

PARA ADULTOS, NIÑOS Y LACTANTES CON ATROFIA MUSCULAR ESPINAL (AME)

 **SPINRAZA**
(nusinersen) injection
12 mg/5 mL



Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad, el inicio del tratamiento y la duración de la terapia.*

Todas las personas que se describen en este folleto son pacientes o cuidadores reales que han recibido una compensación por su tiempo.

¿QUÉ ES SPINRAZA?

SPINRAZA® (nusinersén) es un medicamento recetado que se usa para tratar la atrofia muscular espinal (AME) en pacientes pediátricos y adultos.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Se ha observado **un aumento del riesgo de complicaciones hemorrágicas** tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes de que comience el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar los signos de estos riesgos. Busque atención médica si se produce una hemorragia inesperada.

Consulte la Información Importante de Seguridad adicional en la página 27, la Información de Prescripción Completa en español y la Información de Prescripción Completa en inglés.

*Los ensayos esenciales no incluyeron a pacientes adultos con atrofia muscular espinal (AME).

DELE UN GIRO A LA AME

Como primer tratamiento aprobado por la Administración de Medicamentos y Alimentos de los Estados Unidos (Food and Drug Administration, FDA) para la atrofia muscular espinal (AME), SPINRAZA® (nusinersén) ha ayudado a muchas de las personas que viven con esta enfermedad. La experiencia de cada persona puede ser diferente; dondequiera que se encuentre en el trayecto de la AME, SPINRAZA está aquí para usted. Por lo tanto, ya sea que acaba de **iniciar el tratamiento** con SPINRAZA, lo está **reiniciando** o **está en la mitad del camino**, conozca las últimas novedades sobre el tratamiento que está ayudando a tanta gente con AME.

LUCIANO
RECIBE SPINRAZA

Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad y el inicio y la duración de la terapia.

ÍNDICE

DESCRIPCIÓN GENERAL	4
DATOS SOBRE LA AME	4
SOBRE SPINRAZA	6
DESCRIPCIÓN GENERAL DEL ESTUDIO	8
AME DE INICIO TEMPRANO	10
ESTUDIO CLÍNICO ENDEAR	10
AME DE INICIO TARDÍO	12
ESTUDIO CLÍNICO CHERISH	12
ESTUDIO ŁUSAKOWSKA	16
SMARtCARE	20
AME PRESINTOMÁTICA	24
ESTUDIO DE APOYO NURTURE	24
DOSIFICACIÓN/SEGURIDAD	26
APOYO	29

Descubra los datos sobre la AME DE INICIO TEMPRANO
OBTENGA MÁS INFORMACIÓN EN SPINRAZA.com



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Se ha observado **un aumento del riesgo de daño renal, incluida una inflamación aguda del riñón potencialmente mortal**, tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de orina antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar signos de este riesgo.

Consulte la [Información Importante de Seguridad adicional en la página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

DATOS SOBRE LA AME

Las personas que viven con AME experimentarán pérdida de la función motora a lo largo de sus vidas



Los músculos necesitan señales del SNC

La AME es un trastorno genético causado por niveles insuficientes de proteína de supervivencia de motoneuronas (SMN), una proteína necesaria para que las motoneuronas sobrevivan. Las motoneuronas envían señales a los músculos desde el sistema nervioso central (SNC).



La SMN1 presenta una mutación en la AME

Sin suficiente proteína SMN, las motoneuronas mueren. Sin señales del SNC, los músculos se debilitan cada vez más.



AME=proteína SMN insuficiente

La historia natural muestra que todas las personas que viven con AME experimentarán pérdida de la función motora a lo largo de su vida. Para las personas que padecen AME, estas pérdidas pueden hacerse más evidentes con la edad.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) en la página 27, la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

Es difícil saber cuándo va a experimentar pérdida de la función motora

El grado de pérdida de la función motora varía de una persona a otra, y es difícil predecir cuándo alguien que vive con AME experimentará pérdida de la función motora. En adultos, niños y lactantes, la pérdida de masa muscular es permanente y puede producirse rápidamente, por lo que es importante tratar la afección lo antes posible. Las personas con AME pueden experimentar períodos en los que la función motora parece estable, pero seguirán experimentando pérdida de la función motora con el tiempo. A continuación, encontrará algunos datos clave sobre la progresión de la enfermedad:

- **La pérdida de la función motora puede hacerse más evidente con el tiempo**
Puede resultar difícil notar la pérdida de función motora en los controles anuales porque puede estar produciéndose lentamente. Pero eso no significa que no esté sucediendo. Dicha pérdida se vuelve más evidente a medida que se prolonga en el tiempo
- **El tipo y la edad no siempre pueden predecir la pérdida de función motora**
Dado que cada persona experimenta la AME de forma diferente, es difícil predecir cuándo y con qué rapidez se producirá la pérdida de la función motora

No deje de hablar con su médico sobre los cambios en la función motora.



Las pruebas genéticas pueden confirmar el diagnóstico de AME.

En la actualidad, la prueba de detección en el recién nacido está disponible en los 50 estados. Se recomiendan pruebas genéticas para confirmar la mutación en lactantes, pruebas que también están al alcance de los adultos.

Pídale a su proveedor de atención médica más información sobre las pruebas genéticas.

SOBRE SPINRAZA

SPINRAZA fue la primera terapia aprobada por la FDA para la AME

La historia de SPINRAZA es de larga data, con casi una década de estudios clínicos, datos sólidos del mundo real y más de 14,000 personas tratadas en todo el mundo.*



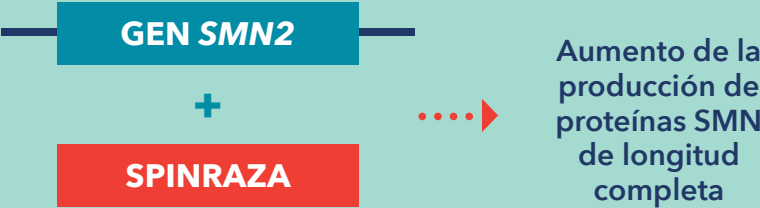
SPINRAZA se administra directamente en el LCR, en el lugar de pérdida de motoneuronas

Las personas con AME no pueden generar suficiente proteína SMN de longitud completa, la proteína que necesitan las motoneuronas para funcionar. Aquí es donde SPINRAZA puede ayudar. Se administra en el líquido cefalorraquídeo (LCR), el área que rodea a la médula espinal, lo que permite su distribución a los tejidos afectados. Mientras continúa con el tratamiento, SPINRAZA ayuda a que su organismo aumente la producción de proteína SMN.

SPINRAZA actúa sobre la causa subyacente de la debilidad muscular en la AME: ayuda a mantener y reforzar la función muscular

Las personas con AME no pueden producir suficiente proteína SMN porque tienen el gen de la supervivencia de la motoneurona 1 (SMN1) mutado o ausente. El gen que tienen, SMN2, no produce suficiente proteína SMN, que es necesaria para que las motoneuronas sobrevivan.

