




IAN // 36 AÑOS

MÚSICO
TRATADO CON SPINRAZA
DURANTE MÁS DE 5 AÑOS



ROBB // 37 AÑOS

PROFESOR DE HISTORIA
TRATADO CON SPINRAZA
DURANTE MÁS DE 6 AÑOS



JONNA // 36 AÑOS

AMANTE DE LA NATURALEZA
TRATADA CON SPINRAZA
DURANTE MÁS DE 5 AÑOS

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

Más de 4600 adultos han sido tratados con SPINRAZA en todo el mundo* Vea cómo SPINRAZA puede ayudar.

*Los ensayos esenciales no incluyeron a pacientes adultos con atrofia muscular espinal (AME). Basado en pacientes comerciales, pacientes de acceso temprano y participantes en ensayos clínicos hasta mayo de 2022.

INDICACIÓN

SPINRAZA® (nusinersén) es un medicamento de venta con receta que se utiliza 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 después de la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para detectar signos de estos riesgos. Busque atención médica si se produce una hemorragia inesperada.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

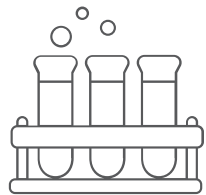
DATOS SOBRE LA AME

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

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

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 de inicio tardío, estas pérdidas pueden hacerse más evidentes con la edad.

Las pruebas genéticas pueden confirmar el diagnóstico de AME.



Las pruebas genéticas suelen ser necesarias para iniciar el tratamiento. Pídale a su proveedor de atención médica (PAM) más información sobre las pruebas genéticas.

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. Aunque algunas personas pueden experimentar periodos en los que la función motora parece estable, las personas que viven con AME de inicio tardío experimentarán pérdida de la función motora con el tiempo. A continuación, encontrará algunos datos clave sobre la progresión de la AME.



La pérdida de la función motora puede hacerse más evidente con el tiempo.

Puede ser difícil notar pérdida de la función motora en los controles anuales, ya que puede estar sucediendo lentamente. Pero eso no significa que no esté sucediendo. Dicha pérdida se hace más evidente a medida que se prolonga en el tiempo.

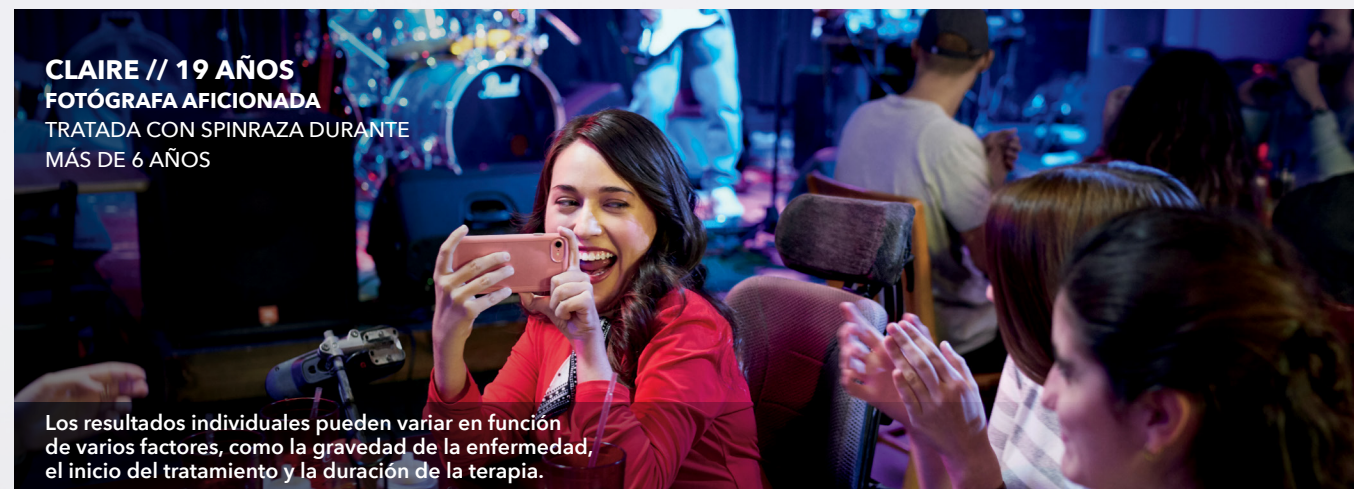


El tipo y la edad no son verdaderos factores de predicción de la pérdida de la función motora.

Dado que cada persona experimenta la AME de forma diferente, es difícil predecir cuándo se producirá la pérdida de la función motora o incluso quién la experimentará.

Hable con su médico sobre los cambios en su función motora.

SPINRAZA cuenta con una amplia experiencia en el mundo real en una amplia gama de edades



Más de
13,000

han recibido tratamiento con SPINRAZA en todo el mundo*

*Basado en pacientes comerciales, pacientes de acceso temprano y participantes en ensayos clínicos hasta mayo de 2022.

†Los estudios esenciales de SPINRAZA incluyeron a pacientes entre los 3 días y los 16 años 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.

Entre los **3 días** y los **80 años de edad***†

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

Más de **4,600** adultos

han recibido tratamiento con SPINRAZA en todo el mundo*

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Después de la administración de medicamentos similares, se ha observado un aumento del riesgo de daño renal, incluida una inflamación aguda del riñón potencialmente mortal.

Su proveedor de atención médica debe realizar un análisis de orina antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar los signos de este riesgo.

