

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

Hola a todos. Gracias por unirse a nosotros. Mi nombre es Tim Frank y soy el Director de Marketing y Desarrollo de la Fundación Internacional del Síndrome de Rett (IRSF). Han pasado dos semanas desde que nuestra comunidad se unió para celebrar un hito para el síndrome de Rett. Trofinetide se convirtió en el primer tratamiento aprobado por la FDA para el síndrome de Rett. Y mientras esperamos ansiosamente más información de Acadia Pharmaceuticals, quien comercializará el medicamento como DAYBUE en los Estados Unidos, en IRSF queremos asegurarnos de que usted y su familia estén empoderados con toda la información y los recursos que necesitan. Por lo tanto, hemos preparado una serie de tres partes para comenzar a responder sus preguntas, compartir lo que necesitan saber ahora y discutir el impacto que este tratamiento podría tener en su familia y seres queridos.

Para nuestro video final, me acompañan algunas caras muy familiares dentro de nuestra comunidad. La directora de empoderamiento familiar, Paige Nues, y la gerente de compromiso familiar y comunitario, Samantha Brant. Como padres de un niño o adulto joven con síndrome de Rett, cada uno de nosotros experimentó muchas emociones cuando nos enteramos de que se aprobó trofinetide. Hoy queremos compartir nuestras experiencias personales y lo que estamos escuchando de las familias en la comunidad mientras nos preparamos para este tratamiento.

Como recordatorio, los pensamientos y opiniones discutidos en este video no pretenden ser consejos médicos. Le recomendamos que hable con su médico para obtener consejos individuales sobre DAYBUE y el plan de tratamiento de su hijo. Paige, Samantha, muchas gracias por acompañarnos.

*(Paige Nues, Directora de Empoderamiento Familiar de la IRSF):*

Gracias.

*(Samantha Brant, Gerente de Compromiso Familiar y Comunitario de la IRSF):*

Gracias. Es genial estar con ustedes.

(TF):

Entonces, dime, yo sé dónde estaba. Estaba en el parque con mi esposa. Habíamos salido por la noche cuando recibimos la noticia. ¿Dónde estabas tú cuando ustedes recibieron la noticia de que DAYBUE había sido aprobado?

(PN):

¡Dios mío! Es un momento que recordaré para siempre. Era viernes, temprano por la tarde aquí en la costa oeste y mi familia acababa de llegar a la ciudad, acababa de llegar del aeropuerto, y yo había esperado que escucháramos la noticia el viernes 10 de marzo de 2023, pero ya había pasado las 5 de la tarde aquí en la costa oeste y pensé: "oh, la costa este ya cerró por el día. Supongo que no vamos a escuchar nada ahora. Maldición". Me estaba preparando para sentarme a cenar con mi familia que acababa de llegar a la ciudad, miré mi teléfono, se había publicado el comunicado de prensa y pude compartir con mis padres, mi cónyuge, mis hijos adolescentes y lo más importante, mi hija Katie, el círculo más cercano de personas que han estado a nuestro alrededor y a mi alrededor desde el primer día de su diagnóstico, que el primer fármaco aprobado para el síndrome de Rett había sido aprobado por la FDA. Y es un día que recordaré al igual que el día de su diagnóstico, su cumpleaños... Será un día que recordaré para siempre. Y pudimos sentarnos en la mesa con una comida maravillosa y brindar con una botella de champán y celebrar. Fue maravilloso. Y justo en ese momento mi teléfono comenzó a explotar y los mensajes de redes sociales comenzaron a llegar, especialmente de la gente de la costa

oeste que todavía estaba despierta. Fue increíble. Fue increíble. Así que gracias por permitirme compartir ese hermoso momento.

(TF):

¡Eso es genial, Paige! ¿Y tú, Sam?