CÓMO FUNCIONA SPINRAZA



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Se ha observado **un aumento del riesgo de daño renal, incluida una inflamación aguda del riñón potencialmente mortal**, tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de orina antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar signos de este riesgo.

Consulte la [Información Importante de Seguridad adicional en la página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).



DE 1 DÍA A 85
AÑOS DE EDAD^{†‡}

hay alguien de casi todos los grupos
de edad que ha tomado SPINRAZA

MÁS DE 5300
ADULTOS

han recibido tratamiento con
SPINRAZA en todo el mundo^{**}

MÁS DE 9000
NIÑOS

han recibido tratamiento con
SPINRAZA en todo el mundo^{*}

*Basado en pacientes comerciales y pacientes de acceso temprano tratados con SPINRAZA a junio de 2024.

†Basado en pacientes tratados con SPINRAZA en los EE. UU. hasta mayo de 2024.

‡Los estudios clínicos de SPINRAZA (12 mg) incluyeron a pacientes de 3 días a 16 años de edad en la primera dosis y no incluyeron un número suficiente de sujetos de 65 años o más para determinar si responden de forma diferente a los pacientes más jóvenes. Los estudios esenciales no incluyeron pacientes adultos.

DESCRIPCIÓN GENERAL DEL ESTUDIO



SPINRAZA cuenta con el respaldo de una década de datos de múltiples estudios sobre la AME

SPINRAZA se ha estudiado durante casi una década en el programa de desarrollo clínico de la AME más largo hasta la fecha.

Descripción general del estudio clínico

	  estudios clínicos de SPINRAZA utilizados para otorgar la aprobación de la FDA		  evidencia del mundo real*	
AME PRESINTOMÁTICA	AME DE INICIO TEMPRANO	AME DE INICIO TARDÍO	AME DE INICIO TARDÍO	
Lactantes ≤6 semanas	Lactantes ≤7 meses	Los niños de 2 a 9 años	Pacientes pediátricos y adultos de 5 a 66 años	Adolescentes y adultos de 16 a 71 años
NURTURE	ENDEAR	CHERISH	ŁUSAKOWSKA	SMARtCARE
Estudio de apoyo en el que se examinó la supervivencia sin intervención respiratoria en 25 lactantes que aún no presentaban síntomas de AME	Estudio clínico en el que se investigaron la supervivencia sin respirador permanente y la respuesta a los hitos motores en 121 niños con AME de inicio temprano	Estudio clínico en el que se investigaron los cambios de la función motora en 126 niños no ambulatorios con AME de inicio tardío	Estudio del mundo real en el que se observaron los cambios de la función motora en 120 niños y adultos durante 30 meses	Estudio del mundo real en el que se observaron los cambios de la función motora en 237 adolescentes y adultos durante 38 meses

*Estos tipos de estudios proporcionan más información para añadir a los estudios clínicos de SPINRAZA en una amplia gama de edades y estadios de gravedad de la AME.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias bajas, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, dolor de espalda y síndrome posterior a la punción lumbar. Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Consulte a su proveedor de atención médica sobre los efectos secundarios. Puede notificar los efectos secundarios a la FDA en el **1-800-FDA-1088**.

Antes de tomar SPINRAZA, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o planea quedar embarazada.

Consulte la [Información Importante de Seguridad adicional en la página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

Mediciones utilizadas en los estudios sobre SPINRAZA

Los estudios sobre SPINRAZA utilizan evaluaciones de la función motora para hacer un seguimiento de las mejoras, aunque pueden resultar complejas o poco conocidas. Aquí se muestran las definiciones de todas las evaluaciones de la función motora de este folleto.

Escalas de la función motora:

			
HINE-2 Hasta 2 años de edad	RULM 30 meses a 27 años	HFMSE De 2 a 45 años	6MWT De 4 a 48 años
La sección 2 del examen neurológico para lactantes de Hammersmith (Hammersmith Infant Neurological Examination, HINE-2) se utiliza para evaluar las mejoras en la función motora. La escala incluye actividades como el control de la cabeza, sentarse de forma independiente y ponerse de pie. Cada actividad tiene una puntuación máxima de 2 a 4 puntos, y se puede obtener una puntuación máxima total de 26	El módulo revisado de las extremidades superiores (Revised Upper Limb Module, RULM) es una escala utilizada para medir la fuerza y la función de las extremidades superiores. Mide la capacidad de una persona para realizar tareas cotidianas, como pulsar botones y abrir envases. Cada ítem se puntúa de 0 a 2, y la puntuación máxima es de 37	La escala funcional motora de Hammersmith ampliada (Hammersmith Functional Motor Scale-Expanded, HFMSE) es una escala específica de la AME que se utiliza para medir la capacidad de una persona para realizar tareas cotidianas, como levantar la cabeza, sentarse y subir escaleras. Cada ítem se puntúa de 0 a 2, y la puntuación máxima es de 66	La prueba de caminata de 6 minutos (six minute walking test, 6MWT) se utiliza para medir la distancia que puede caminar una persona en 6 minutos

- Los **hitos motores de la Organización Mundial de la Salud (OMS)** son un conjunto de 6 hitos, como sentarse sin apoyo, gatear con las manos y las rodillas y caminar solo, que se espera que los niños sanos alcancen a los 2 años de edad
- La **Impresión global del paciente sobre su mejoría** (Patient Global Impression-Improvement, PGI-I) es una encuesta que pide a los participantes que evalúen el tratamiento y va de mucho mejor a mucho peor
- La **prueba de trastornos neuromusculares en lactantes del Children's Hospital of Philadelphia** (Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders, CHOP INTEND) mide 16 funciones motoras en lactantes con AME tipo 1

ESTUDIO CLÍNICO ENDEAR



SPINRAZA logró importantes resultados de supervivencia y mejoría de la función motora en niños con AME

- **Quiénes:** 121 niños de hasta 7 meses de edad con AME de tipo 1 (80 niños fueron tratados con SPINRAZA frente a 41 que recibieron placebo)
- **Duración del estudio:** 13 meses
- **Seguridad:** los efectos secundarios más frecuentes fueron infección de las vías respiratorias inferiores (55%) y estreñimiento (35%). Las reacciones adversas graves de atelectasia (colapso pulmonar) fueron más frecuentes en el grupo tratado con SPINRAZA (18%) que en el grupo de control (10%)

Resultados principales:

- Tiempo hasta la muerte o uso de respiración asistida permanente
- La proporción de niños que presentaron una mejoría en los hitos motores, según el HINE-2
- En promedio, **las personas con AME de tipo 1 mostraron mejorías en los hitos motores** que rara vez se alcanzan, si es que alguna vez se alcanzan, en niños no tratados

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Se ha observado **un aumento del riesgo de complicaciones hemorrágicas** tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes de que comience el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar los signos de estos riesgos. Busque atención médica si se produce una hemorragia inesperada.