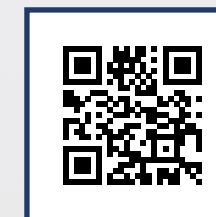
La AME es una enfermedad del SNC.
SPINRAZA se administra directamente en el SNC.

Las personas con AME no pueden generar suficiente proteína SMN, la proteína que necesitan de las motoneuronas para funcionar. Aquí es donde SPINRAZA puede ayudar.

- // Llega al origen de la pérdida de las motoneuronas
- // Mientras continúa con el tratamiento, SPINRAZA ayuda a su organismo a producir la proteína SMN.

SPINRAZA se dirige específicamente a una causa subyacente de la debilidad muscular.

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



Vea un video sobre cómo funciona SPINRAZA en [SPINRAZA.com/HowSPINRAZAWorks](https://www.spinraza.com/HowSPINRAZAWorks)

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

El efecto de SPINRAZA se ha estudiado durante más de 8 años en el mayor programa de desarrollo clínico de AME hasta la fecha.

Comprensión de los programas de desarrollo clínico

Estudio esencial: Estudio utilizado para obtener la aprobación de la FDA para un fármaco. El estudio lo realiza la empresa que busca la aprobación del fármaco. Está diseñado para tener la certeza de que la eficacia y la seguridad que vemos en el estudio se deben al fármaco. Este es el tipo de estudio más sólido.

Estudio de apoyo: Estudio que no es necesario para obtener la aprobación de la FDA, pero que proporciona información adicional sobre la seguridad y la eficacia de un fármaco.

Estudio independiente: Estudio no realizado ni controlado por una empresa farmacéutica.

Estudio de observación: Estudio que se puede observar como parte de la atención médica habitual utilizada para obtener más conocimiento sobre un fármaco tras la aprobación de la FDA. Este tipo de estudio es valioso, pero no tan sólido como un estudio esencial.

Controles: Personas que no reciben el fármaco del estudio. Los controles se pueden comparar con las personas que sí recibieron el fármaco del estudio.

Diseño retrospectivo: Un estudio retrospectivo utiliza las historias clínicas para revisar la experiencia pasada.

Resultados

Primarios: Los estudios suelen diseñarse para responder a 1 resultado o pregunta principal. Esto se conoce como resultado primario. Esta pregunta determinará cuántos pacientes están inscritos. También afectará la forma de analizar los hallazgos. Los resultados de este tipo son más concluyentes que los de los resultados secundarios.

Secundarios: Además del resultado principal, los estudios también plantean otras preguntas. Estos se denominan resultados secundarios. Esto se hace para recopilar más información sobre cómo funciona el fármaco. El estudio no se basa en estas preguntas secundarias, por lo que los resultados pueden ser menos concluyentes o no concluyentes.

Esta lista no incluye todos los ensayos clínicos de SPINRAZA.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

Información del estudio

Los estudios de SPINRAZA utilizan escalas para hacer un seguimiento de las mejorías, pero estas escalas a menudo pueden ser complejas o desconocidas. A continuación, encontrará las definiciones de todas las escalas de este folleto.

Escalas de función motora

// HFMSE

La escala motora funcional de Hammersmith (versión extendida) es una escala específica de la AME que se utiliza para medir lo bien que una persona puede hacer las tareas cotidianas, como levantar la cabeza, sentarse y subir escaleras. Cada ítem se puntúa de 0 a 2, con una puntuación máxima de 66.

// RULM

El módulo revisado de las extremidades superiores es una escala utilizada para medir la fuerza y la función de las extremidades superiores. Mide la capacidad de una persona para hacer sus tareas cotidianas, como pulsar botones y abrir contenedores. Cada ítem se puntúa de 0 a 2, con una puntuación máxima de 37.

// ULM

El módulo de las extremidades superiores es una versión algo más antigua del RULM. Consulte la definición más arriba. Se puntúa de 0 a 18 puntos, donde las puntuaciones más altas indican una mejor función.

// 6MWT

La prueba de marcha de minutos se utiliza para medir la distancia que puede caminar una persona en 6 minutos.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias inferiores, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, lumbalgia y síndrome de postpunción lumbar. Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Llame a su proveedor de atención médica para recibir asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA de los EE. UU. llamando al 1-800-FDA-1088.

Antes de recibir SPINRAZA, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o tiene previsto quedar embarazada.

Esta información no tiene el fin de reemplazar las consultas con su proveedor de atención médica.

