

itvisma®
(onasemnogene abeparvovec-brve)
suspension for intrathecal injection

IMAGINE SU VIDA CON UNA SOLA DOSIS

La única terapia de reemplazo genético de una sola vez para niños mayores de 2 años, adolescentes y adultos con AME

Se requieren análisis de laboratorio y la administración de corticosteroides orales antes y después de la inyección.

AME: atrofia muscular espinal.

¿Qué es ITVISMA?

ITVISMA es una terapia génica recetada que se usa para tratar a adultos y niños mayores de 2 años con atrofia muscular espinal (AME). ITVISMA se administra como una inyección intratecal única.

Consulte la Información de Seguridad Importante adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).

¿Cuál es la información de seguridad más importante que debo saber sobre ITVISMA?

- ITVISMA puede aumentar los niveles de enzimas hepáticas y causar hepatotoxicidad.
- Los pacientes recibirán un medicamento corticosteroide oral antes y después de la inyección de ITVISMA y se someterán a análisis de sangre regulares para monitorear la función hepática.
- Los pacientes y cuidadores deben comunicarse de inmediato con el médico del paciente si la piel o el blanco de los ojos se tornan amarillentos, si el paciente omite una dosis del corticosteroide o la vomita, o si presenta una disminución del estado de alerta.

Andrew C., 22 años
Estudiante y periodista deportivo
que vive con AME

Andrew no ha recibido ITVISMA. Las personas mostradas en la imagen recibieron compensación por su tiempo.

IMAGINE

LO QUE PUEDE HACER UNA DOSIS

ITVISMA es un tratamiento para la AME*:



- ✗ Sin recargas
- ✗ Sin inyecciones recurrentes
- ✗ Sin volver a emitir autorizaciones continuas
- ✓ Una dosis diseñada para actuar de forma permanente

¿Qué podría significar para usted un tratamiento de una sola dosis?

AME: atrofia muscular espinal.

* Los corticosteroides son necesarios antes y después del tratamiento y se administran por vía oral (lo que puede requerir recargas y reautorizaciones) o por inyección si los corticosteroides orales no se toleran o no son eficaces. Consulte a su médico.

¿A qué debo prestar atención antes y después de la inyección con ITVISMA?

- Las infecciones antes o después de la inyección de ITVISMA pueden provocar complicaciones más graves. Los pacientes, cuidadores y contactos cercanos deben seguir los procedimientos de prevención de infecciones. Los pacientes y cuidadores deben comunicarse de inmediato con el médico si el paciente presenta signos de una posible infección, como tos, silbidos al respirar, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.

Consulte las **Indicaciones y la Información de Seguridad Importante** adicional en la [página 11](#) y la **Información de Prescripción Completa**.

itvisma®
(onasemnogene abeparvovec-brve)
suspension for intrathecal injection



“Quiero ayudar a las personas a entender que pueden hacer mucho, sin importar cuál sea su diagnóstico”.

– **Scarlette R.**,
estudiante de 17 años
que vive con AME

Scarlette no ha recibido ITVISMA y recibió compensación por su tiempo.

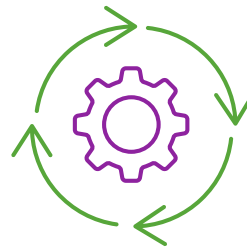
FUNCIONA ITVISMA

ITVISMA de una sola administración proporciona un gen *SMN1* nuevo y funcional

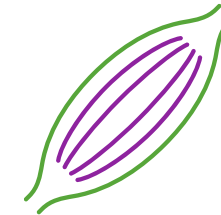
ITVISMA® (onasemnogene abeparvovec-brve) es una **terapia de reemplazo génico** que administra un gen de la *neurona motora de supervivencia 1 (SMN1)* nuevo y funcional para reemplazar la función del gen *SMN1* ausente o no funcional en el organismo con una sola dosis. **Así es como funciona:**



El **nuevo gen *SMN1* funcional** se coloca dentro de un vehículo de entrega llamado vector.



Este vector administra el gen nuevo y funcional a las neuronas motoras, lo que permite la **producción continua** de la proteína de la neurona motora de supervivencia (SMN).



Al administrar este gen nuevo y funcional, ITVISMA puede **detener la pérdida progresiva de neuronas motoras**, que son esenciales para la función muscular.

ITVISMA está diseñado para actuar de manera continua y aumentar la cantidad de proteína SMN.

¿A qué debo estar atento antes y después de la inyección con ITVISMA? (cont.)

