

Superar el
prurito colestásico
(picazón) para

VIVIR A LO GRANDE



LIVMARLI es un medicamento aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) para el prurito colestásico (picazón) en pacientes con síndrome de Alagille de 3 meses de edad o más.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

LIVMARLI puede causar efectos secundarios graves, incluidos los siguientes:

- **Daño hepático.** Los cambios en ciertas pruebas hepáticas son frecuentes en los pacientes, pero pueden empeorar durante el tratamiento con LIVMARLI.

Consulta la página 2 para obtener más información sobre las pruebas hepáticas.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

 **Livmarli**[®]
(maralixibat) solución oral

Un medicamento para el prurito colestásico (picazón)
en el síndrome de Alagille

DESCUBRA LIVMARLI

Descubrir que usted o su hijo tienen el síndrome de Alagille puede ser difícil.
Encontrar formas de manejar la afección puede ser aún más difícil.

Este folleto explicará un medicamento aprobado por la FDA que se dirige a una
de las causas subyacentes de los problemas hepáticos en el síndrome de Alagille.



Si cuida de un niño pequeño con
síndrome de Alagille, consulte la página
26 de este folleto para ver formas de
hablar con su hijo sobre LIVMARLI.

SOY FINLEY



SOY NOELLE



SOY EMMA



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Estos cambios pueden ser un signo de daño hepático y pueden ser graves. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre y exámenes físicos antes de comenzar el tratamiento y durante el tratamiento para comprobar su función hepática. Informe de inmediato a su proveedor de atención médica si presenta algún signo o síntoma de problemas hepáticos, incluyendo:

- náuseas o vómitos
- coloración amarilla de la piel o la parte blanca del ojo
- orina oscura o marrón
- dolor en el lado derecho del estómago (abdomen)
- sensación de saciedad, hinchazón o acumulación de líquido en la zona del estómago (ascitis)
- pérdida del apetito
- sangrado o formación de hematomas con mayor facilidad de lo habitual, incluidos vómitos con sangre



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

¿QUÉ PUEDE ENCONTRAR EN ESTE FOLLETO?

- | | | |
|---|---|---|
| <p>4 ¿Cómo afecta el síndrome de Alagille al hígado?</p> <p>5 ¿Cuáles son los efectos de la acumulación de ácidos biliares?</p> <p>6 El prurito colestásico (picazón) es algo más que simplemente rascarse</p> <p>8 La necesidad de un tratamiento eficaz</p> <p>9 Descubra LIVMARLI</p> | <p>10 ¿Cómo actúa LIVMARLI?</p> <p>11 Mejoría temprana del prurito colestásico (picazón)</p> <p>12 Resultados duraderos con LIVMARLI</p> <p>13 Impacto a largo plazo de las mejoras del prurito colestásico (picazón)</p> <p>15 Cómo se evaluó la picazón</p> <p>16 ¿Cómo se toma LIVMARLI?</p> | <p>17 ¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?</p> <p>18 Consejos para algunos efectos secundarios</p> <p>20 Mirum Access Plus</p> <p>21 ¿Qué otros recursos hay disponibles?</p> <p>22 Historias de pacientes reales</p> <p>24 Programa de pares de LIVMARLI</p> <p>26 Hablar con su hijo sobre LIVMARLI</p> |
|---|---|---|



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

• **Problemas estomacales e intestinales (gastrointestinales).** LIVMARLI puede causar problemas estomacales e intestinales, como diarrea y dolor de estómago durante el tratamiento. La diarrea también puede causar la pérdida de demasiada cantidad de líquido corporal (deshidratación grave). Su proveedor de atención médica puede aconsejarle que monitoree la aparición o el empeoramiento de problemas estomacales, incluidos dolor de estómago, diarrea, sangre en las heces o vómitos.

