




El único tratamiento sin esteroides indicado para la distrofia muscular de Duchenne en personas de 6 años y más, independientemente de su variante genética o habilidad para caminar.*

PROTECTION

DE LA FUERZA Y FUNCIÓN DE LOS MÚSCULOS†

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

† Según se midió por la prueba para subir 4 escalones en comparación con las personas que solo tomaron esteroides.



Ryan, en tratamiento con DUVYZAT desde hace más de 5 años.

Más de 2000 personas con distrofia muscular de Duchenne han sido tratadas con DUVYZAT.‡

‡ Incluye pacientes de todo el mundo (participantes de EE. UU. y la UE).

Indicación

¿Qué es DUVYZAT?

DUVYZAT es un medicamento recetado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en personas de 6 años de edad y más. Se desconoce si DUVYZAT es seguro y eficaz en niños menores de 6 años.

Información importante de seguridad

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

- **Bajos recuentos de plaquetas en la sangre (trombocitopenia).** Las plaquetas son importantes para la coagulación sanguínea, por lo que tener una menor cantidad puede aumentar el riesgo de hemorragia o hematomas. El médico verificará su recuento sanguíneo antes de comenzar el tratamiento con DUVYZAT y de manera periódica durante el tratamiento para detectar signos de trombocitopenia. Llame a su médico de inmediato si observa sangrado poco habitual o pequeñas manchas rojas o moradas en la piel.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21.

Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.

Comprender la distrofia muscular de Duchenne

¿Qué es Duchenne?



La distrofia muscular de Duchenne (a menudo llamada DMD o Duchenne) es un trastorno genético poco frecuente que afecta principalmente a los varones. Los síntomas de Duchenne comienzan a aparecer en la primera infancia. Las personas con Duchenne tienen una mutación (o alteración) en un gen específico que provoca la enfermedad. Esto provoca una falta de distrofina y una hiperactividad de la histona deacetilasa (HDAC). La distrofina es una proteína que interviene en la fuerza muscular y la HDAC es una enzima que, cuando se vuelve hiperactiva, interfiere en la capacidad del cuerpo para reparar el músculo dañado.



Cuando una persona tiene Duchenne, sus músculos se debilitan con el tiempo. Esto hace que sea más difícil caminar, levantar los brazos y llevar a cabo actividades cotidianas. Eventualmente, las personas con Duchenne pierden la capacidad para caminar. Además de los síntomas físicos, las personas con Duchenne también pueden tener diferencias intelectuales, entre ellas, dificultades relacionadas con la atención, la memoria y el aprendizaje.



La distrofia muscular de Duchenne es una enfermedad progresiva, de modo que el diagnóstico y la atención tempranos son importantes. Si bien actualmente no existe una cura, hay opciones de tratamiento disponibles para ayudar a las personas con Duchenne. Algunos tratamientos pueden ayudar a controlar los síntomas, mientras que otros pueden retrasar la progresión de la enfermedad.

Diagnosticar la enfermedad lo antes posible es importante, ya que el tratamiento temprano puede ayudar a preservar la función muscular.

Información importante de seguridad (continuación)

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

- **Niveles elevados de grasa (triglicéridos) en la sangre.** Es posible que no presente ningún síntoma, por lo que su médico hará análisis de sangre antes de que comience a tomar DUVYZAT y regularmente durante el tratamiento para controlar sus niveles de triglicéridos.
- **Diarrea (heces líquidas frecuentes) y vómitos.** DUVYZAT puede causar vómitos y diarrea de moderada a grave. Si presenta diarrea, debe llevar un registro de la frecuencia y gravedad de sus síntomas, beber abundantes líquidos y comunicarse con su médico.



Hemos podido superar nuestros temores sobre el diagnóstico, aunque estamos haciendo las cosas de una manera muy diferente.

— Gisela y Carlos, padres de Naythan, en tratamiento con DUVYZAT™ (givinostat) desde hace más de 5 años.

Naythan, en tratamiento con DUVYZAT desde hace más de 5 años.