(SB):

Sí, la mía fue un poco diferente. Yo también pensé que iba a salir más temprano en el día y recuerdo estar en tensión, refrescando continuamente y buscando que se publicara el comunicado de prensa. Muchas familias se comunicaron conmigo preguntando: "¿Ya lo sabes? ¿Ya has oído?" Y haciéndome saber que también estaban refrescando para este comunicado de prensa. Para la hora central, a las cinco en punto, pensé, "Dios, no vamos a oír". Y así que, seguí adelante y salí por la noche con algunos de mi familia y mi familia extendida. Recuerdo haber recibido la noticia de que se había publicado este comunicado de prensa y que se había hecho historia para nuestra comunidad de síndrome de Rett. Y me dejó sin aliento, literalmente me dejó sin aliento. Recuerdo estar allí parada y sintiéndolo y sintiendo qué cambio había ocurrido en la historia de nuestra comunidad. Pude compartir con algunos miembros de mi familia extendida. No nos sentamos a cenar juntos en ese momento - estábamos afuera y simplemente no podíamos creerlo. Las redes sociales comenzaron a llenarse y yo me quedé atrás, admirada, observando la cercanía, la emoción y el amor que nuestra comunidad compartía entre sí. Así que, un poco diferente. Me quedé atrás y lo contemplé, y todavía estoy sentada y lo contemplo, pensando, ¿me pellizco? ¿Es esto real? Hemos esperado esto por tanto tiempo.

(TF):

¡Eso es muy bueno! Gracias a ambos.

Sé que mencionaste que ambos recibieron un montón de mensajes en sus teléfonos. Voy a compartir una historia que envió una familia de Michigan. Enviamos un correo electrónico poco después de que se anunciara la aprobación para informar a todos, sabiendo que algunos en la costa este lo recibirían muy tarde y la costa oeste lo recibiría a una hora decente. Pero un padre escribió que recibió el correo electrónico de que había sido aprobado y quería gritarle al mundo, pero tampoco quería despertar y asustar a su hija. Así que recurrió a la comunidad de Facebook hasta las 4 de la mañana, volviéndose loca allí. Despertó a su hija a la mañana siguiente, le preguntó si recordaba todos los vuelos, las llegadas tarde al hotel, los coches de alquiler y todo lo que implicaba el ensayo. Ella participó en la primera etapa del ensayo. Su hija escuchó atentamente y sonrió cuando su madre le dijo que iba a volver a tomar el medicamento y que esta vez nunca lo dejaría. Ella sonrió aún más y cerró los ojos y para ella, eso fue su "sí".

Así que fue emocionante ver y escuchar a las familias sobre su experiencia al contarle a sus hijos. Es emocionante solo pensarlo, ¿sabes?, que nuestros hijos están involucrados, muchos niños han participado en estos estudios, muchos niños han estado esperando algo. Y como familias, todos hemos tenido que decirle a nuestro hijo que todavía no hay nada. Saber que finalmente hay algo que puede ser una opción para ellos es enorme. Paige, has sido líder en nuestra comunidad, has sido parte de esta comunidad durante mucho tiempo y has visto mucho progreso de trofinetide desde el principio. ¿Cómo ha sido este viaje para las familias que han estado esperando esta noticia durante más de una década?

(PN):

Oh Dios mío. Creo que todavía me está cayendo el veinte. Como dijo Sam, es como si alguien me

pellizcara, pellizcara y me despertara porque no estoy segura, ¿es realmente real? ¿Es real? Las familias han estado tan comprometidas con este viaje, pero ha habido muchos altibajos. Recuerdo en 2012 cuando Larry Glass de Neuren se unió a nosotros en el escenario de nuestra conferencia y dijo: "Estoy dentro. Estoy completamente dentro. Estamos comprometidos con sus hijos". Y la sala estalló en alegría. Pero como decimos en el síndrome de Rett, ya saben, los días son largos y los años son cortos. Y sin embargo, estos años han sido largos, desde ese momento de confiar y creer realmente que esta compañía creía en nuestros hijos, que nuestros clínicos también creían en el medicamento. Creando esa comunidad de confianza con nuestras familias para confiar a sus hijos a probar un medicamento experimental.

