensayo clínico tuvo una duración de 18 meses



Los participantes recibieron corticoesteroides junto con DUVYZAT o placebo

- Durante el ensayo, la dosis de DUVYZAT se determinó según el peso y se redujo en caso de la aparición de ciertos efectos secundarios



El ensayo clínico incluyó 179 participantes* con un amplio rango de variantes genéticas de Duchenne:

- La efectividad de DUVYZAT se estudió en 120 participantes
- La seguridad de DUVYZAT se estudió en 179 participantes

*La mediana de edad fue de 9.8 años, lo que significa que la mitad de los participantes tenían 9.8 años o menos y la otra mitad tenían 9.8 años o más.



Ryan, ha recibido DUVYZAT durante más de 4 años.

Mediciones del estudio



Los investigadores registraron puntos de datos clave que ayudaron a medir cuánto había progresado la distrofia muscular de Duchenne en los participantes que tomaron DUVYZAT en comparación con aquellos que solo estaban tomando corticoesteroides.

MEDICIÓN PRINCIPAL



Prueba de subir 4 escalones

Qué tan rápido podían **subir 4 escalones** los participantes antes y después de 18 meses de usar DUVYZAT y corticoesteroides, en comparación con los corticoesteroides solos



NSAA[†]

Movilidad y **función muscular** de los participantes en varios grupos musculares, según lo medido por la **Evaluación Ambulatoria North Star (NSAA)**



Fuerza muscular

Una **prueba de fuerza muscular** que incluyó qué tan bien los participantes podían flexionar el codo y estirar la rodilla



Tejido graso

Qué **cantidad de grasa** había en el músculo, una medición de pérdida muscular

Información importante de seguridad (cont.)

¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT? (cont.)

- Si no es posible controlar la trombocitopenia, el aumento de triglicéridos o la diarrea, su profesional de la salud puede cambiar su dosis o interrumpir su tratamiento con DUVYZAT, si es necesario.

Consulte la **Información importante de seguridad completa en las páginas 14 a 15.**

6 Consulte la **Información de prescripción completa y la Guía del medicamento en la solapa.**

[†]La NSAA es una prueba que ayuda a los profesionales de la salud a comprender qué tan bien las personas con Duchenne pueden moverse y realizar actividades diarias al observarlos realizar tareas específicas.

DUVYZAT protege contra la progresión de Duchenne

En el ensayo clínico, se evaluó si DUVYZAT más los corticoesteroides fueron más eficaces para preservar la fuerza y la actividad de los músculos que los corticoesteroides solos (placebo).

MEDICIÓN PRINCIPAL



Participantes que toman DUVYZAT

Completaron la subida de 4 escalones 1.78 segundos más rápido que los participantes que tomaron corticoesteroides solos, lo que demuestra una **protección significativa.***

*Esto se midió por el tiempo promedio que los participantes de ambos grupos necesitaron para subir 4 escalones al final de los 18 meses.

Mediciones de protección adicionales

Después de 18 meses, los participantes que recibieron DUVYZAT + corticoesteroides:



- **Mantuvieron las capacidades de la función motora durante más tiempo** en comparación con aquellos que tomaron placebo, según los puntajes de la NSAA
 - Aquellos que tomaron DUVYZAT más corticoesteroides observaron un promedio de 1.91 puntos menos de deterioro en la NSAA que aquellos que tomaron solo placebo



- **Mantuvieron más capacidad** para flexionar el codo o estirar la rodilla, una medición de la fuerza muscular

En este estudio, las personas que recibieron DUVYZAT evidenciaron mejoras en los puntajes de la NSAA y la flexibilidad. Si bien estos resultados son alentadores, este análisis no pudo confirmar que las mejoras fueran el resultado del tratamiento.



DUVYZAT también redujo la cantidad de grasa en el músculo, una medición de pérdida muscular. De manera similar a los puntajes de la NSAA y la flexibilidad muscular, el análisis no pudo demostrar que este resultado se debía al tratamiento.

Posibles efectos secundarios de DUVYZAT



El ensayo clínico sobre DUVYZAT incluyó 179 participantes en el análisis de seguridad. Los efectos secundarios frecuentes se detallan a continuación. Hable con su profesional de la salud sobre cómo controlar mejor los efectos secundarios, en caso de experimentarlos.