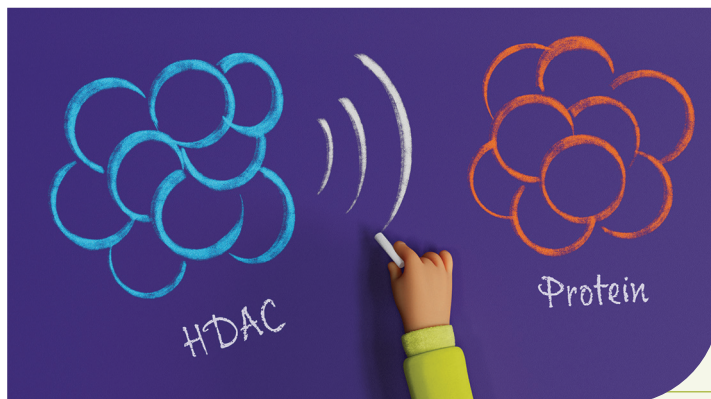
Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21. Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.

DUVYZAT es un inhibidor de la HDAC

DUVYZAT no es un esteroide y actúa de manera diferente a otros tipos de medicamentos para la distrofia muscular de Duchenne. Puede usarse para todas las variantes genéticas.



Más información sobre la inhibición de la HDAC



Cómo debería funcionar la HDAC en el músculo sano

Las HDAC son enzimas presentes en las células del cuerpo que desempeñan un papel clave en el mantenimiento y la reparación de los músculos. Para ello, les indican a las proteínas cómo reparar la fibra muscular.



Cómo funciona la HDAC en la distrofia muscular de Duchenne

En la distrofia muscular de Duchenne, las enzimas de la HDAC se vuelven hiperactivas. El aumento en la actividad de la HDAC provoca inflamación muscular crónica, disminución en la reparación muscular y reemplazo del músculo por tejido graso y cicatricial.

Información importante de seguridad (continuación)

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

- Si la trombocitopenia, el aumento de triglicéridos o la diarrea no pueden controlarse, es posible que su médico cambie la dosis o suspenda el tratamiento con DUVYZAT, si es necesario.

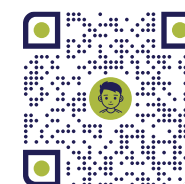
Antes de tomar DUVYZAT, informe a su médico sobre todas sus afecciones médicas, incluidas las siguientes:

- Problemas cardíacos o medicamentos que toma que pudieran incrementar su posibilidad de desarrollar ritmos cardíacos irregulares.
- Problemas de sangrado.



DUVYZAT y la inhibición de la HDAC

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



DESCUBRA QUÉ HACE QUE DUVYZAT SEA DIFERENTE DE OTROS MEDICAMENTOS PARA DUCHENNE.



Hable con su profesional de la salud sobre DUVYZAT, un medicamento único no esteroideo para la distrofia muscular de Duchenne.



Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21.
Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.

Cómo se estudió DUVYZAT

En el ensayo clínico se midió si DUVYZAT + esteroides preservó de manera más eficaz la fuerza y función de los músculos que los esteroides solos (placebo).



El ensayo duró 18 meses.



Los participantes recibieron esteroides junto con DUVYZAT o placebo.

- Durante el ensayo, la dosis de DUVYZAT se basó en el peso y se redujo si aparecían ciertos efectos secundarios.



El ensayo clínico incluyó a 179 participantes* con una amplia gama de variantes genéticas de Duchenne:

- La eficacia 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 implica que la mitad de los participantes tenían menos de 9.8 años, y la otra mitad tenían 9.8 años o más.

Información importante de seguridad (continuación)

Informe a su médico sobre todos los medicamentos que toma, incluidos los medicamentos recetados y de venta libre, las vitaminas y los suplementos herbales.

Tomar DUVYZAT en combinación con ciertos otros medicamentos pueden afectarse entre sí. Tomar DUVYZAT en combinación con otros medicamentos puede provocar efectos secundarios graves. No comience ni deje de tomar otros medicamentos sin hablar con su médico.

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de DUVYZAT?