- Puede presentarse una disminución del recuento de plaquetas después de la inyección con ITVISMA. Busque atención médica inmediata si el paciente presenta sangrado o hematomas inesperados.

- Se ha producido neuropatía sensitiva periférica con la administración de ITVISMA. Los pacientes y cuidadores deben comunicarse con el médico del paciente de inmediato si el paciente experimenta entumecimiento, hormigueo, picazón o dolor en los brazos, manos, piernas o pies.

Consulte las Indicaciones y la Información de Seguridad Importante adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).

CADA PUNTO CUENTA

Se demostró que una sola dosis detuvo la progresión de la AME y mejoró la función motora en personas sin tratamiento previo.

La eficacia se basó en el cambio desde el valor de referencia en las puntuaciones de la Escala Funcional Motora de Hammersmith ampliada (HFMSE) y del Módulo Revisado de Extremidad Superior (RULM) en el período de ~1 año.

El estudio principal que evaluó ITVISMA se denominó estudio STEER. El objetivo de este estudio fue establecer la eficacia y la seguridad de ITVISMA en personas con AME de 2 a <18 años de edad que nunca habían recibido tratamiento para la AME.



¿Quiénes participaron en el estudio?

126 personas participaron en el estudio.

A 75 de estos participantes se les administró ITVISMA, y 51 formaron parte de un grupo de control simulado (lo que significa que no se administró ningún medicamento).

Los 126 participantes eran capaces de sentarse, pero nunca habían podido caminar de manera independiente.

Andrew vive con AME y no ha recibido ITVISMA. Fue compensado por su tiempo.
AME: atrofia muscular espinal.

¿A qué debo estar atento antes y después de la inyección con ITVISMA? (cont.)

- Disminución del recuento de plaquetas y glóbulos rojos, cambios renales repentinos y aumento de hematomas o sangrado, que podrían ser signos de microangiopatía trombótica (TMA). Los pacientes y cuidadores deben buscar atención médica inmediata si el paciente experimenta hematomas o sangrado inesperados, convulsiones o disminución de la producción de orina.

- Existe un riesgo teórico de desarrollo de tumores con terapias génicas como ITVISMA. Los pacientes y cuidadores deben comunicarse con el médico del paciente y con Novartis Gene Therapies, Inc. al 1-833-828-3947 si aparece un tumor.

Consulte las Indicaciones y la Información de Seguridad Importante adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).



El estudio principal: STEER

Se demostró que una sola dosis detuvo la progresión de la AME y mejoró la función motora

Resultados en personas sin tratamiento previo:



Las personas tratadas con ITVISMA presentaron una **mejoría de 2.39 puntos en su puntuación de función motora**, medida mediante la HFMSE, en comparación con una mejoría de 0.51 puntos en el grupo control simulado, lo que **puede representar un aumento clínicamente significativo en el período de ~1 año**.

Resultado secundario del estudio STEER:

No se pueden sacar conclusiones a partir de los siguientes datos. Se presentan únicamente con fines observacionales. Estos criterios de valoración no alcanzaron significación estadística según lo definido en el estudio.

- **Las personas también presentaron un aumento de 2.44 puntos en su puntuación RULM**, una escala utilizada para medir la fuerza y la función de manos y brazos, en comparación con un cambio de 0.92 puntos en el grupo control simulado en el período de ~1 año.

[Obtenga más información sobre las escalas de calificación HFMSE y RULM y los resultados con ITVISMA.](#)

HFMSE: Escala Funcional Motora de Hammersmith ampliada; RULM: Módulo Revisado de Extremidad Superior; AME: atrofia muscular espinal.

¿Qué debo saber sobre las vacunas e ITVISMA?

- Los pacientes y cuidadores deben consultar al médico del paciente sobre las vacunas y el ITVISMA.
- Los pacientes y cuidadores deben hablar con el médico del paciente para determinar si es necesario realizar ajustes en el calendario de vacunación del paciente durante el uso de corticosteroides.

Consulte las **Indicaciones y la Información de Seguridad Importante adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).**

Scarlette vive con AME y no ha recibido ITVISMA. Recibió compensación por su tiempo.

El estudio de apoyo: STRENGTH

Resultados en personas que cambiaron de tratamiento

El estudio de apoyo, denominado STRENGTH, fue un estudio abierto sin grupo comparador. Esto significa que todos los participantes recibieron ITVISMA y tanto los participantes como los médicos sabían qué tratamiento se estaba administrando. Los resultados de este tipo de estudio pueden verse influenciados por las expectativas de los pacientes y los médicos. No se pueden sacar conclusiones a partir de los siguientes datos.