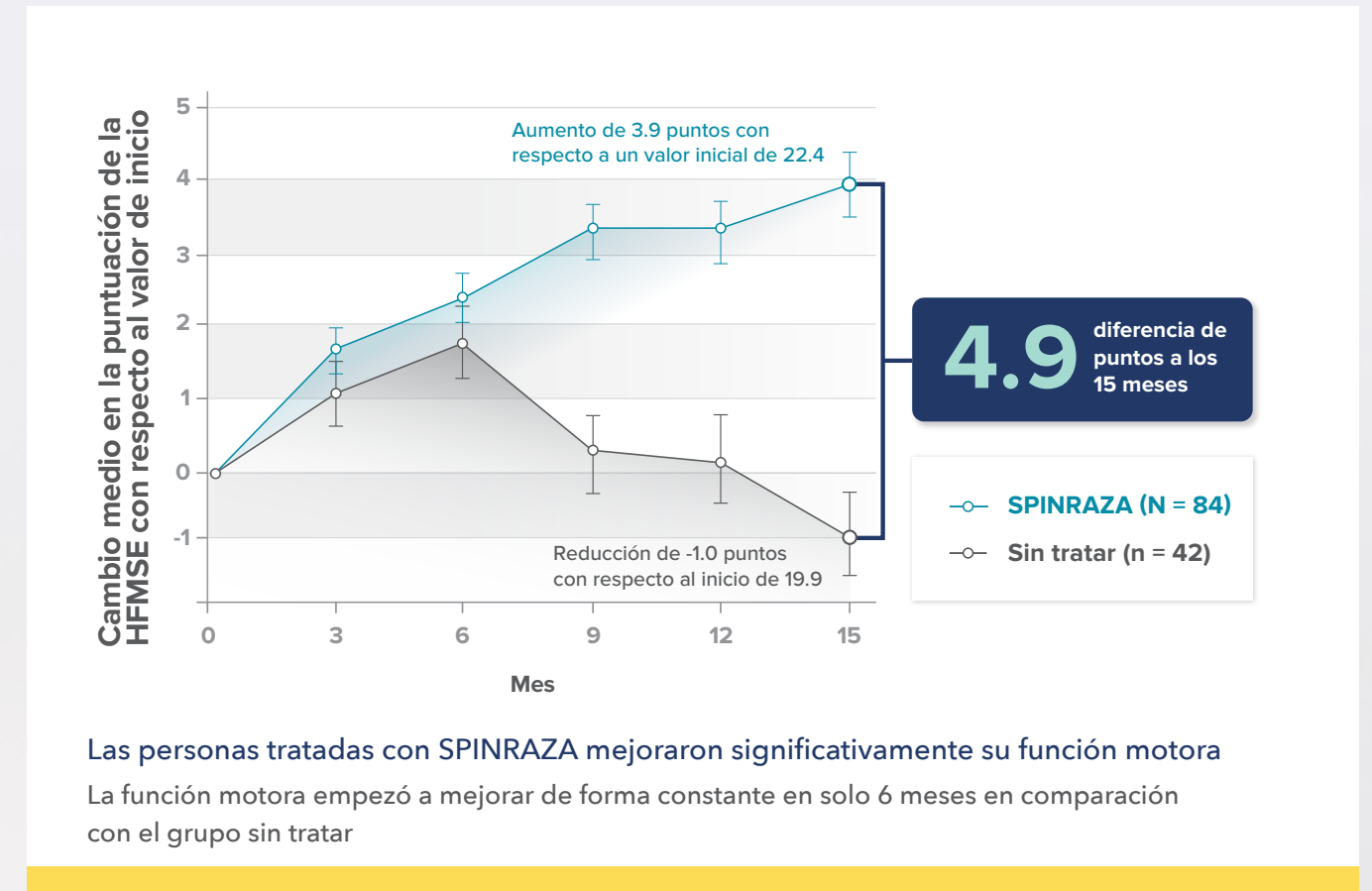
Las personas con AME de inicio tardío experimentaron mejorías en la función motora general

- // **Quién:** 126 personas con AME de inicio tardío, entre 2 y 9 años
- // **Duración del estudio:** 15 meses
- // **Resultado primario:** Cambios en la función motora medidos con la HFMSE
- // **Resultados secundarios:** Cambios en la función de las extremidades superiores medidos en el RULM y porcentaje de personas que tuvieron una mejoría clínicamente significativa (≥ 3 puntos) con respecto al inicio en la puntuación de HFMSE
- // **Seguridad:** Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA fueron fiebre (43 %), dolor de cabeza (29 %), vómitos (29 %) y dolor de espalda (25 %)
- // **Limitación:** La pauta posológica fue diferente de la pauta aprobada de SPINRAZA

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

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

Resultado primario: Cambio promedio desde el inicio en la puntuación total de la HFMSE a los 15 meses frente a las personas sin tratar



Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

Las puntuaciones de la HFMSE mostraron un cambio clínicamente significativo

Resultado secundario: Porcentaje de personas con un aumento de ≥ 3 puntos con respecto al inicio en la puntuación HFMSE

56.8% de los 84 adultos tratados con SPINRAZA frente a **23.3%** de los 42 adultos en el grupo de control no tratado observaron un cambio clínicamente significativo en las puntuaciones de la HFMSE