- **DUVYZAT puede provocar efectos secundarios graves, incluidos** cambios en la actividad eléctrica del corazón, conocidos como 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 (taquicardia ventricular polimórfica). Llame a su médico de inmediato si siente que va a desmayarse, tiene un ritmo cardíaco irregular, siente mareos o pierde el conocimiento. **Consulte la sección titulada "¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT?" para obtener más información sobre los efectos secundarios.**



Ryan, en tratamiento con DUVYZAT desde hace más de 5 años, con un amigo de la familia.

Medidas del estudio

Los investigadores registraron datos clave que sirvieron para medir la progresión de Duchenne en los participantes que tomaron DUVYZAT en comparación con aquellos que solo tomaron esteroides.



MEDIDA PRINCIPAL



Prueba para subir 4 escalones

La rapidez con la que los participantes podían **subir 4 escalones** antes y después de 18 meses de tomar DUVYZAT y esteroides en comparación con quienes solo tomaron esteroides.



NSAA

La **movilidad y función muscular** de los participantes en varios grupos musculares, medida mediante la **North Star Ambulatory Assessment (Evaluación Ambulatoria North Star, NSAA)**, una prueba que mide qué tan bien pueden moverse y realizar actividades diarias las personas con Duchenne.



Fuerza muscular

Una **prueba de fuerza muscular** que incluyó la capacidad de los participantes para flexionar el codo y extender la rodilla, medida con un pequeño dispositivo manual llamado miómetro.



Tejido graso

Medición de la cantidad de grasa en los músculos de la parte superior de la pierna para comprender la pérdida muscular. Esto se evaluó mediante espectroscopia por resonancia magnética (MRS), una prueba de imagen.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21. Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.

MEDIDA PRINCIPAL



Los participantes que toman DUVYZAT

**subieron 4 escalones
1.78 segundos más rápido**

que los participantes que tomaban solo esteroides, **lo que demuestra una protección significativa.***

* Esto se midió según el tiempo promedio que tardaron los participantes en ambos grupos en subir 4 escalones al final de los 18 meses.



Ethan, en tratamiento con DUVYZAT desde hace más de 5 años.

Información importante de seguridad (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de DUVYZAT? (continuación)

Los efectos secundarios más frecuentes (que se presentan en >5 % de los pacientes tratados con DUVYZAT) incluyeron diarrea, dolor abdominal, niveles bajos de plaquetas, náuseas/vómitos, niveles elevados de triglicéridos, temperatura alta/fiebre, dolores musculares, sarpullido, dolor articular, fatiga, estreñimiento y disminución del apetito.

Estos no son todos los efectos secundarios posibles de DUVYZAT. Para obtener más información, consulte a su médico o farmacéutico.

Llame a su médico para obtener asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar efectos secundarios a la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) llamando al 1-800-FDA-1088.

Medidas adicionales de protección

Después de 18 meses, los participantes que tomaban DUVYZAT + esteroides lograron lo siguiente:



Mantuvieron una mayor capacidad para flexionar el codo o extender la rodilla, una medida de fuerza muscular.



Mantuvieron la función motora durante más tiempo en comparación con aquellos que tomaron placebo, según las puntuaciones de la NSAA.

- La NSAA es una prueba de 17 ítems que analiza los movimientos diarios, como la habilidad para levantarse del suelo, caminar, subir escaleras, mantener el equilibrio y saltar.
- Aquellos que tomaron DUVYZAT + esteroides obtuvieron un promedio de 1.91 puntos menos de deterioro en la NSAA en comparación con aquellos que solo tomaron esteroides.



DUVYZAT también redujo la cantidad de grasa en los músculos, una medida de pérdida muscular.

- Aquellos que tomaron DUVYZAT + esteroides presentaron un 30 % menos de acumulación de grasa nueva en los músculos en comparación con aquellos que tomaron esteroides solamente.



Los investigadores usan estadísticas para determinar si las mejoras se deben en verdad a un tratamiento o si pudieron haber ocurrido por casualidad. En este caso, aunque los resultados parecían positivos, el análisis no pudo confirmar que la diferencia se debiera únicamente al tratamiento.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21.

Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.

