

DEJATE **IN**SPIRAR



Kiarra, que tiene SCD, y su abuela, Tanique

Las personas con SCD que aparecen en las imágenes pueden o no haber recibido CASGEVY.

CASGEVY[®] puede ayudar a las personas de 12 años o más con anemia de células falciformes (SCD) y crisis vasooclusivas frecuentes a vivir sin crisis vasooclusivas graves*.

En un estudio clínico, el 93.5 % de las personas (29 de 31) no tuvieron una crisis vasooclusiva grave durante al menos 12 meses seguidos después de la infusión de CASGEVY.

¿TE **INCLUIMOS?**

Habla con un proveedor de atención médica para saber si CASGEVY es adecuado para ti.

*En estudios clínicos, las crisis vasooclusivas graves se definieron como un evento doloroso que requiere una visita a un centro médico y analgésicos o transfusiones de glóbulos rojos, con síndrome torácico agudo, priapismo (erección persistente y a menudo dolorosa del pene durante más de 2 horas y que requiere una visita a un centro médico) o secuestro esplénico (glóbulos rojos falciformes que quedan obstruidos en el bazo y bloquean el flujo sanguíneo).

¿Qué es CASGEVY?

CASGEVY es una terapia de una sola vez que se usa para tratar a personas mayores de 12 años que presentan la enfermedad de células falciformes (SCD, por sus siglas en inglés) y crisis vasooclusivas frecuentes.

CASGEVY se fabrica específicamente para cada paciente, utilizando sus propias células madre sanguíneas editadas. Además, aumenta la producción de un tipo especial de hemoglobina denominada "hemoglobina (Hgb) F" o hemoglobina fetal. Tener más de esta hemoglobina aumenta los niveles de hemoglobina en general y, según se ha demostrado, mejora la producción y el funcionamiento de los glóbulos rojos. Esto puede curar las crisis vasooclusivas en personas con SCD.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

¿Qué es lo más importante que debo saber sobre CASGEVY?

Después del tratamiento con CASGEVY, tendrá menos células sanguíneas por un tiempo hasta que CASGEVY se sujete (injerte) a su médula ósea. Esto conlleva niveles bajos de plaquetas (células que generalmente ayudan en la coagulación de la sangre) y glóbulos blancos (células que generalmente combaten las infecciones). Su médico monitoreará este proceso y le brindará el tratamiento necesario. Además, le avisará cuando las células sanguíneas vuelvan a niveles sanos.

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.

Kiarra, que tiene SCD,
y su abuela, Tanique

Las personas con SCD que aparecen
en las imágenes pueden o no haber
recibido CASGEVY.

MAN- TENTE **iN**FORMADO

En este folleto, obtendrás información sobre cómo funciona CASGEVY®, cómo puede ayudarte, cuáles son los posibles efectos secundarios y cómo lo recibirás.

En todo el folleto verás palabras importantes que debes conocer. Verás estas palabras **subrayadas y en negrita** la primera vez que aparecen. Puedes hacer clic en la palabra para ver la definición en el glosario de la página 17.

¡Sigue leyendo e **iNfórmate!**

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Qué es lo más importante que debo saber sobre CASGEVY? (continuación)

- **Avísele inmediatamente a su proveedor de atención médica** si tiene alguno de los siguientes síntomas, que pueden ser signos de niveles bajos de plaquetas:
 - dolor de cabeza intenso
 - hematomas anormales
 - sangrado prolongado
 - sangrado sin heridas, como hemorragias nasales, sangrado de encías, sangre en la orina, las heces o el vómito, o tos con sangre
- **Avísele inmediatamente a su proveedor de atención médica** si tiene alguno de los siguientes síntomas, que pueden ser signos de niveles bajos de glóbulos blancos:
 - fiebre
 - escalofríos
 - infecciones

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.

Contenido

<u>Información Importante de Seguridad</u>	<u>3-5</u>
<u>La función de la hemoglobina fetal</u>	<u>6</u>
<u>¿Qué es CASGEVY?</u>	<u>7</u>
<u>¿Cómo se estudió CASGEVY?</u>	<u>8</u>
<u>Resultados de CASGEVY</u>	<u>9-10</u>
<u>Efectos secundarios de CASGEVY</u>	<u>11-12</u>
<u>Recorrido del tratamiento</u>	<u>13</u>
<u>Apoyo</u>	<u>15</u>
<u>Vertex Connects</u>	<u>16</u>
<u>Glosario</u>	<u>17</u>



Información Importante de Seguridad



¿Qué es CASGEVY®?

CASGEVY es una terapia de una sola vez que se usa para tratar a personas mayores de 12 años que presentan la enfermedad de células falciformes (SCD) y crisis vasooclusivas frecuentes.

CASGEVY se fabrica específicamente para cada paciente, utilizando sus propias células madre sanguíneas editadas. Además, aumenta la producción de un tipo especial de hemoglobina denominada "hemoglobina (Hgb) F" o hemoglobina fetal. Tener más de esta hemoglobina aumenta los niveles de hemoglobina en general y, según se ha demostrado, mejora la producción y el funcionamiento de los glóbulos rojos. Esto puede curar las crisis vasooclusivas en personas con SCD.