Efectos secundarios más frecuentes en el ensayo clínico de fase 3[†]

Diarrea [37 %], dolor abdominal [34 %], niveles bajos de plaquetas [33 %], náuseas/vómitos [32 %], niveles altos de triglicéridos [23 %], temperatura elevada/ fiebre [13 %], dolores musculares [9 %], erupción [9 %], dolor articular [8 %], fatiga [8 %], estreñimiento [7 %] y disminución del apetito [7 %]

En el caso de los pacientes que experimentaron diarrea, generalmente esta se produjo en las primeras semanas de tratamiento. La mayoría de las veces fue leve y controlable. Muy pocas personas tuvieron casos graves. Solo una persona tuvo que interrumpir el tratamiento debido a la diarrea, pero nadie dejó de recibir DUVYZAT por ello

[†]Experimentados por más del 5 % de los participantes en el ensayo clínico.

- Su profesional de la salud lo monitoreará a usted, o a su ser querido, para detectar cambios en los recuentos sanguíneos
- Si se producen efectos secundarios, su profesional de la salud puede ajustar la dosis para ayudar a reducirlos



Hable con su profesional de la salud sobre los posibles efectos secundarios de DUVYZAT.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 14 a 15. Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento en la solapa.

Administración de la dosis dos veces al día

Cómo tomar DUVYZAT



- DUVYZAT es un medicamento líquido que se puede tomar en el hogar, dos veces al día
- La dosis inicial de DUVYZAT se basa en el peso



DUVYZAT puede usarse solo o junto con corticosteroides. Hable con su profesional de la salud sobre DUVYZAT y cualquier otro medicamento que usted, o su ser querido, esté recibiendo. Consulte la Información importante de seguridad completa.

Información importante de seguridad (cont.)

Antes de recibir DUVYZAT, informe a su profesional de la salud de todas sus afecciones médicas, incluido si:

- tiene algún problema cardíaco o si se administra algún medicamento que pudiera aumentar sus posibilidades de ritmo cardíaco irregular.
- tiene algún problema hemorrágico.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 14 a 15.

10 Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento en la solapa.

Establezca una rutina diaria con DUVYZAT

Las bases para cumplir el tratamiento con éxito:



Misma hora (mañana y noche)



Establezca recordatorios para la toma de dosis



¡Coma sin problemas! (se puede ingerir con alimentos)



Tengo un recordatorio en mi teléfono [para recordar tomarlo]...

– Naythan, que ha tomado DUVYZAT durante más de 4 años.



Qué esperar al iniciar DUVYZAT

Antes de iniciar DUVYZAT, su profesional de la salud le hará las siguientes pruebas:



Análisis de laboratorio

Análisis de sangre para verificar los niveles de plaquetas (pequeños fragmentos de células que ayudan a la coagulación de la sangre) y triglicéridos (un tipo de grasa en la sangre).



Prueba cardíaca

Un **electrocardiograma** para aquellos que tengan una afección cardíaca subyacente o que estén recibiendo medicamentos que podrían afectar el ritmo cardíaco.

Una vez que haya comenzado a tomar DUVYZAT, su profesional de la salud monitoreará atentamente su salud mediante análisis de sangre regulares. Esto le permitirá a su equipo de atención médica asegurarse de que DUVYZAT funcione como se espera. Si se producen efectos secundarios, comuníquese con su profesional de la salud.

Información importante de seguridad (cont.)

Informe a su profesional de la salud de todos los medicamentos que reciba, incluidos los medicamentos con receta médica y de venta libre, vitaminas y suplementos a base de hierbas.

Administrarse DUVYZAT junto con otros medicamentos puede afectar a los demás. Administrarse DUVYZAT con otros medicamentos puede causar efectos secundarios serios. No empiece a administrarse ni deje otros medicamentos sin hablar con su profesional de la salud.