Consulte la [Información Importante de Seguridad adicional en la página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

A los 13 meses, el **51% de los niños tratados con SPINRAZA** mostró una mejoría* en los hitos motores frente al 0% dentro del grupo de control no tratado.

Los hitos motores incluyeron:



Control de la cabeza



Giros



Gateo



Caminar



Posición de pie



Sedestación independiente

*Según el HINE-2, un niño con respuesta se definió como aquel que ha tenido un aumento de al menos 2 puntos en su capacidad de patear o un aumento de al menos 1 punto en categorías como control de la cabeza, giros, sedestación, gateo, posición de pie o marcha, y más mejoría que empeoramiento de más categorías de hitos motores.

47%

menor riesgo de mortalidad o de uso permanente de respirador en el grupo de SPINRAZA en comparación con el grupo no tratado

Y

63%

menor riesgo de mortalidad en el grupo de SPINRAZA en comparación con el grupo no tratado

ESTUDIO CLÍNICO CHERISH



Las personas con AME de inicio tardío tratadas con SPINRAZA presentaron mejorías significativas en la función motora

- **Quiénes:** 126 personas de 2 a 9 años de edad con AME de inicio tardío
- **Duración del estudio:** 15 meses
- **Resultado principal:** cambios en la función motora, medidos con la HFMSE
- **Resultados secundarios:** cambios en la función de las extremidades superiores, medidos con el RULM, y porcentaje de personas con una mejoría clínicamente significativa (3 puntos o más) respecto del inicio en la puntuación de la HFMSE
- **Limitación:** la pauta de dosificación era diferente de la pauta de dosificación aprobada de SPINRAZA
- **Seguridad:** los efectos secundarios más frecuentes fueron fiebre (43%), dolor de cabeza (29%), vómitos (29%) y dolor de espalda (25%)



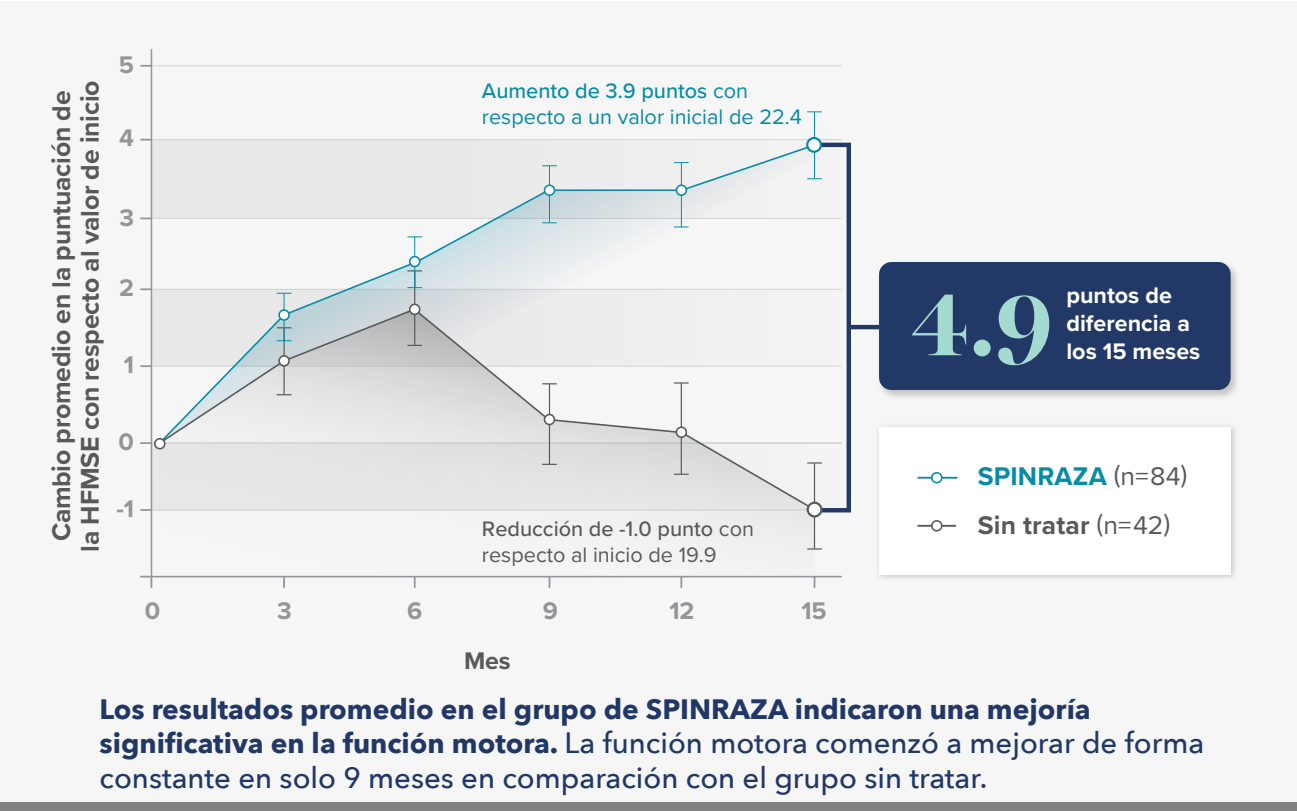
RUBY
RECIBE SPINRAZA

Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad y el inicio y la duración de la terapia.

Conozca historias reales sobre SPINRAZA
OBTENGA MÁS INFORMACIÓN EN SPINRAZA.com



Resultado principal: cambio medio desde el inicio en la puntuación total de la HFMSE a los 15 meses frente a las personas sin tratar



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias bajas, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, dolor de espalda y síndrome posterior a la punción lumbar.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en la página 27, la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

