

GUÍA DE INFORMACIÓN FAMILIAR

ACTUANDO COMO UN NIÑO DE 6 AÑOS PORQUE PUEDE

Para usted y su hijo, el presente lo es todo. Por eso, es el momento de hablar sobre EMFLAZA® (deflazacort), **EL PRIMER Y ÚNICO** corticoesteroide aprobado por la Administración de Medicamentos y Alimentos (Food and Drug Administration, FDA) para niños con distrofia muscular de Duchenne (Duchenne muscular dystrophy, DMD).

**AYUDE A PROLONGAR
SU PRESENTE.**

INDICACIÓN E INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE PARA EMFLAZA® (deflazacort)

INDICACIÓN

EMFLAZA® está indicado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne en pacientes a partir de los 2 años de edad.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE

Contraindicaciones: No utilizar si es alérgico al deflazacort o a alguno de los componentes inactivos de EMFLAZA.

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).


Emflaza®
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

No son pacientes reales.

CONTENIDO

- 3 [¿Qué debería saber sobre los corticoesteroides?](#)
- 4 [¿Por qué EMFLAZA® \(deflazacort\)?](#)
- 7 [¿Qué pasa con la seguridad y los efectos secundarios?](#)
- 9 [¿Cómo se toma EMFLAZA?](#)
- 10 [¿Cómo puedo ayudar a mi hijo?](#)
- 11 [Consideraciones para el cambio de corticoesteroides](#)
- 12 [Cómo empezar a usar PTC Cares™](#)
- 13 [Información de seguridad importante](#)
- 14 [Resúmenes del estudio](#)

Más información sobre EMFLAZA *aquí y ahora.*



JUGAR
COMO UN NIÑO DE
10 AÑOS

No son pacientes reales.

Emflaza[®]
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

¿QUÉ DEBERÍA SABER SOBRE LOS CORTICOESTEROIDES?



Al vivir con DMD, su hijo tiene necesidades funcionales y emocionales únicas; ambas son consideraciones significativas a la hora de elegir un corticoesteroide.

Los corticoesteroides se introducen generalmente poco después del diagnóstico de DMD para aliviar la inflamación y preservar la fuerza muscular.

Cada niño es diferente, así que hay opciones a la hora de elegir un corticoesteroide.

Hay dos corticoesteroides que se utilizan para tratar a niños varones con DMD y no son iguales. Puede trabajar con su equipo de atención para comprender ambas opciones, sus indicaciones, beneficios, efectos secundarios y cómo pueden afectar a su hijo de forma diferente.

La guía de los Centros para el Control y la Prevención de Enfermedades (Centers for Disease Control and Prevention, CDC) de EE. UU. recomienda un corticoesteroide como parte del plan de tratamiento de la DMD.



¿POR QUÉ EMFLAZA® (deflazacort)?

Ayuda a los niños con DMD a preservar su “aquí y ahora”.

Como PRIMER Y ÚNICO corticoesteroide aprobado por la FDA para niños varones con DMD de tan solo 2 años de edad, **EMFLAZA está diseñado para ayudar a mantener la fuerza y la función muscular.**



MEJORÓ
la fuerza
muscular
después de 3 meses
comparado al placebo

No es un paciente real.

En un ensayo clínico de 52 semanas con 196 niños de 5 a 15 años con DMD, se comparó la eficacia y la seguridad de EMFLAZA con un placebo (pastilla de azúcar). Después de 12 semanas de tratamiento, los pacientes que tomaron EMFLAZA presentaron una mejora significativa de la fuerza muscular en comparación con los que tomaron el placebo (cambio de 0.15 en la puntuación de fuerza frente a -0.10 en la puntuación de fuerza).

Aproveche su presente al máximo.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (cont.)

No deje de tomar EMFLAZA ni cambie la cantidad que está tomando sin consultar antes con su profesional de atención médica, ya que puede haber una necesidad de reducir gradualmente la dosis para disminuir el riesgo de padecer insuficiencia suprarrenal y el “síndrome de abstinencia” de esteroides. Puede producirse insuficiencia suprarrenal aguda si se retiran los corticoesteroides de forma repentina, lo cual puede ser mortal. También puede producirse un “síndrome de abstinencia” de esteroides aparentemente no relacionado con la insuficiencia corticosuprarrenal tras la discontinuación abrupta de los corticoesteroides. Es posible que sea necesario aumentar la dosis de los pacientes que ya estén tomando corticoesteroides en momentos de estrés.