Pruebas regulares con DUVYZAT



Análisis de sangre que puede esperar después de comenzar a tomar DUVYZAT:

- Recuento de células sanguíneas [hemograma completo [CBC] + diferencial] para verificar los niveles de diferentes tipos de células en la sangre
- Triglicéridos para controlar el nivel de un tipo de grasa en la sangre

Cronograma de monitoreo												
Mes	1*	2*	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12
Análisis de sangre	●●	●●	●			●			●			●

*Los análisis de sangre se realizan cada 2 semanas durante los primeros 2 meses.



Estas pruebas son más frecuentes al comienzo del tratamiento. Con el tiempo, se tornarán menos frecuentes.



Consulte la **Información importante de seguridad completa** en las páginas 14 a 15. Consulte la **Información de prescripción completa** y la **Guía del medicamento** en la solapa.



Indicación

¿Qué es DUVYZAT?

DUVYZAT es un medicamento con receta médica que se utiliza para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en personas de 6 años de edad en adelante. Se desconoce si DUVYZAT es seguro y eficaz en niños menores de 6 años de edad.

Información importante de seguridad

¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT?

- **Recuentos bajos de plaquetas en sangre (trombocitopenia).** Las plaquetas son importantes para la coagulación de la sangre, y una disminución de su número puede provocar un aumento del riesgo de hemorragia o hematomas. Su profesional de la salud comprobará su recuento sanguíneo antes de iniciar DUVYZAT y regularmente durante el tratamiento para detectar cualquier signo de trombocitopenia. Llame a su profesional de la salud de inmediato si observa alguna hemorragia inusual o pequeñas manchas rojas o moradas en la piel.
- **Aumento de los niveles de grasa (triglicéridos) en la sangre.** Es posible que no tenga ningún síntoma, por lo que su profesional de la salud le hará análisis de sangre antes de comenzar el tratamiento con DUVYZAT y con regularidad durante este para comprobar sus niveles de triglicéridos.
- **Deposiciones acuosas flojas frecuentes (diarrea) y vómitos.** DUVYZAT puede provocar vómitos y diarrea de moderada a grave. Si se produce diarrea, debe hacer un seguimiento de la frecuencia y la gravedad de sus síntomas de diarrea, beber mucho líquido y ponerse en contacto con su profesional de la salud.
- Si no es posible controlar la trombocitopenia, el aumento de triglicéridos o la diarrea, su profesional de la salud puede cambiar su dosis o interrumpir su tratamiento con DUVYZAT, si es necesario.

Antes de recibir DUVYZAT, informe a su profesional de la salud de todas sus afecciones médicas, incluido si:

- tiene algún problema cardíaco o si se administra algún medicamento que pudiera aumentar sus posibilidades de ritmo cardíaco irregular.
- tiene algún problema hemorrágico.

Informe a su profesional de la salud de todos los medicamentos que reciba, incluidos los medicamentos con receta médica y de venta libre, vitaminas y suplementos a base de hierbas.

Administrarse DUVYZAT junto con otros medicamentos puede afectar a los demás. Administrarse DUVYZAT con otros medicamentos puede causar efectos secundarios serios. No empiece a administrarse ni deje otros medicamentos sin hablar con su profesional de la salud.

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de DUVYZAT?

- **DUVYZAT puede causar efectos secundarios serios, incluidos** cambios en la actividad eléctrica del corazón denominados prolongación del intervalo QT. La prolongación del intervalo QT puede aumentar el riesgo de desarrollar un tipo de ritmo cardíaco irregular conocido como Torsades de Pointes. Llame a su profesional de la salud de inmediato si se siente débil, tiene un latido cardíaco irregular, se siente mareado o pierde la consciencia. **Ver la sección titulada “¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT?” para obtener más información sobre los efectos secundarios.**



Los efectos secundarios más frecuentes (que ocurrieron en >5 % de los pacientes tratados con DUVYZAT) fueron diarrea, dolor abdominal, niveles bajos de plaquetas, náuseas/vómitos, niveles altos de triglicéridos, temperatura elevada/ fiebre, dolores musculares, erupción, dolor articular, fatiga, estreñimiento y disminución del apetito.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de DUVYZAT. Para obtener más información, pregunte a su profesional de la salud o farmacéutico.

Llame a su médico para obtener asesoramiento sobre los efectos secundarios. Puede notificar los efectos secundarios a la FDA al 1-800-FDA-1088.

Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento en la solapa.