ESTUDIO CLÍNICO CHERISH



Cambio clínicamente significativo en las puntuaciones de la HFMSE



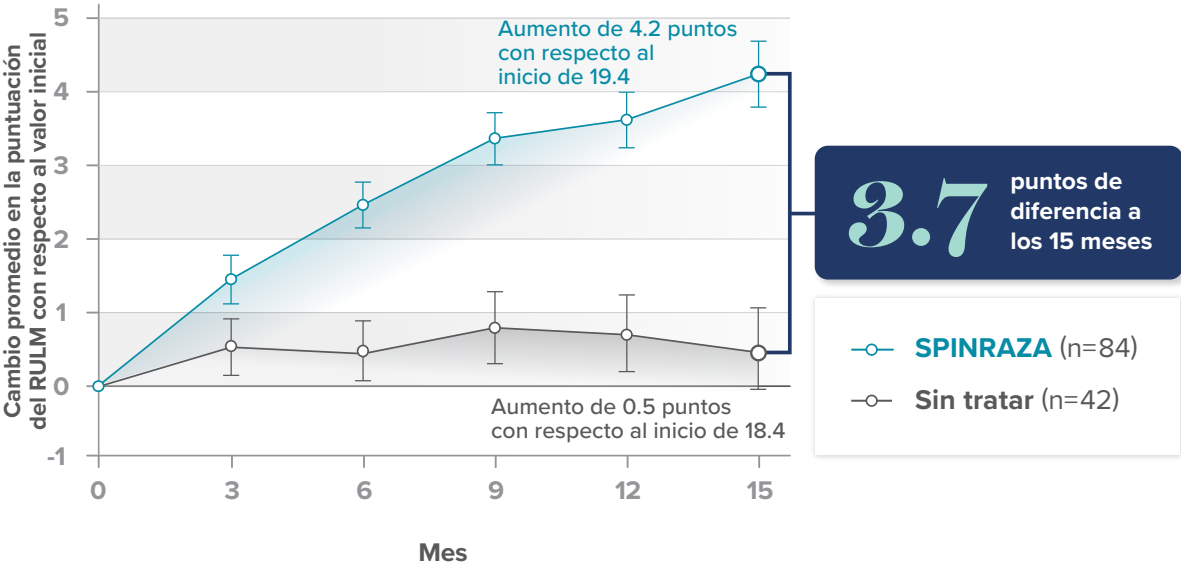
Una mejoría de 1 o 2 puntos en la HFMSE se considera un cambio positivo, y una mejoría de ≥ 3 puntos se considera un cambio clínicamente significativo



LILY
RECIBE SPINRAZA

Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad y el inicio y la duración de la terapia.

Las puntuaciones promedio del RULM mejoraron a los 15 meses



Las puntuaciones del módulo revisado de las extremidades superiores (RULM) oscilan entre 0 y 37, y las puntuaciones más altas indican un mejor funcionamiento.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Se ha observado **un aumento del riesgo de daño renal, incluida una inflamación aguda del riñón potencialmente mortal**, tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de orina antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar signos de este riesgo.

Consulte la Información Importante de Seguridad adicional en la página 27, la Información de Prescripción Completa en español y la Información de Prescripción Completa en inglés.

ESTUDIO ŁUSAKOWSKA



Estudio del mundo real para niños mayores y adultos tratados con SPINRAZA con un extenso período de seguimiento de hasta 30 meses

El estudio Łusakowska fue independiente y no fue realizado ni controlado por Biogen.

Este estudio observó las capacidades de los pacientes en varias actividades usando diferentes evaluaciones según sus capacidades funcionales (HFMSE [n=73 pacientes ambulatorios y con capacidad para sentarse], RULM [n=51, utilizado para pacientes ambulatorios y no ambulatorios], CHOP INTEND [n=47, utilizado para niños que apenas se sientan o no se sientan], 6MWT [n=27] y PGI-I).

Aspectos destacados del estudio:

- Se incluyeron 120 niños y adultos (de 5 a 66 años de edad) con AME (tipos 1c a 3)
- Uno de los estudios del mundo real de mayor duración, en el que los individuos fueron evaluados ;durante 30 meses
- La mayoría de las personas (73%) tenía AME de tipo 3, y la edad promedio al inicio había sido de 32 años
- En líneas generales, la seguridad informada en el estudio es congruente con la seguridad informada en los ensayos clínicos de SPINRAZA

Limitaciones del estudio

Estudio de observación que no incluye una comparación con un grupo no tratado. Este tipo de estudio es valioso, pero no tan sólido como un estudio esencial.

El estudio se realizó en varios centros de tratamiento de Polonia; las prácticas pueden variar según el país.

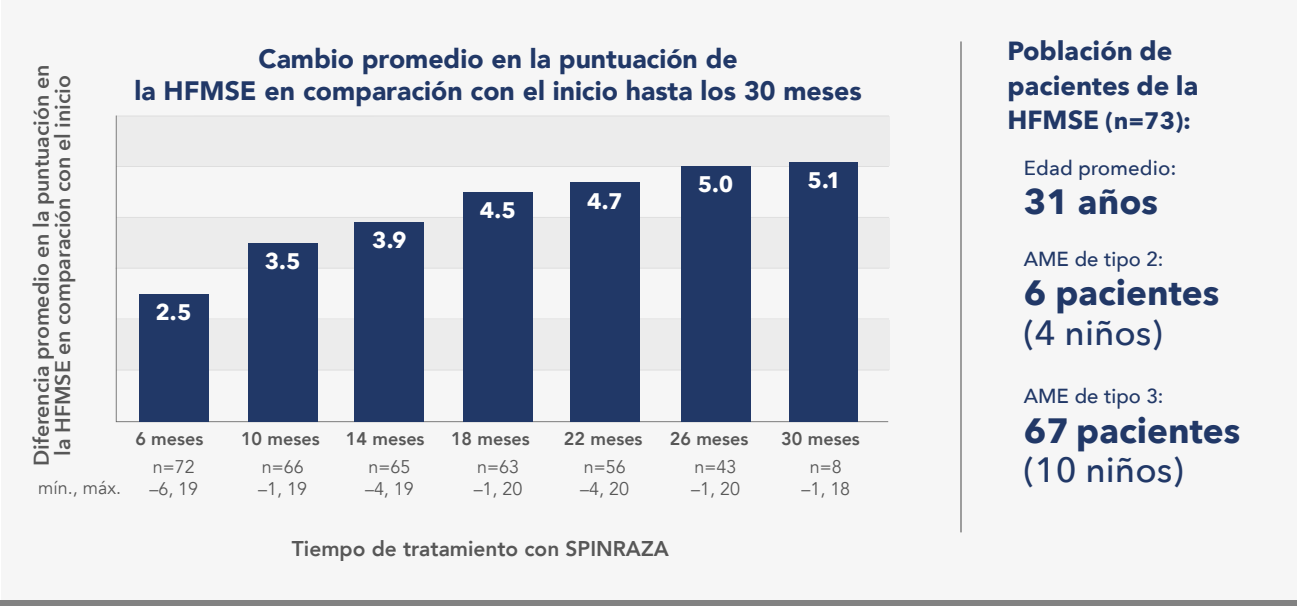
Solo 12 participantes tenían AME de tipo 1c, y 19 tenían AME de tipo 2.

La pauta de dosificación era diferente de la pauta de dosificación aprobada de SPINRAZA.

Faltan datos para algunos puntos temporales: algunos debido a la COVID, otros porque los pacientes aún no habían alcanzado esos puntos temporales.

La escala utilizada para medir la mejoría autoevaluada (PGI-I) se basa en lo que dicen los pacientes y no se ha probado en la AME.