Consulte la Indicación e información de seguridad importante en la página 13 y la Ficha técnica completa adjunta.


Emflaza®
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

AYUDA A RETRASAR LA PROGRESIÓN DE DMD CUANDO MÁS IMPORTA

En un estudio de seguimiento de 10 años que evaluó 3 acontecimientos importantes de DMD, el **deflazacort mostró diferencias significativas a lo largo del tiempo en comparación con la prednisona:**



En un estudio de 440 hombres de 2 a 28 años con DMD, se comparó la eficacia y la seguridad del deflazacort con la prednisona.

Consulte las páginas 14 y 15 para obtener más información sobre los estudios que respaldan la información contenida en este folleto y que no están incluidos en la ficha técnica aprobada de EMFLAZA® (deflazacort).

Hable con el profesional de atención médica de su hijo si tiene alguna pregunta.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (cont.)

- **Hiperglucemia:** Los corticoesteroides pueden aumentar la glucosa en sangre, empeorar una enfermedad diabética preexistente, predisponer a los pacientes con tratamiento a largo plazo a la diabetes mellitus y reducir el efecto de los medicamentos antidiabéticos. Monitoree la glucosa en sangre regularmente. En el caso de los pacientes con hiperglucemia, el tratamiento antidiabético debe iniciarse o ajustarse en consecuencia.
- **Aumento del riesgo de infección:** Informe a su profesional de atención médica si ha tenido infecciones recientes o en curso, o si ha recibido recientemente una vacuna o tiene cita para una vacuna. Asesórese con un médico de inmediato si tiene fiebre u otros signos de infección, ya que algunas infecciones pueden ser graves y mortales. Evite la exposición a la varicela o al sarampión; pero, si se contagia, debe asesorarse con un médico sin demora.

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).


Emflaza®
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

APÓYALO MIENTRAS CRECE

Una vez que su hijo empiece a tomar el deflazacort, es importante que siga con el tratamiento, ya que se ha demostrado que preserva la función muscular en todo el cuerpo, no solo en los brazos y las piernas.

En un estudio de 13 años, la escoliosis se retrasó y la función pulmonar se mantuvo durante más tiempo en los niños que tomaban el deflazacort.

RETRASO DE LA ESCOLIOSIS (CURVATURA LATERAL DE LA COLUMNA VERTEBRAL)

**MENOR RIESGO
DE PADECER
ESCOLIOSIS**
en comparación con
la prednisona



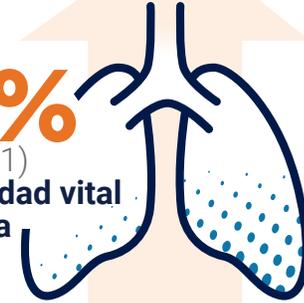
Durante 11.9 años, el **17.9 % de los pacientes desarrolló escoliosis al tomar la prednisona** frente al 7.9 % que tomó el deflazacort.

FUNCIÓN PULMONAR PRESERVADA

9.24 %

(CI: 3.06–15.41)

**mayor capacidad vital
forzada media**
frente a la
prednisona*



*La capacidad vital forzada es un tipo de prueba que mide la cantidad de aire que su hijo puede inhalar y exhalar.

Un estudio de 13 años con 435 niños varones con DMD evaluó las edades de los pacientes simultáneamente con acontecimientos de progresión de la DMD, incluidos el inicio de la escoliosis y la disminución de la función pulmonar.

Consulte [las páginas 14 y 15](#) para obtener más información sobre estudios que respaldan la información contenida en este folleto y que no están incluidos en la ficha técnica aprobada de EMFLAZA® (deflazacort).

Hable con el profesional de atención médica de su hijo si tiene alguna pregunta.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (cont.)