Para mí, como padre cuyo hijo era demasiado joven para inscribirse en la fase inicial y luego era demasiado viejo para inscribirse en la siguiente fase para que se me preguntara una y otra vez: "¿Pondrías a tu hijo en este ensayo clínico?" Y para mí poder decir con honestidad: "Sí, lo haría". Confío en nuestros médicos. Confío en este medicamento, confío en el proceso. Confío en los sistemas regulatorios que están poniendo todos estos protocolos en su lugar para mantener a nuestros hijos seguros. ¿Hay riesgo? Sí. ¿Sabes cuál es ese riesgo? No, porque no hemos pasado por ensayos clínicos.

Pasamos años celebrando reuniones, seminarios web, conferencias y educando a las familias sobre lo que significaba inscribir a su hijo en un ensayo clínico. Sosteníamos las manos de los padres cuando tenían que tomar decisiones porque nuestros hijos, en su mayor parte, son no verbales. Son algunos de los niños con trastornos genéticos más gravemente afectados y neuro lógicamente involucrados que existen. Por lo tanto, para asimilar todo esto y como padre tomar la decisión de confiar a su hijo a un ensayo cuando no pueden decirte necesariamente cómo se sienten, si quieren hacerlo o no. Tienes que pensar profundamente y reflexionar.

Entonces, diría que esta década, todas estas décadas, han sido acerca de unificar a nuestra comunidad para tomar las mejores decisiones juntos. Porque es cuando puedes sostener la mano de alguien que pasas por momentos difíciles. Hemos tenido otros ensayos que fallaron y hemos tenido dificultades para viajar. Es difícil viajar con un niño con síndrome de Rett. Entonces, la mayoría de las familias nunca toman vacaciones. Pero al comprometerse con otra cita médica cuando su vida ya está llena de tantas citas médicas, terapias y ya se han tomado tanto tiempo libre en el trabajo cuando su hijo está enfermo y no puede ir a la escuela o el autobús no llega. Hay tantas razones para no participar en la investigación.

Pero al ser parte de la Fundación, estuve allí para decirles a las familias que el día va a llegar. Sé que va a llegar, prepárense para la investigación, contribuyan al Estudio de Historia Natural y participen en los ensayos. Si quieren ver esto suceder, ya sea que suceda o no para su hijo. Si realmente quieren hacer realidad sus sueños y esperanzas, comprométanse con el proceso. ¡Y lo hicieron! Y la alegría y la incredulidad son increíbles. Es increíble.

Y da tanta esperanza a nuestros otros trastornos relacionados. Estoy escuchando de comunidades fuera del síndrome de Rett que están tan felices y están inspirados y renovados y reanimados. Nuevamente, es un proceso y necesitas que estos momentos lleguen en el tiempo. Es simplemente, es increíble. Compartiré una historia más. Una de las familias que pudo subir al escenario después de completar la primera fase que estaba abierta para adultos con síndrome de Rett, subió al escenario en una de nuestras conferencias familiares y dijo: ¿sabes qué? Sé que me dijeron que no puedo decir si pensé que mi hija estaba tomando el medicamento o el placebo, pero sabes qué, no me importa porque sé que sus

huellas dactilares están en este ensayo. Y eso es una declaración poderosa y un compromiso con nuestra comunidad. Y estoy muy agradecida con cada padre.

(TF):

Paige, ¿hay algún héroe desconocido que haya ayudado a hacer posible para nuestra comunidad los primeros ensayos clínicos de las fases dos, en 2012 o 2013, dado que no teníamos un gran patrocinador con mucho dinero para poder volar a la gente o para poder ayudar?

