

“PREGUNTAS FRECUENTES” DEL PROGRAMA DE CONCESIÓN DE SUBVENCIONES PARA LGMD 2025

1. ¿Quién es Sarepta?

Sarepta Therapeutics es una compañía global de biotecnología que tiene una misión urgente: diseñar medicina genética de precisión para enfermedades raras que devastan vidas y acortan el futuro. Tenemos más de 40 programas en toda nuestra cartera y actualmente contamos con programas clínicos en desarrollo para pacientes con distrofias musculares de cinturas (limb-girdle muscular dystrophies, LGMD), distrofia muscular de Duchenne y otras afecciones neuromusculares y relacionadas con el sistema nervioso central (SNC). Tenemos sede central en Cambridge, Massachusetts, y oficinas en todo el mundo.

2. ¿Cuál es el objetivo del programa de concesión de subvenciones para LGMD?

Este programa de subvenciones busca solicitudes que respalden el diagnóstico más temprano de la LGMD y/o una mayor participación en programas de pruebas genéticas establecidos. Las propuestas deben ser originales, significativas y deben incluir formas de abordar una o más de las siguientes áreas:

1. Promover el reconocimiento de los primeros signos y síntomas de la LGMD.
2. Mejorar la participación en pruebas genéticas y programas de asesoría genética.
3. Capacitar a las familias para que tengan un rol activo en la búsqueda de un diagnóstico confirmado para conocer el subtipo.

3. ¿Cuál es el objetivo de los esfuerzos de Sarepta?

El objetivo de nuestros esfuerzos es, en última instancia, ofrecer un impacto a largo plazo para las familias, como acceso más temprano a atención especializada, mayor participación en ensayos clínicos y mejorar el acceso a posibles tratamientos futuros para la comunidad con LGMD.

4. ¿Cuál es el plazo de entrega de la solicitud?

El programa de concesión de subvenciones invita a las organizaciones de apoyo a los pacientes y a las organizaciones no gubernamentales a presentar una propuesta de proyecto original entre el 16 de junio de 2025 y el 16 de octubre de 2025. No se aceptarán solicitudes tardías.

5. ¿Pueden presentar una solicitud personas que no sean empleadas de una organización de apoyo a los pacientes o de una organización no gubernamental?

Las personas que se inspiren en esta iniciativa deben alinearse con una organización sin fines de lucro que opte por apoyar su idea para la solicitud. La organización alineada supervisará la cumplimentación de la solicitud y el trabajo propuesto. Si desea obtener ayuda para identificar una posible organización de apoyo a los pacientes que colabore, puede enviar un mensaje de correo electrónico a advocacy@Sarepta.com.

6. Describa los elementos importantes del programa de subvenciones.

- a. Se aceptan solicitudes desde el 16 de junio de 2025 hasta el 16 de octubre de 2025.
- b. Las solicitudes que reúnan los requisitos se evaluarán como se describe en este documento.
- c. Los solicitantes serán notificados de los resultados de la revisión de la solicitud antes del 15 de noviembre de 2025.
- d. Se producirá un breve período de contratación si su solicitud recibe una subvención. Los destinatarios de la subvención se anunciarán públicamente.
- e. Los fondos se distribuirán a su organización tras cumplimentar el contrato.
- f. Después de la distribución de fondos, su organización tendrá hasta un año para completar las actividades descritas en su propuesta.
- g. Al final del año, los destinatarios de una concesión de subvención proporcionarán un resumen de la iniciativa y describirán los resultados clave.
- h. Sarepta mantiene el derecho de auditar el uso de los fondos para el propósito previsto descrito en la propuesta.

- i. Sarepta puede optar por resaltar el trabajo de su organización en nuestras comunicaciones. Esto puede incluir comunicaciones internas y externas, sitios web de Sarepta y redes sociales.

7. ¿Quién revisará las solicitudes y seleccionará a los destinatarios?

El Comité de Subvenciones de Sarepta revisará las solicitudes y seleccionará a los destinatarios.

8. ¿Qué sucede si ya he presentado antes una solicitud para el programa de concesión de subvenciones para LGMD (en 2022 o 2023)? ¿Puedo volver a presentar una solicitud?

Sí, puede volver a solicitar financiación aunque lo haya hecho antes. Independientemente de si ha recibido financiación o no, puede volver a solicitarla.

