



Nuestro equipo en ITF Therapeutics LLC se complace mucho en compartir con usted la emocionante noticia de que la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA) ha aprobado DUVYZAT para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes a partir de los 6 años de edad. Entendemos que posiblemente tenga muchas preguntas y hemos preparado una lista de preguntas frecuentes a continuación a fin de brindarle más detalles sobre DUVYZAT. Para obtener información adicional, visite [DUVYZAT.com](https://duvyzat.com) o hable con su proveedor de atención médica.

1. ¿Qué es DUVYZAT y cuál es el estado de aprobación regulatoria en los EE. UU.?

DUVYZAT es un medicamento recetado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes a partir de los 6 años de edad. Se trata de un inhibidor de la histona desacetilasa (HDAC). Fue aprobado por la FDA de los EE. UU. el 21 de marzo de 2024. Puede encontrar más información sobre qué es DUVYZAT y cómo funciona en la Guía del medicamento para el paciente en [DUVYZAT.com](https://duvyzat.com).

2. ¿Quién es elegible para recibir tratamiento con DUVYZAT?

DUVYZAT está indicado en los EE. UU. para pacientes con DMD a partir de los 6 años de edad. La DMD es una enfermedad genética, lo que significa que es causada por cambios o mutaciones en los genes. La DMD puede estar causada por diferentes tipos de mutaciones genéticas. Los proveedores de atención médica pueden recetar DUVYZAT independientemente de la mutación.

Para obtener más información sobre la elegibilidad para el tratamiento con DUVYZAT, hable con su proveedor de atención médica.

3. ¿Es posible que los pacientes accedan a DUVYZAT ahora?

Desde que recibimos la aprobación de la FDA en marzo, ITF Therapeutics ha estado trabajando para completar todos los pasos necesarios para que DUVYZAT esté disponible a los pacientes apropiados en los EE. UU. Anunciamos el lanzamiento comercial de DUVYZAT en junio de 2024. Para conocer más detalles, consulte nuestro comunicado de prensa en itftherapeutics.com.

Puede inscribirse para recibir actualizaciones adicionales sobre DUVYZAT en [DUVYZAT.com](https://duvyzat.com).

4. ¿Podrán los pacientes que reciben DUVYZAT como parte de un ensayo clínico seguir teniendo acceso al tratamiento?

ITF Therapeutics se compromete a trabajar con los participantes de nuestros ensayos clínicos para garantizar que no experimenten ninguna brecha en el tratamiento con DUVYZAT. Estamos coordinando con los centros de los ensayos clínicos para asegurarnos de que se brinde el apoyo debido a los participantes que realicen la transición del producto clínico disponible en nuestros ensayos al producto disponible comercialmente.

5. ¿Cuál es el plan de distribución para DUVYZAT?

DUVYZAT será distribuido por nuestro proveedor de farmacia de especialidad exclusivo, PantheRx® Rare. PantheRx se especializa en apoyar a los pacientes con enfermedades poco frecuentes. Dado que la DMD ocurre raramente y teniendo en cuenta la complejidad del proceso de reembolso, vemos ventajas importantes en que los pacientes, cuidadores y médicos clínicos trabajen con una única farmacia de especialidad y personalizada a fin de administrar el caso de este proceso y satisfacer las necesidades de la comunidad.

6. ¿Habrá algún servicio para apoyar el acceso a DUVYZAT?

Como reflejo de nuestro compromiso de que el tratamiento con DUVYZAT esté disponible para la mayor cantidad posible de pacientes apropiados en los EE. UU., brindaremos a los pacientes elegibles un conjunto integral de recursos a través de nuestro programa de servicios para pacientes: ITF ARC. Esto incluye apoyo para ayudar a los pacientes y su familia a sortear los desafíos del seguro, apoyo farmacéutico personalizado, asistencia financiera para pacientes elegibles, materiales educativos y otros recursos.

Para obtener más información sobre nuestros servicios de apoyo a pacientes, visite DUVYZAT.com o comuníquese con ITF ARC al 1-855-4 ITF ARC [1-855-448-3272].

7. ¿Ofrecerá ITF un programa de medicamentos gratis para DUVYZAT?