El objetivo de este estudio fue establecer la seguridad y la eficacia de ITVISMA en personas con AME de 2 a <18 años de edad que habían recibido previamente otros tratamientos para la AME. La eficacia fue un criterio de valoración secundario del estudio.

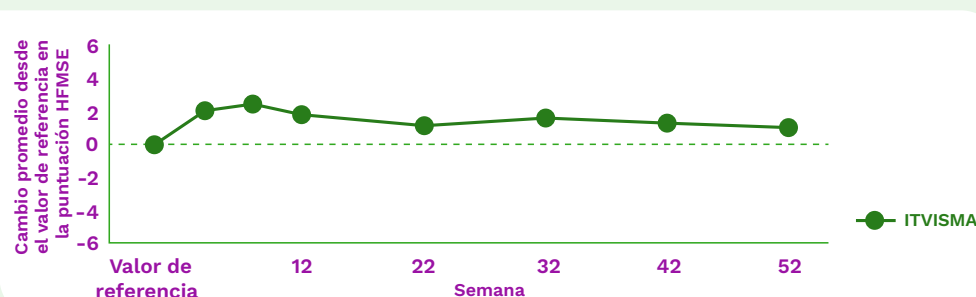


¿Quiénes participaron en el estudio?

Los 27 participantes pudieron sentarse, pero no pudieron caminar de forma independiente. Los participantes habían recibido previamente SPINRAZA® (nusinersen) o EVRYSDI® (risdiplam) y suspendieron esos tratamientos.

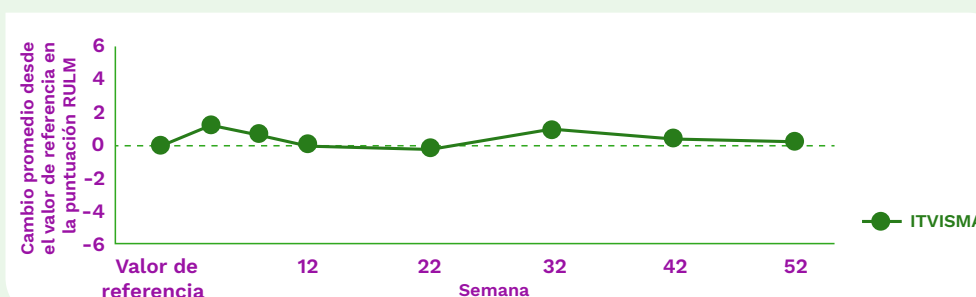
Cambio en las puntuaciones HFMSE y RULM

Cambio en la función motora
desde el inicio hasta el final del estudio (1 año)*



El cambio en la función motora se midió mediante las puntuaciones HFMSE, que evaluaron la capacidad de las personas para realizar actividades como sentarse, rodar y gatear.

Cambios en la función de manos y brazos
desde el inicio hasta el final del estudio (1 año)*



El cambio en la función de manos y brazos se midió mediante las puntuaciones RULM, que evaluaron la capacidad de las personas para realizar actividades como tomar objetos, colocarlos en lugares y presionar botones.

HFMSE: Escala Funcional Motora de Hammersmith ampliada; RULM: Módulo Revisado de Extremidad Superior; AME: atrofia muscular espinal.

* El estudio STRENGTH evaluó el cambio en las puntuaciones HFMSE y RULM al año.

EVRYSDI® es una marca registrada de Genentech USA, Inc.

SPINRAZA® es una marca registrada de Biogen.

¿Qué debo saber sobre las vacunas e ITVISMA? (cont.)

• Se recomienda la protección contra la gripe y el virus respiratorio sincitial (VRS), y el estado de vacunación debe estar actualizado antes de la administración de ITVISMA.

Consulte las **Indicaciones** y la **Información de Seguridad Importante** adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).

VER EL

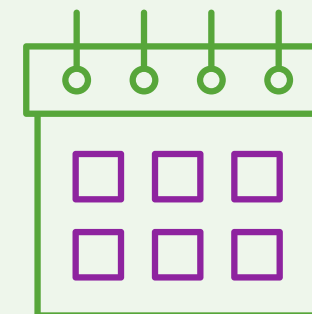
PERFIL DE SEGURIDAD

El perfil de seguridad de ITVISMA se evaluó tanto en personas nuevas al tratamiento como en personas que suspendieron un tratamiento previo.*

En 2 estudios clínicos, ITVISMA se evaluó en 153 personas que vivían con atrofia muscular espinal (AME). En el momento de la administración, las edades oscilaban entre los 2 y los <18 años.