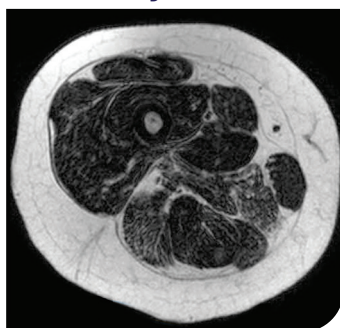
DUVYZAT redujo la cantidad de grasa nueva en el músculo

En otro análisis de seguimiento del ensayo clínico (es decir, que no fue una de las principales medidas planificadas al comienzo del estudio), los investigadores observaron a personas de manera individual para conocer la cantidad de grasa nueva había en el músculo. Las imágenes a continuación representan los resultados de 2 personas del estudio después de 18 meses. Estos resultados pueden no ser iguales para todos.

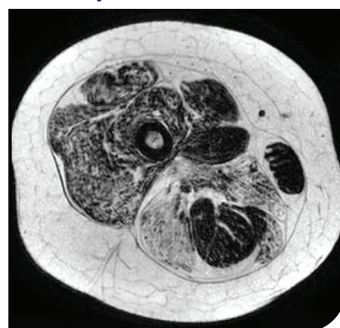
Cómo leer estas imágenes:

- Las imágenes por MRS pueden mostrar la diferencia entre el músculo y la grasa en el cuerpo.
- Al tomar imágenes de los mismos pacientes con 18 meses de diferencia, los investigadores pueden hacer un seguimiento de la cantidad de grasa nueva que se acumula en los músculos.
- Las áreas más oscuras de las imágenes representan el tejido muscular y las áreas blancas representan la grasa.

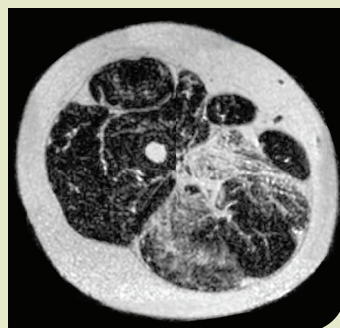
Al comienzo del ensayo clínico



Después de 18 meses



Paciente que tomaba solo esteroides



Paciente que tomaba DUVYZAT + esteroides

Posibles efectos secundarios de DUVYZAT



El ensayo clínico de DUVYZAT incluyó a 179 participantes en el análisis de seguridad. Los efectos secundarios frecuentes se mencionan a continuación. Hable con su profesional de la salud sobre cómo manejar mejor los efectos secundarios, si se presentan.

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 elevados de triglicéridos [23 %], temperatura alta/ fiebre [13 %], dolores musculares [9 %], sarpullido [9 %], dolor articular [8 %], fatiga [8 %], estreñimiento [7 %] y disminución del apetito [7 %]

En el caso de los pacientes que tuvieron diarrea, por lo general apareció en las primeras semanas del tratamiento. La mayor parte del tiempo, fue leve y manejable. Muy pocas personas presentaron casos graves. Solo una persona necesitó interrumpir temporalmente el tratamiento debido a la diarrea, pero nadie dejó de tomar DUVYZAT por ello.

* Observados en más del 5 % de los participantes en el ensayo clínico.

- Su profesional de la salud controlará sus recuentos sanguíneos o los de su ser querido para detectar cambios.
- Si aparecen efectos secundarios, el proveedor 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 20 y 21.
Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.

Estudio a largo plazo confirma los resultados del ensayo clínico de DUVYZAT

Después del ensayo clínico inicial, los investigadores han continuado el seguimiento de los participantes del estudio. Este estudio todavía está en curso, pero la información que se muestra incluye resultados obtenidos entre octubre de 2017 y diciembre de 2021.

El estudio a largo plazo incluyó a 194 participantes con Duchenne, todos de 6 años o más.



Todos los participantes estuvieron en tratamiento con DUVYZAT + esteroides durante más de 18 meses.

MEDIDA PRINCIPAL

Resultados de seguridad a largo plazo con DUVYZAT

La medida principal del estudio a largo plazo fue comprender mejor la seguridad de DUVYZAT durante un período prolongado.



Los efectos secundarios en el estudio a largo plazo fueron similares a los del ensayo clínico anterior.