(PN):

Oh, gracias. Me gustaría dedicar este momento a Colleen English y las familias que comenzaron una organización llamada Rettland. Lo sorprendente para mí es que hace 10 años en el espacio de enfermedades raras y ensayos clínicos, había una sensación de que las familias no debían recibir compensación por participar en los ensayos porque eso podría ser percibido como coercitivo. Tuvimos que hacer mucha defensa ante las compañías farmacéuticas, la FDA y las agencias reguladoras para decir que compensar es diferente a reembolsar a alguien por el viaje. Somos una enfermedad rara. Nuestros centros no se encuentran en todas partes del país. No es fácil llegar a ellos y es costoso. Y nuestras familias ya están haciendo lo más difícil que pueden hacer, que es ofrecer a su hijo para participar. No debería ser mucho compensarlos por los gastos de participación. Y en ese momento en que necesitábamos cerrar esa brecha para que se entendiera esa lógica, Colleen English tomó la iniciativa de formar una organización llamada Rettland. Y ella permitió la financiación de viajes para las familias que tenían la capacidad emocional y la capacidad de viajar, pero no los medios financieros para hacerlo. Y así, ella hizo que eso sucediera. Y ese es otro héroe anónimo y una pieza crítica de por qué esto pudo lograrse en la década exacta que dijimos que tomaría suceder. Por lo tanto, estaremos siempre agradecidos con Rettland, que fue iniciada por padres, para que los padres puedan hacer que el progreso en la investigación sea una realidad.

(TF):

¡Eso es genial! Así que una cita que recuerdo haber leído y que tengo aquí para compartir es similar a lo que compartió Paige sobre la huella digital. Pero una madre en Carolina del Sur dijo que al participar en este ensayo, su hija ha dado su tiempo, su sangre y mucho más para ayudar a miles de otras personas. Ella ha dejado su marca en la historia. Algo parecido a lo que compartiste, la aprobación de trofinetide la llevó a lágrimas, lágrimas de alegría y esperanza. Ya no se diagnosticarán más niños con síndrome de Rett y se les dirá a sus familias que su hijo tiene síndrome de Rett y no hay nada para tratarlo. Ahora se les dirá a las familias que su hijo tiene síndrome de Rett, pero hay un medicamento que puede ayudarlo o ayudarla. Trae tanta esperanza es lo que dijo esa madre. Sam, trabajas principalmente con nuestras familias recién diagnosticadas. ¿Qué significa este cambio para ellas? ¿Cómo cambia para esas familias?

(SB):

Oh, ¡esperanza! La madre de Carolina del Sur da en el clavo con la esperanza. Nuestra comunidad siempre está y continuamente llena de esperanza. Pero esto trae algo nuevo, ¿verdad? No solo esperanza, sino también fructificación. Cuando hablo con nuevas familias, sé que mi voz se quiebra cuando preguntan: "¿Hay algún tratamiento?" Y tengo que decir que no, pero estamos trabajando, estamos comprometidos, todos estamos intentando. Ahora puedo decir que sí. Hable con su clínica. Hable con su médico. Existe un tratamiento que la FDA aprobó. Eso quita mil ladrillos de los hombros de un padre, incluyéndome a mí. Y solo pienso que las conversaciones con las familias recién diagnosticadas y más allá, este es un cambio que ocurre tanto para mujeres como para hombres.

(TF):

Absolutamente. Sé que hay mucha emoción en la comunidad. Nuestros teléfonos no paran de sonar, nuestros correos electrónicos no paran de llegar. ¿Cuáles son algunos de los temas comunes que están escuchando de nuestra comunidad?

(PN):

Me gustaría aprovechar este momento para reconocer especialmente a las familias que tienen hijos que ya no están con nosotros, porque están experimentando emociones encontradas en este momento. Muchas emociones agridulces de que sus hijos no vivieron lo suficiente para ver este día. Y quiero recordarles que todos estamos parados sobre los hombros de gigantes que vinieron antes que nosotros. Hoy no habría sido posible sin que sus hijos participaran en los primeros estudios, sin que sus hijos fueran conocidos por los médicos y sin que dijeran mucho más dentro de ellos de lo que podían expresar. Y es su compromiso y su participación en todo este proceso lo que nos ha permitido llegar hasta donde estamos hoy. Y están muy emocionados, ¿verdad? Esto significa que las vidas de sus hijos tuvieron sentido si donaron órganos a bancos de cerebros, si participaron en ensayos clínicos, si se sometieron a extracciones de sangre y punciones lumbares y estudios de historia natural, todo eso - nos llevó hasta aquí. Y sus hijos están observando desde arriba y están muy contentos de que sus hermanos y hermanas que están vivos hoy en día tendrán la oportunidad de vivir una vida mejor.

