



## Programa de Acceso Gestionado (MAP) de Avidity Biosciences - Preguntas Frecuentes

*Este documento tiene como objetivo ofrecer claridad y responder a las preguntas más frecuentes de la comunidad de pacientes con distrofia muscular de Duchenne sobre el Programa de Acceso Gestionado ("MAP", por sus siglas en inglés) de Avidity para el tratamiento en investigación de la DMD44 delpacibart zotadirsén ("del-zota").*

*Del-zota es un tratamiento en investigación (es decir, no ha sido aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos en EE. UU. (FDA, por sus siglas en inglés)) para personas que viven con distrofia muscular de Duchenne **susceptibles a la omisión del exón 44** (DMD44). Del-zota está diseñado para causar la omisión del exón 44 en el gen de la distrofina y se está estudiando para determinar si aumenta la distrofina, una proteína que los músculos necesitan para mantenerse fuertes. Del-zota no ha sido aprobado por la FDA, y su seguridad y eficacia no se han establecido aún.*

*Nota importante: esta es información actual al mes de enero de 2026, y es con fines educativos y de concientización únicamente. Para preguntas relacionadas con del-zota, por favor contacte a su doctor.*

### ¿Qué es el Programa de Acceso Gestionado ("MAP")?

- Un Programa de Acceso Gestionado (a veces llamado Acceso Temprano o Acceso Extendido) es una manera para algunos pacientes, en consulta con su doctor, de recibir una medicina en investigación antes de que sea aprobada por la FDA. Estos programas normalmente son para enfermedades serias o condiciones con opciones de tratamiento limitadas o nulas.
- El MAP está diseñado para dar acceso a *del-zota* a pacientes que cumplen con los requisitos del programa, y cuyo doctor cree que el paciente podría beneficiarse del tratamiento en investigación mientras que la medicina está bajo revisión por la FDA.

### ¿Es el MAP lo mismo que un ensayo clínico?

- No. Un MAP no es un ensayo clínico.
- Mientras que un ensayo clínico evalúa la seguridad y eficacia de un fármaco, el propósito de un MAP es ofrecer tratamiento para enfermedades o condiciones severas de acuerdo con requisitos específicos.
- Por ello, el proceso para el acceso a una medicina bajo un MAP normalmente es diferente de aquél para un ensayo clínico.
- En el MAP de Avidity, Avidity ofrece *del-zota*, y es responsabilidad del doctor administrar el programa y supervisar todas las actividades según los lineamientos.

### ¿Cómo tengo acceso al MAP?

- Hable con su doctor sobre si el MAP podría ser una opción para usted y su menor.
- Puede también visitar la página [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov/study/NCT07250737) para conocer más sobre el programa (<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07250737>).



### **¿Cómo sé qué lugares están participando en el programa?**

- Conforme las sedes se inscriben en el MAP, los nombres serán agregados al sitio web [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov/study/NCT07250737) (<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07250737>). Por favor, tome nota de que este proceso lleva tiempo, y las sedes serán agregadas sólo después de que se hayan inscrito por completo en el programa.

### **¿Tengo que asistir a alguna de las sedes listadas en el sitio web [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov)?**

- No. Las sedes en la lista del sitio web son sedes activas (sedes que han completado el proceso de inscripción y están aprobadas para administrar *del-zota*). Su doctor puede contactar al programa para saber más sobre la posible inscripción de sedes.

### **¿Soy elegible para el MAP? ¿Cuáles son los criterios de elegibilidad?**

- Puede encontrar los criterios de elegibilidad visitando el sitio web [clinicaltrials.gov](https://clinicaltrials.gov/study/NCT07250737) (<https://clinicaltrials.gov/study/NCT07250737>).
- Puede calificar si usted:
  - Reside permanentemente en EE. UU. y tiene un proveedor de cuidado de la salud en EE. UU
  - Tiene 6 años o más
  - Tiene un diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne con mutación genética susceptible a la omisión del exón 44 confirmada
- Esta no es la lista completa de criterios de elegibilidad. Por favor, hable con su doctor para ver si califica.

### **¿Hay acceso para niños menores de 6 años de edad?**

- No. El MAP está disponible sólo para participantes de 6 años de edad y mayores al momento de inscribirse. Esto es porque no se conoce la seguridad del fármaco en pacientes menores.

### **¿Pueden participar pacientes que han recibido terapia génica?**

- Algunas personas que han recibido previamente terapia génica podrían ser elegibles para el MAP. Se aplicarían requisitos adicionales para participar. Por favor, hable con su doctor para saber si usted calificaría.

### **¿Cuánto tiempo tomará recibir el tratamiento una vez que hable con mi doctor sobre el MAP?**

- El tiempo varía de sede a sede y podría tomar varios meses. Los MAPs deben seguir las regulaciones de la FDA, las cuales incluyen procesos específicos para la aprobación de sedes e inscripción de pacientes. Además, su doctor necesita completar el papeleo necesario antes de que el tratamiento pueda comenzar. Lo mejor que puede hacer es mantenerse en contacto con su doctor.



**¿Hay algún costo para mí por participar en el MAP?**

- *Del-zota* se ofrece **sin costo** a pacientes inscritos en el MAP.
- Debido a que el MAP no es un ensayo clínico, otros costos (que podrían cubrirse bajo un ensayo clínico) no se pueden cubrir.
- Los costos médicos de rutina (como pruebas de laboratorio) se realizarán de la misma manera que una consulta con el doctor regular, y se facturarán normalmente a través de la aseguradora.
- Los costos de traslado no se pueden ofrecer, o reembolsar, por Avidity.

**¿Mi doctor necesita tener un centro de infusión en su consultorio?**

- No. El centro de infusión no necesita estar ubicado en el consultorio de su doctor. Su doctor decidirá el lugar más apropiado para el tratamiento.

**¿Cómo se administra *del-zota* y qué tan frecuentes son las dosis?**

- *Del-zota* se administra como una infusión por vía intravenosa (IV, a través de la vena). Las infusiones se realizan **una vez cada 6 semanas**.

**¿Se necesita un catéter implantable o puerto para la infusión?**

- No, no se requiere de un catéter implantable o puerto.

**¿Está disponible el MAP para los participantes actuales del ensayo clínico EXPLORE44-OLE?**

- Sí. Los participantes del ensayo EXPLORE44-OLE deben completar el ensayo clínico antes de que sean elegibles para recibir *del-zota* a través del MAP. Los participantes deben hablar con el doctor encargado del estudio sobre las opciones del MAP conforme se acerquen al completamiento del ensayo.

**Si estoy en el ensayo clínico, ¿tengo que recibir el tratamiento del MAP en el lugar del ensayo clínico?**

- No. Los participantes no necesitan recibir el tratamiento del MAP en el mismo lugar del ensayo clínico y podrían recibir el tratamiento cerca de casa por un doctor que se haya inscrito en el MAP.

**¿Está disponible el MAP para personas ubicadas fuera de Estados Unidos?**

- Actualmente, el MAP está disponible sólo para participantes que residen permanentemente en Estados Unidos y que tienen un proveedor de cuidado de la salud en Estados Unidos.

**¿Qué debo hacer si tengo más preguntas?**

- Para recibir más información sobre el programa, por favor hable con su doctor.