

# **Elevidys<sup>®</sup>**

**(delandistrogênio moxeparvoveque)**

**Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.**

**Solução para infusão intravenosa de uma terapia gênica  
baseada em um vetor viral adeno-associado**

**$1,33 \times 10^{13}$  gv/mL\***

**(\*gv/mL = corresponde à quantidade de genomas vetoriais por mL)**

**delandistrogeno moxeparveque****APRESENTAÇÕES**

**Elevidys®** 1,33 x 10<sup>13</sup> gv/mL\* (\*gv/mL = corresponde à quantidade de genomas vetoriais por mL), solução para infusão é fornecido como uso único, solução aquosa, estéril e sem conservantes para perfusão intravenosa.

Cada frasco contém 10 mL de 1,33 × 10<sup>13</sup> gv/mL de delandistrogeno moxeparveque

**Elevidys®** é fornecido em forma de kit contendo 10 a 70 frascos. Para maiores detalhes sobre a composição dos kits consulte o item “6. COMO DEVO USAR ESTE MEDICAMENTO?”.

**VIA INTRAVENOSA****USO PEDIÁTRICO ENTRE 4 E 7 ANOS****COMPOSIÇÃO**

**Elevidys®** é um medicamento de terapia gênica que contém a substância ativa delandistrogeno moxeparveque. **Elevidys®** fornece um gene ao corpo que contém as informações necessárias para que os músculos produzam a proteína microdistrofina de **Elevidys®**.

**Elevidys®** 1,33 x 10<sup>13</sup> gv/mL\*

**Princípio ativo:** Cada mL de delandistrogeno moxeparveque contém 1,33 x 10<sup>13</sup> genomas vetoriais (gv). **Elevidys®** é um líquido límpido e incolor e pode apresentar alguma opalescência. **Elevidys®** pode conter partículas brancas a esbranquiçadas.

**Excipientes:** trometamol, cloridrato de trometamol, cloreto de magnésio, cloreto de sódio e poloxamer e água para injetáveis.

Cada frasco contém um volume extraível não inferior a 10,0 mL. A dosagem total recomendada é baseada no peso do paciente e requer vários frascos para compor uma dose.

**INFORMAÇÕES AO PACIENTE**

As informações disponíveis nesta bula aplicam-se exclusivamente a **Elevidys®**

Solicitamos a gentileza de ler cuidadosamente as informações a seguir. Caso você não esteja seguro(a) a respeito de determinado item, por favor, informe ao(à) seu(sua) médico(a).

**1. PARA QUE ESTE MEDICAMENTO É INDICADO?**

**Elevidys®** é usado para tratar pacientes deambuladores pediátricos de 4 a 7 anos de idade com distrofia muscular de Duchenne (DMD) confirmada pela identificação de defeitos genéticos que afetam a função muscular normal.

**Elevidys®** é utilizado no tratamento de pacientes que conseguem andar.

O seu filho terá feito testes solicitados pelo médico antes de iniciar o tratamento com **Elevidys®** para confirmar que este medicamento é adequado para o tratamento da sua doença, ver item “4. O QUE DEVO SABER ANTES DE USAR ESTE MEDICAMENTO?”.

**2. COMO ESTE MEDICAMENTO FUNCIONA?**

A DMD é causada por uma alteração (conhecida como mutação) no gene *DMD* que produz uma proteína chamada distrofina. A distrofina é necessária para que os músculos funcionem corretamente. Pessoas com DMD não conseguem produzir uma versão funcional dessa proteína.

**Elevidys®** insere um gene no corpo que contém a informação para que os músculos produzam a proteína microdistrofina de **Elevidys®**, que é uma versão funcional encurtada da distrofina normal. Isso ajuda a proteger os músculos contra danos.

O gene para produzir a proteína microdistrofina **Elevidys®** é transferido para as células musculares usando um vírus modificado que não causa doenças.

### 3. QUANDO NÃO DEVO USAR ESTE MEDICAMENTO?

Seu filho não deve usar **Elevidys®** se:

- for alérgico (hipersensível) ao delandistrogênio moxeparvovec ou a qualquer outro componente deste medicamento (indicados no item COMPOSIÇÃO).
- o teste genético mostrar que falta uma seção específica do gene DMD do seu filho (o éxon 8 e/ou o éxon 9).
- tiver título elevado (acima de 1:400) de anticorpos totais contra o vetor AAVrh74.

### 4. O QUE DEVO SABER ANTES DE USAR ESTE MEDICAMENTO?

Siga todas as instruções do seu médico cuidadosamente. Eles podem complementar as informações gerais contidas nesta bula.