Los resultados promedio indicaron una mejoría de la función motora en cada punto temporal en comparación con el inicio



- Durante el tratamiento, **las puntuaciones promedio en la HFMSE indicaron mejorías** en comparación con el inicio, que oscilaron entre **2.5 puntos a los 6 meses (n=72) y 5.1 puntos (n=28) a los 30 meses**
- La proporción de pacientes que no experimentaron **cambios** respecto del inicio osciló entre el **8% y el 20%** durante el estudio
- La proporción de pacientes que experimentaron **un empeoramiento** respecto del inicio osciló entre el **1% y el 8%** durante el estudio

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

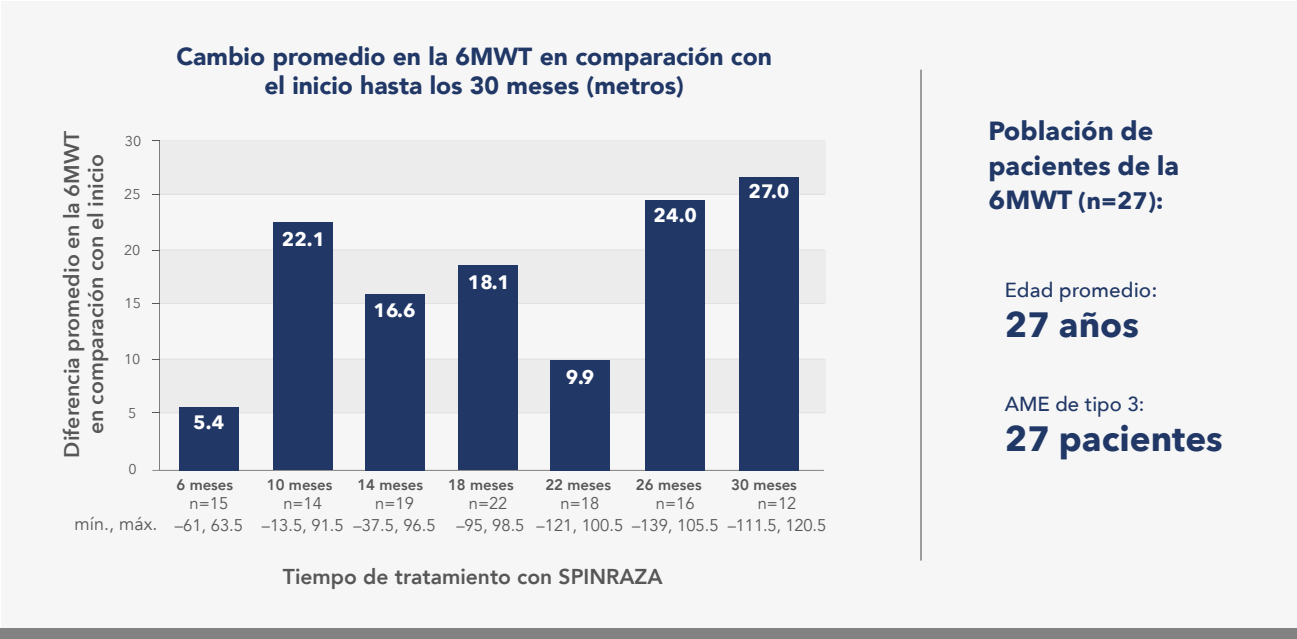
Se ha observado **un aumento del riesgo de daño renal, incluida una inflamación aguda del riñón potencialmente mortal**, tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de orina antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar signos de este riesgo.

Consulte la [Información Importante de Seguridad adicional en la página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

ESTUDIO ŁUSAKOWSKA



Los resultados promedio indicaron mejorías en la capacidad para caminar de acuerdo con la 6MWT, en cada punto temporal



Resultados:

- Los resultados fueron variables, pero durante el transcurso del estudio, **las puntuaciones promedio en la 6MWT indicaron mejorías** en comparación con el inicio, que oscilaron entre 5.4 metros o **17.7 pies (n=15) a los 6 meses** y 27 metros u **88.5 pies n=12), a los 30 meses**
- La proporción de **pacientes que no experimentaron cambios** respecto del inicio osciló entre **el 0% y el 7% durante el estudio**
- La proporción de **pacientes que experimentaron un empeoramiento** respecto del inicio osciló entre **el 14% y el 50% durante el estudio**

Los pacientes y cuidadores evaluaron y autoinformaron su estado utilizando la PGI-I

En diferentes momentos del estudio:

- **El 75% al 87.5%** de los pacientes informaron una mejoría
- **El 9% al 24%** de los pacientes no informaron cambios
- **El 0% al 5%** de los pacientes informaron que se sentían levemente peor
- **Ningún paciente** informó sentirse mucho peor ni muchísimo peor

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias bajas, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, dolor de espalda y síndrome posterior a la punción lumbar.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Consulte a su proveedor de atención médica sobre los efectos secundarios. Puede notificar los efectos secundarios a la FDA en el **1-800-FDA-1088**.

Antes de tomar SPINRAZA, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o planea quedar embarazada. Esta información no tiene como fin reemplazar las consultas con el proveedor de atención médica.

Consulte la [Información Importante de Seguridad adicional en la página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).



**NINA
RECIBE SPINRAZA**

Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad y el inicio y la duración de la terapia.

Estudio del mundo real para adolescentes y adultos tratados con SPINRAZA con un período de seguimiento de hasta 38 meses

Este estudio evaluó 3 medidas de resultados funcionales: HFMSE (la mejoría clínicamente significativa se define como un cambio de ≥3 puntos); RULM (la mejoría clínicamente significativa se define como un cambio de ≥2 puntos), y 6MWT (para personas ambulatorias; la mejoría clínicamente significativa se define como un aumento en la distancia caminada de ≥30 metros)

Aspectos destacados del estudio:

- Incluyó a 237 adolescentes y adultos de entre 16 y 71 años de edad, con una edad promedio de 36 años*
 - Uno de los estudios de evidencias del mundo real de mayor duración, en el que los individuos fueron evaluados durante 38 meses
 - Incluyó a personas con AME de tipos 1, 2, 3 y 4
- *Los resultados funcionales se evaluaron al inicio y a los 14, 26 y 38 meses de tratamiento

Limitaciones del estudio

El estudio de observación no incluye una comparación con un grupo no tratado. Este tipo de estudio es valioso, pero no tan sólido como un estudio esencial.

Limitado a pacientes de 3 países: Alemania, Austria, Suiza; las prácticas pueden variar según el país.

Limitaciones de la HFMSE y el RULM para captar toda la gama de respuestas posibles.