Informe de inmediato a su proveedor de atención médica si presenta algún signo o síntoma nuevo de problemas estomacales e intestinales, o un empeoramiento de tales signos o síntomas, incluidos:

- | | |
|---|--|
| - diarrea | - vómitos |
| - deposiciones más frecuentes de lo habitual | - micción menos frecuente de lo habitual |
| - heces negras, alquitranadas, pegajosas o con sangre o mucosidad | - mareos |
| - dolor o sensibilidad graves en la zona del estómago | - dolor de cabeza |

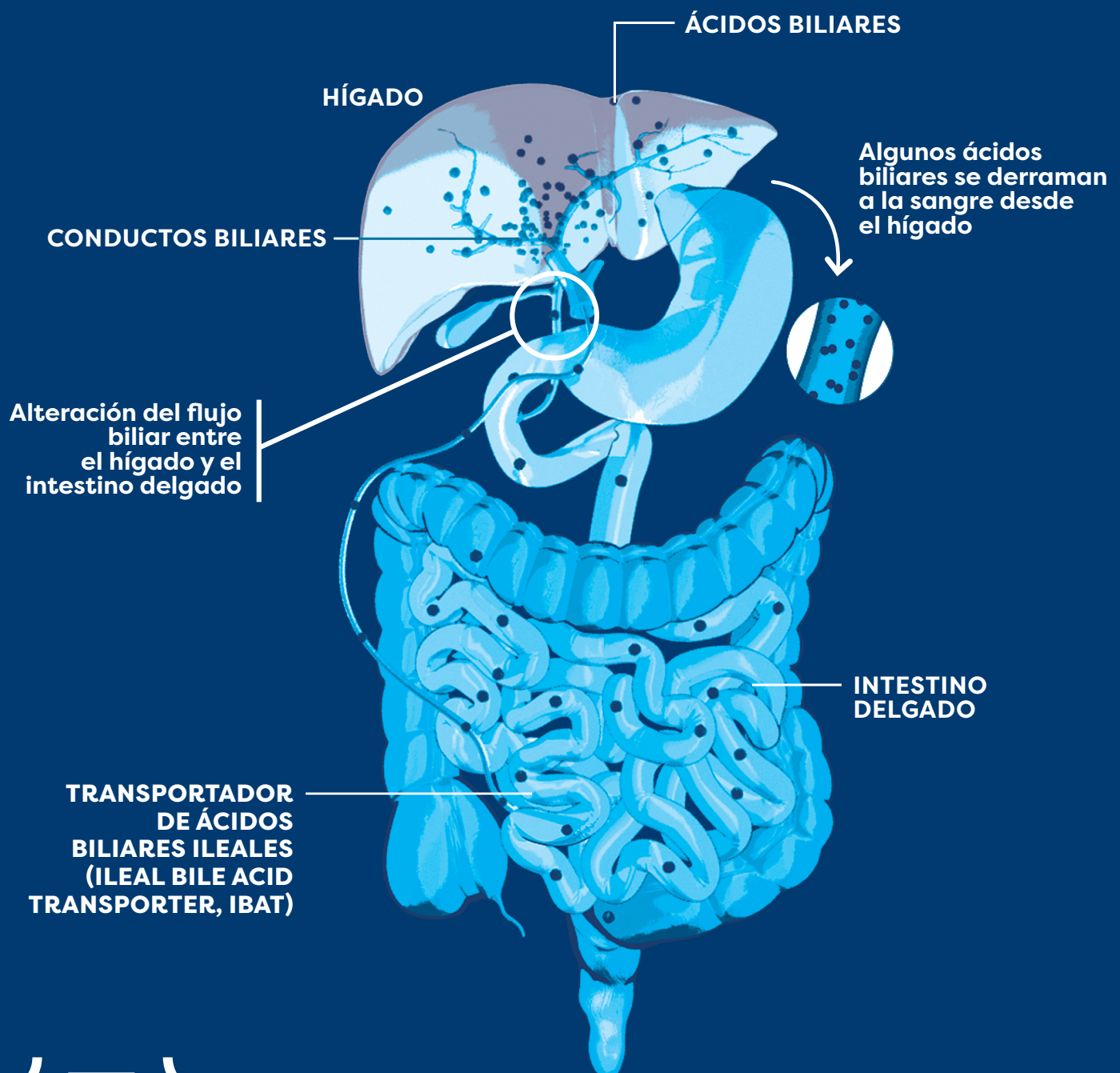


Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

¿CÓMO AFECTA EL SÍNDROME DE ALAGILLE AL HÍGADO?

El síndrome de Alagille es una enfermedad rara que puede afectar a varias partes del cuerpo, incluido el hígado.

Los problemas hepáticos se producen debido a que una red de conductos en el hígado, llamados conductos biliares, están malformados o son más pequeños de lo normal. Esto impide que la bilis, un líquido que ayuda a digerir las grasas, fluya fuera del hígado. Los ácidos biliares, que forman parte de la bilis, se acumulan después en el hígado y la sangre.