YAN // 21 AÑOS
DEFENSOR DE DISCAPACIDADES

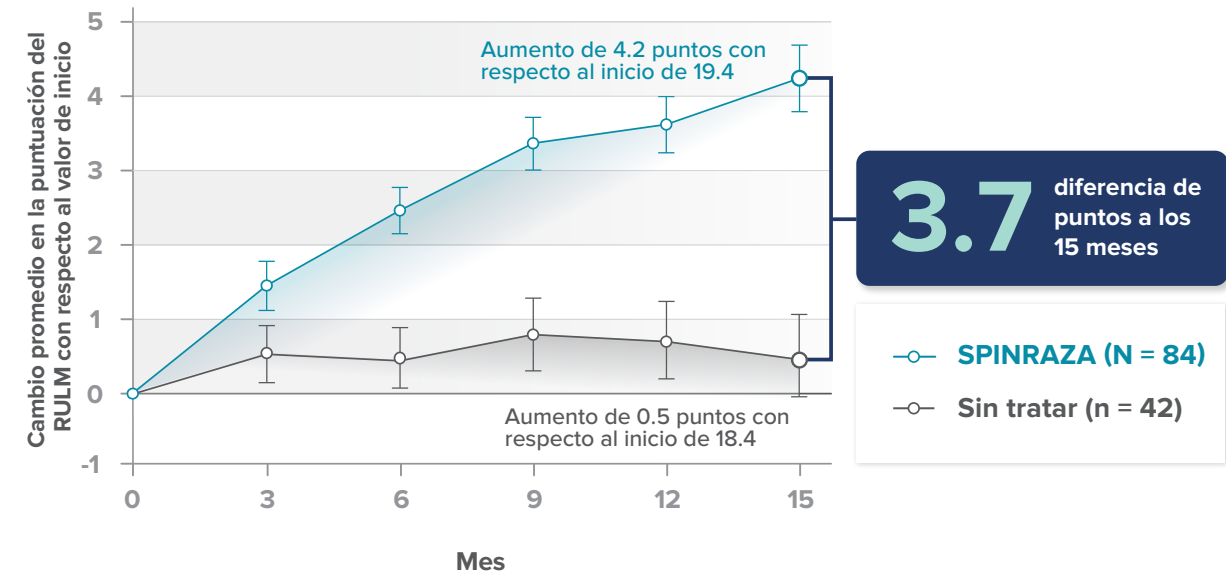


Los resultados individuales pueden variar en función de varios factores, como la gravedad de la enfermedad, el inicio del tratamiento y la duración de la terapia.

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

Consulte la [Información importante de seguridad adicional en la página 27](#) y haga clic en la [Información de prescripción completa](#).

Las puntuaciones promedio revisadas de la función de las extremidades superiores mejoraron a los 15 meses



Las puntuaciones revisadas del módulo de extremidades superiores (RULM) oscilan entre 0 y 37, donde las puntuaciones más altas indican una mejor función

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Después de la administración de medicamentos similares, se ha observado un aumento del riesgo de daño renal, incluida una inflamación aguda del riñón potencialmente mortal.

Su proveedor de atención médica debe realizar un análisis de orina antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para vigilar los signos de este riesgo.

En promedio, las personas con AME de inicio tardío mostraron mayores mejorías en la marcha y la función motora general

- // **Quién:** 28 personas entre 2 y 15 años con AME de inicio tardío tratadas con SPINRAZA
- // **Duración del estudio:** Aproximadamente 3 años
- // **Resultado primario:** Seguridad de SPINRAZA
- // **Otros resultados:** También se estudiaron la seguridad y los efectos a largo plazo de SPINRAZA sobre la función motora general, la función de las extremidades superiores y la capacidad para caminar
- // **Limitaciones:** La posología fue diferente de la pauta aprobada de SPINRAZA. Además, estos estudios tenían un número reducido de participantes y no tenían grupos de control de personas no tratadas
- // **Seguridad:** Los efectos secundarios coincidieron con los informados en los ensayos esenciales

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

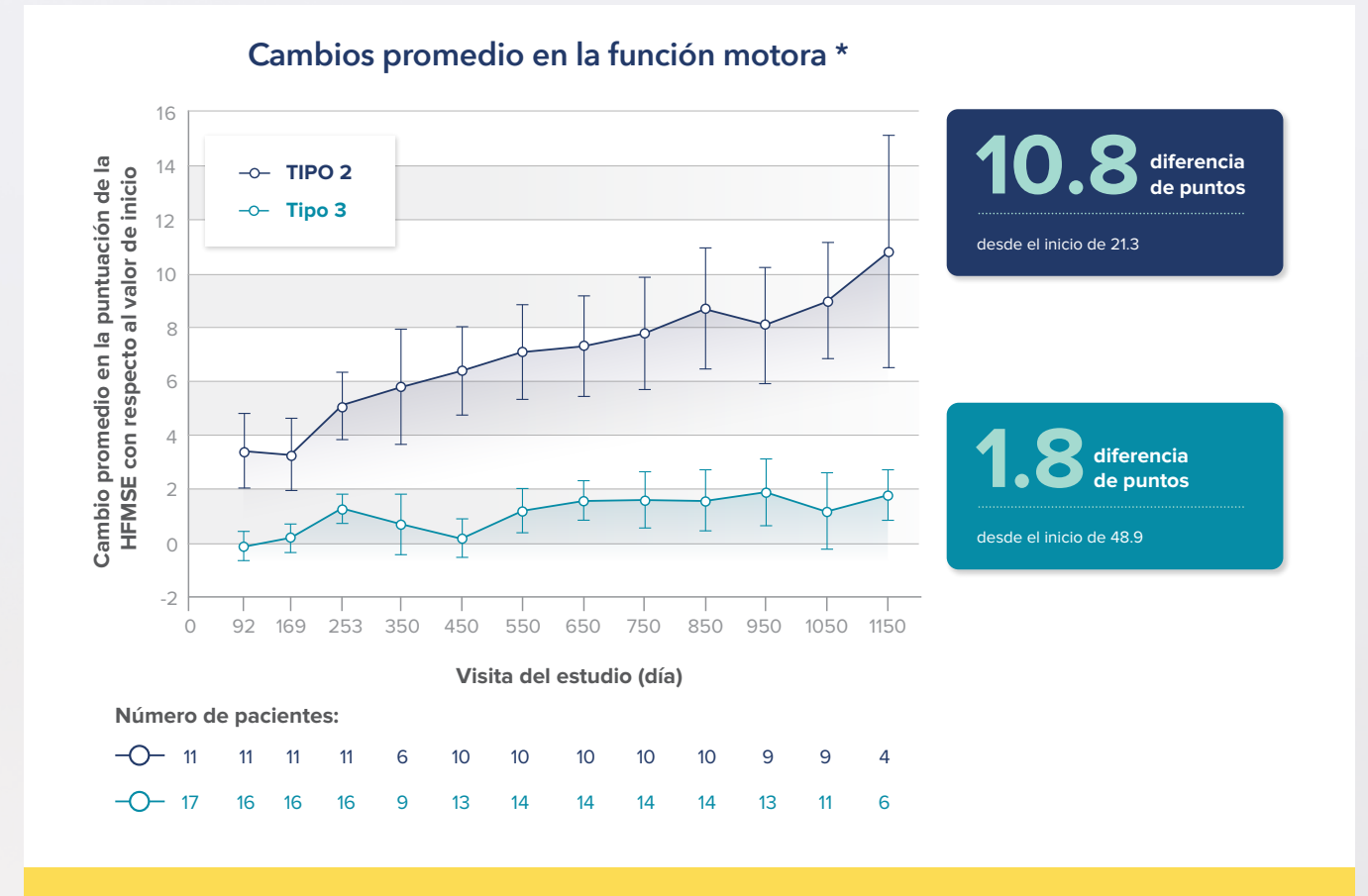
Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias inferiores, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, lumbalgia y síndrome de postpunción lumbar.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Llame a su proveedor de atención médica para recibir asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA de los EE. UU. llamando al 1-800-FDA-1088.