Estamos comprometidos con hacer que el tratamiento con DUVYZAT esté disponible para la mayor cantidad posible de pacientes apropiados en los EE. UU. mediante el trabajo con los pagadores para posibilitar el acceso. Además, ofrecemos una serie de programas para ayudar a los pacientes a acceder al tratamiento mientras los aseguradores completan sus evaluaciones. Estos son:

- Un programa de ayuda para copagos para los pacientes con seguro privado, en el que los pacientes pueden pagar incluso \$0
- Un programa de suministro temporal que brinda un suministro limitado de DUVYZAT para ayudar a garantizar el inicio oportuno de los pacientes apropiados que enfrenten retrasos relacionados con el seguro
- Un programa puente para los pacientes que actualmente reciben terapia y que pueden estar cambiando de proveedor de seguro y, de lo contrario, tendrían una brecha en el tratamiento
- Un programa de asistencia al paciente que proporciona DUVYZAT sin costo a pacientes elegibles, según criterios establecidos

Para obtener más información sobre nuestros servicios de apoyo a pacientes, visite DUVYZAT.com o comuníquese con ITF ARC al 1-855-4 ITF ARC [1-855-448-3272].

8. ¿Qué opciones están disponibles a los pacientes que no pueden costear DUVYZAT?

Entendemos que es posible que los pacientes enfrenten costos de bolsillo en situaciones en las que la cobertura del seguro es insuficiente. Como reflejo de nuestro compromiso de que el tratamiento con DUVYZAT esté disponible para la mayor cantidad posible de pacientes apropiados en los EE. UU., hemos creado un conjunto de programas para abordar posibles inquietudes financieras, por ejemplo:

- Un programa de ayuda para copagos para los pacientes con seguro privado, en el que los pacientes pueden pagar incluso \$0
- Un programa de suministro temporal que brinda un suministro limitado de DUVYZAT para ayudar a garantizar el inicio oportuno de los pacientes apropiados que enfrenten retrasos relacionados con el seguro
- Un programa puente para los pacientes que actualmente reciben terapia y que pueden estar cambiando de seguro y, de lo contrario, tendrían una brecha en el tratamiento
- Un programa de asistencia al paciente que proporciona DUVYZAT sin costo a pacientes elegibles, según criterios establecidos

Para obtener más información sobre nuestros servicios de apoyo a pacientes, visite DUVYZAT.com o comuníquese con ITF ARC al 1-855-4 ITF ARC [1-855-448-3272].

9. ¿Estará disponible DUVYZAT para pacientes con distrofia muscular de Becker?

DUVYZAT es un inhibidor de la histona deacetilasa (HDAC) indicado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes a partir de 6 años de edad. Reconocemos las necesidades médicas no satisfechas de las personas que viven con distrofia muscular de Becker (BMD) y sus familias. Nuestro programa para la BMD está en las etapas tempranas de desarrollo clínico.

10. ¿Quién es ITF Therapeutics?

ITF Therapeutics es la división de enfermedades poco frecuentes con sede en los EE. UU. de Italfarmaco S.p.A. Fundada en 1938 en Milán, Italia, Italfarmaco es una empresa farmacéutica mundial privada que ha liderado el desarrollo exitoso de muchos productos terapéuticos innovadores aprobados para el uso por pacientes de todo el mundo. La empresa opera en más de 90 países en 5 continentes y sigue promoviendo investigaciones prometedoras a fin de abordar necesidades médicas no satisfechas en una amplia gama de áreas terapéuticas.

En enero de 2024, Italfarmaco lanzó ITF Therapeutics como su nueva división en los Estados Unidos con un enfoque en el desarrollo y la comercialización de productos para tratar enfermedades poco frecuentes, como la DMD. Continuando con un legado basado en la colaboración y la innovación, ITF Therapeutics procura asociarse con líderes de las comunidades de tratamiento y defensoría de pacientes en los EE. UU. a fin de asegurarse de que nuestros programas reflejen y apoyen sus necesidades y objetivos únicos. La creación de ITF Therapeutics es también un reflejo del objetivo de Italfarmaco de formar un equipo de expertos de primer nivel que compartan la pasión por producir un impacto positivo en las comunidades de las enfermedades poco frecuentes. Para obtener más información sobre ITF Therapeutics, visite itftherapeutics.com.