Impacto inmediato y a largo plazo

¿CUÁLES SON LOS EFECTOS DE LA ACUMULACIÓN DE ÁCIDOS BILIARES?

Cuando los ácidos biliares se acumulan en el hígado, se traspasan al torrente sanguíneo. Esto puede provocar un aumento de los ácidos biliares en todo el cuerpo.

Estos niveles elevados de ácidos biliares son una causa subyacente del prurito colestásico (picazón) en el síndrome de Alagille. **La picazón afecta hasta al 88 % de las personas con síndrome de Alagille y se considera el síntoma más agobiante.**

Con el tiempo, la acumulación de ácidos biliares en el hígado puede provocar problemas a largo plazo, incluidos:

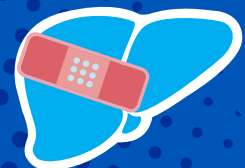
Inflamación



Daño en el hígado que empeora con el tiempo



Cicatrices en el hígado (fibrosis)



La acumulación de ácidos biliares causa problemas inmediatos (la picazón) y tiene un impacto a largo plazo (problemas hepáticos).



EL PRURITO COLESTÁSICO (PICAZÓN) ES ALGO MÁS QUE SIMPLEMENTE RASCARSE

La picazón suele ser un síntoma muy difícil para las personas con síndrome de Alagille.

Más allá de la necesidad de rascarse, la picazón puede afectar al bienestar emocional, mental y físico de una persona. Los signos y síntomas relacionados con la picazón pueden parecer distintos durante el día y/o la noche, pueden variar entre los pacientes o incluso cambiar con la edad.

Reconozca los signos de la picazón en cada edad



BEBÉS

La picazón en el síndrome de Alagille se observa con frecuencia por primera vez en la lactancia o en la primera infancia. Los primeros signos de picazón a menudo pueden parecer señales de hambre o de cansancio. Los bebés pueden expresar picazón de la siguiente manera:



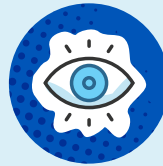
Problemas del sueño



Irritabilidad



Se retuercen



Frotar los ojos



Introducirse los dedos en los oídos



NIÑOS

Con el tiempo, los niños pueden empezar a mostrar su malestar de diferentes maneras. Pueden experimentar varios síntomas debido a la picazón, incluidos:



Problemas del sueño



Irritabilidad



Daño en la piel



Frotar los pies



Rascado activo



Inquietud



Incapacidad para concentrarse



EL PRURITO COLESTÁSICO (PICAZÓN) ES ALGO MÁS QUE SIMPLEMENTE RASCARSE



ADOLESCENTES Y ADULTOS JÓVENES

Los adolescentes y adultos jóvenes pasan por **cambios y emociones**. Quienes tienen dificultades con la picazón posiblemente tengan:



Problemas
del sueño



Irritabilidad



Daño en
la piel



Frotar
los pies



Normalizar
la picazón



Molestias
físicas



Incapacidad
para
concentrarse

CUENTE LOS DETALLES DE LA PICAZÓN

Considere las siguientes preguntas y asegúrese de compartir sus respuestas con su médico:

- ¿Nota que su hijo se retuerce, se frota y/o se rasca?
- ¿Ha notado algún cambio en el estado de ánimo o irritabilidad?
- ¿Ha tenido problemas para conciliar el sueño o para permanecer dormido?
- ¿Influye la picazón en la vida diaria (por ejemplo: no puede concentrarse en la escuela, no puede participar en actividades, etc.)?
- ¿Se rasca o muerde la piel con frecuencia?
¿Ha causado daños en la piel?
- ¿Ha notado que se introduce los dedos en los oídos, se frota los pies o se retuerce sobre la alfombra?



LA NECESIDAD DE UN TRATAMIENTO EFICAZ



El prurito colestásico afecta a más personas de las que se cree.

La picazón afecta hasta a un 88 % de las personas con síndrome de Alagille y es una de las peores entre cualquier enfermedad hepática colestásica.



En el pasado, las opciones para tratar la picazón eran limitadas

En el pasado, las únicas opciones que tenían las personas para controlar la picazón en el síndrome de Alagille eran los medicamentos que no están específicamente hechos para el síndrome de Alagille, la cirugía y/o el trasplante de hígado.