- **Alteraciones en la función cardiovascular/renal:** EMFLAZA puede provocar un aumento de la presión arterial, retención de sal y agua, o una disminución de los niveles de potasio y calcio. Si esto ocurre, puede ser necesario restringir la sal en la alimentación y, además, complementarla con potasio.
- **Alteraciones conductuales y del estado de ánimo:** Existe la posibilidad de que haya cambios de comportamiento y estado de ánimo graves con EMFLAZA, por lo que debe asesorarse con un médico si se desarrollan síntomas psiquiátricos.

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).


Emflaza[®]
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

¿QUÉ PASA CON LA SEGURIDAD Y LOS EFECTOS SECUNDARIOS?

EFECTOS SECUNDARIOS FRECUENTES CON EL DEFLAZACORT

% DE PACIENTES QUE TOMAN EL DEFLAZACORT 0.9 mg/kg/día EN 12 SEMANAS

Hinchazón facial o aspecto cushingoide: 33 %	Frecuencia de micción diurna: 12 %	Resfriado común: 10 %	Malestar abdominal: 6 %
Aumento de peso: 20 %	Infección de las vías respiratorias altas: 12 %	Irritabilidad: 8 %	
Aumento del apetito: 14 %	Crecimiento no deseado del cabello: 10 %	Secreción nasal: 8 %	
Tos: 12 %	Obesidad central: 10 %	Enrojecimiento de la piel: 8 %	



Busque tratamiento inmediatamente y dígame al profesional de atención médica de su hijo si tiene alguno de estos síntomas o cualquier otro efecto secundario.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (cont.)

- **Efectos en los huesos:** Existe un riesgo de osteoporosis o disminución de la densidad mineral ósea con el uso prolongado de EMFLAZA, lo cual puede provocar fracturas vertebrales y de huesos largos.
- **Efectos sobre el crecimiento y el desarrollo:** El uso a largo plazo de corticoesteroides, incluido EMFLAZA, puede ralentizar el crecimiento y el desarrollo de los niños.

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).


Emflaza[®]
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

TENGA EN CUENTA SU COMPORTAMIENTO Y PESO, AQUÍ, AHORA Y MAÑANA

La molécula del deflazacort es diferente de otros corticoesteroides y se desarrolló para proporcionar una opción de tratamiento más tolerable.

En un ensayo clínico de 52 semanas con 196 niños de 5 a 15 años con DMD, se comparó la eficacia y la seguridad de EMFLAZA® (deflazacort) con la prednisona. Al comparar los eventos adversos entre el deflazacort 0.9 mg/kg/día y la prednisona 0.75 mg/kg/día, se halló lo siguiente:



No son pacientes reales.



- **Menos niños que tomaban el deflazacort experimentaron un comportamiento anómalo en comparación con los que tomaban la prednisona**
 - Deflazacort: 8.8 % (n =6/68); prednisona: 14.3 % (n =9/63)
- **Los niños que tomaron el deflazacort experimentaron un aumento de peso menor en comparación con los que tomaron la prednisona**
 - Deflazacort: 27.9 % (n =19/68); prednisona: 34.9 % (n =22/63)
- **Más niños que tomaban el deflazacort experimentaron cataratas en comparación con los que tomaban la prednisona (4.4 % frente a 1.6 %)**
 - Ninguna catarata se consideró un evento grave

Consulte las páginas 14 y 15 para obtener más información sobre estudios que respaldan la información contenida en este folleto y que no están incluidos en la ficha técnica aprobada de EMFLAZA.

Hable con el profesional de atención médica de su hijo si tiene alguna pregunta.


Emflaza[®]
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (cont.)

- **Efectos oftálmicos:** EMFLAZA puede causar cataratas, infecciones oculares y glaucoma, por lo que debe monitorearse si el tratamiento con corticoesteroides continúa durante más de 6 semanas.
- **Vacunación:** No se recomienda la administración de vacunas elaboradas con microbios vivos o vacunas atenuadas en pacientes que reciben EMFLAZA. Las vacunas elaboradas con microbios vivos o vacunas atenuadas pueden administrarse al menos de 4 a 6 semanas antes de iniciar el tratamiento con EMFLAZA.

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).

¿CÓMO SE TOMA EMFLAZA® (deflazacort)?

Una cómoda dosis diaria que le ayuda a vivir el presente.

La EMFLAZA está disponible en pastillas y líquidos, y puede tomarse con o sin alimentos.