Antes de recibir SPINRAZA, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o tiene previsto quedar embarazada.

Esta información no tiene el fin de reemplazar las consultas con su proveedor de atención médica.

En promedio, las personas tratadas con SPINRAZA experimentaron un mayor aumento de la función motora a lo largo de 3 años



*Debido a un intervalo entre las visitas del estudio, algunos datos no contienen resultados para todos los niños.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

Las personas sin capacidad ambulatoria tratadas con SPINRAZA observaron una mejoría en la función de las extremidades superiores con respecto al inicio.

NICOLE // 45 AÑOS
DISEÑADORA GRÁFICA



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.

Cambios en la función de las extremidades superiores*



4.0 diferencia de puntos
desde el inicio de 11.9

Número de pacientes:

○ 11 10 11 11 6 10 10 10 10 10 9 9 4

El 56 % (5/9) de las personas observaron mejorías clínicamente significativas en ULM aproximadamente al tercer año (definido como un aumento de ≥ 2 puntos con respecto al inicio)

*Debido a un intervalo entre las visitas del estudio, algunos datos no contienen resultados para todos los niños.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

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

El 100 % (8/8) de las personas con capacidad para caminar lograron mejorías en la distancia caminada aproximadamente al tercer año (mejorías definidas como ≥ 30 metros con respecto al inicio)[†]

[†]Debido al intervalo entre visitas del estudio, algunos datos no contienen resultados de todos los niños.

DISTANCIA PROMEDIO CAMINADA AUMENTADA



92 m (301 pies)

1 de los 11 pacientes con AME de tipo 2 logró caminar.

2 de los 4 pacientes con AME de tipo 3 recuperaron la capacidad de caminar.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

Estudio de observación independiente en adultos con edades comprendidas entre los 16 y los 65 años con AME de inicio tardío

- // **Quién:** 139 adultos entre 16 y 65 años con AME de inicio tardío, 2 con Tipo 1, 47 con Tipo 2, 89 con Tipo 3 y 1 con Tipo 4
- // **Duración del estudio:** 14 meses
- // **Resultado primario:** Cambios en la función motora a los 6, 10 y 14 meses, medidos en la HFMSE
- // **Resultados secundarios:**
 - Cambios en la función de las extremidades superiores a los 6, 10 y 14 meses, medidos según el RULM
 - Cambios en la capacidad para caminar medidos en la 6MWT
- // **Limitaciones:**
 - **Sin controles:** Los controles son personas que no reciben el fármaco del estudio. Los controles se pueden comparar con las personas que sí reciben el fármaco del estudio. Este estudio no tenía un grupo de control sin tratar
 - **Sin ciego:** El ciego se produce cuando los médicos y el personal de enfermería que cuidan a los participantes en el ensayo no saben quién está recibiendo el fármaco del estudio. Este estudio no tenía ciego
 - **Solo se midió el resultado primario:** Recuerde que los resultados primarios responden a la pregunta principal, o resultado, de un estudio. Los resultados secundarios proporcionan respuestas a otras preguntas de un estudio



Seguridad:

