

Su guía para la terapia a largo plazo con

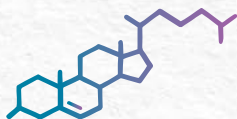


El ácido cólico es fundamental

Si tiene un trastorno genético crónico llamado síndrome de Smith-Lemli-Opitz (Smith-Lemli-Opitz Syndrome, SLOS), su cuerpo no produce suficiente colesterol. Sin él, el cuerpo no puede producir un ácido biliar llamado ácido cólico. El ácido cólico es necesario para digerir y absorber el colesterol y otras grasas, así como las vitaminas y los nutrientes de los alimentos que come.

CHOLBAM es un medicamento de venta con receta que podría ayudar a aumentar el ácido cólico en personas con SLOS y otros trastornos raros de la síntesis de los ácidos biliares.

CHOLBAM puede ayudar a*:



Aumentar los niveles de colesterol



Bajar las enzimas hepáticas para contribuir a una mejor función hepática



Fomentar el crecimiento en el momento esperado

- **Al mejorar los niveles de colesterol**, CHOLBAM puede ayudar a las personas a mejorar su peso y estatura. Esto puede ayudar a tratar los retrasos en el crecimiento en personas con SLOS.
- **CHOLBAM puede ayudar a reducir las enzimas hepáticas**, como la alanina aminotransferasa (ALT) y la aspartato aminotransferasa (AST).

En los estudios esenciales no hubo pacientes evaluables con SLOS.

*En un estudio piloto de 2 meses de duración, 9 de los 12 pacientes mostraron una tendencia al alza en el aumento de peso con respecto al inicio, pero dicha tendencia no alcanzó significación estadística. También se han notificado mejoras en la estatura.

INDICACIÓN

¿Qué son las cápsulas de CHOLBAM®?

CHOLBAM es un medicamento con receta. Es un ácido biliar utilizado para lo siguiente:

- Tratamiento de los trastornos de síntesis de ácidos biliares (mal funcionamiento en la producción de ácidos biliares en el hígado) debidos a la falta de una sola enzima responsable de la producción de ácidos biliares.
- Tratamiento (además de otros tratamientos) de trastornos peroxisomales (una pérdida de función en partes importantes de una célula), incluidos los trastornos del espectro de Zellweger, en pacientes que muestran signos o síntomas de enfermedad hepática, heces pálidas por demasiada grasa o problemas derivados de no absorber ciertas vitaminas (A, D, E, K).

No se ha estudiado la seguridad y eficacia de CHOLBAM en los síntomas fuera del hígado.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

Puede que CHOLBAM no sea adecuado para usted.

Antes de tomar CHOLBAM, informe a su médico lo siguiente:

- Todas las condiciones de salud que pueda tener y cualquier medicamento que pueda estar tomando.
- Si está embarazada o planea quedar embarazada.
- Si está amamantando o planifica amamantar.

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del documento y la Información de prescripción completa.

Empezar

Durante los primeros 30 días, céntrese en crear una rutina diaria de dosificación



Tome CHOLBAM a la misma hora cada día



Ponga una alarma diaria como recordatorio



Pruebe a usar un pastillero con los días de la semana para asegurarse de que no se salta ninguna dosis



Anote la fecha de renovación de receta en su calendario

Tomar CHOLBAM

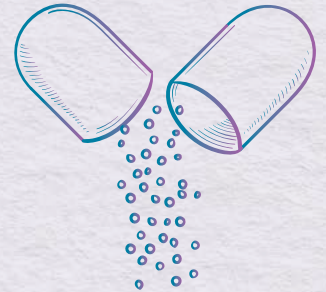
- Tome diariamente con alimentos.
- Tome por vía oral (por boca) en una o 2 dosis divididas, según las instrucciones del médico.
- El médico puede considerar empezar con la dosificación de dos veces al día a medida que usted se acostumbre a dosis más altas de CHOLBAM.
- Tome CHOLBAM al menos 1 hora antes o de 4 a 6 horas después de tomar una resina de unión de ácidos biliares o un antiácido a base de aluminio.
- No triture ni mastique los comprimidos.
- No ajuste la dosis sin primero consultar con su médico o el de su ser querido.
- La dosificación se basa en el peso.
 - A medida que aumente el peso, su dosificación cambiará.
 - Lleve un registro de los cambios de peso y haga un seguimiento con su médico para asegurarse de que está recibiendo la dosis correcta.