¿Qué es lo más importante que debo saber sobre CASGEVY?

Después del tratamiento con CASGEVY, tendrá menos células sanguíneas por un tiempo hasta que CASGEVY se sujete (injerte) a su médula ósea. Esto conlleva niveles bajos de plaquetas (células que generalmente ayudan en la coagulación de la sangre) y glóbulos blancos (células que generalmente combaten las infecciones). Su médico monitoreará este proceso y le brindará el tratamiento necesario. Además, le avisará cuando las células sanguíneas vuelvan a niveles sanos.

- **Avísele inmediatamente a su proveedor de atención médica** si tiene alguno de los siguientes síntomas, que pueden ser signos de niveles bajos de plaquetas:
 - dolor de cabeza intenso
 - hematomas anormales
 - sangrado prolongado
 - sangrado sin heridas, como hemorragias nasales, sangrado de encías, sangre en la orina, las heces o el vómito, o tos con sangre
- **Avísele inmediatamente a su proveedor de atención médica** si tiene alguno de los siguientes síntomas, que pueden ser signos de niveles bajos de glóbulos blancos:
 - fiebre
 - escalofríos
 - infecciones

Es posible que tenga efectos secundarios relacionados con otros medicamentos que se administran como parte del régimen de tratamiento con CASGEVY. Hable con su médico sobre esos posibles efectos secundarios. Su proveedor de atención médica puede recetarle otros medicamentos para tratar los efectos secundarios.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en las páginas 3 a 5 y la [Información de Prescripción](#) completa, incluida la [Información para el Paciente](#), de CASGEVY.



Información Importante de Seguridad (continuación)



¿Cómo recibiré CASGEVY®?

Su proveedor de atención médica le dará otros medicamentos, incluida una medicina condicionante, como parte de su tratamiento con CASGEVY. Es importante que converse con su proveedor de atención médica sobre los riesgos y los beneficios de todos los medicamentos que incluye su tratamiento.

Después de recibir la medicina condicionante, es posible que no pueda quedar embarazada o que no pueda procrear. Debe analizar opciones de preservación de la fertilidad con su proveedor de atención médica antes del tratamiento.

PASO 1: Antes del tratamiento con CASGEVY, un médico le proveerá una medicina movilizadora. Esta transporta las células madre sanguíneas desde su médula ósea hacia el torrente sanguíneo. Entonces, una máquina recolecta las células madre sanguíneas y las separa en diferentes tipos de células (un proceso llamado “aféresis”). Todo este proceso puede repetirse y cada vez puede demorar hasta una semana.

Durante este paso, también se recolectan y se almacenan células de rescate en el hospital. Se trata de sus propias células madre sanguíneas existentes que se mantienen sin modificar en caso de que se desarrolle un problema durante el proceso de tratamiento. Si no se puede administrar CASGEVY después de la medicina condicionante o si las células madre sanguíneas editadas no se sujetan (no se injertan) al cuerpo, se le administrarán sus células de rescate. Si recibe células de rescate, no obtendrá ningún beneficio del tratamiento con CASGEVY.

PASO 2: Después de que sus células madre sanguíneas son recolectadas, se enviarán al centro de fabricación, donde se utilizarán para fabricar CASGEVY. Desde el momento en que se recolectan las células, la fabricación y prueba de CASGEVY puede demorar hasta 6 meses hasta que es enviado a su proveedor de atención médica.

PASO 3: Poco tiempo antes del trasplante de células madre, su proveedor de atención médica le dará una medicina condicionante durante algunos días en el hospital. Esta le preparará para el tratamiento retirando células de la médula ósea, para que de esta manera, dichas células puedan ser reemplazadas por las células modificadas que contiene CASGEVY. Después de recibir la medicina condicionante, los niveles de células sanguíneas bajarán mucho. Durante este paso usted permanecerá en el hospital hasta después de la infusión con CASGEVY.

PASO 4: Recibirá uno o más viales de CASGEVY a través de una vena (infusión intravenosa) durante un corto período.

Después de la infusión con CASGEVY, permanecerá en el hospital para que su proveedor de atención médica pueda monitorear su recuperación atentamente. Este proceso puede demorar entre 4 y 6 semanas, pero el tiempo puede variar. Su proveedor de atención médica decidirá cuándo puede regresar a casa.

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.



Información Importante de Seguridad (continuación)



¿Qué debo evitar después de recibir CASGEVY®?

- No debe donar sangre, órganos, tejidos ni células en ningún momento en el futuro.



¿Cuáles son los efectos secundarios posibles o razonablemente posibles de CASGEVY?