CONSIDERACIONES IMPORTANTES SOBRE LA DOSIS

No deje de tomar EMFLAZA de forma repentina o sin consultar antes con el profesional de atención médica de su hijo. Es posible que deba reducir gradualmente la dosis en lugar de dejar de tomarla por completo.

- La dosis de EMFLAZA debe reducirse gradualmente si el medicamento se ha tomado durante más de unos días.
- El profesional de atención médica de su hijo debe evaluar el aumento de peso para determinar si la dosis es adecuada.

Descubra más sobre la dosificación.



No es un paciente real.

Disponible en pastillas y en forma líquida
Las pastillas se pueden tomar en 4 concentraciones diferentes (6 mg, 18 mg, 30 mg y 36 mg).

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (cont.)

- **Erupciones cutáneas graves:** Busque atención médica al primer signo de erupción.
- **Interacciones medicamentosas:** Ciertos medicamentos pueden provocar una interacción con EMFLAZA. Informe a su profesional de atención médica de todos los medicamentos que esté tomando, incluidos los medicamentos de venta libre (como la insulina, la aspirina u otros antiinflamatorios no esteroideos), suplementos dietéticos y productos a base de hierbas. Durante el tratamiento, puede ser necesario un tratamiento alternativo, un ajuste de la dosis o una(s) prueba(s) especial(es).

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).


Emflaza®
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

¿CÓMO PUEDO AYUDAR A MI NIÑO?

El profesional de atención médica de su hijo puede recurrir a corticoesteroides poco después del diagnóstico de DMD; sin embargo, el primer esteroide que su hijo empieza a tomar puede no ser siempre el mejor tratamiento.

El profesional de atención médica de su hijo puede necesitar reevaluar o aumentar la dosis a medida que su hijo crezca. Si su hijo se encuentra en una de las etapas que se muestran a continuación y no está seguro de si está recibiendo todo lo que debería recibir de su tratamiento actual, hable con su profesional de atención médica.



AMBULACIÓN TEMPRANA

- Niñez
- Movimiento más lento o con dificultad, caídas frecuentes, debilidad muscular, pantorrillas agrandadas
- Es importante realizar un seguimiento de los hitos del desarrollo y del estado de salud



AMBULACIÓN TARDÍA

- Niñez tardía/adolescente/adulto joven
- Dificultad para caminar, puede caminar pero sin equilibrio, manos debilitadas
- Un carrito o una silla de ruedas pueden ayudar a disminuir la fatiga



NO AMBULACIÓN TEMPRANA

- Adolescente/adulto joven
- Incapaz de caminar, escoliosis (curvatura lateral en la columna vertebral), dolor muscular, debilidad en los brazos
- Este puede ser el momento de hacer un seguimiento de la función respiratoria dos veces al año

Continuar con los corticoesteroides en todas las etapas de la DMD puede ayudarle a permanecer conectado con amigos y familiares durante más tiempo.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (cont.)

Los efectos secundarios frecuentes que podrían producirse con EMFLAZA incluyen: Hinchazón facial o aspecto cushingoide, aumento de peso, aumento del apetito, infección de las vías respiratorias altas, tos, micción diurna frecuente, crecimiento no deseado del cabello, obesidad central y resfriados.

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).


Emflaza[®]
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

CONSIDERACIONES PARA EL CAMBIO DE CORTICOESTEROIDES

Si su hijo está tomando corticoesteroides en la actualidad, hacer un seguimiento de su desarrollo físico y emocional puede ayudar en la toma de decisiones respecto al tratamiento. A medida que sus síntomas cambian con el tiempo, hacerse estas preguntas puede ser útil.

COCINAR
8 COMO UN NIÑO DE
AÑOS

No es un paciente real.



STRENGTH
(FUERZA)

¿Ha habido algún cambio en su fuerza o función muscular?

WEIGHT
(ESTATURA)

¿El aumento de peso se siente excesivo?

INDEPENDENCE
(INDEPENDENCIA)

¿Ha progresado su enfermedad?

TIME
(TIEMPO)

¿Las actividades duran más que antes (p. ej., caminar, estar de pie, etc.)?