- Las reacciones adversas más frecuentes en el estudio principal, observadas en $\geq 2\%$ de las personas o más comúnmente con ITVISMA que con el grupo control simulado, fueron infección del tracto de las vías respiratorias superiores, fiebre, síntomas digestivos, aumento de enzimas hepáticas, dolor de cabeza, mareos, dolor en las extremidades, recuento bajo de plaquetas y alteraciones sensoriales.
- Cuando se evaluó la seguridad en personas que cambiaron a ITVISMA desde SPINRAZA® (nusinersen) o EVRYSDI® (risdiplam), no se identificaron eventos de seguridad adicionales en comparación con el estudio principal. Pueden presentarse otros efectos secundarios.

Las personas pueden experimentar efectos secundarios con ITVISMA. Inicie una conversación con su equipo de atención médica para obtener más información sobre el perfil de seguridad de ITVISMA y si puede ser adecuado para usted.



Después de recibir su dosis, su médico lo monitoreará de cerca.†

* Los datos de seguridad descritos en esta sección incluyen ITVISMA en 2 estudios clínicos: STEER, un estudio aleatorizado con control simulado, que evaluó la seguridad de ITVISMA en 126 pacientes con AME, y STRENGTH, un estudio abierto de un solo grupo, que evaluó la seguridad de ITVISMA en 27 pacientes con AME que habían sido tratados previamente con nusinersen (con un período de lavado de al menos 4 meses) o con risdiplam (con un período de reposo farmacológico de al menos 15 días).

† Las personas con AME deben continuar consultando a su neurólogo y a otros especialistas según sea necesario. EVRYSDI® es una marca registrada de Genentech USA, Inc. SPINRAZA® es una marca registrada de Biogen.

¿Qué debo saber sobre la anticoncepción y la donación de óvulos o espermatozoides e ITVISMA?

- Las mujeres con capacidad de concebir deben usar un método anticonceptivo eficaz y abstenerse de donar óvulos durante 6 meses después de la inyección de ITVISMA.

- Los hombres con capacidad de engendrar deben usar un método anticonceptivo de barrera y abstenerse de donar espermatozoides durante 3 meses después de la inyección de ITVISMA.

Consulte las Indicaciones y la Información de Seguridad Importante adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).

SU TRATAMIENTO

DE DOSIS ÚNICA COMIENZA AQUÍ

Estos son los siguientes pasos que debe seguir para ayudar a que el proceso de tratamiento no tenga inconvenientes



Análisis de laboratorio importantes

El médico programará análisis de laboratorio para determinar si usted o su ser querido son elegibles para ITVISMA. Consulte con el médico sobre los análisis. Antes de iniciar el tratamiento, asegúrese de conocer su estado de vacunación y de que esté actualizado.



El médico envía el Formulario de Inicio de Novartis Patient Support™

Pida al médico que envíe el Formulario de inicio de Novartis Patient Support para que pueda acceder a apoyo adicional antes, durante y después del tratamiento.



Cómo trabajar con su seguro

Comuníquese con el equipo de Novartis Patient Support™ para conocer cómo pueden ayudarle con el seguro.

¿Cuáles son los posibles o probables efectos secundarios de ITVISMA?

- Las reacciones adversas más frecuentes en pacientes tratados con ITVISMA fueron infección del tracto de las vías respiratorias superiores, fiebre, síntomas gastrointestinales superiores, aumento de enzimas hepáticas, dolor de cabeza, mareos, dolor en las extremidades, recuento bajo de plaquetas y alteraciones sensoriales.

Consulte las [Indicaciones](#) y la [Información de Seguridad Importante](#) adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).

itvisma®
(onasemnogene abeparvovec-brve)
suspension for intrathecal injection



Andrew vive con AME y no ha recibido ITVISMA. Las personas mostradas en la imagen recibieron compensación por su tiempo.



Scarlette vive con AME y no ha recibido ITVISMA. Las personas mostradas en la imagen recibieron compensación por su tiempo.

CONTINUAR POR EL

RECORRIDO HACIA EL TRATAMIENTO

Preparación para el día del tratamiento

Descargue la Guía paso a paso para mantener la información importante en un solo lugar y de fácil acceso.