Los efectos secundarios más frecuentes de CASGEVY incluyen:

- Niveles bajos de plaquetas, lo que puede reducir la capacidad de coagulación de la sangre y causar sangrado
- Niveles bajos de glóbulos blancos, lo que puede hacerle más susceptible a las infecciones

Su proveedor de atención médica analizará su sangre para detectar niveles bajos de células sanguíneas (incluidas plaquetas y glóbulos blancos). Avísele inmediatamente a su proveedor de atención médica si tiene alguno de los siguientes síntomas:

- fiebre
- escalofríos
- infecciones
- dolor de cabeza intenso
- hematomas anormales
- sangrado prolongado
- sangrado sin heridas, como hemorragias nasales, sangrado de encías, sangre en la orina, las heces o el vómito, o tos con sangre

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de CASGEVY. Llame al médico para obtener asesoramiento acerca de los efectos secundarios. Puede reportar los efectos secundarios a la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) llamando al 1-800-FDA-1088.



Información general sobre el uso seguro y eficaz de CASGEVY

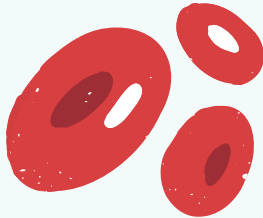
Hable con su proveedor de atención médica sobre cualquier inquietud referente a la salud.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en las páginas 3 a 5 y la [Información de Prescripción](#) completa, incluida la [Información para el Paciente](#), de CASGEVY.



La función de la hemoglobina fetal en la anemia de células falciformes (SCD)

1



HEMOGLOBINA FETAL

La **hemoglobina fetal** es un tipo de **hemoglobina** que transporta oxígeno mientras el feto crece en el útero.

2



CAMBIO A LA HEMOGLOBINA ADULTA

Poco después del nacimiento, la hemoglobina fetal comienza a ser reemplazada por la hemoglobina adulta. **BCL11A** es un **gen** que le indica al organismo que debe producir menos hemoglobina fetal y más hemoglobina adulta.

3



SCD Y HEMOGLOBINA

En el caso de las personas con SCD, sus cuerpos producen hemoglobina adulta que no funciona de manera correcta. Tienen glóbulos rojos (RBC, por sus siglas en inglés) que adoptan una forma de hoz (letra "C") y pueden atascarse en los vasos sanguíneos.

4



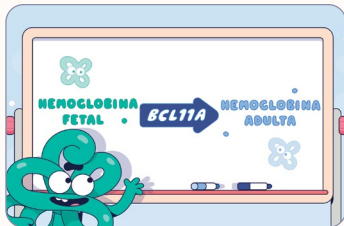
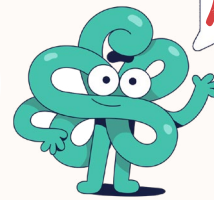
INICIO DE LOS SÍNTOMAS

Cuando el cuerpo produce menos hemoglobina fetal, suelen aparecer síntomas de SCD.

CASGEVY® está diseñado para tratar la SCD al aumentar la cantidad de hemoglobina fetal que produce el cuerpo



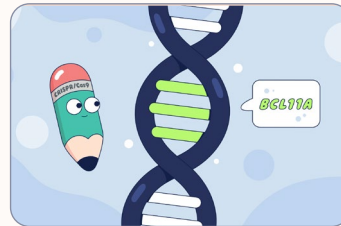
CASGEVY es una genoterapia que se elabora mediante la modificación del gen *BCL11A*. CASGEVY se fabrica con las células madre sanguíneas del propio cuerpo que se extraen y se envían para ser editadas. **Por lo tanto, no se necesita ningún donante.**



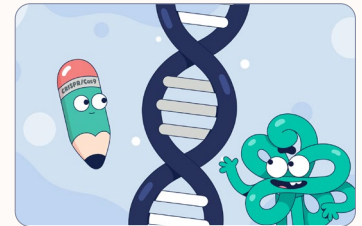
Como recordarás, el *BCL11A* es un gen que le indica al organismo que debe producir menos hemoglobina fetal y más hemoglobina adulta.



CRISPR/Cas9 es una tecnología de **edición genética** precisa. Puede encontrar y modificar partes del **ADN**.



CRISPR/Cas9 se utiliza para modificar el ADN y reducir la actividad del gen *BCL11A*.



Cuando se modifica el *BCL11A*, el organismo puede producir más hemoglobina fetal. Esto puede ayudar a evitar que los glóbulos rojos adquieran forma de hoz.

No se observó ninguna modificación fuera del gen objetivo en las células madre sanguíneas editadas de las personas que viven con SCD y de los voluntarios sanos. No se puede descartar el riesgo de modificación fuera del gen objetivo, debido a las diferencias en el ADN de las personas. Se desconoce el efecto de la modificación fuera del gen objetivo.

[Haz clic aquí](#) para obtener más información sobre cómo funciona CASGEVY.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Qué es lo más importante que debo saber sobre CASGEVY? (continuación)

Es posible que tenga efectos secundarios relacionados con otros medicamentos que se administran como parte del régimen de tratamiento con CASGEVY. Hable con su médico sobre esos posibles efectos secundarios. Su proveedor de atención médica puede recetarle otros medicamentos para tratar los efectos secundarios.