El 87 % de los participantes tuvo efectos secundarios; la mayoría fueron de intensidad leve o moderada.



Se produjeron efectos secundarios graves en el 12 % de los participantes, aunque ninguno fue mortal ni puso en peligro la vida.



Algunos participantes del estudio a largo plazo tomaron DUVYZAT + esteroides por hasta 8 años debido a su participación en ensayos clínicos previos.



Información importante de seguridad

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

- **Recuento bajo de plaquetas en la sangre (trombocitopenia).** Las plaquetas son importantes para la coagulación sanguínea, por lo que tener menos plaquetas puede aumentar el riesgo de hemorragia o hematomas. Su médico controlará su recuento sanguíneo antes de iniciar DUVYZAT y regularmente durante el tratamiento para detectar signos de trombocitopenia. Llame a su médico de inmediato si observa sangrado poco habitual o pequeñas manchas rojas o moradas en la piel.
- **Niveles elevados de grasa (triglicéridos) en la sangre.** Es posible que no presente ningún síntoma, por lo que su médico hará análisis de sangre antes de que comience a tomar DUVYZAT y regularmente durante el tratamiento para controlar sus niveles de triglicéridos.

Continuación de las observaciones con DUVYZAT



En el estudio en curso, los investigadores también analizaron durante cuánto tiempo los participantes que recibían DUVYZAT + esteroides podrían mantener su fuerza muscular y su capacidad para caminar. Estos resultados se compararon con la información de personas con Duchenne que recibieron tratamiento con esteroides, pero que no recibieron DUVYZAT.

Los resultados indican que los participantes que toman DUVYZAT + esteroides pueden mantener lo siguiente:

Habilidad para caminar por **2.9 años más***



Habilidad para levantarse del suelo por **2.0 años más***



Habilidad para subir 4 escalones por **3.3 años más***



* En comparación con las personas que no tomaron DUVYZAT, pero que sí recibían esteroides. Estos resultados reflejan la mediana (punto medio) de tiempo adicional que los participantes pudieron conservar sus habilidades.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21.
Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.

Dosificación dos veces al día

¿Cómo tomar DUVYZAT?



- DUVYZAT es un medicamento líquido que puede tomarse en casa, dos veces al día.
- La dosis de inicio de DUVYZAT se basa en el peso.



DUVYZAT puede usarse por sí solo o junto con esteroides. Hable con su profesional de la salud sobre DUVYZAT y otros medicamentos que usted o su ser querido está tomando. Consulte la Información importante de seguridad.

Información importante de seguridad (continuación)

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

- **Diarrea (heces líquidas frecuentes) y vómitos.** DUVYZAT puede causar vómitos y diarrea de moderada a grave. Si presenta diarrea, debe llevar un registro de la frecuencia y gravedad de sus síntomas, beber abundantes líquidos y comunicarse con su médico.
- Si la trombocitopenia, el aumento de triglicéridos o la diarrea no pueden controlarse, es posible que su médico cambie la dosis o suspenda el tratamiento con DUVYZAT, si es necesario.

Establezca una rutina diaria con DUVYZAT

Tres claves para el éxito:



A la **misma** hora (mañana y noche)



Establezca **recordatorios** para la dosis



Puede tomarse con **alimentos**




“
Tengo un recordatorio en mi teléfono [para recordar tomarlo]...
– Naythan, en tratamiento con DUVYZAT desde hace más de 5 años.
”

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21. Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.


Qué esperar cuando comienza a tomar DUVYZAT

Antes de comenzar el tratamiento con DUVYZAT, su profesional de la salud hará lo siguiente:



Análisis de laboratorio

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



Prueba cardíaca

Un **electrocardiograma** para aquellos que tienen una afección cardíaca subyacente o que toman medicamentos que podrían afectar el ritmo cardíaco.

Información importante de seguridad (continuación)

Antes de tomar DUVYZAT, informe a su médico sobre todas sus afecciones médicas, incluidas las siguientes:

- Problemas cardíacos o medicamentos que toma que pudieran incrementar su posibilidad de desarrollar ritmos cardíacos irregulares.
- Problemas de sangrado.