Y esto simplemente abre la puerta a más tratamientos y a más ensayos clínicos. Así que quiero realmente reconocer y agradecer a esas familias que vinieron antes que nosotros. Porque es maravilloso. Y especialmente tengo que decirle a Claire English, la hija de Colleen English, la familia que comenzó Rettland. Claire no está aquí hoy para beneficiarse de ese trabajo, pero Rettland todavía lo está. Así que somos una familia para siempre. Y veremos este día simplemente para comenzar un nuevo viaje y un nuevo capítulo para todos los niños. Así que, Sam, no sé si tienes algo más que te gustaría compartir.

(SB):

Sí, siempre es una de las cosas más emocionantes que puedo compartir con las familias, especialmente con las nuevas familias, que en primer lugar, no están solas. Y luego compartir cuán solos no están. Son esas familias las que han abierto estos caminos para que nuestros hijos pequeños puedan beneficiarse de esto. Sin personas como Colleen English, Rettland y todas esas familias que pusieron su sangre, sudor, lágrimas, millas en sus autos, millas en sus vuelos, pinchazos de sangre, punciones lumbares, como mencionaste. Y la inversión emocional de pasar por estas fases para llevar esto a la fruición. Sin ellos, no estaríamos aquí. Así que, en nombre de nuestra Fundación y de todas las familias con las que trabajo ahora y en el futuro, estamos agradecidos, gracias. Gracias por abrir esos caminos. Y les aseguro que continuaremos manteniendo eso mientras seguimos avanzando con más y más tratamientos.

(PN):

Y a los hermanos. ¿Verdad? A los hermanos y hermanas que han perdido tantas cosas en la vida por ver esto, sentarse aquí y ver que todas las promesas que nosotros como padres les hemos hecho, que habría días mejores por delante para su hermana, lo que significa días mejores por delante para toda la familia. Pero también está aquí para ellos. Y sé lo emocionados que están mis hijos por su hermana y cuánto tenemos que agradecerles por amar a sus hermanas, confiar en sus hermanos y prometer un día mejor para ellos. Pero sabiendo que ahora también pueden descansar un poco más sabiendo que el

futuro que les prometimos que sería mejor, realmente lo es. Es un nuevo día. Es simplemente un momento hermoso.

(TF):

Sí. Es el primero de muchos por venir. Ya sabemos que este tratamiento puede no funcionar para todos, pero ciertamente es el comienzo y trae una cantidad significativa de esperanza. ¿Qué dice nuestra comunidad sobre la emoción en torno a la etiqueta y el hecho de para quién está aprobado?

(SB):

He escuchado mucho de familias tanto masculinas como femeninas y, hace 10 años, no estoy segura de que esto hubiera sido posible, pero saber que es posible para nuestros hombres y mujeres solo hace que la emoción sea aún mayor. Es para ambos. Es para alguien con síndrome de Rett, tanto hombres como mujeres. Qué viaje tan increíble ha sido para esas familias y todas las familias masculinas que han luchado batallas cuesta arriba para que los hombres sean incluidos. Qué victoria para toda nuestra comunidad.

(TF):

Sí, estaba pensando en eso. Como Fundación, hemos luchado mucho porque hemos escuchado la voz de las familias con hijos varones y cómo querían ser parte de los ensayos, querían ser incluidos, y hemos llevado a los varones a la mesa detrás de escena cada vez que dije, ¿y los varones? ¿Y los varones? Así que es una gran victoria y agri dulce, como dijiste, Paige, saber que hemos perdido a tantos que no pudieron ver este día, pero su lucha no fue en vano, ya sabes, que los escuchamos y que ahora la industria los ha escuchado, la FDA los ha escuchado, y tenemos esta etiqueta que podemos celebrar.