¿Cómo recibiré CASGEVY?

Su proveedor de atención médica le dará otros medicamentos, incluida una medicina condicionante, como parte de su tratamiento con CASGEVY. Es importante que converse con su proveedor de atención médica sobre los riesgos y los beneficios de todos los medicamentos que incluye su tratamiento.

Después de recibir la medicina condicionante, es posible que no pueda quedar embarazada o que no pueda procrear. Debe analizar opciones de preservación de la fertilidad con su proveedor de atención médica antes del tratamiento.

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.



CASGEVY® se estudió para determinar los posibles beneficios y riesgos



EN EL ESTUDIO SE INCLUYE A 44 PERSONAS DE 12 A 35 AÑOS QUE PADECEN DE SCD Y QUE RECIBIERON CASGEVY

El estudio es un ensayo abierto, lo que significa que todos los que participan en él sabían que estaban recibiendo CASGEVY. No se usó un **placebo**.

LAS PERSONAS RECIBIERON CASGEVY EN DIFERENTES MOMENTOS

AL MOMENTO DE LA REVISIÓN DE LOS DATOS



Se midió la eficacia o qué tan bien funcionó CASGEVY en 31 personas.



Se determinó la seguridad en las 44 personas.

Este estudio estará en curso hasta que todas las personas lleguen al plazo de 24 meses después de recibir CASGEVY.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cómo recibiré CASGEVY? (continuación)

PASO 1: Antes del tratamiento con CASGEVY, un médico le proveerá una medicina movilizadora. Esta transporta las células madre sanguíneas desde su médula ósea hacia el torrente sanguíneo. Entonces, una máquina recolecta las células madre sanguíneas y las separa en diferentes tipos de células (un proceso llamado "aféresis"). Todo este proceso puede repetirse y cada vez puede demorar hasta una semana.

Durante este paso, también se recolectan y se almacenan células de rescate en el hospital. Se trata de sus propias células madre sanguíneas existentes que se mantienen sin modificar en caso de que se desarrolle un problema durante el proceso de tratamiento. Si no se puede administrar CASGEVY después de la medicina condicionante o si las células madre sanguíneas editadas no se sujetan (no se injertan) al cuerpo, se le administrarán sus células de rescate. Si recibe células de rescate, no obtendrá ningún beneficio del tratamiento con CASGEVY.

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.



Es posible dejar de tener crisis vasooclusivas graves con CASGEVY®



93.5%

DE LAS PERSONAS

(29 de 31) no tuvieron una crisis vasooclusiva grave durante al menos 12 meses seguidos después de la infusión de CASGEVY.



100%

DE LAS PERSONAS

(30 de 30) no fueron hospitalizadas por una crisis vasooclusiva grave durante al menos 12 meses seguidos después de la infusión de CASGEVY.

➤ Uno de los 31 participantes fue evaluado por crisis vasooclusivas graves, pero no por hospitalizaciones

22.2
MESES

La mediana* de tiempo total sin una crisis vasooclusiva grave fue de 22.2 meses para las 29 personas que no tuvieron una crisis vasooclusiva grave durante al menos 12 meses consecutivos.

➤ Una persona sufrió una crisis vasooclusiva grave en el mes 22.8 y tuvo que ser hospitalizada

CRISIS VASO- OCLUSIVAS GRAVES

En el estudio, una **crisis vasooclusiva** se consideró grave cuando implicó alguno de los siguientes síntomas:

- El dolor era lo suficientemente intenso como para que fuera necesario visitar un centro de atención médica y tomar analgésicos o recibir una transfusión de glóbulos rojos

- Síndrome torácico agudo
- Priapismo (erección persistente y a menudo dolorosa del pene durante más de 2 horas y que requiere una visita a un centro médico)
- Secuestro esplénico (glóbulos rojos falciformes que quedan obstruidos en el bazo y bloquean el flujo sanguíneo)

*Se calculó una cifra promedio, que es el valor que está en el medio de un grupo de números; la mitad de los números son inferiores a la mediana y la otra mitad, superiores.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cómo recibiré CASGEVY? (continuación)

PASO 2: Después de que sus células madre sanguíneas son recolectadas, se enviarán al centro de fabricación, donde se utilizarán para fabricar CASGEVY. Desde el momento en que se recolectan las células, la fabricación y prueba de CASGEVY puede demorar hasta 6 meses hasta que es enviado a su proveedor de atención médica.

PASO 3: Poco tiempo antes del trasplante de células madre, su proveedor de atención médica le dará una medicina condicionante durante algunos días en el hospital. Esta le preparará para el tratamiento retirando células de la médula ósea, para que de esta manera, dichas células puedan ser reemplazadas por las células modificadas que contiene CASGEVY. Después de recibir la medicina condicionante, los niveles de células sanguíneas bajarán mucho. Durante este paso usted permanecerá en el hospital hasta después de la infusión con CASGEVY.

