



Sarepta Therapeutics lanza el programa inaugural de concesión de subvenciones para la LGMD

5/5/22

- **El sitio web del programa ya está abierto y acepta solicitudes hasta el 5 de septiembre de 2022**
- **Hasta \$100,000 en fondos totales que se adjudicarán a las organizaciones no gubernamentales y de apoyo a los pacientes seleccionadas**

CAMBRIDGE, Massachusetts, 5 de mayo de 2022 (GLOBE NEWSWIRE) -- Sarepta Therapeutics, Inc. (NASDAQ:SRPT), líder en medicina genética de precisión para enfermedades raras, anunció hoy el lanzamiento del Programa de concesión de subvenciones para la distrofia muscular de cinturas (limb-girdle muscular dystrophy, LGMD), creado con el objetivo de acortar el recorrido hasta el diagnóstico de LGMD y mejorar la participación en los programas de pruebas genéticas actuales. El programa otorgará fondos a organizaciones no gubernamentales y de apoyo a los pacientes para ayudar con las iniciativas propuestas que tengan. La compañía busca propuestas que aborden una o más de las siguientes áreas: promover el reconocimiento de los primeros signos y síntomas de la LGMD; mejorar la participación en pruebas genéticas y programas de asesoría genética; y facultar a las familias para que asuman un papel activo en la búsqueda de un diagnóstico confirmado. Sarepta otorgará hasta \$100,000 en fondos totales para uno o más proyectos y el comité de selección determinará la cantidad de personas que obtienen la subvención para optimizar los fondos disponibles.

Las LGMD representan un grupo de enfermedades genéticas neuromusculares distintas con un conjunto de síntomas generalmente frecuentes, que incluyen debilidad progresiva y debilitante, y atrofia que comienza en los músculos que rodean las caderas y los hombros antes de pasar a los músculos de los brazos y las piernas. Muchos subtipos de LGMD son enfermedades que limitan significativamente la vida y, con frecuencia, terminan con la vida. La cartera de terapias genéticas en investigación de Sarepta para tratar la LGMD tiene el potencial de abordar seis subtipos de LGMD, que en conjunto representan más del 70 % de todas las LGMD conocidas.

“El Programa de concesión de subvenciones para la LGMD es un programa nuevo que surgió a partir de los aportes que comparte la comunidad de LGMD y tiene como objetivo ayudar a abordar lo que suele describirse como un camino frustrante y complicado hasta el diagnóstico. A muchas personas que tienen LGMD no se les ofrecen pruebas genéticas, les hacen falta pruebas genéticas actualizadas o se les asigna un diagnóstico en función de sus síntomas”, expresó Diane Berry, vicepresidenta sénior de Política de Salud Global, Asuntos Gubernamentales y del Paciente. “A través de este programa de subvenciones, buscamos posibilitar un mejor apoyo a las familias con el paso del tiempo, incluido el acceso más temprano a la atención especializada, el aumento de la participación en ensayos clínicos y el acceso mejorado a posibles tratamientos futuros para la comunidad de LGMD. Además, este programa fomentará un mayor compromiso entre las personas que tienen LGMD y las organizaciones no gubernamentales y de apoyo a los pacientes, a medida que trabajen conjuntamente y con creatividad para abordar algunos de los desafíos inherentes que presenta este grupo de enfermedades. Esperamos recibir y revisar propuestas para este importante programa”.

Las solicitudes deben presentarse con la documentación adecuada del estado de la organización sin fines de lucro o no gubernamentales. Las propuestas deben describir actividades que busquen acortar el recorrido hasta el diagnóstico de LGMD y/o mejorar la participación en los programas de pruebas genéticas actuales. Las organizaciones tendrán hasta un año para completar las actividades descritas en su propuesta. Los esfuerzos detallados en la propuesta deben alcanzar a la comunidad de LGMD a nivel regional o mundial y no deben ser específicos de un subtipo. El programa está abierto a las organizaciones independientemente de la geografía. El Comité de Subvenciones de Sarepta evaluará los fundamentos, la creatividad, el valor inspirador de cada propuesta y cómo se medirá el éxito del programa. Los miembros de la comunidad de LGMD pueden enviar una solicitud si forman parte de una organización que respalde su presentación. Se aceptarán solicitudes hasta el lunes 5 de septiembre de 2022, a las 11:59 p. m., hora de verano del Pacífico. Los solicitantes serán notificados de las decisiones del comité de subvenciones antes del 30 de septiembre de 2022. Para obtener más información o enviar una solicitud, visite www.sarepta.com/LGMDGrantAwardProgram.

Acerca de Sarepta Therapeutics

Sarepta tiene una misión urgente: diseñar medicina genética de precisión para enfermedades raras que devastan vidas y acortan el futuro. Contamos con modelos de liderazgo en la distrofia muscular de Duchenne (DMD) y las distrofias musculares de cinturas (LGMD), y actualmente tenemos más de 40 programas en diversas etapas de desarrollo. Nuestra amplia línea de programas está impulsada por nuestro motor de medicina genética de precisión multiplataforma en terapia genética, ácido ribonucleico y edición de genes. Para obtener más información, visite www.sarepta.com o síganos en [Twitter](#), [LinkedIn](#), [Instagram](#) y [Facebook](#).

Publicación de información en Internet

Normalmente publicamos información que puede ser importante para los inversores en la sección “Para inversores” de nuestro sitio web en www.sarepta.com. Alentamos a los inversores y posibles inversores a consultar nuestro sitio web periódicamente para obtener información importante sobre nosotros.

Fuente: Sarepta Therapeutics, Inc.

Contacto con inversores:

Ian Estepan, 617-274-4052
iestepan@sarepta.com

Contacto con los medios:

Tracy Sorrentino, 617-301-8566
tsorrentino@sarepta.com