(PN):

Sí. Y luego es relevante para adultos, ¿verdad? Para todos los que se sintieron no reconocidos o si un ensayo, los criterios de inclusión no los incluían. Si tenían un varón, si tenían un adulto o su hijo era demasiado joven, lo tomaron personalmente y sintieron que se les excluía personalmente de la oportunidad de este medicamento. Así que tenerlo aprobado para todas las edades, todas las etapas, todos los géneros es simplemente extraordinario. Demuestra que nadie fue excluido. Todos fueron considerados. Este compuesto es verdaderamente para las personas con síndrome de Rett. Fin de la historia. Puede que no ayude a todos, pero es elegible para todos. Y eso era algo en lo que la gente tenía que confiar en el proceso. Y aquí estamos.

(TF):

Sí. ¿Qué otros relatos o comentarios están escuchando ustedes de la comunidad?

(SB):

Como dije, después de escuchar las noticias, realmente pude disfrutar de la celebración en las redes sociales que explotó como fuegos artificiales. Y uno por uno leí diferentes historias de familias sobre cosas que habían sucedido en este ensayo con sus hijos. Y me emocionó hasta las lágrimas. Me emociona pensar que estos padres vieron a sus hijos perder habilidades y pudieron recuperarlas. También he escuchado que para algunos no funcionó y eso duele tanto como escuchar el diagnóstico. Pero realmente sentí que formaba parte de cada persona que compartió estas historias, de sus vidas y de la alegría que ha dado y ha dado a nuestra Fundación el poder escuchar y ver esto es como ningún otro.

(PN):

Y no solo las familias, sino que estoy escuchando de los terapeutas, los fisioterapeutas, los terapeutas ocupacionales, los terapeutas de música, los educadores especiales, los pediatras que han creído en nuestros niños y se han comprometido a trabajar con ellos diariamente, semanalmente, durante meses, durante años, sabiendo que el entorno enriquecido es tan importante en un trastorno que no es degenerativo, pero que es progresivo. Y por lo tanto, ese entorno enriquecido y esa terapia continua importan, pero no siempre vemos progreso. Pero ahora saber que hay un tratamiento, que cuando se combina con este entorno enriquecido, cuando se combina con esas horas en la clínica y terapias, van a poder ver el cambio y la mejora. También son parte de la historia, y es tan vigorizante para ellos como profesionales y motivador que están felices, son tan felices por sus familias porque nos hemos convertido en una familia después de trabajar con ellos durante tanto tiempo, ¿verdad? Así que, este es realmente un momento para celebrar en tantos, tantos círculos de personas en nuestras comunidades y en tantas profesiones. Me alegra tanto que Acadia vaya a realizar algunos webinars específicamente para las familias el 28 de marzo, y van a realizar algunos webinars adicionales solo para profesionales. Así que espero que todos visiten su sitio web y busquen el webinar que sea adecuado para ellos, ya sea que sean profesionales o una familia, para obtener respuestas. Tienen la capacidad de escribir preguntas que tengan en mente y que quizás no tengamos las respuestas, pero esperamos que Acadia pueda compartir en estos próximos webinars. Y es un testimonio adicional del hecho de que son un verdadero socio en este proceso con nosotros.

(TF):

Absolutamente. ¿Algo más que creen que los padres deberían saber, que nuestra comunidad debería saber en este momento?

(SB):

Sí, me sumo a lo que Paige está compartiendo sobre Acadia el 28 de marzo. Creo que las familias deberían planear unirse a eso. Cualquier familia que necesite más información, Paige y yo estamos aquí para ayudar a navegar y dirigirlos hacia los recursos que necesitan, hacia las herramientas: Acadia tiene un sitio web y un conjunto de herramientas maravillosos para ayudar. Sé que he escuchado a muchas familias queriendo llamar a sus clínicas ¡y están listos para entrar! Seamos pacientes con nuestros médicos y nuestras clínicas. ¿Puedes imaginar cuántos de nosotros queremos entrar mañana mismo? Pero todavía están cuidando a nuestros hijos y asegurándose de que estén en la mejor salud y forma posible. Así que tengamos paciencia como comunidad. Ya viene. Y para aquellos que han visto el RettAway, si no lo han hecho, por favor visiten nuestro sitio web y busquen bajo "eventos" para el RettAway. Va a ser algo extra especial y una celebración extra especial, ¡en persona! Vacacionando juntos este junio en Morgan's Wonderland e Inspiration Island - y qué inspiración es esta para eso.