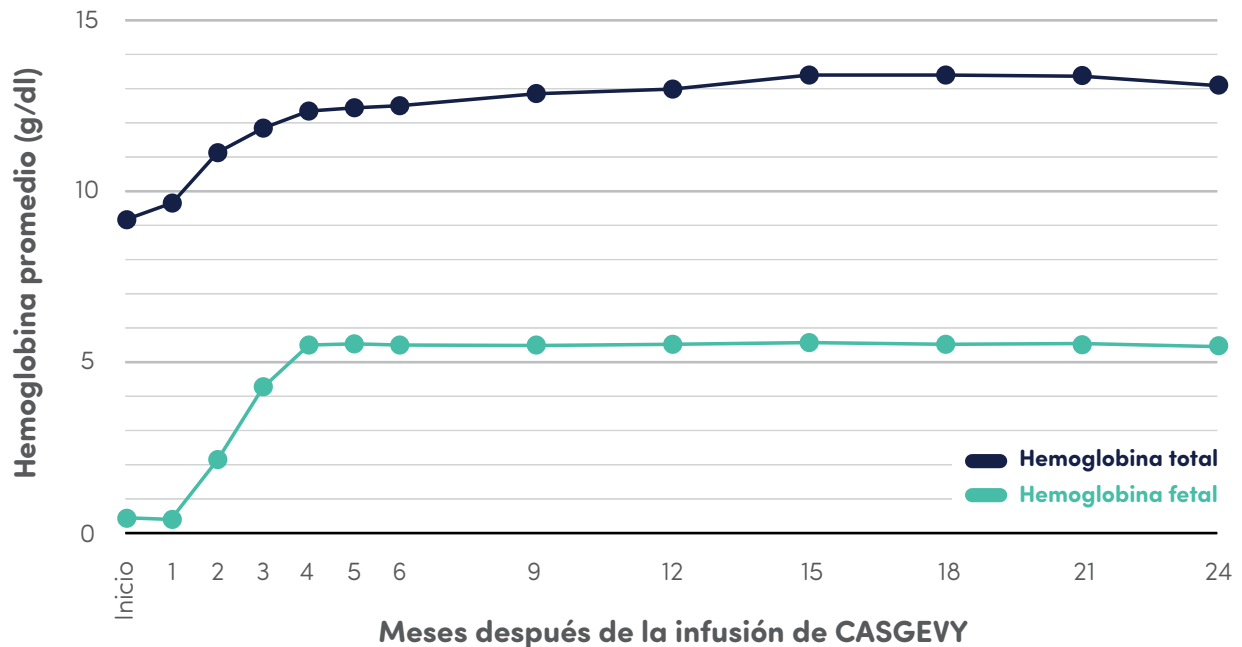
Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.



Es posible dejar de tener crisis vasooclusivas graves con CASGEVY® (continuación)



Promedio de los niveles de hemoglobina total y hemoglobina fetal a lo largo del tiempo



CANTIDAD DE PERSONAS

Hemoglobina total	43	42	43	43	41	41	38	34	31	29	27	16	17
Hemoglobina fetal	43	42	43	43	41	40	38	34	31	29	27	16	17

Con CASGEVY, la hemoglobina promedio y la hemoglobina fetal aumentaron y se mantuvieron estables a lo largo del tiempo.

No había datos disponibles para cada persona en cada mes.

Los resultados del estudio variaron entre los individuos. Tu experiencia puede ser diferente.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cómo recibiré CASGEVY? (continuación)

PASO 4: Recibirá uno o más viales de CASGEVY a través de una vena (infusión intravenosa) durante un corto período.

Después de la infusión con CASGEVY, permanecerá en el hospital para que su proveedor de atención médica pueda monitorear su recuperación atentamente. Este proceso puede demorar entre 4 y 6 semanas, pero el tiempo puede variar. Su proveedor de atención médica decidirá cuándo puede regresar a casa.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en las páginas 3 a 5 y la [Información de Prescripción](#) completa, incluida la [Información para el Paciente](#), de CASGEVY.



Todas las personas que recibieron CASGEVY® en el estudio clínico (44 personas) fueron monitoreadas para determinar la seguridad

Después del tratamiento con CASGEVY, tendrá menos células sanguíneas por un tiempo hasta que CASGEVY se sujete (injerte) a su médula ósea. Esto conlleva niveles bajos de plaquetas (células que generalmente ayudan en la coagulación de la sangre) y glóbulos blancos (células que generalmente combaten las infecciones). Su médico monitoreará este proceso y le brindará el tratamiento necesario. Además, le avisará cuando las células sanguíneas vuelvan a niveles sanos.