Apoyo dedicado a través de ITF ARC

ITF ARC ofrece apoyo para usted y su familia. ITF ARC facilita la gestión de la cobertura de seguro, ayuda a abordar inquietudes financieras y fomenta el cumplimiento de la terapia.

Estas son algunas de las formas en que ITF ARC puede ayudarle a acceder a su terapia:



Gestión de su cobertura de seguro:

- Verificación de los beneficios de la cobertura del seguro
- Autorización previa y apoyo para apelaciones, según sea necesario
- Entregas de medicamentos en el hogar o al domicilio preferido



Educación y cumplimiento:

- Apoyo personalizado de un farmacéutico
- Servicios de traducción disponibles, según sea necesario
- Materiales educativos sobre cómo puede ayudar DUVYZAT
- Coordinación entre las familias y los proveedores de atención médica, incluidos recordatorios de renovación de recetas
- Recursos de grupos de apoyo para pacientes

Creemos que todos merecen acceder al tratamiento que necesitan, independientemente de su situación financiera o estado de seguro. Es por eso que ITF ARC proporciona una variedad de opciones de apoyo para abordar las necesidades individuales y garantizar el acceso continuo a la terapia.

ITF ARC ofrece una variedad de opciones de apoyo financiero para pacientes elegibles:



Programa de copagos



Programa de Asistencia al Paciente



Programas de suministro temporal

Comenzar con ITF ARC*

Si usted y su profesional de la salud deciden que DUVYZAT es adecuado para usted, ITF ARC está aquí para ayudarlo.

Para aprovechar al máximo ITF ARC, siga estos consejos:



Como parte del proceso para obtener la receta médica, **pídale a su médico que complete el Formulario de inicio para el paciente** para que lo inscriba en ITF ARC



Proporcione su número de teléfono móvil para facilitar la comunicación y enterarse de actualizaciones importantes



Guarde el número de la farmacia en su teléfono. Dado que la llamada de la farmacia a menudo puede aparecer como un número desconocido, hacer esto puede ayudarlo a asegurarse de responder o devolver las llamadas según sea necesario

Si su proveedor de atención médica lo ha inscrito en ITF ARC y usted no ha recibido novedades sobre su estado en el programa, comuníquese con un administrador de casos de ITF ARC.



Para obtener más información, visite duvyzat.com/ITFARC.



¿Tiene preguntas?
Comuníquese con un administrador de casos de ITF ARC.

1-855-4 ITF ARC (1-855-448-3272) de lunes a viernes de 8 a.m. a 8 p.m., hora del este

*La elegibilidad de cada paciente para los programas de acceso se evalúa caso por caso. Todos los programas están diseñados para cumplir con las reglamentaciones estatales y federales. Todos los programas pueden modificarse o interrumpirse en cualquier momento y por cualquier motivo, incluidos los requisitos de elegibilidad, las leyes estatales y federales, y la disponibilidad del programa.

Se aplican restricciones. Consulte las restricciones completas del Programa de Copagos de ITF Therapeutics, el Programa de Asistencia al Paciente y los programas de suministro temporal en duvyzat.com/support-and-resources/patient-support/.

¿Es DUVYZAT adecuado para usted o su ser querido?

En un ensayo clínico, DUVYZAT más los corticoesteroides fueron más eficaces para preservar la fuerza y la actividad de los músculos que los corticoesteroides solos (placebo).



En la distrofia muscular de Duchenne, cada día importa. Pregunte a su profesional de la salud de qué manera DUVYZAT puede conservar la fuerza y la actividad musculares si usted o su ser querido:



ESCANEE PARA OBTENER MÁS INFORMACIÓN SOBRE DUVYZAT E INSCRÍBASE PARA RECIBIR ACTUALIZACIONES.

Información importante de seguridad (cont.)

Los efectos secundarios más frecuentes (que ocurrieron en >5 % de los pacientes tratados con DUVYZAT) fueron diarrea, dolor abdominal, niveles bajos de plaquetas, náuseas/vómitos, niveles altos de triglicéridos, temperatura elevada/fiebre, dolores musculares, erupción, dolor articular, fatiga, estreñimiento y disminución del apetito.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 14 a 15.

Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento en la solapa.