9. ¿Dónde se encuentra el sitio web para presentar la solicitud?

Puede enviar su solicitud en la siguiente página: <https://Sarepta.com/LGMDGrantAwardProgram>

10. Subvenciones:

Sarepta otorgará subvenciones monetarias para que las organizaciones de apoyo a los pacientes o las organizaciones no gubernamentales puedan implementar sus proyectos. Se otorgarán hasta \$100.000 dólares estadounidenses (USD), y el Comité de Selección determinará la cantidad de personas que obtienen la subvención para optimizar los fondos disponibles. Especifique en su solicitud el monto del financiamiento que desea recibir, hasta un máximo de \$100.000 (USD), y proporcione un presupuesto de respaldo. Todos los solicitantes recibirán una respuesta que indicará el resultado de la revisión de su solicitud.

11. Después de que se otorgan las subvenciones:

Es posible que Sarepta desee compartir información sobre las propuestas seleccionadas para destacar el valioso trabajo que se ha realizado en diferentes regiones del mundo. Para ello, Sarepta puede optar por compartir en nuestros canales de redes sociales y sitios web de los EE. UU. (Sarepta.com y Limbgirdle.com) el nombre de su organización e información sobre su iniciativa descrita. Como su procedimiento de subvención estándar, Sarepta mantiene el derecho de auditar el uso de los fondos designados para este fin.

12. ¿Qué requisitos debe reunir una solicitud?

- La solicitud debe presentarse entre el 16 de junio de 2025 y el 16 de octubre de 2025 (a más tardar a las 11:59 p. m., hora del Este).
- Las solicitudes deben presentarse con la documentación correspondiente que acredite que se trata de una organización sin fines de lucro o no gubernamental.
- Las solicitudes deben describir las actividades destinadas a acortar el camino que debe recorrerse hasta llegar al diagnóstico de la LGMD y/o a mejorar la participación en los programas de pruebas genéticas existentes.
- Las actividades descritas en la propuesta deben completarse en el plazo de un año.
- El trabajo propuesto por una organización no debe ser específico para un determinado subtipo.
- El Comité de Subvenciones de Sarepta evaluará aún más las solicitudes que reúnen los requisitos usando una guía de evaluación que se muestra a continuación.

13. Una vez que se determine qué solicitudes reunieron los requisitos, ¿cómo evalúa el Comité de Subvenciones de Sarepta esas solicitudes?

El Comité de Subvenciones evaluará las solicitudes para determinar el impacto específico y medible que pueda tener la iniciativa. Además, a Sarepta le interesará comprender algunos de los valores menos tangibles. En la página 3, encontrará la rúbrica que utilizará el Comité de Subvenciones como ayuda en el proceso de toma de decisiones.

Fundamentos del programa	
	¿Por qué esta propuesta de proyecto constituye una manera significativa y eficaz de respaldar el diagnóstico temprano de la LGMD y/o de mejorar la participación en pruebas genéticas?
Evaluación de los factores de éxito	
	¿Existe una manera tangible y medible de evaluar el éxito del programa? ¿Qué regiones podrían verse afectadas por los esfuerzos descritos?
Creatividad de la propuesta	
	¿Qué tan única es la propuesta de este programa?
	¿Qué nuevos mecanismos se construyen, qué nuevas partes de la comunidad de la salud estarán involucradas o qué nueva conexión comunitaria se forma a través de esta iniciativa?
Naturaleza inspiradora de la propuesta	
	¿La propuesta genera formas nuevas e interesantes de involucrar a la comunidad con LGMD? ¿Qué regiones podrían verse afectadas por el trabajo?
	¿La propuesta tiene la capacidad de inspirar a otras organizaciones de apoyo o facultar a la comunidad con LGMD para que actúe?
	¿De qué manera la propuesta fomenta la participación en pruebas genéticas y programas de asesoramiento?
	¿El programa tiene un impacto duradero a nivel individual o comunitario?
Inclusión de toda la comunidad con LGMD	
	¿La propuesta del proyecto aborda las necesidades de toda la comunidad con LGMD y no distingue subtipos genéticos específicos?
	¿Cómo abordará el proyecto los problemas de diversidad y equidad globales dentro de la comunidad con LGMD y cómo fomentará una comunidad con LGMD global y unificada?

14. ¿Cuándo se notificará de las decisiones a los solicitantes?