COMMUNICATION
(COMUNICACIÓN)

¿Ha cambiado su estado emocional?

HEALTH STATUS
(ESTADO DE SALUD)

¿Mantiene su calidad de vida?

Pregúntele al profesional de atención médica de su hijo si desea hacer algún cambio.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE (cont.)

No deje de tomar EMFLAZA ni cambie la cantidad que está tomando sin consultar antes con su profesional de atención médica, ya que puede haber una necesidad de reducir gradualmente la dosis para disminuir el riesgo de padecer insuficiencia suprarrenal y el "síndrome de abstinencia" de esteroides. Puede producirse insuficiencia suprarrenal aguda si se retiran los corticoesteroides de forma repentina, lo cual puede ser mortal. También puede producirse un "síndrome de abstinencia" de esteroides aparentemente no relacionado con la insuficiencia corticosuprarrenal tras la discontinuación abrupta de los corticoesteroides. Es posible que sea necesario aumentar la dosis de los pacientes que ya estén tomando corticoesteroides en momentos de estrés.

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).

**Emflaza**[®]
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

CÓMO EMPEZAR A USAR PTC Cares™

Una vez que usted y su profesional de atención médica hayan decidido empezar con EMFLAZA® (deflazacort), solo tiene que llenar un formulario de receta para comenzar el recorrido.



Obtener una receta

Llene el **Formulario de inicio de receta** con su profesional de atención médica.



Explicación de los beneficios

Su administrador de casos especial lo guiará a través de los detalles de los beneficios de su seguro y de cualquier otro programa de asistencia financiera que pueda estar a su disposición.



Obtener sus medicamentos

Una farmacia especializada le enviará sus medicamentos directamente. Su administrador de casos coordinará con usted y su farmacia para asegurarse de que las entregas lleguen dónde y cuándo las necesite.

Apoyo de alguien que vivió la misma situación

Saber cómo otros han gestionado los retos y han alcanzado el éxito puede ayudarle a comprender las decisiones que podría tener que tomar para su familia. El Programa de orientación entre pares puede ponerlo en contacto con otras familias que comprendan su recorrido. Su familia puede elegir hablar con orientadores que hablen inglés o español, según sus preferencias.




Emflaza[®]
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

INDICACIÓN E INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE PARA EMFLAZA® (deflazacort)

INDICACIÓN

EMFLAZA® está indicado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne en pacientes a partir de los 2 años de edad.

INFORMACIÓN DE SEGURIDAD IMPORTANTE

Contraindicaciones: No utilizar si es alérgico al deflazacort o a alguno de los componentes inactivos de EMFLAZA.

No deje de tomar EMFLAZA ni cambie la cantidad que está tomando sin consultar antes a su profesional de atención médica, ya que puede ser necesario reducir gradualmente la dosis para disminuir el riesgo de insuficiencia suprarrenal y “síndrome de abstinencia” de esteroides. Puede producirse insuficiencia suprarrenal aguda si se retiran los corticoesteroides de forma repentina, lo cual puede ser mortal. También puede producirse un “síndrome de abstinencia” de esteroides aparentemente no relacionado con la insuficiencia corticosuprarrenal tras la discontinuación abrupta de los corticoesteroides. Es posible que sea necesario aumentar la dosis de los pacientes que ya estén tomando corticoesteroides en momentos de estrés.

- **Hiperglucemia:** Los corticoesteroides pueden aumentar la glucosa en sangre, empeorar una enfermedad diabética preexistente, predisponer a los pacientes con tratamiento a largo plazo a la diabetes mellitus y reducir el efecto de los medicamentos antidiabéticos. Monitoree la glucosa en sangre regularmente. En el caso de los pacientes con hiperglucemia, el tratamiento antidiabético debe iniciarse o ajustarse en consecuencia.
- **Aumento del riesgo de infección:** Informe a su profesional de atención médica si ha tenido infecciones recientes o en curso, o si ha recibido recientemente una vacuna o tiene cita para una vacuna. Asesórese con un médico de inmediato si tiene fiebre u otros signos de infección, ya que algunas infecciones pueden ser graves y mortales. Evite la exposición a la varicela o al sarampión; pero, si se contagia, debe asesorarse con un médico sin demora.
- **Alteraciones en la función cardiovascular/renal:** EMFLAZA puede provocar un aumento de la presión arterial, retención de sal y agua, o una disminución de los niveles de potasio y calcio. Si esto ocurre, puede ser necesario restringir la sal en la alimentación y, además, complementarla con potasio.
- **Alteraciones conductuales y del estado de ánimo:** Existe la posibilidad de que haya cambios de comportamiento y estado

de ánimo graves con EMFLAZA, por lo que debe asesorarse con un médico si se desarrollan síntomas psiquiátricos.

