

(Tim Frank, Director de Marketing y Desarrollo de IRSF):

Hola, gracias por unirse a nosotros. Mi nombre es Tim Frank. Soy el Director de Marketing y Desarrollo aquí en la Fundación Internacional del Síndrome de Rett. Nuestra comunidad está celebrando algunas noticias emocionantes que recibimos a principios de este mes. Trofinetide recibió la aprobación de la FDA, lo que lo convierte en el primer tratamiento para el síndrome de Rett. Mientras esperamos ansiosamente más información de Acadia Pharmaceuticals, quien comercializará el medicamento como DAYBUE en los Estados Unidos, sabemos que nuestra comunidad tiene muchas preguntas sobre el tratamiento y lo que sigue.

Por lo tanto, hemos preparado una serie de preguntas y respuestas en tres partes para empezar a responder esas preguntas, compartir lo que necesita saber y discutir el impacto que este tratamiento podría tener para usted, su ser querido y su familia. Hoy, en la segunda parte, hablamos con Melissa Kennedy, Directora Ejecutiva de IRSF, sobre nuestros esfuerzos de defensa para asegurarnos de que DAYBUE sea accesible y asequible para todos los afectados por el síndrome de Rett. También discutiremos lo que puede hacer ahora mismo para garantizar que nuestros seres queridos tengan acceso a tratamientos como DAYBUE en el futuro.

Como recordatorio, los pensamientos y opiniones discutidos en este video no están destinados a ser asesoramiento médico. Le recomendamos que hable con su médico para obtener asesoramiento individual sobre DAYBUE y el plan de tratamiento de su hijo. Melissa, muchas gracias por estar aquí hoy.

(Melissa Kennedy, Directora Ejecutiva de IRSF):

Gracias por tenerme aquí.

(TF)

Sí. Así que recibimos esta gran y emocionante noticia muy tarde el 10 de marzo. Cuéntame, ¿cómo te sentiste cuando escuchaste la noticia de la aprobación de la FDA?

(MK)

Gracias por preguntar eso, Tim. Eran las 6:12 y recibí un mensaje de texto que decía que había sido aprobado, y creo que todos sabíamos que podría haber un anuncio ese viernes, pero todos creíamos que estábamos fuera de plazo. Así que acababa de levantarme de mi escritorio y me estaba preparando para dar un paseo para calmar toda la emoción y la tensión, y llegó el mensaje de texto. Tengo que decir que la palabra que me viene a la mente es simplemente abrumada. Me sentí inmediatamente abrumada. Sentí un gran alivio por toda la comunidad del síndrome de Rett porque había un camino. Había un camino hacia la aprobación de la FDA, y significaba que actualmente había un tratamiento, y también significaba que habría tratamientos futuros, lo cual era increíblemente emocionante. Sentí mucha gratitud hacia las familias que habían participado en este ensayo. Sabes que más del 90% de las enfermedades raras ni siquiera tienen un tratamiento, así que fuimos catapultados a ese afortunado 10%, y sabía que estábamos en un nuevo mundo para la comunidad.

(TF)

Mencionaste el camino para llegar hasta aquí. Hablemos un poco sobre eso, ha sido un camino largo. ¿Cómo ha sido la participación de IRSF como socio y defensor de las familias en este viaje? ¿Cuál ha sido nuestro papel?

(MK)

Bueno, esa es una gran pregunta, y creo que la respuesta es que fuimos cosas diferentes en diferentes momentos. Lo fascinante de la molécula trofinetida es que en realidad fue creada en la Universidad de Auckland como un posible tratamiento o terapia para lesiones cerebrales traumáticas. Nuestro anterior Jefe de Ciencia, Steve Kaminsky, estaba en el Departamento de Defensa, y esa molécula llamó su atención, y como conocía el síndrome de Rett, pensó: "Hmm. Creo que esto en realidad sería muy efectivo para Rett". Y se acercó a la Junta Directiva de IRSF y llamó la atención sobre la molécula. Y la Junta Directiva de IRSF hizo dos cosas. Contrataron al Dr. Kaminsky como Jefe de Ciencia en ese momento, y pasó bastante tiempo con nosotros y hizo cosas maravillosas para la Fundación.

También invirtieron en el Ensayo Clínico de Fase Dos. Así que el compuesto en ese momento era propiedad, y aún lo es, de una empresa llamada Neuren, e IRSF invirtió más de un millón de dólares en el Ensayo Clínico de Fase Dos. Una vez que se completó ese ensayo y los resultados fueron prometedores, se tomó la decisión de que debería haber un Ensayo Clínico de Fase Tres. Ni IRSF ni Neuren pudieron financiarlo. Por lo tanto, Neuren encontró un socio en Acadia Pharmaceuticals, quien tiene la licencia para comercializar el trofinetide para el tratamiento del síndrome de Rett en América del Norte, y Acadia financió el Ensayo de Fase Tres.