Obtenga información sobre una opción de tratamiento para aliviar la picazón.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

- Una afección llamada **deficiencia de vitaminas liposolubles (VLS) causada por niveles bajos de ciertas vitaminas (vitaminas A, D, E y K), que se almacenan en la grasa corporal.** La deficiencia de VLS es frecuente en los pacientes con síndrome de Alagille, pero puede empeorar durante el tratamiento. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes y durante el tratamiento, y puede monitorear las fracturas óseas y las hemorragias, que son efectos secundarios frecuentes.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

Tratamiento aprobado por la FDA

DESCUBRA LIVMARLI

LIVMARLI es el único tratamiento aprobado por la FDA para la picazón en pacientes con síndrome de Alagille de 3 meses de edad o más. LIVMARLI ayuda a reducir la acumulación de ácidos biliares y a aliviar la picazón.

Mejoras tempranas con impacto a largo plazo



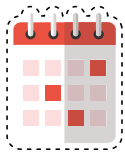
Más del 80 % de los pacientes tuvieron menos picazón de lo que sentían al inicio con LIVMARLI. Las mejoras se observaron ya en la primera evaluación (semana 3).

En el caso de los pacientes que tuvieron una mejora significativa de la picazón, es decir, una reducción de más de 1 punto en ItchRO (obs.)*, el **93 % estaban vivos y no se habían sometido a un trasplante de hígado** 6 años después de iniciar LIVMARLI (consulte información importante sobre el diseño del estudio en las páginas 14 y 15).†‡

†No se ha establecido el impacto del medicamento LIVMARLI sobre la supervivencia sin trasplante. No se recogió información sobre la fibrosis hepática (cicatrización).

‡El picor intratable fue una razón frecuente de trasplante de hígado en muchos pacientes con síndrome de Alagille.

Ayuda a los pacientes desde hace años



Respaldo por más de 5 años de datos,[§] LIVMARLI tiene un registro de seguridad bien conocido en pacientes con picazón en el síndrome de Alagille. Durante los últimos 6 años, **más de 850 pacientes con síndrome de Alagille han utilizado LIVMARLI para combatir la acumulación de ácidos biliares.**||

|| Incluye estudios clínicos, programa de acceso temprano y tratamiento comercial.

Empezar y encontrar apoyo es sencillo



Aproximadamente, el 94 % de los pacientes están aprobados para recibir LIVMARLI por su seguro y el 98 % de los pacientes pagan \$10 o menos por resurtido.¶†#

Mirum Access Plus ofrece recursos, educación, y servicios para ayudarle a empezar el tratamiento con LIVMARLI y continuarlo.

*El resultado de picazón informado por los observadores (ItchRO [obs.]) es una herramienta diseñada para que los cuidadores midan la intensidad de la picazón a lo largo del tiempo.

§A partir de una observación prolongada de pacientes que tomaron LIVMARLI después de completar un estudio controlado con placebo.

¶Datos del 1/1/2022 al 12/31/2023.

#Los pacientes inscritos en el Programa de asistencia al paciente de Mirum están incluidos en aquellos que pagan \$10 o menos por resurtido.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Informe a su proveedor de atención médica sobre todos los medicamentos que toma, ya que LIVMARLI puede interactuar con otros medicamentos. Si toma un medicamento que reduce el colesterol mediante la unión a ácidos biliares, como la colestiramina, el colesevelam o el colestipol, tómelo al menos 4 horas antes o 4 horas después de tomar LIVMARLI.