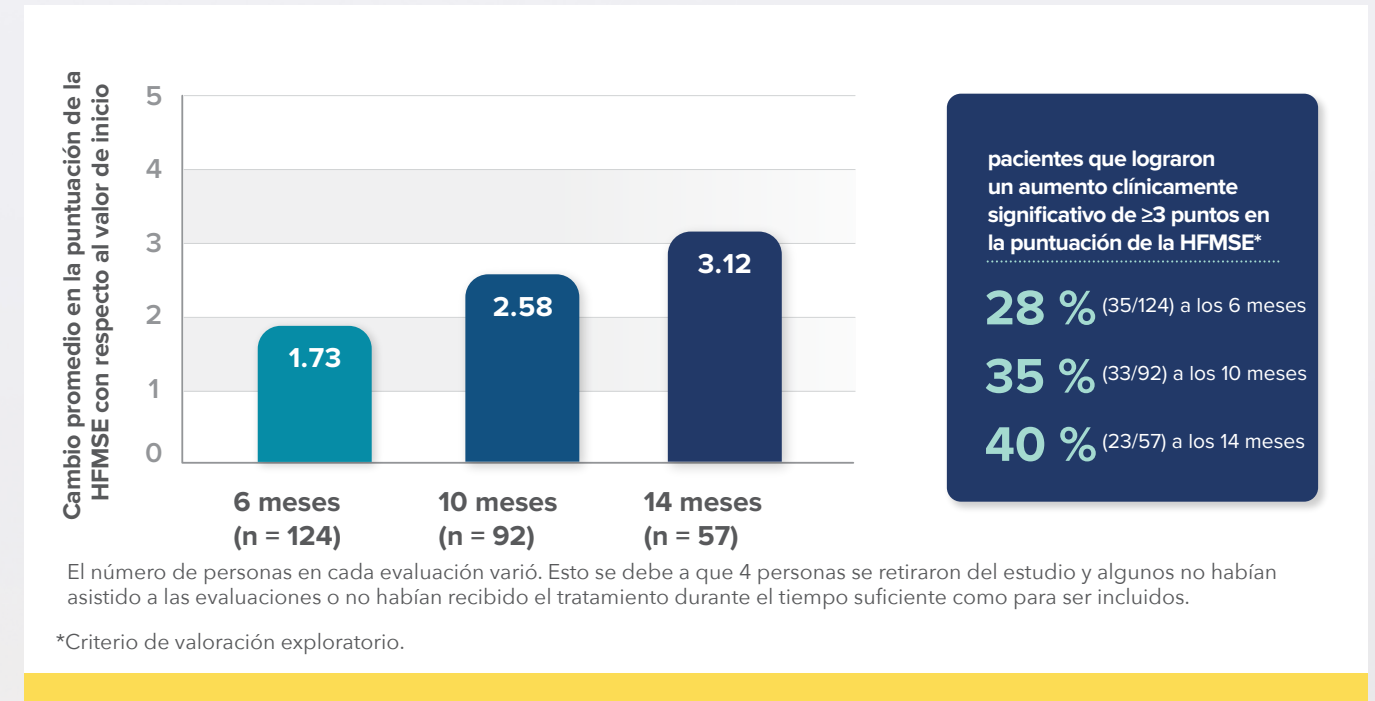
La mayoría de los efectos secundarios coincidieron con los de los ensayos esenciales de SPINRAZA. **Los efectos secundarios más frecuentes en el ensayo fueron dolor de cabeza, dolor de espalda y náuseas.** Otros fueron:

- Trastorno de vejiga no especificado
- Dolor difuso
- Estreñimiento
- Vértigo
- Infección
- Meningitis, aséptica
- Infección de oído

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

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

Resultado primario: Cambio promedio en las puntuaciones de la HFMSE desde el inicio

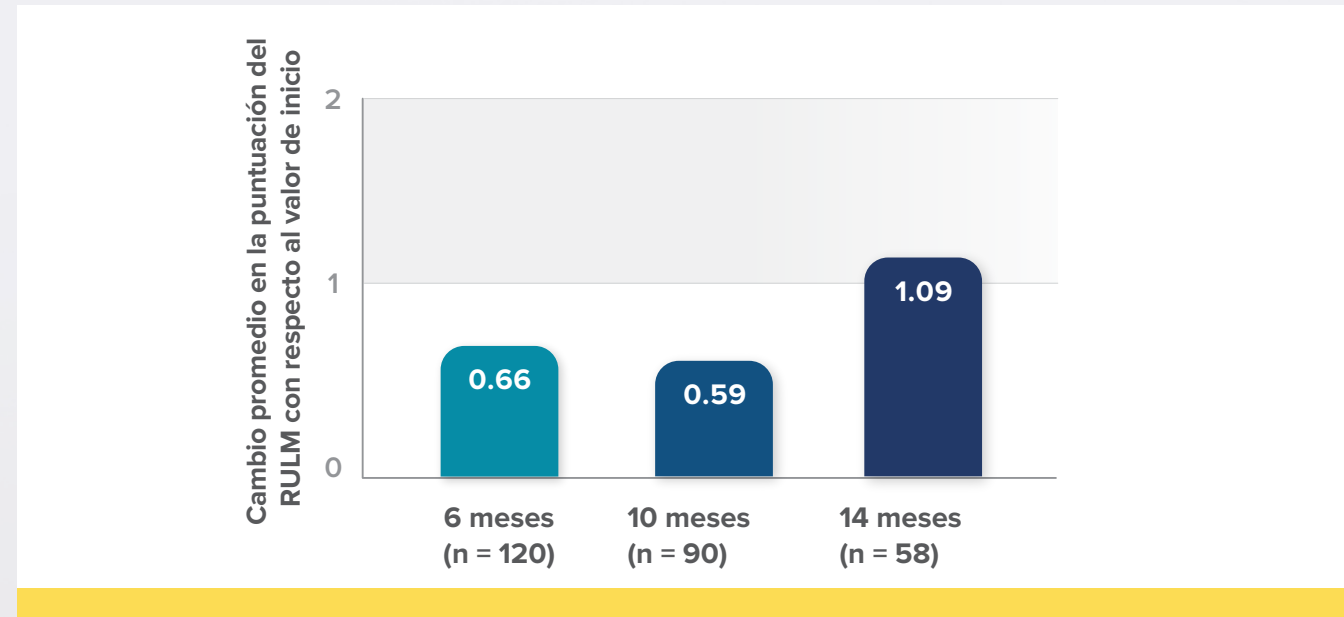


La mayoría de los adultos estabilizaron o mejoraron significativamente su función motora. Algunos adultos no mejoraron ni mantuvieron la función motora

- Aquellos con síntomas menos graves al inicio del ensayo tuvieron mayores mejorías en la función motora
- El 11 % (14/124) mostró empeoramiento de la función motora durante el tratamiento

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

Resultado secundario: Cambio promedio desde el inicio en el RULM



En promedio, los adultos estabilizaron o mejoraron la función de sus extremidades superiores
Después de 6 meses de tratamiento:

23 % (28/120)

mejoraron significativamente su nivel actual de fuerza y, de estos, el **75 % (21/28)** permaneció estable después de 14 meses de tratamiento

El 61 % (74/120)

estabilizó su nivel actual de fuerza.