- **Efectos en los huesos:** Existe un riesgo de osteoporosis o disminución de la densidad mineral ósea con el uso prolongado de EMFLAZA, lo cual puede provocar fracturas vertebrales y de huesos largos.
- **Efectos en el crecimiento y el desarrollo:** El uso a largo plazo de corticoesteroides, incluido EMFLAZA, puede ralentizar el crecimiento y el desarrollo de los niños.
- **Efectos oftálmicos:** EMFLAZA puede causar cataratas, infecciones oculares y glaucoma, por lo que debe monitorearse si el tratamiento con corticoesteroides continúa durante más de 6 semanas.
- **Vacunación:** No se recomienda la administración de vacunas elaboradas con microbios vivos o vacunas atenuadas en pacientes que reciben EMFLAZA. Las vacunas elaboradas con microbios vivos o vacunas atenuadas pueden administrarse al menos de 4 a 6 semanas antes de iniciar el tratamiento con EMFLAZA.
- **Erupciones cutáneas graves:** Busque atención médica al primer signo de erupción.
- **Interacciones medicamentosas:** Ciertos medicamentos pueden provocar una interacción con EMFLAZA. Informe a su profesional de atención médica de todos los medicamentos que esté tomando, incluidos los medicamentos de venta libre (como la insulina, la aspirina u otros antiinflamatorios no esteroideos), suplementos dietéticos y productos a base de hierbas. Durante el tratamiento, puede ser necesario un tratamiento alternativo, un ajuste de la dosis o una(s) prueba(s) especial(es).

Los efectos secundarios frecuentes que podrían producirse con EMFLAZA incluyen: Hinchazón facial o aspecto cushingoide, aumento de peso, aumento del apetito, infección de las vías respiratorias altas, tos, micción diurna frecuente, crecimiento no deseado del cabello, obesidad central y resfriados.

Consulte la [Ficha técnica completa que se adjunta](#).

Para notificar sospechas de REACCIONES adversas, póngase en contacto con PTC Therapeutics, Inc. llamando al **1-866-562-4620** o por correo electrónico a Pharmacovigilance@PTCBio.com o con la FDA llamando al **1-800-FDA-1088** o visitando www.fda.gov/medwatch.


Emflaza®
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

RESÚMENES DEL ESTUDIO

Las publicaciones científicas pueden proporcionar información útil si busca obtener más información sobre un tema que es significativo para usted o las necesidades de su familia. Los siguientes estudios respaldan la información contenida en este folleto no incluido en la ficha técnica aprobada de EMFLAZA® (deflazacort). Hable con el profesional de atención médica de su hijo si tiene alguna pregunta.

ESTUDIO
2016

Resumen del estudio Griggs 2016 Eficacia y seguridad del deflazacort frente a la prednisona y un placebo para la distrofia muscular de Duchenne.

Objetivo: Evaluar la seguridad y la eficacia del deflazacort (DFZ) y la prednisona (PRED) frente al placebo en la distrofia muscular de Duchenne (DMD).

Métodos: Este estudio de fase III, doble ciego, aleatorizado, controlado con placebo y multicéntrico evaluó la fuerza muscular de 196 varones de 5 a 15 años con DMD durante un período de 52 semanas. El estudio se completó en 1995.

Resultados: Después de 12 semanas de tratamiento, la PRED y ambas dosis del DFZ mejoraron la fuerza muscular en comparación con el placebo. El DFZ se asoció con un menor aumento de peso que la PRED.



BROMEAR
COMO UN NIÑO DE
9 AÑOS

**Emflaza**
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

No es un paciente real.