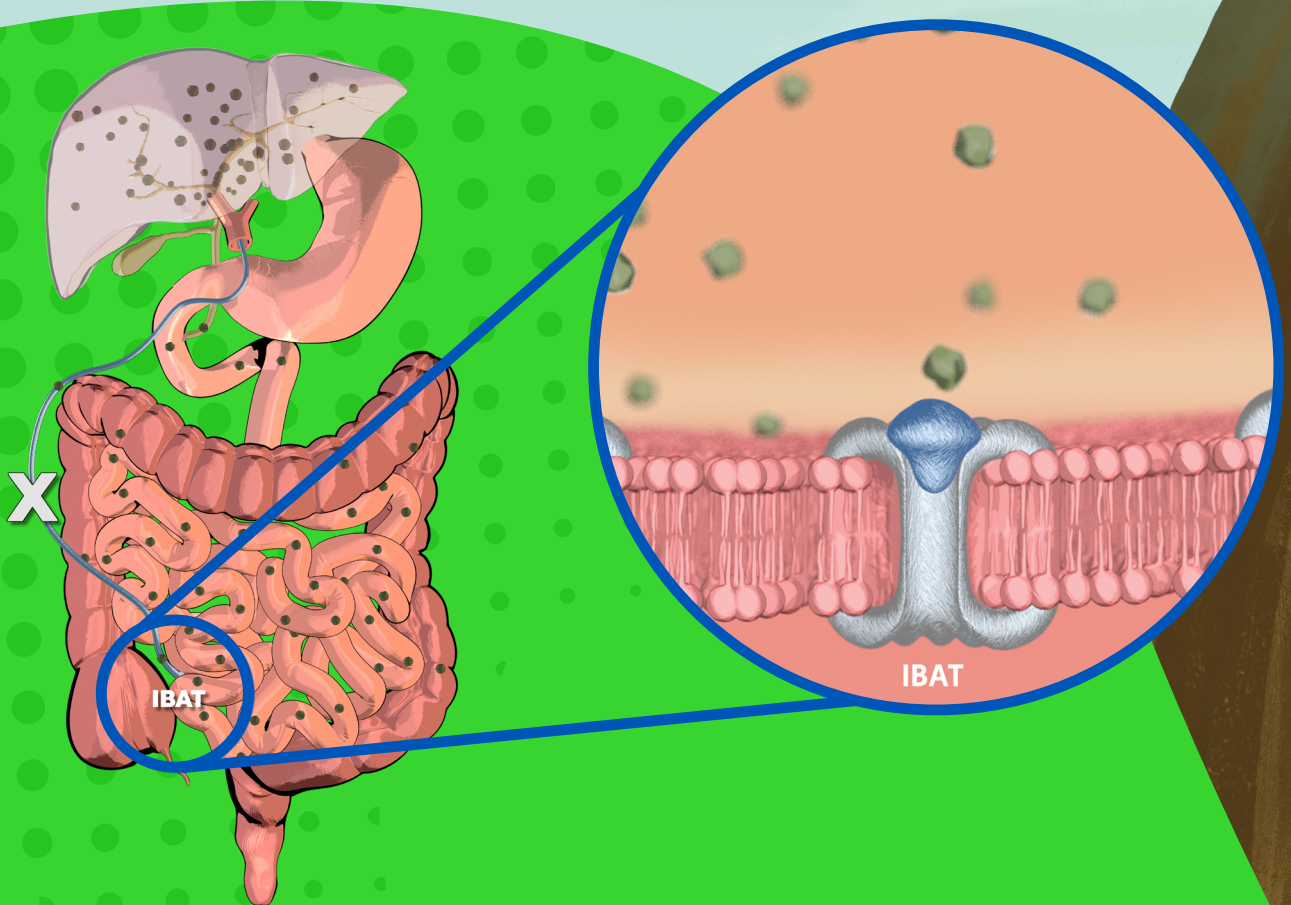
Consulte toda la información importante de seguridad y toda la [Información para el paciente de LIVMARLI](#).

Supere el prurito colestásico

¿CÓMO ACTÚA LIVMARLI?

LIVMARLI actúa selectivamente sobre algo que hay en el cuerpo, llamado transportador de ácidos biliares del íleon (IBAT), y lo inhibe. Al hacerlo, LIVMARLI reduce los ácidos biliares del cuerpo (de acuerdo con los niveles en sangre), ya que:

- Interrumpe el retorno de los ácidos biliares al hígado.
- Aumenta la cantidad de ácidos biliares que se eliminan del cuerpo en las heces.



80%

Durante el primer año de tratamiento, **más del 80 % de las personas** tuvieron una **disminución en la acumulación de ácidos biliares** con LIVMARLI, en comparación con cuando empezaron.

- En el estudio clínico de LIVMARLI, la **reducción de la acumulación de ácidos biliares se asoció a una disminución de la intensidad de la picazón.**

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Su proveedor de atención médica puede cambiarle la dosis o interrumpir de forma temporal o permanente el tratamiento si tiene ciertos efectos secundarios.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

Alivio rápido y duradero

MEJORÍA TEMPRANA DEL PRURITO COLESTÁSICO (PICAZÓN)

El objetivo de LIVMARLI es proporcionar alivio rápido y duradero de la picazón.