#### Advertências e Precauções

- Para ajudar a decidir se este medicamento é adequado para o seu filho, o médico do seu filho:
  - Fará, ou já fez, um tipo de exame médico que identifica alterações no gene *DMD*.
  - Verificará se seu filho produz anticorpos específicos (uma proteína produzida pelo sistema imunológico do corpo).
- Antes do tratamento, o seu filho fará um exame de sangue para verificar:
  - A saúde do fígado
  - O número de plaquetas (células sanguíneas capazes de prevenir e parar sangramentos).
  - Níveis de troponina-I (uma proteína liberada no sangue quando o músculo cardíaco foi danificado).
- Fale com o médico do seu filho antes de este medicamento ser administrado se o seu filho tiver tido algum problema de fígado. Isto é importante porque o seu filho pode ter um risco maior de desenvolver problemas hepáticos novos ou piores após o tratamento com **Elevidys®**.
- Antes de administrar este medicamento, informe o médico do seu filho se o seu filho estiver tomando algum medicamento ou suplemento.
- Uma infecção antes do tratamento com **Elevidys®** pode causar efeitos secundários mais graves.
- Fique atento se o seu filho apresentar sinais de infecção, como tosse, chiado no peito, espirros, coriza, dor de garganta ou febre.
- Informe imediatamente o médico ou enfermeiro se o seu filho apresentar algum destes sinais ou sintomas.

#### O que você deve informar o seu médico ou enfermeiro após o tratamento com **Elevidys®**

Informe imediatamente o médico do seu filho se apresentar algum destes sinais ou sintomas durante ou após o tratamento com **Elevidys®**:

Reações relacionadas à infusão

- Os efeitos secundários relacionados com a infusão podem ocorrer durante ou após a administração de **Elevidys®**.
- Dependendo dos sintomas, a infusão pode ser retardada ou interrompida.
- O médico do seu filho pode decidir quando é necessário administrar medicação adicional.

- Se o tratamento puder ser reiniciado, poderá ser administrado mais lentamente.

#### Problemas de fígado

- Este medicamento pode causar um aumento das enzimas hepáticas (proteínas) no sangue, o que pode significar que o fígado está lesionado ou inflamado (ver item “8. QUAIS OS MALES QUE ESTE MEDICAMENTO PODE ME CAUSAR?”).

#### Músculos inflamados (“miosite”)

- Músculos inflamados (“miosite”) podem ocorrer após o tratamento com **Elevidys**<sup>®</sup>, nos músculos responsáveis pelo movimento (ver item “8. QUAIS OS MALES QUE ESTE MEDICAMENTO PODE ME CAUSAR?”).
- Isto foi observado em pacientes que têm uma seção específica do gene *DMD* ausente (chamado éxon 8 ou éxon 9). Pacientes com outras alterações (conhecidas como mutações) no gene *DMD* também podem estar em risco.
- O médico do seu filho pode verificar se o coração está afetado.

#### Músculo cardíaco inflamado (“miocardite”):

- Pode ocorrer inflamação do músculo cardíaco (denominada “miocardite”) após o tratamento com **Elevidys**<sup>®</sup> (ver item “8. QUAIS OS MALES QUE ESTE MEDICAMENTO PODE ME CAUSAR?”).
- Os pacientes com “cardiomiopatia” (uma doença do músculo cardíaco que afeta a sua função) o que pode afetar a capacidade de bombeamento do coração – podem estar em risco de efeitos secundários mais graves.
- Informe imediatamente o médico ou enfermeiro do seu filho se tiver algum destes sinais ou sintomas durante ou após o tratamento com **Elevidys**<sup>®</sup>.

#### Infecção

- Uma infecção após o tratamento com **Elevidys**<sup>®</sup> pode causar efeitos secundários mais graves.
- É necessário estar atento aos sinais e sintomas de infecção como tosse, respiração ofegante, espirros, coriza, dor de garganta ou febre.

Fale com o médico ou enfermeiro do seu filho se o seu filho desenvolver quaisquer efeitos secundários (ver item “8. QUAIS OS MALES QUE ESTE MEDICAMENTO PODE ME CAUSAR?”).

#### **Monitoramento após tratamento com Elevidys<sup>®</sup>**

É muito importante comparecer a todas as consultas e exames de acompanhamento. Após o tratamento, seu filho fará exames de sangue regulares para monitorar:

- Aumento das enzimas hepáticas.
- Alterações no número de plaquetas.
- Alterações nos níveis de troponina-I.

#### **Tomar outros medicamentos e Elevidys<sup>®</sup>**

Informe o médico do seu filho se ele estiver tomando medicamentos, tiver tomado recentemente ou vier a tomar outros medicamentos.