Durante ese Ensayo de Fase Tres, diría que fuimos más como una organización de defensa tradicional. Ayudamos a la empresa y a los empleados de Acadia a conocer a la comunidad, a conocer el síndrome de Rett y compartir información. Fueron un excelente socio para nosotros durante ese proceso.

(TF)

Eso es genial. Como mencionaste en nuestro mensaje a la comunidad el día de la aprobación, enviamos un mensaje de inmediato - que la aprobación de la FDA es solo el comienzo para nosotros como comunidad. ¿Cuáles son los siguientes pasos en el proceso para nosotros como comunidad?

(MK)

Bueno, los siguientes pasos específicamente en torno a trofinetida, que ahora se conoce como DAYBUE y se comercializará en los Estados Unidos como DAYBUE, el siguiente paso para nosotros como Fundación es asegurarnos de que cualquier persona que quiera tener acceso a DAYBUE pueda acceder a él y que sea asequible. Ese trabajo será un poco diferente dependiendo de quién sea el seguro de salud de la familia.

Así que voy a empezar a hablar un poco sobre Medicaid porque sabemos que más de la mitad de las familias de IRSF que tienen un ser querido con Rett, su ser querido está cubierto por Medicaid. Y por lo tanto, el trabajo es bastante sencillo. Las familias necesitan programar reuniones con sus funcionarios electos a nivel estatal porque será el Departamento de Medicaid del Estado el que tomará la decisión sobre si la trofinetida o DAYBUE estarán en el formulario.

Lo que sé sobre las familias del síndrome de Rett es que son defensores férreos de sus hijos en todos los aspectos de la vida. Así que esto va a parecer un territorio muy familiar para muchas familias. También es similar a lo que hacen muchas familias con las proclamaciones estatales, simplemente aumentando la conciencia a nivel estatal.

Para las familias que tienen un pagador privado, el proceso es un poco el mismo. Sugiero que se comuniquen y pidan reuniones con los directores médicos de su plan de seguro de salud y se aseguren de conocer qué es el síndrome de Rett y aumenten la conciencia.

Voy a decir, como digo mucho, es muy importante que la comunidad sea consciente de que IRSF quiere trabajar para asegurarse de que las familias tengan acceso a cualquier tratamiento que esté disponible. Mientras estamos haciendo este trabajo de defensa alrededor de DAYBUE en este momento, haremos este trabajo de defensa a medida que cada tratamiento y terapia estén disponibles. Y cualquier tratamiento que una familia elija aprovechar, es realmente una decisión entre ellos y su proveedor.

(TF)

Gracias por eso, Melissa. Ha habido mucha discusión y muchos números flotando sobre el precio de este nuevo medicamento, este nuevo tratamiento para el síndrome de Rett. ¿Qué puedes decirnos sobre el costo?

(MK)

Escuché la llamada de inversores como lo hicieron muchas otras personas hace una semana más o menos, y en esa llamada de inversores, y el enlace está disponible públicamente, dijeron que el precio de lista será un poco más de \$300,000 al año si recuerdo correctamente. Creo que es muy importante entender que, como todo lo demás en atención médica, lo que una familia paga por atención médica, medicamentos, si va al hospital... realmente no es necesariamente lo que se cobra. La mayoría de las veces, las compañías farmacéuticas, los sistemas de atención médica y los hospitales negocian tarifas con las compañías de seguros médicos. Por lo tanto, habrá una tarifa negociada que los pagadores acordarán pagar.

Y luego, más allá de eso, las familias pagan una parte de las tarifas negociadas. La parte que una familia paga difiere drásticamente dependiendo de su seguro. Así que simplemente diría que no podemos decir realmente cuánto costará a cada familia porque hay demasiados factores en juego, pero animaría a las familias a comunicarse a través de Acadia Connect y los recursos que han proporcionado. Sé que Acadia ha expresado un fuerte deseo de ayudar a cualquier familia a acceder al compuesto independientemente de su capacidad para pagar. Así que realmente animaría a las familias a comunicarse a través de Acadia Connect para averiguar qué recursos están disponibles para ellas.

(TF)

Gracias. Actualmente, DAYBUE solo está aprobado en Estados Unidos. ¿Qué puedes decirnos, Melissa, sobre el proceso para que el acceso a trofinetida se expanda a otros países?

(MK)

Gracias por hacer esa pregunta, Tim. Realmente creo que esa es la pregunta que estamos recibiendo más que cualquier otra cosa. Desde el 10 de marzo, probablemente hemos tenido cientos de contactos con exactamente esa pregunta. Comprensiblemente, las familias fuera de los Estados Unidos tienen un nivel de desesperación por tener acceso a este compuesto. Al igual que esas familias, estamos esperando impacientemente los próximos pasos.