Los solicitantes serán notificados de las decisiones del Comité de Subvenciones antes del 15 de noviembre de 2025.

15. ¿Cómo y cuándo se adjudicarán los fondos del programa de subvenciones?

Si su organización es elegida como destinataria de una subvención, recibirá un contrato de Sarepta. Una vez completado el contrato, la organización de apoyo a los pacientes o la organización no gubernamental recibirá un cheque por correo (dentro de los EE. UU.) o una transferencia de fondos (fuera de los EE. UU.). Los fondos proporcionados en virtud de la subvención no son transferibles y no se realizarán sustituciones, excepto a criterio exclusivo del patrocinador, según se describe en este documento de preguntas frecuentes sobre el programa. La organización de pacientes será responsable de todos los impuestos federales/nacionales, estatales y locales.

16. ¿Cuáles son mis responsabilidades si mi organización es elegida como destinataria de una subvención?

Después de que se haya implementado el programa (en un plazo de 12 meses de recibir los fondos), su organización será responsable de compartir un resumen del programa que describa el resultado de su iniciativa. El resumen puede incluir información como la siguiente:

- Testimonios de pacientes/cuidadores.
- Fotografías (deben contar con los permisos adecuados para compartirlas).
- Estadísticas sobre la cantidad de personas alcanzadas (omitir información médica de pacientes específicos).
- Estadísticas de los aumentos específicos por subtipo que hubo (por ejemplo, cuántas personas nuevas con LGMD2E se identificaron).
- Los líderes de la organización deben estar preparados para ofrecer un informe final verbal o escrito sobre el programa a los colegas internos de Sarepta, en forma de presentación (de alrededor de 20 minutos). Además, llegado el caso, deben estar preparados para compartir el informe final externamente (por ejemplo, como resumen o póster en una conferencia o en un artículo de una revista científica). Tenga en cuenta que cualquier uso interno del trabajo de la organización deberá pasar por el proceso interno de revisión legal y de cumplimiento de Sarepta.
- Otras formas medibles de ilustrar el éxito del programa.

17. ¿Qué sucede si tengo preguntas adicionales?

Comuníquese con advocacy@Sarepta.com directamente para enviar sus preguntas.

El proceso de presentación de solicitudes:

18. ¿Cómo presento mi solicitud?

1. Complete el formulario de presentación en línea que se encuentra aquí: <https://Sarepta.com/LGMDGrantAwardProgram>. En el formulario, se solicita información de contacto estándar como, por ejemplo:
 - a. Documentación que acredite que se trata de una organización sin fines de lucro o no gubernamental.
 - b. Número de identificación (su código de identificación único para su organización, generalmente un número de identificación fiscal u otro número de registro proporcionado por el gobierno. Los ejemplos incluyen número de identificación del contribuyente [TIN], IVA, número de registro de empresa [BRN], etc.)
 - c. Información presupuestaria
2. Adjunte los detalles del programa, incluida una carta de solicitud, información general del programa y un presupuesto para el proyecto.

19. ¿Qué se debe incluir en los detalles del programa que cargo?

Proporcione un documento de Word o PDF que incluya una carta de solicitud firmada, una descripción general del programa y un presupuesto del proyecto.

Carta de solicitud:

Proporcione una carta de solicitud firmada con el membrete de su organización. Comparta la misión de su organización, un título para la iniciativa propuesta y una breve descripción de la iniciativa que propone. Una carta de solicitud suele ser de 1 a 2 páginas.

Descripción general del programa:

- Nombre/título de la propuesta.
- Objetivos específicos del programa, referencia a la región geográfica de impacto.
- Descripción de cómo logrará los objetivos del programa y cómo planea identificar el diagnóstico genético específico por subtipo recibido como parte de su programa.
- Plazo aproximado para la ejecución del proyecto, que ilustre el uso del presupuesto en el plazo de un año.
- Si se ha desarrollado contenido (presentación de diapositivas, manuales, materiales promocionales educativos, redes sociales, contenido planificado), proporcione esta información.
- Todas las propuestas enviadas DEBEN ser el contenido original. Si hace referencia a material que ya es público (como artículos o estándares médicos, consulte la fuente, pero no incluya reimpressiones).
- Comparta el modo en el que medirá el éxito de la iniciativa descrita en su propuesta.

Presupuesto: Comparta el monto total del presupuesto solicitado (en USD) y cómo se asignarán estos fondos.