Informe a su médico sobre todos los medicamentos que toma, incluidos los medicamentos recetados y de venta libre, las vitaminas y los suplementos herbales.

Tomar DUVYZAT en combinación con ciertos otros medicamentos pueden afectarse entre sí. Tomar DUVYZAT en combinación con otros medicamentos puede provocar efectos secundarios graves. No comience ni deje de tomar otros medicamentos sin hablar con su médico.

Controles periódicos con DUVYZAT



Una vez que haya comenzado a tomar DUVYZAT, su profesional de la salud controlará de cerca su salud mediante análisis de sangre periódicos. Esto le permitirá a su equipo de atención médica asegurarse de que DUVYZAT funciona según lo esperado. Según los resultados de estas pruebas, o si presenta ciertos efectos secundarios, su profesional de la salud puede ajustar la dosis de DUVYZAT.

Análisis de sangre que puede esperar recibir después de iniciar el tratamiento con DUVYZAT:

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

Frecuencia de los controles												
Month	1*	2*	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12+
Blood test	•	•	•			•			•			•

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



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



Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21. Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.

Asistencia dedicada a través de ITF ARC

ITF ARC está disponible para usted y su familia. ITF ARC ayuda a facilitar la orientación sobre la cobertura del seguro, a abordar las preocupaciones económicas y apoya el cumplimiento del tratamiento.

Estas son algunas de las formas en las que ITF ARC puede ayudarlo durante el tratamiento:



Orientación sobre el seguro

- Verificación de los beneficios del seguro.
- Autorización previa y asistencia para apelaciones, según sea necesario.
- Entregas de medicamentos a domicilio o a la dirección de preferencia.



Educación y cumplimiento

- Orientación personalizada de farmacéuticos.
- Servicios de traducción disponibles, según sea necesario.
- Materiales educativos sobre cómo DUVYZAT puede ayudar.
- Coordinación entre familias y proveedores de atención médica, incluso recordatorios de resurtido.
- Recursos de grupos de apoyo para pacientes.



Asistencia económica

- Programa de copago.
- Programa de asistencia al paciente.
- Programas de suministro temporal.

Creemos que todos merecen tener acceso al tratamiento que necesitan, sin importar su situación económica o estado de seguro. Por eso, ITF ARC ofrece una variedad de opciones de asistencia para abordar las necesidades individuales y asegurar el acceso continuo al tratamiento.

Cómo comenzar con ITF ARC*

Si usted o su profesional de la salud decide que DUVYZAT es una opción adecuada para usted, ITF ARC está disponible para ayudarlo.



Para aprovechar al máximo ITF ARC, siga estos consejos:



Como parte del proceso de prescripción, **pida a su médico que complete el Formulario de inicio del paciente** para inscribirse en ITF ARC.



Proporcione su número móvil para facilitar la comunicación y recibir actualizaciones importantes.



Guarde el número de la farmacia en su teléfono. Dado que las llamadas de las farmacias a menudo aparecen como números desconocidos, esto puede ayudarlo a asegurarse de responder o devolver las llamadas según sea necesario.

Si su profesional de la salud lo inscribió en ITF ARC y usted no ha recibido información sobre el estado, comuníquese con un gestor de casos de ITF ARC.



¿Tiene preguntas sobre ITF ARC o el estado de su inscripción? Comuníquese con un administrador de casos de ITF ARC.

1-855-4 ITF ARC [1-855-448-3272],
de 8:00 A. M. a 8:00 P. M., hora del este,
de lunes a viernes



PARA OBTENER MÁS INFORMACIÓN, VISITE DUVYZAT.COM

* Se aplican restricciones. Consulte las restricciones completas del Programa de copagos de ITF Therapeutics, el Programa de asistencia al paciente y los programas de suministros temporales en duvyzat.com/support-and-resources/patient-support/.

Indicación

¿Qué es DUVYZAT?

DUVYZAT es un medicamento recetado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en personas de 6 años y más.

