

f (La ecuación
para una
mejoría
funcional
de Duchenne)

f (

Alex
Vive con Duchenne

Una nueva
**fórmula para
la función en
la distrofia
muscular de
Duchenne**

Descubra cómo la cantidad,
la calidad y la distribución de
distrofina pueden contribuir
a **mejorías funcionales
significativas** en la distrofia
muscular de Duchenne.

Dyne
THERAPEUTICS

Contenido

Descripción general **3**

La ecuación para una
mejoría funcional **4**

Análisis en profundidad
de la distrofia **5**

Qué podría aportar **6**

Guía para hablar con
el médico **7**

Toma de decisiones
compartida **8**



“

Cada niño con Duchenne y cada familia que se enfrenta a esta situación deberían poder definir qué significa para ellos “autonomía”. La autonomía es lo más importante para nosotros.

Rachel, madre y cuidadora de un niño de 6 años con Duchenne

”

Hacia un futuro más funcional

Vivir con distrofia muscular de Duchenne, una enfermedad rara y compleja, significa esforzarse todos los días por conservar las capacidades más importantes.

Se han logrado avances importantes para frenar la progresión de la enfermedad, pero es hora de reorientar las expectativas hacia mejorías significativas que usted pueda ver y sentir en su vida cotidiana:

más independencia, más resistencia, más fuerza.

Los avances en la enfermedad de Duchenne solo han sido posibles gracias a la dedicación y la determinación de la comunidad. Dyne se compromete a ser un colaborador de confianza para las familias y defensores a fin de continuar con esta labor juntos.



A lo largo de este folleto, encontrará espacios donde podrá anotar sus pensamientos y sentimientos sobre la vida con Duchenne y sus esperanzas para el futuro.

Comparta sus respuestas con su médico y, juntos, tomen las decisiones que puedan darle los mejores resultados posibles.

Descubra **el impacto** que **una mayor funcionalidad** puede tener en la comunidad de Duchenne.

AdvanceDuchenne.com

La conexión de la función con la distrofina

La causa principal de la enfermedad de Duchenne se conoce bien: el cuerpo no produce distrofina funcional, la proteína que les proporciona a los músculos una capa protectora en los movimientos diarios.

Pero no basta con producir más. Para lograr una mejoría funcional significativa, es necesario contar con la **cantidad adecuada** (más distrofina), la **calidad adecuada** (distrofina similar a la que el cuerpo produce naturalmente) y la **distribución adecuada** (administración eficaz) de distrofina, todo al mismo tiempo.

UNA NUEVA ECUACIÓN

Cantidad + Calidad + Distribución = Mejoría funcional

Cantidad

Una mayor cantidad de distrofina puede significar mayor protección para los músculos y puede ayudar a que se mantengan fuertes durante más tiempo.

Calidad

La distrofina de alta calidad contiene componentes clave de la proteína natural que produce el cuerpo, que le permiten fortalecer los músculos.



Distribución

Debe llegar a las partes del cuerpo más afectadas, que incluyen el músculo esquelético (utilizado para el movimiento y la respiración), el músculo cardíaco (del corazón) y el músculo liso (presente en el sistema digestivo).

Cantidad
+
Calidad
+
Distribución

Mejoría funcional

Sus factores funcionales

¿Qué podría significar para usted una mejoría funcional?

- Observar pequeñas mejorías con el paso del tiempo
- Retrasar la pérdida de capacidad para caminar
- Mantener la función
- Preservar la independencia

Repaso de los enfoques actuales para la producción de distrofina en Duchenne

En los últimos años, las terapia génica y de omisión de exones se han centrado en abordar la causa fundamental de Duchenne en lugar de tratar solo los síntomas. Estos avances han ayudado a los investigadores a comprender mejor los **componentes individuales de la ecuación** más importantes para la función muscular.



Caeden
Vive con Duchenne

TERAPIAS DE OMISIÓN DE EXONES

- Estos medicamentos mostraron por primera vez que es posible producir distrofina parecida a la proteína natural.
- Debido a la forma en que se administra el medicamento, puede no llegar a todos los músculos afectados por la distrofia muscular de Duchenne que más lo necesitan.