Esto es lo que puedo decir en este momento. Acadia está trabajando para tener acceso a DAYBUE en los Estados Unidos para fines de abril, y ellos son los responsables de supervisar una posible expansión del

acceso en Canadá y México. Hay diferentes agencias reguladoras y diferentes procesos que deben seguirse, y ese proceso va a tomar un poco de tiempo.

Fuera de América del Norte, Neuren mantiene la licencia para comercializar trofinetide para el tratamiento del síndrome de Rett. Tienen la intención de buscar el registro y la comercialización de trofinetide para Rett a través de asociaciones. Habrá más información directamente de Neuren y cuando sea permisible, pero simplemente no hay mucho que se pueda decir sobre ese proceso en este momento. Así que esperaremos pacientemente.

(TF)

Gracias. ¿Qué pueden hacer las familias en los Estados Unidos en este momento, Melissa?

(MK)

Sí, hablamos un poco sobre eso. Creo que, ya sabes, habla con tu médico. Edúcate sobre DAYBUE y aboga. Creo que lo que queremos hacer en este momento en términos de un llamado a la acción es asegurarnos de que DAYBUE esté disponible y accesible para ti. Si tú y tu médico deciden que es lo mejor para tu ser querido, como dije un poco antes, ve a nuestro sitio web, ve a la sección de defensa de nuestro sitio web porque hay algunas cosas muy específicas que puedes hacer para abogar por el acceso.

Comparte tu historia. Es muy poderoso. Sé que puede ser intimidante para muchos hablar con funcionarios electos sobre tu historia personal, pero es lo más poderoso que cualquiera de nosotros tiene, y los funcionarios electos quieren escucharlas. Quieren reunirse contigo y escuchar tu historia. Así que por favor, por favor, comparte tu historia.

(TF)

Genial. ¿Hay algo más, Melissa, que pienses que los padres deberían saber?

(MK)

Como dijimos, DAYBUE no será para todos, por eso como Fundación seguimos invirtiendo en investigación para seguir trayendo terapias y tratamientos a través del proceso de aprobación. Como Fundación, todavía necesitamos que la gente recaude fondos para que podamos seguir invirtiendo en investigación. Así que voy a hacer una promoción sin vergüenza para eso.

También diré, desde una perspectiva de defensa, que escucharás más de nosotros porque las fundaciones familiares, las fundaciones privadas y los donantes privados solo pueden financiar tanta investigación. Necesitamos dólares federales y, por lo tanto, seguiremos abogando para que los dólares federales estén disponibles para financiar la investigación en el síndrome de Rett. Es por eso que seguimos abogando para que el síndrome de Rett se incluya como tema elegible para financiamiento a través de un programa del DOD llamado Programa de Investigación Médica Dirigido por el Congreso. En FY22, el síndrome de Rett se incluyó como una condición de interés y los investigadores de Rett recibieron \$663,000 en fondos federales para apoyar la investigación. Nuestro objetivo es que esto suceda todos los años. Esa también será la siguiente parte de la defensa. Nuestro equipo se siente honrado y humilde de servir a esta comunidad, y estamos muy agradecidos por el apoyo y la confianza de la comunidad en nosotros.

(TF)

Absolutamente. Gracias, Melissa. Gracias por unirse a nosotros hoy. Gracias a todos los que están viendo.

Asegúrese de visitar DAYBUE.com para obtener más información, ese es el sitio web de Acadia específicamente para este medicamento. Puede registrarse para su próximo seminario web, que es el 28 de marzo para cuidadores, y puede obtener información específica sobre su programa de soporte para pacientes y familias llamado Acadia Connect que están ofreciendo junto con DAYBUE.

Como dijimos al principio, lo alentamos a que consulte con su médico acerca de esto, y hay información en DAYBUE.com que puede proporcionarle a su proveedor de atención médica.

Y como dijimos antes, queremos que compartas lo que significa esta aprobación para ti. Hemos creado un formulario de contacto en nuestro sitio web en nuestra página de noticias de trofinetide donde puedes compartir un poco de tu historia, ya sea que hayas estado en el ensayo clínico en cualquier fase o simplemente hayas estado esperando un tratamiento durante mucho tiempo, y estés emocionado o incluso un poco temeroso acerca de lo que esto significa para ti. Nos encantaría saber de ti. Así que por favor avísanos. También puedes enviarnos un correo electrónico a treatment@rettsyndrome.org.

Volveremos con nuestro Equipo de Empoderamiento Familiar más tarde esta semana. Paige Nues y Samantha Brant de nuestra Fundación se unirán a nosotros, y harán nuestro tercer y último video que se lanzará el viernes, hablando de padre a padre sobre este tratamiento por primera vez, y lo que eso significa para nuestra comunidad, y compartiendo algunas de las experiencias que también hemos estado escuchando. Así que esperamos que se unan a nosotros entonces. De nuevo, muchas gracias por ser parte de esto hoy.