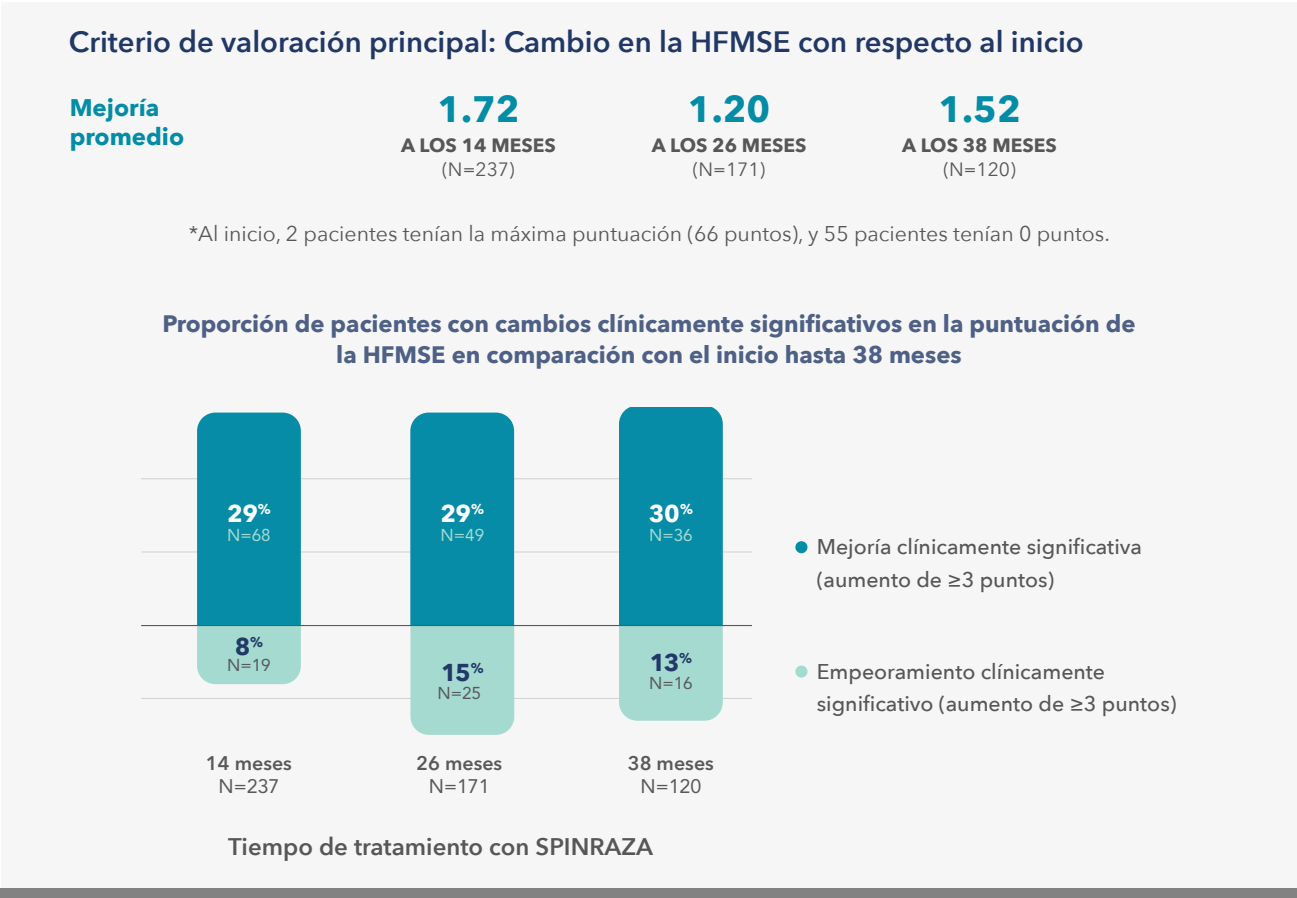
La pauta de dosificación era diferente de la pauta de dosificación aprobada de SPINRAZA.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Se ha observado **un aumento del riesgo de complicaciones hemorrágicas** tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes de que comience el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar los signos de estos riesgos. Busque atención médica si se produce una hemorragia inesperada.

Consulte la [Información Importante de Seguridad adicional en la página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

Los resultados promedio indicaron una mejoría en la función motora, en cada punto temporal, en comparación con el inicio*