#### Medicamento corticosteroide

- O seu filho receberá também outro medicamento (corticosteroides) durante cerca de 2 meses ou mais, como parte do tratamento com **Elevidys**<sup>®</sup>.
- Se o seu filho já toma corticosteroides, o médico do seu filho irá informá-lo sobre como a dose do corticosteroide irá aumentar.
- A dose dependerá do peso do seu filho. O médico do seu filho determinará a dose total a administrar.
- É importante que o seu filho tome este medicamento de acordo com as instruções fornecidas.
- O corticosteroide ajudará a controlar o aumento das enzimas hepáticas que o seu filho poderá desenvolver após receber **Elevidys**<sup>®</sup> e a dose poderá ser aumentada se necessário.
- Contacte o médico do seu filho ou procure ajuda de emergência imediatamente se o seu filho não tomar ou vomitar logo após tomar uma dose de corticosteroide.

#### Vacinações

- Os corticosteroides podem afetar o sistema imunológico (de defesa) do corpo, e o médico do seu filho pode decidir alterar o calendário de vacinações (antes e depois do tratamento com **Elevidys**<sup>®</sup>).
- Fale com o médico do seu filho se tiver alguma dúvida.

**Informe ao seu médico ou cirurgião-dentista se você está fazendo uso de algum outro medicamento. Não use medicamento sem o conhecimento do seu médico. Pode ser perigoso para a sua saúde.**

#### **5. ONDE, COMO E POR QUANTO TEMPO POSSO GUARDAR ESTE MEDICAMENTO?**

As informações a seguir destinam-se aos profissionais de saúde que irão armazenar, preparar e administrar o medicamento.

- Mantenha este medicamento fora da vista e do alcance das crianças.
- Os frascos serão transportados congelados (temperatura igual ou inferior a -60 °C). Após o recebimento, os frascos devem ser armazenados congelados (a uma temperatura igual ou inferior a -60 °C), para manter a validade da embalagem exterior (VAL).
- Após o descongelamento:
  - Este medicamento pode ser conservado no refrigerador entre 2 °C e 8 °C.
  - Depois de refrigerado, o medicamento deve ser utilizado no prazo de 14 dias.
  - O novo prazo de validade deve ser escrito no rótulo da embalagem original antes do produto ser armazenado na geladeira.
  - Após descongelar, não volte a congelar, não agite.
- Não coloque-o novamente no refrigerador depois de atingir a temperatura ambiente.
- Não utilize este medicamento após o prazo de validade impresso no rótulo do frasco para injetáveis e na embalagem exterior após VAL. O VAL pré-impresso na embalagem exterior refere-se ao prazo de validade quando armazenado a uma temperatura igual ou inferior a -60 °C. A data de validade refere-se ao dia exato do mês (DD-MM-AAAA).
- Este medicamento contém organismos geneticamente modificados. Os medicamentos não utilizados e os resíduos devem ser eliminados de acordo com as diretrizes locais sobre o manuseio de resíduos biológicos e as orientações de eliminação/devolução do centro de tratamento local.
- Como este medicamento será administrado por um médico ou enfermeiro, o médico ou enfermeiro é responsável pelo descarte correto do produto. Estas medidas ajudarão a proteger o ambiente.

**Número de lote e datas de fabricação e validade: vide embalagem.**

**Não use medicamento com o prazo de validade vencido.**

**Antes de usar, observe o aspecto do medicamento. Caso ele esteja no prazo de validade e você observe alguma mudança no aspecto, consulte o farmacêutico para saber se poderá utilizá-lo.**

**TODO MEDICAMENTO DEVE SER MANTIDO FORA DO ALCANCE DAS CRIANÇAS.**

## **6. COMO DEVO USAR ESTE MEDICAMENTO?**

**Elevidys®** é um líquido límpido e incolor para infusão, que pode apresentar alguma opalescência e conter partículas brancas a esbranquiçadas.

**Elevidys®** é fornecido em frascos para injetáveis de 10 mL. Cada frasco é apenas para uso único.

Cada caixa conterá de 10 a 35 frascos ou 36 a 70 frascos.

**Elevidys®** será fornecido por um médico ou enfermeiro treinado no tratamento da DMD do seu filho.

O médico calculará a quantidade de **Elevidys®** que o seu filho receberá de acordo com o peso do seu filho. **Elevidys®** será administrado em um centro médico.

**Elevidys®** é administrado por via intravenosa (numa veia) através de uma única perfusão durante cerca de 1-2 horas ou mais, se necessário.

**Elevidys®** será fornecido apenas UMA VEZ.

Se tiver mais dúvidas, pergunte ao médico ou enfermeiro do seu filho.

