

Nuestro equipo de ITF Therapeutics LLC se complace en compartir con usted las emocionantes noticias de que la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) de los Estados Unidos ha aprobado el DUVYZAT<sup>TM</sup> (givinostat) para el tratamiento de pacientes de 6 años de edad en adelante con distrofia muscular de Duchenne (DMD). Entendemos que puede tener muchas preguntas en este momento, por lo que hemos preparado la lista de preguntas frecuentes que aparece a continuación para proporcionar más detalles sobre DUVYZAT. Para obtener más información, visite [DUVYZAT.com](https://duvyzat.com) o hable con su médico.

## 1. ¿Qué es DUVYZAT y cuál es su estado de aprobación reglamentaria en EE. UU.?

DUVYZAT es un medicamento con receta médica para la DMD en pacientes de 6 años de edad en adelante. Es un inhibidor de la histona deacetilasa (HDAC). Fue aprobado por la FDA de los EE. UU. el 21 de marzo de 2024. Puede encontrar más información sobre lo que es DUVYZAT y cómo funciona en la Guía del medicamento para el paciente en [DUVYZAT.com](https://duvyzat.com).

## 2. ¿Quién es elegible para el tratamiento con DUVYZAT?

DUVYZAT está destinado a pacientes de EE. UU. con DMD de 6 años de edad en adelante. La DMD es una enfermedad genética, lo que significa que está causada por cambios o mutaciones en los genes. La DMD puede ser causada por diferentes tipos de mutaciones genéticas. Los médicos pueden recetar DUVYZAT independientemente de la mutación.

Para obtener más información sobre la elegibilidad para el tratamiento con DUVYZAT, hable con su médico.

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

Nuestro equipo ha estado trabajando para que DUVYZAT esté disponible lo antes posible. Tenemos previsto que esté disponible para los pacientes en el tercer trimestre de 2024. Mientras tanto, estamos trabajando para asegurarnos de que los programas y el apoyo logístico estén listos para servir a los pacientes con DMD, sus familias y médicos.

Compartiremos actualizaciones sobre la disponibilidad de DUVYZAT en EE. UU. en [DUVYZAT.com](https://duvyzat.com).

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

Nos comprometemos a trabajar con pacientes de ensayos clínicos para asegurarnos de que pueden seguir recibiendo DUVYZAT. Trabajaremos con centros de ensayos clínicos para ayudar a los pacientes a pasar al medicamento disponible comercialmente. Los pacientes del ensayo clínico y los cuidadores que deseen más información deben hablar con los representantes de su centro de atención.

## 5. ¿Cuánto costará DUVYZAT?

Aún no se ha determinado el costo comercial de DUVYZAT. Sin embargo, nuestro equipo está comprometido a poner DUVYZAT a disposición de los pacientes correspondientes con DMD en EE. UU. lo antes posible. Compartiremos actualizaciones sobre DUVYZAT en EE. UU. en [DUVYZAT.com](https://duvyzat.com).

## 6. ¿Se implementará un programa de asistencia al paciente para apoyar el acceso a DUVYZAT?

Ofreceremos una gama de servicios para apoyar el acceso a DUVYZAT. Estamos en el proceso de recopilar opiniones de la comunidad de DMD para asegurarnos de que los programas y servicios que desarrollamos satisfagan las necesidades de los pacientes y sus familias.

Compartiremos más información sobre estos programas y servicios en [DUVYZAT.com](https://duvyzat.com). También compartiremos actualizaciones directamente con los grupos defensores del paciente que atienden a la comunidad de DMD.

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

Reconocemos las importantes necesidades médicas no satisfechas de las personas que viven con distrofia muscular de Becker (DMB) y sus familias. El desarrollo clínico de la DMB se encuentra en las etapas iniciales. Su médico es el mejor recurso para usted en este momento.

## 8. ¿Qué es ITF Therapeutics?

ITF Therapeutics es la división de enfermedades raras con sede en EE. UU. de Italfarmaco S.p.A. Fundada en 1938 en Milán, Italia, Italfarmaco es una empresa farmacéutica privada internacional que ha liderado el éxito del desarrollo de muchos medicamentos terapéuticos innovadores aprobados para su uso por pacientes de todo el mundo. La empresa opera en más de 60 países de 5 continentes y continúa haciendo avanzar investigaciones prometedoras para abordar necesidades médicas no cubiertas en una amplia gama de áreas terapéuticas.

En enero de 2024, Italfarmaco lanzó ITF Therapeutics como una nueva división en Estados Unidos, centrándose en el desarrollo y la comercialización de medicamentos para tratar enfermedades raras, incluida la DMD. Aprovechando un legado basado en la colaboración y la innovación, ITF Therapeutics se esfuerza por asociarse con líderes de las comunidades de tratamiento y defensa del paciente de EE. UU. para garantizar que nuestros programas reflejen y respalden sus necesidades y objetivos únicos. El establecimiento de ITF Therapeutics también refleja el objetivo de Italfarmaco de crear un equipo de expertos de primera clase que compartan una pasión por causar un impacto positivo en las comunidades de enfermedades raras. Para obtener más información sobre ITF Therapeutics, visite [itftherapeutics.com](https://itftherapeutics.com).

## Indicación e Información importante de seguridad

### ¿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 llamadas petequias. Su profesional de la salud puede cambiarle la dosis de DUVYZAT si sus recuentos de plaquetas siguen siendo bajos; o puede interrumpir su tratamiento con DUVYZAT.

- **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. Su profesional de la salud puede cambiarle la dosis de DUVYZAT si sus niveles de triglicéridos continúan siendo altos; o puede interrumpir su tratamiento con DUVYZAT.
- **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. Su profesional de la salud puede cambiarle la dosis de DUVYZAT si la diarrea no se puede tratar o no desaparece. Su profesional de la salud también puede interrumpir su tratamiento con DUVYZAT.

**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.

**DUVYZAT puede causar efectos secundarios serios, incluidos:**

- **Ver “¿Cuál es la información más importante que debo conocer sobre DUVYZAT?”**
- **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.

Los efectos secundarios más frecuentes de DUVYZAT fueron diarrea, náuseas, vómitos, dolor de estómago, recuento bajo de plaquetas en sangre, aumento del nivel de grasa en sangre y fiebre.

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](#).