RESÚMENES DEL ESTUDIO

ESTUDIO
2018

Resumen del estudio McDonald del 2018

Efectos a largo plazo de los glucocorticoides sobre la función, la calidad de vida y la supervivencia en pacientes con distrofia muscular de Duchenne: estudio prospectivo de cohortes.

Objetivo: Este estudio examinó los efectos a largo plazo de los glucocorticoides sobre la progresión de la enfermedad relacionada con los hitos a lo largo de la vida y la supervivencia en pacientes con distrofia muscular de Duchenne.

Métodos: Para este estudio prospectivo de cohortes, se inscribió a pacientes varones de 2 a 28 años con distrofia muscular de Duchenne en 20 centros de nueve países. Se hizo un seguimiento de los pacientes durante 10 años. El estudio midió la progresión de nueve hitos de movilidad y de las extremidades superiores para comparar a los pacientes sin tratamiento con glucocorticoides o con tratamiento de duración acumulada inferior a 1 mes frente a los pacientes con tratamiento de 1 año o más.

Resultados: se incluyó a 440 pacientes durante dos períodos de reclutamiento (2006-2009 y 2012-2016). El tiempo de todos los hitos de la progresión de la enfermedad fue significativamente más largo en los pacientes tratados con glucocorticoides durante 1 año o más que en los pacientes tratados durante menos de 1 mes o nunca tratados (orden logarítmico). El tratamiento con glucocorticoides durante 1 año o más se asoció a una mayor mediana de edad en la pérdida de hitos de movilidad de 2.1 a 4.4 años y en los hitos de las extremidades superiores de 2.8 a 8.0 años en comparación con el tratamiento durante menos de 1 mes. El deflazacort se asoció a una mayor mediana de edad en el momento de la pérdida de tres hitos de 2.1 a 2.7 años en comparación con la prednisona o la prednisolona (orden logarítmico).

ESTUDIO
2018

Resumen del estudio Marden del 2020

Resultados de la vida real del uso a largo plazo de la prednisona y el deflazacort en pacientes con distrofia muscular de Duchenne: experiencia en un único gran centro de atención.

Objetivo: Evaluar los resultados entre los pacientes con distrofia muscular de Duchenne que reciben el deflazacort o la prednisona en la práctica de la vida real.

Métodos: Los datos clínicos de 435 niños con distrofia muscular de Duchenne del Cincinnati Children's Hospital Medical Center se estudiaron de forma retrospectiva mediante análisis de tiempo hasta el evento y de regresión.

Resultados: La mediana de las edades en el momento de la pérdida de la deambulación fue de 15.6 y 13.5 años entre los pacientes iniciados con el deflazacort y la prednisona, respectivamente. El deflazacort también se asoció con un menor riesgo de escoliosis, una mejor función ambulatoria, un mayor % de masa corporal magra, una menor estatura y un menor peso, después del ajuste por edad y duración de los esteroides. No se observaron diferencias en la densidad mineral ósea de cuerpo entero ni en la fracción de eyección en el ventrículo izquierdo.


Emflaza[®]
(deflazacort)

6 mg | 18 mg | 30 mg | 36 mg tablets
22.75 mg/mL oral suspension

JUGANDO COMO UN NIÑO DE 12 AÑOS PORQUE PUEDE

Obtenga más información aquí y ahora en [EMFLAZA.com](https://www.emflaza.com).

Haga que su hijo empiece a tomar EMFLAZA® (deflazacort) completando el [Formulario de inicio de receta](#).

Para notificar sospechas de REACCIONES adversas, póngase en contacto con PTC Therapeutics, Inc. llamando al [1-866-562-4620](tel:1-866-562-4620) o enviando un correo electrónico a Pharmacovigilance@PTCBio.com, o con la FDA llamando al [1-800-FDA-1088](tel:1-800-FDA-1088) o visitando www.fda.gov/medwatch.

Consulte la [Indicación e información de seguridad importante](#) en la página 13 y la [Ficha técnica completa adjunta](#).

PTC Cares™ es una marca comercial de PTC Therapeutics, Inc.
Emflaza® es una marca comercial registrada de PTC Therapeutics, Inc.
© 2021 PTC Therapeutics, Inc. Todos los derechos reservados.
US-EMF-0327 11/21