15 % (18/120)

mostró una disminución de 1 punto o más, y el 8 % (10/120) mostró una disminución de 2 puntos o más

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

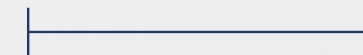
Resultado secundario: Cambio promedio desde el inicio en las puntuaciones de 6MWT de adultos con AME de tipo 3 con capacidad ambulatoria

73 pies
(22.1 m)



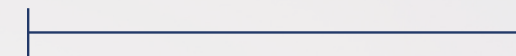
A LOS 6 MESES
(n = 47)

102 pies
(31.1 m)



A LOS 10 MESES
(n = 37)

151 pies
(46.0 m)



A LOS 14 MESES
(n = 25)



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias inferiores, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, lumbalgia y síndrome de postpunción lumbar.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Llame a su proveedor de atención médica para recibir asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA de los EE. UU. llamando al 1-800-FDA-1088.

ESTUDIO 2 DE OBSERVACIÓN, RETROSPECTIVO, INDEPENDIENTE, EN ADULTOS

Estudio de observación retrospectivo en adultos entre 18 y 72 años con AME de inicio tardío

// **Quién:** 116 adultos entre 18 y 72 años con AME de inicio tardío: 13 con tipo 2 y 103 con tipo 3

// **Duración del estudio:** 14 meses. Se realizaron evaluaciones a los 6, 10 y 14 meses

// **Resultados primarios:** Cambios en la función motora general medidos por la HFMSE, cambios en la función de las extremidades superiores medidos por el RULM y cambios en la capacidad para caminar medidos por 6MWT

// Limitaciones:

- **Sin controles:** Los controles son personas que no reciben el fármaco del estudio. Los controles se pueden comparar con las personas que sí reciben el fármaco del estudio. Este estudio no tenía un grupo de control sin tratar
- **Diseño retrospectivo:** Un estudio retrospectivo utiliza las historias clínicas y la información de aquellos que han tomado el fármaco previamente
- **Datos faltantes para algunos resultados:** Los datos faltantes pueden afectar la conclusión del estudio
- **Pequeño número de pacientes con AME tipo 2:** De los 116 adultos que participaron en el estudio, 13 tenían AME tipo 2
- Estas limitaciones pueden haber afectado los resultados



Seguridad: No se identificaron nuevos efectos secundarios en este estudio; los informados coincidieron con el perfil de seguridad de SPINRAZA. **Los efectos secundarios más frecuentes fueron dolor de cabeza y lumbalgia.** Además:

- El **41.4 % de los pacientes** informó un efecto secundario
- **La mayoría de las cefaleas fueron generalmente de leves a moderadas** y desaparecieron espontáneamente en unos días
- **5 pacientes fueron hospitalizados por cefalea**
- 2 pacientes abandonaron el tratamiento a los 6 meses. Los motivos fueron que no sentían mejoría y que no podían seguir la terapia

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

Resultado primario 1: Cambio de la mediana desde el inicio en las puntuaciones de la HFMSE de adultos con AME de inicio tardío (tipo 3)

A LOS 6 MESES | mejoría de +1 punto en la mitad de los 103 adultos

A LOS 10 MESES | mejoría de +2 puntos en la mitad de los 75 adultos

A LOS 14 MESES | mejoría de +3 puntos en la mitad de los 46 adultos

Los adultos con AME de tipo 3 observaron una mejoría significativa de la función motora a partir de los 6 meses

La mediana es el valor medio de un rango de números.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

Antes de recibir SPINRAZA, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o tiene previsto quedar embarazada.

Esta información no tiene el fin de reemplazar las consultas con su proveedor de atención médica.

Resultado primario 2: Cambio de la mediana desde el inicio en la puntuación RULM en adultos sin capacidad ambulatoria con AME de tipo 3

A LOS 6 MESES | la función se mantuvo en al menos la mitad de los 51 adultos

A LOS 10 MESES | mejoría de +1 punto en la mitad de los 33 adultos

A LOS 14 MESES | mejoría de +2 puntos en la mitad de los 19 adultos

Los adultos sin capacidad ambulatoria con AME de tipo 3 observaron mejorías significativas en la fuerza de las extremidades superiores y la función motora.

Cuando se analizaron los adultos con AME de tipo 3, aquellos que podían caminar (con capacidad ambulatoria) no tuvieron una mejoría en ningún punto temporal (0 en todos los puntos temporales).

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

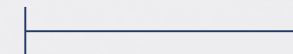
Resultado primario 3: Cambio de la mediana desde el inicio en las puntuaciones de 6MWT de adultos con AME de tipo 3 con capacidad ambulatoria

36 pies
(11 m)



A LOS 6 MESES
(n = 48)

82 pies
(25 m)



A LOS 10 MESES
(n = 35)

66 pies
(20 m)



A LOS 14 MESES
(n = 24)



La mediana es el valor medio de un rango de números.