Avísele inmediatamente a su proveedor de atención médica si tiene alguno de los siguientes síntomas:

- > fiebre
- > dolor de cabeza intenso
- > sangrado sin heridas, como hemorragias nasales, sangrado de encías, sangre en la orina, las heces o el vómito, o tos con sangre
- > escalofríos
- > hematomas anormales
- > infecciones
- > sangrado prolongado

Los efectos secundarios más frecuentes de CASGEVY incluyen:

- ↓ Niveles bajos de plaquetas, lo que puede reducir la capacidad de coagulación de la sangre y causar sangrado
- ↓ Niveles bajos de glóbulos blancos, lo que puede hacerle más susceptible a las infecciones



Su proveedor de atención médica analizará su sangre para detectar niveles bajos de células sanguíneas (incluidas plaquetas y glóbulos blancos).



Estos no son todos los posibles efectos secundarios de CASGEVY. Llame al médico para obtener asesoramiento acerca de los efectos secundarios. Puede reportar los efectos secundarios a la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) llamando al 1-800-FDA-1088.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en las páginas 3 a 5 y la [Información de Prescripción](#) completa, incluida la [Información para el Paciente](#), de CASGEVY.



Todas las personas que recibieron CASGEVY® en el estudio clínico (44 personas) fueron monitoreadas para determinar la seguridad (continuación)



Después de recibir la medicina condicionante, que es una forma de quimioterapia, es posible que no pueda quedar embarazada o que no pueda procrear.

Debe analizar opciones de preservación de la fertilidad con su proveedor de atención médica antes del tratamiento.



Es posible que tenga efectos secundarios relacionados con otros medicamentos que se administran como parte del régimen de tratamiento con CASGEVY. Hable con su médico sobre esos posibles efectos secundarios. Su proveedor de atención médica puede recetarle otros medicamentos para tratar los efectos secundarios.

CONSIDERACIONES DE SEGURIDAD DEL ESTUDIO CLÍNICO



No hubo casos de **enfermedad de injerto contra huésped**, falla del injerto o rechazo del injerto con CASGEVY.

Los efectos secundarios fueron similares a los que se esperarían del acondicionamiento mieloablativo con **busulfano** y el trasplante de células madre.

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.



El recorrido del tratamiento con CASGEVY®

El tratamiento con CASGEVY requiere un compromiso y es importante entender qué esperar en el camino.

INFORMACIÓN GENERAL DEL TRATAMIENTO

El tratamiento con CASGEVY incluye **6 pasos**. La duración y el momento de realizar determinados pasos pueden variar. La ubicación de los pasos en este folleto está basada en el estudio clínico. **Todo el proceso de tratamiento con CASGEVY podría durar hasta un año.** Tu equipo de atención te explicará cada paso en detalle y te ayudará a crear un plan de tratamiento que funcione para ti y tu red de apoyo.



PASO 1 TOMA DE DECISIONES SOBRE CASGEVY



PASO 2 PREPARACIÓN PARA LA EXTRACCIÓN DE CÉLULAS

- 📍 En tu ATC
- 📅 Al menos 8 semanas



PASO 3 EXTRACCIÓN DE TUS CÉLULAS MADRE SANGUÍNEAS

- 📍 En tu ATC
- 📅 Hasta 3 días
- 🔴 Es posible que sea necesario repetir este proceso si se necesita otra extracción.



PASO 4 ELABORACIÓN DE TU CASGEVY

- 📍 Estarás en casa; CASGEVY se fabrica en un laboratorio
- 📅 De 5 a 6 meses



PASO 5 QUIMIOTERAPIA, ADMINISTRACIÓN DE CASGEVY Y RECUPERACIÓN

- 📍 En tu ATC
- 📅 Aproximadamente 6 semanas*
- 🔴 Este paso incluye 4 días de quimioterapia. Se espera que pases el tiempo restante en el hospital para que te recuperes y te controlen después de la administración de CASGEVY.



PASO 6 DESPUÉS DEL TRATAMIENTO



CASGEVY solo se administra en centros de tratamiento autorizados o ATC (por sus siglas en inglés). Los proveedores de atención médica de los ATC son los únicos que pueden confirmar si CASGEVY es adecuado para ti y pueden ayudarte a comenzar el proceso de tratamiento.

[Haz clic aquí](#) para obtener más información sobre el proceso de tratamiento de CASGEVY y qué esperar en cada paso.

*El momento en que se llevará a cabo este paso está basado en el estudio clínico.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Qué debo evitar después de recibir CASGEVY?

- No debe donar sangre, órganos, tejidos ni células en ningún momento en el futuro.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en las páginas 3 a 5 y la [Información de Prescripción](#) completa, incluida la [Información para el Paciente](#), de CASGEVY.



Las personas con SCD que aparecen en las imágenes pueden o no haber recibido CASGEVY.

Kiarra, que tiene SCD, y su abuela, Tanique

SE INDEPENDIENTE



[Haz clic aquí](#) para revisar las preguntas y las autorreflexiones para pensar y analizar con tus seres queridos y el equipo de atención durante tu recorrido con CASGEVY®.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los efectos secundarios posibles o razonablemente posibles de CASGEVY?