Información importante de seguridad

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

- **Recuento bajo de plaquetas en la sangre (trombocitopenia).** Las plaquetas son importantes para la coagulación sanguínea, por lo que tener menos plaquetas puede aumentar el riesgo de hemorragia o hematomas. Su médico controlará su recuento sanguíneo antes de iniciar DUVYZAT y regularmente durante el tratamiento para detectar signos de trombocitopenia. Llame a su médico de inmediato si observa sangrado poco habitual o pequeñas manchas rojas o moradas en la piel.
- **Niveles elevados de grasa (triglicéridos) en la sangre.** Es posible que no presente ningún síntoma, por lo que su médico hará análisis de sangre antes de que comience a tomar DUVYZAT y regularmente durante el tratamiento para controlar sus niveles de triglicéridos.
- **Diarrea (heces líquidas frecuentes) y vómitos.** DUVYZAT puede causar vómitos y diarrea de moderada a grave. Si presenta diarrea, debe llevar un registro de la frecuencia y gravedad de sus síntomas, beber abundantes líquidos y comunicarse con su médico.
- Si la trombocitopenia, el aumento de triglicéridos o la diarrea no pueden controlarse, es posible que su médico cambie la dosis o suspenda el tratamiento con DUVYZAT, si es necesario.

Antes de tomar DUVYZAT, informe a su médico sobre todas sus afecciones médicas, incluidas las siguientes:

- Problemas cardíacos o medicamentos que toma que pudieran incrementar su posibilidad de desarrollar ritmos cardíacos irregulares.
- Problemas de sangrado.

Informe a su médico sobre todos los medicamentos que toma, incluidos los medicamentos recetados y de venta libre, las vitaminas y los suplementos herbales.

Tomar DUVYZAT en combinación con ciertos otros medicamentos pueden afectarse entre sí. Tomar DUVYZAT en combinación con otros medicamentos puede provocar efectos secundarios graves. No comience ni deje de tomar otros medicamentos sin hablar con su médico.

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de DUVYZAT?

- **DUVYZAT puede provocar efectos secundarios graves, incluidos** cambios en la actividad eléctrica del corazón, conocidos como 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 [taquicardia ventricular polimórfica]. Llame a su médico de inmediato si siente que va a desmayarse, tiene un ritmo cardíaco irregular, siente mareos o pierde el conocimiento. **Consulte 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 se presentan en >5 % de los pacientes tratados con DUVYZAT) incluyeron diarrea, dolor abdominal, niveles bajos de plaquetas, náuseas/vómitos, niveles elevados de triglicéridos, temperatura alta/ fiebre, dolores musculares, sarpullido, dolor articular, fatiga, estreñimiento y disminución del apetito.

Estos no son todos los efectos secundarios posibles de DUVYZAT. Para obtener más información, consulte a su médico o farmacéutico.

Llame a su médico para obtener asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar efectos secundarios a la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) llamando al 1-800-FDA-1088.

Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.



Ethan, en tratamiento con DUVYZAT desde hace más de 5 años.

¿DUVYZAT es la opción adecuada para usted o su ser querido?

En un ensayo clínico, DUVYZAT + esteroides preservó de manera más eficaz la fuerza y función de los músculos que los esteroides solos (placebo).



En la distrofia muscular de Duchenne, cada día marca una diferencia. Consulte a su profesional de la salud sobre cómo DUVYZAT puede preservar la fuerza y función de los músculos si usted o su ser querido cumple con lo siguiente:



REGÍSTRESE PARA LOS PRÓXIMOS EVENTOS CON PERSONAS QUE VIVEN CON DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE Y TOMAN DUVYZAT.

Información importante de seguridad (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de DUVYZAT? (continuación)

Los efectos secundarios más frecuentes (que se presentan en >5 % de los pacientes tratados con DUVYZAT) incluyeron diarrea, dolor abdominal, niveles bajos de plaquetas, náuseas/vómitos, niveles elevados de triglicéridos, temperatura alta/fiebre, dolores musculares, sarpullido, dolor articular, fatiga, estreñimiento y disminución del apetito.

Consulte la Información importante de seguridad completa en las páginas 20 y 21.

Consulte la Información de prescripción completa y la Guía del medicamento incluidas en el bolsillo.