Indicaciones e información de seguridad importante

¿Qué es DUVYZAT?

DUVYZAT es un medicamento recetado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes a partir de los seis años de edad.

Se desconoce si DUVYZAT es seguro y efectivo en niños menores de seis años.

Información de seguridad importante

¿Qué es lo más importante que debo saber sobre DUVYZAT?

- **Bajo recuento de plaquetas en la sangre (trombocitopenia).** Las plaquetas son importantes para la coagulación sanguínea, y una disminución en el recuento puede incrementar el riesgo de hemorragia o hematomas. Su proveedor de atención de la salud verificará su recuento en la sangre antes de que comience a tomar DUVYZAT y de manera regular durante el tratamiento, a fin de detectar cualquier signo de trombocitopenia. Comuníquese con su proveedor de atención de la salud de inmediato si observa sangrado inusual o manchas pequeñas de color rojo o morado en la piel, llamadas petequias. Su proveedor de atención de la salud puede modificar la dosis de DUVYZAT si el recuento de plaquetas sigue siendo bajo, o incluso interrumpir el tratamiento con DUVYZAT.
- **Incremento de los niveles de lípidos (triglicéridos) en la sangre.** Tal vez no tenga síntomas, por lo que su proveedor de atención de la salud podrá hacer pruebas antes de que comience a tomar DUVYZAT y de manera regular durante el tratamiento para controlar los niveles de triglicéridos. Su proveedor de atención de la salud puede modificar la dosis de DUVYZAT si los niveles de triglicéridos siguen altos, o incluso interrumpir el tratamiento con DUVYZAT.

Preguntas frecuentes sobre DUVYZAT



- **Heces blandas y acuosas (diarrea) y vómitos.** DUVYZAT puede provocar vómitos y diarrea de moderada a grave. En caso de diarrea, deberá controlar la frecuencia y gravedad de los síntomas, mantenerse hidratado y comunicarse con su proveedor de atención de la salud. Su proveedor de atención de la salud podrá cambiar la dosis de DUVYZAT en caso de no poder manejar la diarrea o si esta persiste. Su proveedor de atención de la salud también podrá interrumpir el tratamiento con DUVYZAT.

Antes de tomar DUVYZAT, informe a su proveedor de atención de la salud sobre todas sus afecciones médicas, incluso:

- si tiene problemas cardíacos o toma medicamentos que puedan aumentar las posibilidades de arritmia.
- padece sangrados.

Informe a su proveedor de atención de la salud 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 otros medicamentos puede alterar el efecto farmacológico. Tomar DUVYZAT en combinación con otros medicamentos puede provocar efectos colaterales graves. No inicie ni interrumpa el tratamiento con otros medicamentos sin consultar a su proveedor de atención de la salud.

DUVYZAT puede provocar efectos colaterales graves, incluso:

- **Consulte “¿Qué es lo más importante que debo saber sobre DUVYZAT?”**
- **Cambios en la actividad eléctrica cardíaca llamado síndrome de QT largo.** Un QT largo puede incrementar el riesgo de desarrollar un ritmo cardíaco irregular conocido como Torsades de Pointes. Llame a su proveedor de atención de la salud de inmediato si siente debilidad, ritmo cardíaco irregular, mareos o pierde la consciencia.

Los efectos colaterales más comunes de DUVYZAT incluyen diarrea, náuseas, vómitos, dolor de estómago, recuento bajo de plaquetas en sangre, incremento del nivel de lípidos en sangre y fiebre.

Esta no es una lista exhaustiva de todos los posibles efectos colaterales de DUVYZAT. Para obtener más información, consulte a su proveedor de atención de la salud o farmacéutico.

Llame a su médico para obtener asesoramiento sobre los efectos colaterales. Puede informar los efectos colaterales a la FDA llamando al 1-800-FDA-1088.

Consulte la [Información de prescripción completa](#) y la [Guía del medicamento](#).



© 2024 ITF THERAPEUTICS. TODOS LOS DERECHOS RESERVADOS.
DUVYZAT es una marca comercial registrada de Italfarmaco S.p.A.
DUV-US-0007 v2.0 Junio de 2024