Los efectos secundarios más frecuentes de CASGEVY incluyen:

- Niveles bajos de plaquetas, lo que puede reducir la capacidad de coagulación de la sangre y causar sangrado
- Niveles bajos de glóbulos blancos, lo que puede hacerle más susceptible a las infecciones

Su proveedor de atención médica analizará su sangre para detectar niveles bajos de células sanguíneas (incluidas plaquetas y glóbulos blancos). Avísele inmediatamente a su proveedor de atención médica si tiene alguno de los siguientes síntomas:

- fiebre
- escalofríos
- infecciones
- dolor de cabeza intenso
- hematomas anormales
- sangrado prolongado
- sangrado sin heridas, como hemorragias nasales, sangrado de encías, sangre en la orina, las heces o el vómito, o tos con sangre

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.



Kiarra, que tiene SCD, y sus abuelos, Tanique y Robert

Las personas con SCD que aparecen en las imágenes pueden o no haber recibido CASGEVY.



Obtener apoyo durante tu recorrido

UNA INVERSIÓN HOY PARA TENER DIFERENTES POSIBILIDADES

Todo el proceso de tratamiento de CASGEVY® podría durar hasta un año.



PROGRAMACIÓN Y PLANIFICACIÓN

Hay mucho que debes tener en cuenta durante tu recorrido con CASGEVY. Y hay mucho apoyo disponible para ayudarte.

Lleva un cuaderno o un teléfono inteligente para tomar notas durante tus conversaciones con tus proveedores de atención médica. Esto podría ser muy útil. También puede ser de ayuda trabajar con alguien de tu red de apoyo para programar citas y planificar tu tratamiento.



UN COMPROMISO

Tu proveedor de atención médica y tu red de apoyo pueden ayudarte a decidir si este es el momento adecuado para comenzar tu recorrido con CASGEVY.



PREPARACIÓN PARA ESTADÍAS LARGAS

Puede ser útil llevar libros, juegos y artículos familiares de tu hogar durante las estadías largas en el hospital.



TIEMPO LIBRE DE LA ESCUELA O EL TRABAJO

Es posible que debas ajustar tu horario y rutina, incluido tu tiempo en el trabajo o la escuela.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los efectos secundarios posibles o razonablemente posibles de CASGEVY? (continuación)

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de CASGEVY. Llame al médico para obtener asesoramiento acerca de los efectos secundarios. Puede reportar los efectos secundarios a la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA) llamando al 1-800-FDA-1088.

Información general sobre el uso seguro y eficaz de CASGEVY

Hable con su proveedor de atención médica sobre cualquier inquietud referente a la salud.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en las páginas 3 a 5 y la [Información de Prescripción](#) completa, incluida la [Información para el Paciente](#), de CASGEVY.





CONECTÁNDOTE CON EL CAMINO QUE TIENES POR DELANTE

Vertex Connects® es un programa para personas a las que se les ha recetado una genoterapia de Vertex y para sus seres queridos.

TIENES APOYO DISPONIBLE

Desde el inicio de tu tratamiento, tu Coordinador de Cuidados de Vertex Connects te acompañará. Este entiende el proceso de tratamiento de CASGEVY® y tiene experiencia trabajando con pacientes y familias.

DESPUÉS DE INSCRIBIRTE* EN VERTEX CONNECTS, TU COORDINADOR DE CUIDADOS HARÁ LO SIGUIENTE:



Responderá preguntas clave sobre el proceso de tratamiento y compartirá guías útiles para ayudarlos a ti y a tus seres queridos a prepararse para cada paso.



Se comunicará de la manera que mejor se adapte a tus necesidades, ya sea por correo electrónico o por teléfono.



Se mantendrá en contacto con tu equipo del centro de tratamiento para ayudarte a coordinar la logística de tu proceso de tratamiento.



Dedicará tiempo a conocerte para poder proporcionarte un apoyo significativo.

*Se necesita un formulario de inscripción de Vertex Connects completo para participar en el programa y determinar la elegibilidad para ciertas ofertas del programa. No es necesario inscribirse en Apoyo al Paciente de Vertex Connects para recibir la genoterapia de Vertex.



[Haz clic aquí](#) para obtener más información sobre Vertex Connects.

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción** completa, incluida la **Información para el Paciente**, de CASGEVY.

Glosario



Esta es una guía rápida de algunas de las palabras utilizadas en este folleto.

Consulte la **Información Importante de Seguridad** adicional en las páginas 3 a 5 y la **Información de Prescripción completa**, incluida la **Información para Pacientes** de CASGEVY.

ADN Significa ácido desoxirribonucleico. Es una parte de una célula que lleva *instrucciones* genéticas sobre cómo funciona el organismo.

BCL11A Un gen que controla la producción de hemoglobina fetal en el organismo. El *BCL11A* normalmente le indica al organismo que debe producir menos hemoglobina fetal en la infancia temprana.

Busulfano Un medicamento de quimioterapia que se usa para preparar el cuerpo para recibir un trasplante de células madre sanguíneas. La quimioterapia es un tratamiento, generalmente administrado para el cáncer, que destruye las células o impide que se reproduzcan.