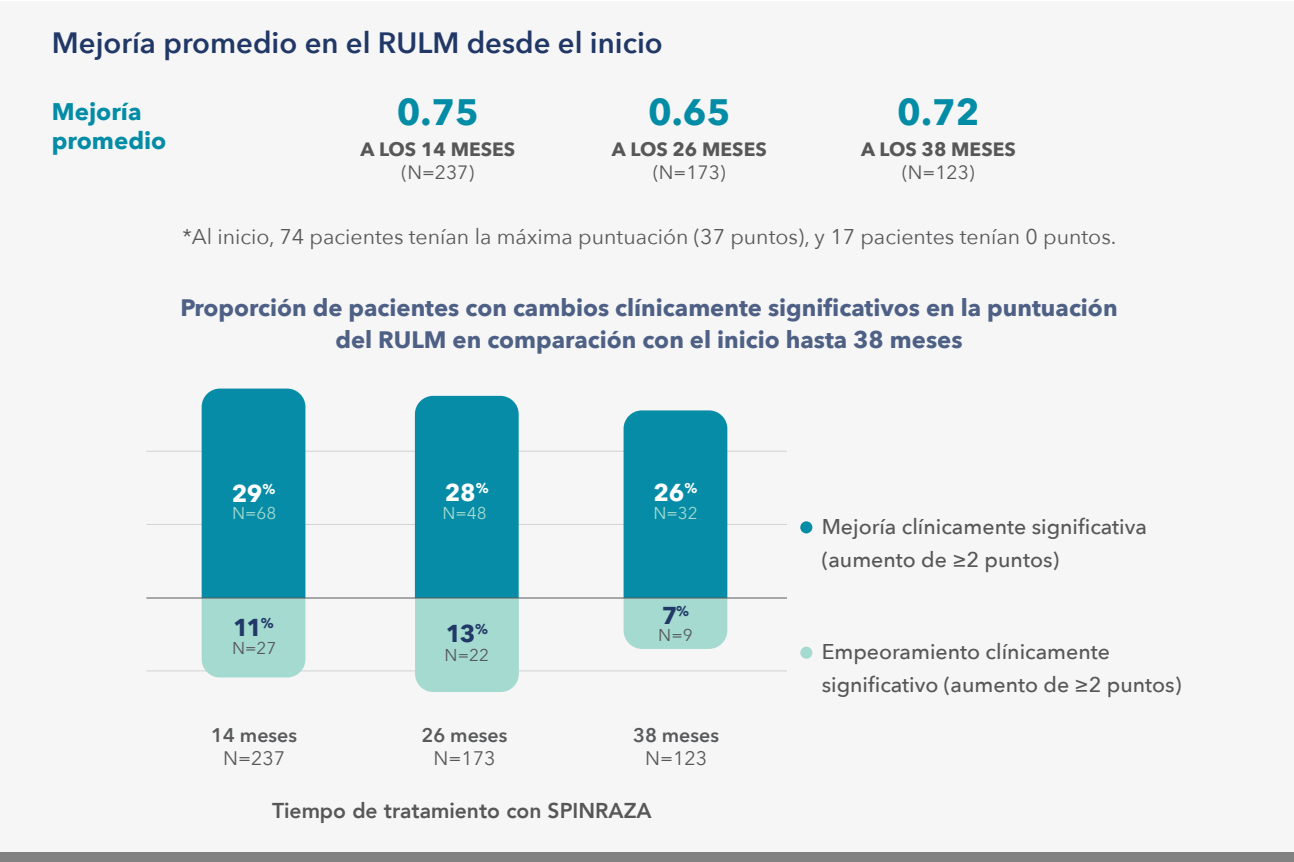


- El **41% de los pacientes (28/68)** con una mejoría **clínicamente significativa** en la puntuación de la HFMSE a los 14 meses mantuvo esta mejoría durante ≥38 meses[†]
- Se observó un empeoramiento **clínicamente significativo** en la puntuación de la HFMSE en el **8%, el 15% y el 13% de los pacientes** a los 14, 26 y 38 meses, respectivamente

[†]Los resultados funcionales se evaluaron al inicio y a los 14, 26 y 38 meses de tratamiento.

SMArCARE

Los resultados promedio indicaron una mejoría de la función de las extremidades superiores en cada punto temporal en comparación con el inicio*



- El **37% de los pacientes (25/68)** con una mejoría **clínicamente significativa** en la puntuación del RULM a los 14 meses mantenía esta mejoría a los 38 meses†
- Se observó un **empeoramiento clínicamente** significativo en la puntuación del RULM en **el 11%, el 13% y el 7% de los pacientes** a los 14, 26 y 38 meses, respectivamente

†Los resultados funcionales se evaluaron a los 14, 26 y 38 meses de tratamiento.



MAYLAN
RECIBE SPINRAZA

Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad y el inicio y la duración de la terapia.

Independientemente del estado ambulatorio, con SPINRAZA se informaron **mejores puntuaciones promedio de la HFMSE y el RULM**.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias bajas, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, dolor de espalda y síndrome posterior a la punción lumbar.

Consulte la Información Importante de Seguridad adicional en la página 27, la Información de Prescripción Completa en español y la Información de Prescripción Completa en inglés.

ESTUDIO DE APOYO NURTURE

El tratamiento temprano con SPINRAZA ha ayudado a los lactantes presintomáticos con AME a tener progresos en los hitos motores de sedestación y marcha

- **Quiénes:** 25 lactantes de hasta 6 semanas de vida que aún no habían presentado síntomas de AME
- **Tiempo del estudio:** estudio de apoyo con resultados de hasta 5 años
- **Resultado principal:** tiempo hasta la muerte o la intervención respiratoria
- **Resultados secundarios:** el efecto que tiene SPINRAZA sobre el cumplimiento de los hitos motores de la OMS
- **Limitaciones:** pocos participantes. El estudio es abierto, es decir, que todos los lactantes han recibido SPINRAZA y no hay un grupo sin tratamiento para hacer comparaciones
- **Seguridad:** consistente con la información de prescripción de SPINRAZA

Conozca más historias pediátricas
OBTENGA MÁS INFORMACIÓN EN [SPINRAZA.com](https://www.spinraza.com)



Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad y el inicio y la duración de la terapia.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Se ha observado **un aumento del riesgo de daño renal, incluida una inflamación aguda del riñón potencialmente mortal**, tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de orina antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar signos de este riesgo.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en la [página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).



Después de 14 meses:

- En un análisis provisional realizado después de que todos los lactantes habían recibido SPINRAZA durante al menos 14 meses (mediana: 25 meses; rango: 14 a 34 meses)
 - El 100% (25/25) de los bebés estaban vivos sin necesidad de intervención respiratoria permanente
 - El 100% (25/25) se sentaba sin apoyo
 - El 88% (22/25) caminaba con asistencia
 - El 77% (17/22) caminaba de forma independiente

Después de casi 5 años de seguimiento*:

- El 100% (25/25) de los lactantes presintomáticos estaban vivos sin ventilación permanente después de una mediana de seguimiento de 4.9 años en el estudio
- El 84% (21/25) nunca necesitó intervención respiratoria†

Después de casi 5 años, la mayoría de los lactantes alcanzaron los siguientes hitos motores de la OMS en momentos adecuados para la edad:

100%
25 DE 25
se sentaban sin apoyo

96%
24 DE 25
caminaban con asistencia

92%
23 DE 25
caminaban de forma independiente

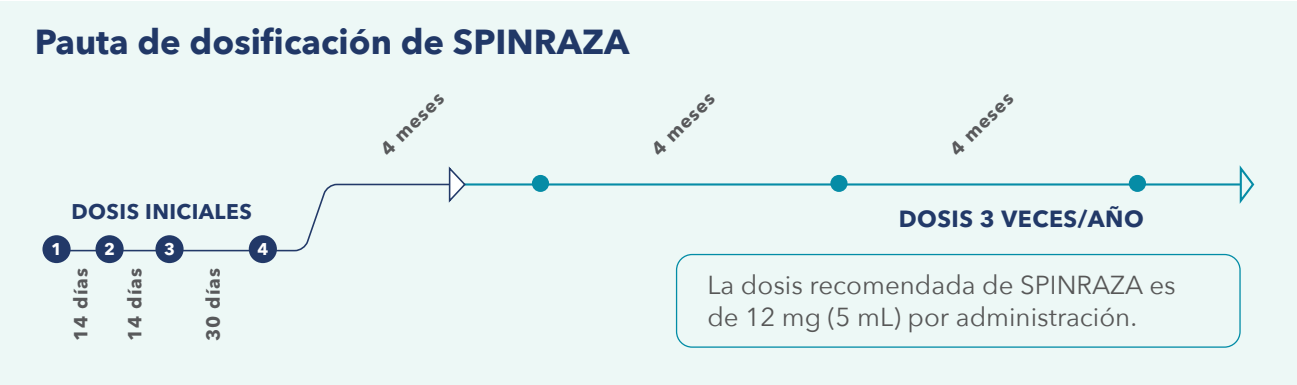
*Mediana: 4.9 años; rango: 3.8 a 5.5 años.

†La intervención respiratoria se definió como respirador durante ≥6 horas/día de forma continua durante ≥7 días o traqueostomía. La intervención permanente se define como igual o superior a 16 horas/día, sin interrupción, durante más de 21 días, en ausencia de un evento reversible agudo o traqueostomía.

DOSIFICACIÓN/SEGURIDAD



Para tratar la AME, SPINRAZA es administrado por un médico, solo 3 veces al año, después de las dosis iniciales



La pauta posológica comienza con 4 dosis de carga iniciales; las primeras 3 se administran en intervalos de 14 días y la cuarta dosis, 30 días después de la tercera dosis. Después de estas dosis iniciales, SPINRAZA se administra en dosis de mantenimiento 3 veces al año. Pida a su proveedor de atención médica información adicional sobre la pauta de dosificación y el procedimiento de tratamiento.