**Siga a orientação de seu médico, respeitando sempre os horários, as doses e a duração do tratamento. Não interrompa o tratamento sem o conhecimento do seu médico.**

### **Informações adicionais para pais e/ou cuidadores**

Boa higienização das mãos

- O vírus modificado presente em **Elevidys®** passará temporariamente para os resíduos corporais do seu filho (urina, fezes ou saliva) após o tratamento; isso é chamado de 'liberação'.
- Os pais e cuidadores devem seguir uma boa higiene das mãos durante 1 mês após a criança receber **Elevidys®**.
  - Use luvas de proteção ao manusear fluidos corporais ou resíduos do seu filho.
  - Lave bem as mãos com sabão e água corrente depois de manusear os fluidos corporais ou resíduos do seu filho.
  - Descarte fraldas sujas e outros resíduos em sacos plásticos duplos lacrados no lixo doméstico.
- Fale com o médico do seu filho se tiver alguma dúvida.

## **7. O QUE DEVO FAZER QUANDO EU ME ESQUECER DE USAR ESTE MEDICAMENTO?**

**Elevidys®** é destinado ao tratamento de dose única a ser realizado em um centro médico habilitado. Desta forma, não é esperado o esquecimento do uso deste medicamento.

**Em caso de dúvidas, procure orientação do farmacêutico ou de seu médico, ou cirurgião-dentista.**

## **8. QUAIS OS MALES QUE ESTE MEDICAMENTO PODE ME CAUSAR?**

Como todos os medicamentos, **Elevidys®** pode causar reações adversas, no entanto estas não se manifestam em todas as pessoas.

**Alguns efeitos colaterais podem ser graves**

**Procure atendimento médico urgente se seu filho desenvolver algum dos seguintes efeitos colaterais graves.**

Procure atendimento médico urgente se seu filho apresentar algum destes sinais ou sintomas após receber **Elevidys®**:

**Muito comum (podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas):**

- Náusea;
- Aumentos nas enzimas hepáticas observados em análises do sangue.
- Febre

**Comum (podem afetar até 1 em cada 10 pessoas):**

- Diminuição do número de plaquetas observadas em análises de sangue
- Batimento cardíaco acelerado (taquicardia), respiração rápida, lábios inchados, falta de ar, narinas dilatadas (alargamento nasal), urticária, pele vermelho e manchada, lábios inflamados ou com comichão, manchas com comichão - isto pode ser um sinal de efeitos secundários relacionados à infusão (“Reações Relacionadas à Infusão”)

**Incomum (podem afetar até 1 em 100 pessoas):**

- Fraqueza muscular incomum, dor ou sensibilidade muscular e problemas ao falar (voz fraca), engolir ou respirar – estes podem ser sinais de inflamação dos músculos (“miosite”).

**Não Conhecido (a frequência não pode ser estimada a partir dos dados disponíveis):**

- Amarelecimento da pele ou da parte branca dos olhos (icterícia), dor de barriga, sensação de cansaço ou vômitos – estes podem ser sinais de problemas no fígado.
- Falta de ar, sensação de cansaço, dor ou desconforto no peito, inchaço dos tornozelos ou pernas, batimentos cardíacos irregulares e desmaios - estes podem ser sinais de problemas cardíacos.

Informe o profissional de saúde se notar alguma das reações adversas listadas acima.

**Atenção:** O produto está autorizado ao uso restrito de acordo com as indicações definidas nesta bula, sob condições especiais de monitoramento e produção de dados e provas adicionais comprobatórias de eficácia clínica. Este produto é um medicamento de terapia avançada novo e, embora as pesquisas tenham indicado eficácia e segurança aceitáveis para a população indicada, considerando a gravidade da doença sem alternativas terapêuticas disponíveis, mesmo que indicado e utilizado de acordo com as definições do fabricante, podem ocorrer eventos adversos imprevisíveis ou desconhecidos. **Nesse caso, informe seu médico ou cirurgião-dentista.**

**9. O QUE FAZER SE ALGUÉM USAR UMA QUANTIDADE MAIOR DO QUE A INDICADA DESTES MEDICAMENTO?**

Não há experiência com superdosagem do **Elevidys®** nos estudos clínicos em humanos.

**Em caso de uso de grande quantidade deste medicamento, procure rapidamente socorro médico e leve a embalagem ou bula do medicamento, se possível. Ligue para 0800 722 6001, se você precisar de mais orientações.**

Registro: 1.0100. 0676

Produzido por:  
Catalent Maryland, Inc. Baltimore, EUA

Importado e Registrado por:  
**Produtos Roche Químicos e Farmacêuticos S.A.**  
Rua Dr. Rubens Gomes Bueno, 691 CEP 04730-903 - São Paulo – SP  
CNPJ: 33.009.945/0001-23

**Serviço Gratuito de Informações – 0800 7720 289**  
**www.roche.com.br**

**USO RESTRITO À ESTABELECIMENTOS DE SAÚDE**

**VENDA SOB PRESCRIÇÃO MÉDICA**

**Esta bula foi aprovada pela ANVISA em XX/XX/20XX.**

CDS 4.1\_Pac