CRISPR/Cas9 Significa, por sus siglas en inglés, CRISPR (repeticiones palindrómicas cortas, agrupadas y regularmente interespaciadas)/proteína 9 asociada a CRISPR. Esta herramienta permite modificar genes.

Crisis vasooclusivas Estas crisis dolorosas ocurren cuando demasiados glóbulos rojos falciformes se atascan en un vaso sanguíneo, lo que reduce el flujo de sangre.

Edición genética Proceso que cambia una secuencia específica de ADN para cambiar lo que hace un gen.

Enfermedad de injerto contra huésped Una afección en la que las células madre donadas o la médula ósea (el injerto) identifican los tejidos sanos del cuerpo de la persona (el huésped) como extraños y los atacan.

Enfermedad de células falciformes Trastorno sanguíneo de por vida que una persona hereda de sus padres. La enfermedad de células falciformes afecta a los los glóbulos rojos de las siguientes formas:

- Adoptan una forma de hoz (letra "C")
- Transportan menos oxígeno por todo el cuerpo
- Tienen más dificultad para moverse a través de los vasos sanguíneos

Gen Secuencia de ADN que le indica al organismo cómo producir proteínas específicas.

Hemoglobina Proteína de los glóbulos rojos que transporta el oxígeno desde los pulmones al resto del cuerpo.

Hemoglobina fetal El principal tipo de hemoglobina que se encuentra antes del nacimiento en los fetos y durante algunos meses después del nacimiento en los recién nacidos.

Placebo Píldora o sustancia inactiva que se utiliza en un estudio clínico para comparar con el tratamiento que se está estudiando.



Kiarra, que tiene SCD, y su abuela, **Tanique**

Las personas con SCD que aparecen en las imágenes pueden o no haber recibido CASGEVY.

CASGEVY® es una genoterapia de una sola vez que puede ayudar a las personas de 12 años o más con anemia de células falciformes (SCD) que tienen crisis vasooclusivas frecuentes a vivir sin crisis vasooclusivas graves*.

El tratamiento implica un proceso de varios pasos que puede durar hasta un año. Esto incluye la extracción y edición de células madre sanguíneas para fabricar tu CASGEVY. También incluye la preparación para que recibas CASGEVY, la administración y el seguimiento del control de recuperación y posibles efectos secundarios.

EN EL ESTUDIO CLÍNICO DE CASGEVY:



CASGEVY se fabrica con las células madre sanguíneas del propio cuerpo. **Por lo tanto, no se necesita ningún donante.**



El 93.5 % de las personas (29 de 31) en el estudio clínico no tuvieron una crisis vasooclusiva grave durante al menos 12 meses seguidos después de la infusión de CASGEVY.



100 % de las personas (30 de 30) no fueron hospitalizadas por una crisis vasooclusiva grave durante al menos 12 meses seguidos después de la infusión de CASGEVY.

➤ Uno de los 31 participantes fue evaluado por crisis vasooclusivas graves, pero no por hospitalizaciones.

¿TE **IN-
CLUIMOS?**

Haz clic [aquí](https://casgevy.com) para visitar CASGEVY.com y obtener más información.

*En estudios clínicos, las crisis vasooclusivas graves se definieron como un evento doloroso que requiere una visita a un centro médico y analgésicos o transfusiones de glóbulos rojos, con síndrome torácico agudo, priapismo (erección persistente y a menudo dolorosa del pene durante más de 2 horas y que requiere una visita a un centro médico) o secuestro esplénico (glóbulos rojos falciformes que quedan obstruidos en el bazo y bloquean el flujo sanguíneo).

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

¿Qué es lo más importante que debo saber sobre CASGEVY?

Después del tratamiento con CASGEVY, tendrá menos células sanguíneas por un tiempo hasta que CASGEVY se sujete (injerte) a su médula ósea. Esto conlleva niveles bajos de plaquetas (células que generalmente ayudan en la coagulación de la sangre) y glóbulos blancos (células que generalmente combaten las infecciones). Su médico monitoreará este proceso y le brindará el tratamiento necesario. Además, le avisará cuando las células sanguíneas vuelvan a niveles sanos.

Consulte la [Información Importante de Seguridad](#) adicional en las páginas 3 a 5 y la [Información de Prescripción](#) completa, incluida la [Información para el Paciente](#), de CASGEVY.



CASGEVY se fabrica para Vertex Pharmaceuticals Incorporated. Vertex Connects, los logotipos de Vertex Connects, Vertex y el logotipo triangular de Vertex son marcas comerciales registradas de Vertex Pharmaceuticals Incorporated. La marca denominativa CASGEVY y su diseño son marcas comerciales registradas de Vertex Pharmaceuticals Incorporated. La marca denominativa CRISPR THERAPEUTICS y su diseño son marcas comerciales registradas de CRISPR Therapeutics AG. © 2024 Vertex Pharmaceuticals Incorporated | VXR-US-72-2400605 (v1.0) | 12/2024



Este material fue creado por Vertex con la información y el apoyo de la comunidad de SCD.