Día del tratamiento

Estos son algunos puntos importantes que debe recordar:

- Aunque la inyección puede durar solo de 1 a 2 minutos, el tratamiento completo tomará más tiempo y puede requerir sedación o estudios por imágenes. Asegúrese de hablar con su médico para planificar el día de la inyección.
- La dosis del corticosteroide debe tomarse después de la inyección según las indicaciones del médico. Confirme las dosis futuras del corticosteroide que usted o su ser querido deberán tomar y programe las citas de seguimiento y los análisis de laboratorio con el médico.

Avances después del tratamiento

Usted y su médico programarán citas de seguimiento durante las próximas semanas para realizar análisis de laboratorio posteriores. Se requiere un monitoreo durante al menos 3 meses.

¿Qué es ITVISMA?

- ITVISMA es una terapia génica recetada que se usa para tratar a adultos y niños mayores de 2 años con atrofia muscular espinal (AME). ITVISMA se administra como una inyección intratecal única.

¿Cuál es la información de seguridad más importante que debo saber sobre ITVISMA?

- ITVISMA puede aumentar los niveles de enzimas hepáticas y causar hepatotoxicidad.
- Los pacientes recibirán un medicamento corticosteroide oral antes y después de la inyección de ITVISMA y se someterán a análisis de sangre regulares para monitorear la función hepática.

Consulte la **Información de Seguridad Importante** adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).

TIENE

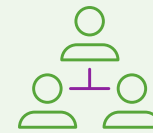
APOYO A LO LARGO DEL RECORRIDO

Ya sea que tenga una pregunta sobre el proceso del seguro, cómo iniciar el tratamiento o las formas de involucrarse más en la comunidad de atrofia muscular espinal (AME), hay un recurso disponible para ayudarle a encontrar la respuesta.



Cómo inscribirse en Novartis Patient Support™

Nuestros coordinadores de casos dedicados ofrecen orientación personalizada sobre apoyo financiero, el proceso del seguro y más. Para obtener información, visite [nuestra página](#) de soporte o llame al 1-855-441-4363 de lunes a viernes (de 8:00 A.M. a 8:00 P.M., HORA del este).



Conéctese con la comunidad más amplia de AME

Siempre hay espacio para más apoyo. Obtenga más información sobre grupos de apoyo para [la AME](#), [organizaciones y próximos eventos](#) que pueden brindar información adicional y una comunidad de AME más amplia.

“Es importante que su médico conozca sus necesidades y sus deseos, porque la vida con AME es constante”.

– Andrew C. vive con AME

Andrew recibió compensación por su tiempo.

¿Cuál es la información de seguridad más importante que debo saber sobre ITVISMA? (cont.)

- Los pacientes y cuidadores deben comunicarse de inmediato con el médico del paciente si la piel o el blanco de los ojos se tornan amarillentos, si el paciente omite una dosis del corticosteroide o la vomita, o si presenta una disminución del estado de alerta.

¿A qué debo prestar atención antes y después de la inyección con ITVISMA?

- Las infecciones antes o después de la inyección de ITVISMA pueden provocar complicaciones más graves. Los pacientes, cuidadores y contactos cercanos deben seguir los procedimientos de prevención de infecciones. Los pacientes y cuidadores deben comunicarse de inmediato con el médico si el paciente presenta signos de una posible infección, como tos, silbidos al respirar, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.

Consulte las Indicaciones y la Información de Seguridad Importante adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).

INDICACIONES E INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE

¿Qué es ITVISMA?

ITVISMA es una terapia génica recetada que se usa para tratar a adultos y niños mayores de 2 años con atrofia muscular espinal (AME). ITVISMA se administra como una inyección intratecal única.

¿Cuál es la información de seguridad más importante que debo saber sobre ITVISMA?

- ITVISMA puede aumentar los niveles de enzimas hepáticas y causar hepatotoxicidad.
- Los pacientes recibirán un medicamento corticosteroide oral antes y después de la inyección de ITVISMA y se someterán a análisis de sangre regulares para monitorear la función hepática.
- Los pacientes y cuidadores deben comunicarse de inmediato con el médico del paciente si la piel o el blanco de los ojos se tornan amarillentos, si el paciente omite una dosis del corticosteroide o la vomita, o si presenta una disminución del estado de alerta.

¿A qué debo prestar atención antes y después de la inyección con ITVISMA?