La mayoría de los adultos observaron cambios clínicamente significativos en al menos, 1 de los 3 tipos de función motora en el mes 14

Un cambio significativo puede describirse de la siguiente manera:

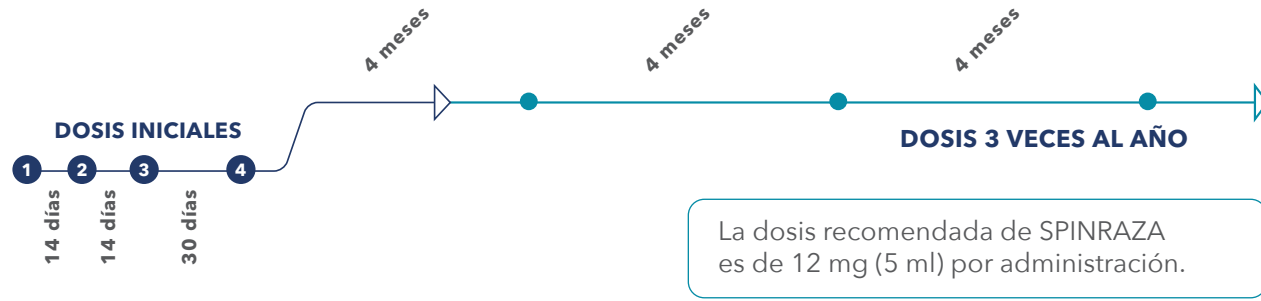
- // +3 puntos en la HFMSE, que se produjo en el 49 % de los adultos en el mes 14
- // +2 puntos en el RULM, que se produjo en el 35 % de los adultos en el mes 14
- // +98 pies (30 m) en 6MWT, que se produjo en el 42 % de los adultos con capacidad ambulatoria en el mes 14

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD SELECCIONADA

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

ADMINISTRACIÓN DE DOSIS

Posología diseñada para que su cuerpo reciba el medicamento que necesita, cuándo y dónde lo necesite



SPINRAZA es una inyección intratecal, o una inyección en el líquido de la columna vertebral, administrada por un proveedor de atención médica con experiencia en la realización de punciones lumbares.

La pauta posológica comienza con 4 dosis de carga iniciales; las primeras 3 se producen 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 posológica 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 toman SPINRAZA pueden tener un riesgo similar. Se recomienda que su proveedor de atención médica realice análisis de sangre y orina una vez antes de iniciar el tratamiento y de nuevo antes de cada dosis para detectar signos de estos riesgos.

Cumplir los plazos del tratamiento puede ayudarlo a sacar el máximo partido de SPINRAZA

Estos son algunos aspectos que debe tener en cuenta:

- ✓ Comprender los criterios de cobertura y aprobación de su plan de salud (pruebas genéticas, pruebas de la función motora, laboratorios, notas clínicas)
- ✓ Comunicarse con su equipo de atención y con FAM para garantizar el envío oportuno de las autorizaciones
- ✓ Priorizar y hacer un seguimiento de las citas clínicas, de fisioterapia y de administración

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

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



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.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.

SMA360^o™ Su círculo de apoyo para SPINRAZA

El programa de apoyo SMA360^o de Biogen proporciona ciertos servicios que abordan barreras no médicas para el acceso.*



Coordinación del tratamiento



Investigación sobre prestaciones de seguros



Capacitación sobre SPINRAZA



Asistencia financiera para personas que reúnan los requisitos

*Los servicios de SMA360^o de Biogen están disponibles solo para aquellos a los que se les ha recetado SPINRAZA. SMA360^o está destinado únicamente a residentes estadounidenses.

Consulte todos los servicios de apoyo de SMA360^o en [SPINRAZA.com/support](https://www.spinraza.com/support)



Únase a nuestra comunidad.



Hable con un gestor de casos

1-844-4SPINRAZA

1-844-477-4672

de lunes a viernes de
8:30 a 20:00 hora del Este



Con SMA360^o, obtendrá
un círculo completo de apoyo

INDICACIÓN E INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

INDICACIÓN

SPINRAZA[®] (nusinersén) es un medicamento de venta con receta que se utiliza 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 después de la administración de medicamentos similares. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes de iniciar el tratamiento con SPINRAZA y antes de cada dosis para detectar signos de estos riesgos. Busque atención médica si se produce una hemorragia inesperada.

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

Los efectos secundarios más frecuentes de SPINRAZA incluyen infección de las vías respiratorias inferiores, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, lumbalgia y síndrome de postpunción lumbar. Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Llame a su proveedor de atención médica para recibir asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA de los EE. UU. llamando al 1-800-FDA-1088.

Antes de recibir SPINRAZA, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o tiene previsto quedar embarazada.

Consulte la [Información de prescripción completa](#).

Esta información no tiene el fin de reemplazar las consultas con su proveedor de atención médica.



IAN // 36 AÑOS
MÚSICO

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.



Escuche a los pacientes que reciben SPINRAZA en [SPINRAZA.com/SPINRAZA-stories](https://www.spinraza.com/SPINRAZA-stories)

Es posible que se produzcan mejorías en adultos con AME de inicio tardío.

Hable con su médico sobre SPINRAZA

LAUREN // 20 AÑOS
ENTUSIASTA DEL ARTE
TRATADA CON SPINRAZA
DURANTE MÁS DE 6 AÑOS

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 inferiores, fiebre, estreñimiento, dolor de cabeza, vómitos, lumbalgia y síndrome de postpunción lumbar. Estos no son todos los posibles efectos secundarios de SPINRAZA. Llame a su proveedor de atención médica para recibir asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA de los EE. UU. llamando al 1-800-FDA-1088.

Antes de recibir SPINRAZA, informe a su proveedor de atención médica si está embarazada o tiene previsto quedar embarazada.

Consulte la Información importante de seguridad adicional en la página 27 y haga clic en la Información de prescripción completa.