(TF):

Absolutamente. Paige, ¿quieres compartir algo más?

(PN):

Oh, Dios mío, solo espero que todos puedan llegar a San Antonio en junio. Será una celebración increíble. Y, ya sabes, esto no es la cura milagrosa. Todavía tenemos que aprender el uno del otro. Todavía tenemos que unirnos como comunidad. Tenemos que aprender cómo viajar con nuestros hijos que tienen convulsiones, trastornos del sueño o necesitan equipos especiales. Y el propósito de

RettAway es para que aprendamos a hacer todo eso en un espacio seguro juntos. Pero ahora tendrá un poco de un ambiente diferente, creo. ¡Será una celebración importante! Y no tendré que saltar a través de la pantalla o del teléfono para abrazar a todos. Podemos hacerlo en persona. Entonces, como dijo Sam, no puedo esperar para ver a todos en persona en junio y espero eso. Y quiero agradecer a cada familia que no ha perdido la esperanza. Sabemos que aman a sus hijos y saben que harían cualquier cosa por ellos. Y sé que seguirán haciéndolo. Y solo no pierdan la esperanza. Si este tratamiento no funciona para su hijo, otro lo hará. La puerta está abierta y más personas se inspirarán. Su trabajo será más significativo para ellos, sabiendo que esta aprobación podría llegar. No puedo decirte cuántos medicamentos para convulsiones hemos probado para Katie y han fallado, pero nunca perdimos la esperanza de que algún día algo funcionaría. Y así, no pierdan la esperanza. Sigán creyendo, sabiendo que no vamos a ninguna parte y es solo felicitaciones a todos y gracias.

(TF):

Genial. Paige, Samantha, muchas gracias, y a todos los que están viendo este episodio y los episodios anteriores que hicimos, muchas gracias por sintonizar. Como compartió Paige, estamos increíblemente agradecidos como Fundación de poder apoyar a sus familias y nuestro objetivo no es solo apoyar a sus familias, sino acelerar la investigación. Y así, es emocionante haber hecho ambas cosas, haber viajado con la investigación todo este tiempo y haber hecho contribuciones significativas que nos han llevado a este punto, pero también estar trabajando con las familias, llevando con ustedes, cargando con la carga y apoyándolos diariamente, pero también empoderándolos para ayudar a otros y devolver a nuestra comunidad y estar listos para la investigación y ser participantes en ensayos clínicos y hacer esos increíbles sacrificios que ustedes han hecho. Muchas gracias por confiar en sus familias con IRSF y en la creencia en el trabajo que estamos haciendo.

Como comunicaron Paige y Sam, les recomendamos visitar [daybue.com](http://daybue.com) para registrarse en el próximo seminario web de Acadia el 28 de marzo. Es a las 7:00 PM en el este. Pueden hacer eso. También tienen información para su proveedor de atención médica en una sección de proveedor de atención médica de su sitio web. Así que, si su médico está curioso, tienen información allí - realmente les recomendamos hacer eso.

Y también les animamos a hablar con su médico sobre esto porque, como dijimos, esto puede no ser adecuado para todos, pero es importante que hablen con su médico o visiten nuestras clínicas para averiguar lo que dicen.

Mientras seguimos reuniendo contenido, mientras seguimos compartiendo estas historias, queremos saber qué significa la aprobación para usted. ¿Formó parte de uno de los ensayos clínicos? ¿Cómo les da esta noticia esperanza? Por favor, cuéntenos. Tenemos un correo electrónico configurado en [treatment@rettsyndrome.org](mailto:treatment@rettsyndrome.org) o pueden usar el formulario de contacto en nuestro sitio web. Muchas gracias por ser parte de esto y esperamos que todos estén saludables y bien.

(SB):

Gracias a todos. Cuídense.

(PN):

Gracias.