- Las infecciones antes o después de la inyección de ITVISMA pueden provocar complicaciones más graves. Los pacientes, cuidadores y contactos cercanos deben seguir los procedimientos de prevención de infecciones. Los pacientes y cuidadores deben comunicarse de inmediato con el médico si el paciente presenta signos de una posible infección, como tos, silbidos al respirar, estornudos, secreción nasal, dolor de garganta o fiebre.
- Podría producirse una disminución del recuento de plaquetas después de la inyección con ITVISMA. Busque atención médica inmediata si el paciente experimenta sangrado o moretones inesperados.
- Se ha producido neuropatía sensitiva periférica con la administración de ITVISMA. Los pacientes y cuidadores deben comunicarse con el médico del paciente de inmediato si el paciente experimenta entumecimiento, hormigueo, picazón o dolor en los brazos, manos, piernas o pies.
- Disminución del recuento de plaquetas y glóbulos rojos, cambios renales repentinos y aumento de hematomas o sangrado, que podrían ser signos de microangiopatía trombótica (TMA). Los pacientes y cuidadores deben buscar atención médica inmediata si el paciente experimenta hematomas o sangrado inesperados, convulsiones o disminución de la producción de orina.
- Existe un riesgo teórico de desarrollo de tumores con terapias génicas como ITVISMA. Los pacientes y cuidadores deben comunicarse con el médico del paciente y con Novartis Gene Therapies, Inc. al 1-833-828-3947 si aparece un tumor.

¿Qué debo saber sobre las vacunas e ITVISMA?

- Los pacientes y cuidadores deben consultar al médico del paciente sobre las vacunas y el ITVISMA.
- Los pacientes y cuidadores deben hablar con el médico del paciente para determinar si es necesario realizar ajustes en el calendario de vacunación del paciente durante el uso de corticosteroides.
- Se recomienda la protección contra la gripe y el virus respiratorio sincitial (VRS), y el estado de vacunación debe estar actualizado antes de la administración de ITVISMA.

¿Qué debo saber sobre la anticoncepción y la donación de óvulos o espermatozoides e ITVISMA?

- Las mujeres con capacidad de concebir deben usar un método anticonceptivo eficaz y abstenerse de donar óvulos durante 6 meses después de la inyección de ITVISMA.
- Los hombres con capacidad de engendrar deben usar un método anticonceptivo de barrera y abstenerse de donar esperma durante 3 meses después de la inyección de ITVISMA.

¿Cuáles son los posibles o probables efectos secundarios de ITVISMA?

- Las reacciones adversas más frecuentes en pacientes tratados con ITVISMA fueron infección del tracto de las vías respiratorias superiores, fiebre, síntomas gastrointestinales superiores, aumento de enzimas hepáticas, dolor de cabeza, mareos, dolor en las extremidades, recuento bajo de plaquetas y alteraciones sensoriales.

La información de seguridad proporcionada aquí no es exhaustiva. Hable con el médico del paciente sobre cualquier efecto secundario que le preocupe o que no desaparezca.

Le recomendamos que informe los posibles efectos secundarios comunicándose con la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) al 1-800-FDA-1088 o www.fda.gov/medwatch o con Novartis Gene Therapies, Inc. al 1-833-828-3947.

Consulte la [Información de Prescripción Completa](#).

IMAGINE SU

VIDA CON UNA SOLA DOSIS

Se requieren análisis de laboratorio y la administración de corticosteroides orales antes y después de la inyección.

Scarlette vive con AME y no ha recibido ITVISMA. Las personas mostradas en la imagen recibieron compensación por su tiempo.

¿Qué es ITVISMA?

ITVISMA es una terapia génica recetada que se usa para tratar a adultos y niños mayores de 2 años con atrofia muscular espinal (AME). ITVISMA se administra como una inyección intratecal única.

Consulte la Información de Seguridad Importante adicional en la [página 11](#) y la [Información de Prescripción Completa](#).

¿Cuál es la información de seguridad más importante que debo saber sobre ITVISMA?

- ITVISMA puede aumentar los niveles de enzimas hepáticas y causar hepatotoxicidad.
- Los pacientes recibirán un medicamento corticosteroide oral antes y después de la inyección de ITVISMA y se someterán a análisis de sangre regulares para monitorear la función hepática.
- Los pacientes y cuidadores deben comunicarse de inmediato con el médico del paciente si la piel o el blanco de los ojos se tornan amarillentos, si el paciente omite una dosis del corticosteroide o la vomita, o si presenta una disminución del estado de alerta.