Análisis de sangre y orina

Dado que se ha observado un mayor riesgo de hemorragia y daño renal con medicamentos similares, las personas que reciben SPINRAZA pueden tener un riesgo similar. Se recomienda que el HCP realice análisis de sangre y orina una vez antes de iniciar el tratamiento y de nuevo antes de cada dosis para monitorizar los signos de estos riesgos.

¿Ha omitido alguna dosis?

HABLE CON SU MÉDICO PARA PROGRAMAR LA DOSIS OMITIDA LO ANTES POSIBLE.

Si necesita apoyo logístico, hable con un jefe administrador de casos llamando al 1-844-4SPINRAZA

(1-844-477-4672), de lunes a viernes, de 8:30 A. M. a 8:00 P. M., hora del Este

¿QUÉ ES SPINRAZA?

SPINRAZA® (nusinersén) es un medicamento recetado que se usa para tratar la atrofia muscular espinal (AME) en pacientes pediátricos y adultos.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

Se ha observado **un aumento del riesgo de complicaciones hemorrágicas** tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes de que comience el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar los signos de estos riesgos. Busque atención médica si se produce una hemorragia inesperada.

Se ha observado **un aumento del riesgo de daño renal, incluida una inflamación aguda del riñón potencialmente mortal**, tras la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de orina antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar signos de este riesgo.

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias bajas, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, dolor de espalda y síndrome posterior a la punción lumbar.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Consulte a su proveedor de atención médica sobre los efectos secundarios. Puede notificar los efectos secundarios a la FDA en el **1-800-FDA-1088**.

Antes de tomar SPINRAZA, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o planea quedar embarazada.

Consulte la Información de Prescripción Completa en español y la Información de Prescripción Completa en inglés.

Esta información no pretende reemplazar las conversaciones con su proveedor de atención médica.

Existen centros de tratamiento con SPINRAZA en todos los EE. UU.

ENCUENTRE UNO EN [SPINRAZA.com/locator](https://www.spinraza.com/locator)



DOSIFICACIÓN/SEGURIDAD

Formas de ayudar con la administración puntual de la dosis

¿Desea iniciar o reiniciar un tratamiento con SPINRAZA? A continuación, le explicamos cómo planificar su primer tratamiento:

Su gerente de acceso familiar (Family Access Manager, FAM) se pondrá en contacto con usted y el centro de tratamiento para garantizar que todo esté listo para su primer tratamiento. Para prepararse, también puede:

- Asegurarse de tener todos los análisis de laboratorio previos al tratamiento completos
- Llamar al centro de tratamiento para confirmar la cita y el proceso de registro
- Asegurar el transporte al centro de tratamiento
- Ir con tiempo para estacionar el día de la administración de la dosis

¿Ya recibe SPINRAZA?

Mientras hace el tratamiento con SPINRAZA, es importante respetar la pauta de dosificación. Trabajando en estrecha colaboración con su médico y cumpliendo el plan de tratamiento, podrá determinar cómo responde a SPINRAZA y hacer el seguimiento de los objetivos de tratamiento.

Formas de asegurarse de que cumple los plazos del tratamiento:

- Conozca los criterios de cobertura y aprobación de su plan de salud (pruebas genéticas, pruebas de la función motora, resultados de laboratorio, notas clínicas)
- Comuníquese con su equipo de atención y con el FAM para garantizar el envío de las autorizaciones en tiempo y forma
- Establezca prioridades y haga un seguimiento de las citas clínicas, de fisioterapia y de administración de dosis
- No dude en hablar con su FAM si tiene alguna pregunta o inquietudes sobre el acceso al tratamiento con SPINRAZA. Su FAM siempre está aquí para ayudar

Obtenga apoyo y recursos a lo largo de todo el tratamiento con SPINRAZA
OBTENGA MÁS INFORMACIÓN EN SPINRAZA.com



Consulte la [Información Importante de Seguridad en la página 27](#), la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

APOYO

Conozca a su gerente de acceso familiar (FAM) de Biogen

Dondequiera que se encuentre en su recorrido con SPINRAZA, Biogen estará junto a usted a cada paso con un conjunto de servicios de apoyo para ayudar con la logística en torno a su tratamiento.* Su **FAM** será su persona de referencia, podrá responder cualquier pregunta o las inquietudes que tenga y lo ayudará a manejar su tratamiento o a mantener el rumbo. Esto incluye:



Coordinación del tratamiento



Averiguación de los beneficios del seguro

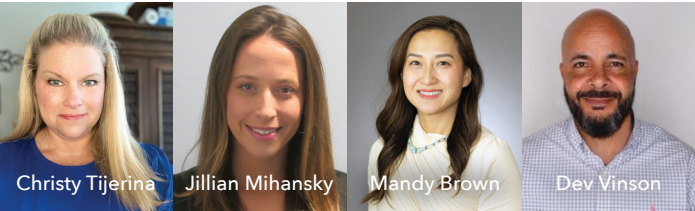


Asistencia financiera para personas elegibles

Recuerde que su médico debe ser su principal recurso ante cualquier pregunta relacionada con la AME o SPINRAZA.

¿Le interesa empezar con SPINRAZA? Hable con su médico hoy mismo o llame al 1-844-477-4672

*Estos servicios de Biogen solo están disponibles para personas a las que se les ha recetado SPINRAZA y que residen en los EE. UU.



Conozca todos nuestros servicios de apoyo en **SPINRAZA.com/support**



Hable con un jefe administrador de casos llamando al **1-844-4SPINRAZA**

(1-844-477-4672), de lunes a viernes, de 8:30 A. M. a 8:00 P. M., hora del Este

14,000 PERSONAS HAN
RECIBIDO TRATAMIENTO
CON SPINRAZA.*

DESCUBRA QUÉ AYUDA
PUEDE BRINDARLE

¿ESTÁ PENSANDO EN REINICIAR O INICIAR UN TRATAMIENTO
CON SPINRAZA? HABLE CON SU MÉDICO HOY MISMO



— MAVRIK —



— NINA —



— LILY —



— WILL —



— LUCIANO —

Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad, el inicio del tratamiento y la duración de la terapia.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias bajas, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, dolor de espalda y síndrome posterior a la punción lumbar. Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Consulte a su proveedor de atención médica sobre los efectos secundarios. Puede notificar los efectos secundarios a la FDA en el **1-800-FDA-1088**. **Antes de tomar SPINRAZA**, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o planea quedar embarazada.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en la página 27, la [Información de Prescripción Completa en español](#) y la [Información de Prescripción Completa en inglés](#).

*Basado en pacientes comerciales y pacientes de acceso temprano tratados con SPINRAZA en todo el mundo hasta junio de 2024.