TERAPIA GÉNICA

- La terapia génica ha sido diseñada para enviar "instrucciones" directamente a las células musculares para que puedan producir distrofina.
- Produce una gran cantidad de una versión más corta de la distrofina, llamada "microdistrofina".
- La terapia génica se administra una vez y no se puede volver a administrar. A medida que el organismo crece de forma natural, es posible que las nuevas células musculares afectadas por la enfermedad de Duchenne no reciban el medicamento.

Aunque se han logrado avances, conseguir que los 3 componentes de la distrofina—cantidad, calidad y distribución— **estén presentes al mismo tiempo sigue siendo un reto para el tratamiento de Duchenne. Es posible que los tratamientos que solo se centran en algunos componentes de la distrofina no sean suficientes para que determinados pacientes experimenten mejoras en su función.**

Sus factores funcionales

Si la distrofina funcionara mejor en todo el cuerpo, ¿qué cambios en su vida cotidiana le parecerían más significativos?

Qué podría aportar para las personas con Duchenne

Las investigaciones se centran cada vez más en **lograr los 3 componentes —cantidad, calidad y distribución—** con el objetivo de apoyar las mejoras funcionales más importantes para las personas con Duchenne y sus familias.

Las personas con Duchenne y sus familias se centran en metas compartidas que reflejen una mejora significativa.



PRESERVAR LA FUNCIÓN DIARIA

- Mantener la capacidad para caminar
- Mejorar el uso de los brazos y las manos
- Fomentar el autocuidado y la independencia en la escuela, en el trabajo y en entornos sociales



PROTEGER ÓRGANOS VITALES

- Prevenir o retrasar el debilitamiento del corazón y los músculos
- Preservar la capacidad respiratoria



CAMBIAR EL CURSO DE LA ENFERMEDAD DE DUCHENNE

- Retrasar la progresión a etapas más avanzadas de la enfermedad, que implican:
 - Pérdida de movilidad
 - Complicaciones respiratorias
 - Empeoramiento de la función cardíaca y respiratoria



La movilidad de la parte superior del cuerpo me ayudaría mucho en mi día a día porque me permitiría alcanzar objetos y levantarlos.

Jake, 23 años,
Vive con Duchenne



Alex
Vive con Duchenne

Tómese un momento para evaluar la realidad actual y las posibilidades futuras.
Escriba sus respuestas en los espacios designados que aparecen a continuación.

Si tiene Duchenne:

Si cuida a alguien que tiene Duchenne:

Hoy, me siento un poco desafiado por:	Los nuevos avances científicos para la enfermedad de Duchenne me hacen sentir:
Me siento optimista respecto de los nuevos enfoques porque:	Si se lograran mejorar la cantidad, la calidad y la distribución de la distrofina al mismo tiempo, lo que más me gustaría ver son avances en:
Si lograra mejorar mi capacidad funcional, lo que más me gustaría probar sería:	Con un poco más de capacidad funcional, podría:
Mi mayor deseo para la comunidad de Duchenne es:	Me mantengo al tanto de las investigaciones científicas y los avances para la enfermedad de Duchenne mediante:



Lleve estas notas a su próxima visita al médico para iniciar una conversación sobre sus objetivos y sobre qué significa para usted llevar una vida plena.



Kyrie
Vive con Duchenne

Decisiones compartidas para una meta específica

Juntos, usted y su médico tomarán las decisiones más adecuadas para usted.

Sus factores funcionales

- **Analice con su médico** qué mejoras marcarían una mayor diferencia en su vida cotidiana.
- Hable sobre los 3 componentes clave de la distrofia: **cantidad, calidad y distribución.**
- **Hable sobre los avances recientes en la enfermedad de Duchenne** para estar al tanto de las últimas novedades.

Gracias a la comunidad de Duchenne.

Sus colaboraciones y conocimientos contribuyen a orientar los avances científicos para las personas que tienen distrofia muscular de Duchenne.



©2026 Dyne Therapeutics, Inc.
Todos los derechos reservados. MAT-0063 06/2026

Reciba las últimas novedades en torno a **los avances y progresos** para la comunidad de Duchenne.

Inscríbese ahora