Para las personas que no pueden tragar las cápsulas enteras, abra y mezcle el contenido de las cápsulas con:

- Una pequeña cantidad de fórmula infantil o leche materna extraída
- Una pequeña cantidad de un jarabe favorito (chocolate/jarabe de arce)
- Una cucharada de alimentos blandos/bebidas espesas como:
 - Yogur
 - Puré de patatas
 - Compota de manzana
 - Crema para café

Antes y/o después de la toma, beba una pequeña cantidad de su zumo favorito para seguir enmascarando el sabor.

NO espolvoree encima de los alimentos; mezcle bien el contenido de la cápsula con una pequeña cantidad de alimento para enmascarar el sabor.



Para obtener instrucciones adicionales sobre la administración, visite cholbam.com/slos/starting-cholbam-slos y lea la Información de prescripción completa.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de CHOLBAM?

- **Efectos secundarios graves:** tendrá que someterse periódicamente a pruebas de laboratorio durante el tratamiento para evaluar la función hepática. CHOLBAM puede empeorar la función hepática. Informe a su médico inmediatamente si experimenta síntomas asociados con el empeoramiento de la función hepática (p. ej., la piel o la parte blanca de los ojos se vuelve amarilla, la orina se vuelve oscura o marrón [color té], hay dolor en el lado derecho del estómago, hay hemorragia o hematomas que se producen con más facilidad de lo normal o siente mayor letargo). Su médico decidirá si necesita interrumpir el tratamiento con CHOLBAM.

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del documento y la Información de prescripción completa.

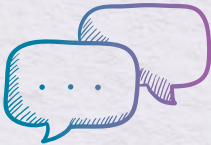


Qué saber sobre los efectos secundarios

CHOLBAM tiene un perfil de seguridad bien establecido.

Efectos secundarios notificados en pacientes que toman CHOLBAM:

- El efecto secundario más frecuente experimentado en los ensayos clínicos fue la diarrea (alrededor del 2 % de los pacientes).
- Se produjeron otros efectos secundarios frecuentes en el 1 % de los pacientes, incluidos esofagitis por reflujo, malestar general, ictericia, lesión cutánea, náuseas, dolor abdominal, pólipo intestinal, infección urinaria y neuropatía periférica.



No deje de tomar CHOLBAM sin hablar con su médico. Si experimenta efectos secundarios persistentes, llame a su médico.



“[Mallie] experimentó diarrea durante una semana, más o menos”

—Taylor, madre de Mallie Los resultados individuales pueden variar.

**Consulte la experiencia de Mallie con CHOLBAM.
Visite cholbam.com/slos/videos-slos**

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de CHOLBAM?

- **Efectos secundarios más frecuentes:** diarrea, reflujo ácido que daña el revestimiento del esófago, molestias y fatiga, coloración amarillenta de la piel o los ojos, lesión cutánea, náuseas, dolor abdominal, formación de crecimientos en el tubo intestinal, infección urinaria, daño nervioso que causa cambios en la sensación en las extremidades.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de CHOLBAM. Informe a su médico si tiene algún efecto secundario que le preocupa o que no desaparece.

Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del documento y la Información de prescripción completa.



SEGUIMIENTO DE SU PROGRESO

CHOLBAM forma parte de su plan de atención a largo plazo y puede que tarde un tiempo en mostrar mejoras. Tome CHOLBAM todos los días según lo prescrito para asegurarse de que su cuerpo tiene lo que necesita para funcionar adecuadamente.

La atención de seguimiento regular es una parte esencial del tratamiento. Su médico programará visitas periódicas para asegurarse de que CHOLBAM funciona supervisando lo siguiente:



Crecimiento mediante el seguimiento de la estatura y el peso



Estado nutricional, incluidos colesterol, vitaminas y niveles de nutrientes



Función hepática mediante análisis de sangre



EMPIECE CON MIRUM ACCESS PLUS

Un programa integral de apoyo diseñado para ayudar a las personas a recibir CHOLBAM y seguir con el tratamiento. Recibir educación continua, apoyo con la cobertura del seguro, ayuda para coordinar la renovación de medicamentos y más.

Para obtener recursos, consejos de administración y más, visite CHOLBAM.COM/SLOS

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de CHOLBAM. Informe a su médico si tiene algún efecto secundario que le preocupa o que no desaparece.

Puede informar los efectos secundarios a la FDA al 1-800-FDA-1088 o a www.fda.gov/medwatch. También puede notificar efectos secundarios a Mirum Pharmaceuticals al 1-855-MRM-4YOU.



Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del documento y la Información de prescripción completa.