Se trató a pacientes con LIVMARLI en un estudio clínico de 4 años. Durante ese tiempo, muchos pacientes que tomaron LIVMARLI tuvieron significativamente menos picazón.



Mejoría temprana

En muchos pacientes que tomaron LIVMARLI, se observó alivio de la picazón en la primera evaluación (semana 3) y continuó a lo largo del primer año.



Alivio con LIVMARLI

Durante el primer año de tratamiento con LIVMARLI una vez al día, más del 80 % de los pacientes tuvieron menos picazón de la que sentían al empezar el tratamiento.

850+

Durante los últimos 6 años, más de 850 pacientes con síndrome de Alagille han utilizado LIVMARLI para combatir la acumulación de ácidos biliares.*

*Incluye estudios clínicos, programa de acceso temprano y tratamiento comercial.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

LIVMARLI se toma por vía oral, 1 vez al día, 30 minutos antes de una comida por la mañana. Asegúrese de usar el dosificador oral proporcionado para medir con exactitud la dosis del medicamento.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

Más días sin picazón

RESULTADOS DURADEROS CON LIVMARLI



Resultados duraderos

Para aquellos que continuaron con LIVMARLI en la parte a largo plazo del estudio, el alivio de la **picazón se mantuvo durante casi 4 años.**

Durante el estudio a largo plazo, los pacientes experimentaron **poca o ninguna picazón** durante la gran mayoría (95 %) de los días.



LIVMARLI una vez al día proporciona mejoría significativa y duradera de la picazón en el síndrome de Alagille.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de LIVMARLI. Para obtener más información, consulte a su proveedor de atención médica o farmacéutico. Llame a su médico para obtener asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA, llamando al 1-800-FDA-1088.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

 **Livmarli**[®]
(maralixibat) solución oral

IMPACTO A LARGO PLAZO EN EL HÍGADO

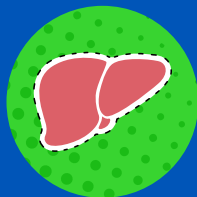


Algunos pacientes de los estudios clínicos decidieron **permanecer en LIVMARLI a largo plazo**. Se observó a estos pacientes para ver si había algún factor que pudiera predecir la supervivencia sin trasplante.

Los pacientes mantuvieron un registro de su picazón utilizando **la herramienta de resultados informados de picazón (ItchRO)**. Se evaluaron para determinar la relación entre su puntuación de intensidad de la picazón y la supervivencia sin trasplante.

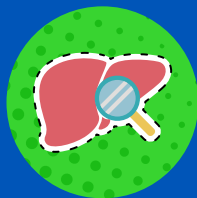
Pacientes incluidos en los estudios a largo plazo:

- Tuvieron picor de moderado a intenso
- Se consideró que se beneficiaban de LIVMARLI
- Mantuvieron el tratamiento durante al menos 48 semanas
- Tenían resultados de laboratorio a las 48 semanas



Sin trasplante

Sin trasplante significa que los pacientes estaban vivos y no se habían sometido a un trasplante de hígado. La supervivencia sin trasplante se refiere **al porcentaje de pacientes que están vivos y no han recibido un trasplante de hígado** en un momento determinado.



Impacto a largo plazo

Los pacientes que tuvieron una mejora significativa de la picazón, también tenían más probabilidades de conseguir la supervivencia sin trasplante.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

LIVMARLI puede causar efectos secundarios graves, incluidos los siguientes:

- **Daño hepático.** Los cambios en ciertas pruebas hepáticas son frecuentes en los pacientes, pero pueden empeorar durante el tratamiento con LIVMARLI. Estos cambios pueden ser un signo de daño hepático y pueden ser graves. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre y exámenes físicos antes de comenzar el tratamiento y durante el tratamiento para comprobar su función hepática. Informe de inmediato a su proveedor de atención médica si presenta algún signo o síntoma de problemas hepáticos, incluyendo:
 - náuseas o vómitos
 - coloración amarilla de la piel o la parte blanca del ojo
 - orina oscura o marrón
 - dolor en el lado derecho del estómago (abdomen)
 - sensación de saciedad, hinchazón o acumulación de líquido en la zona del estómago (ascitis)
 - sangrado o formación de hematomas con mayor facilidad de lo habitual, incluidos vómitos con sangre

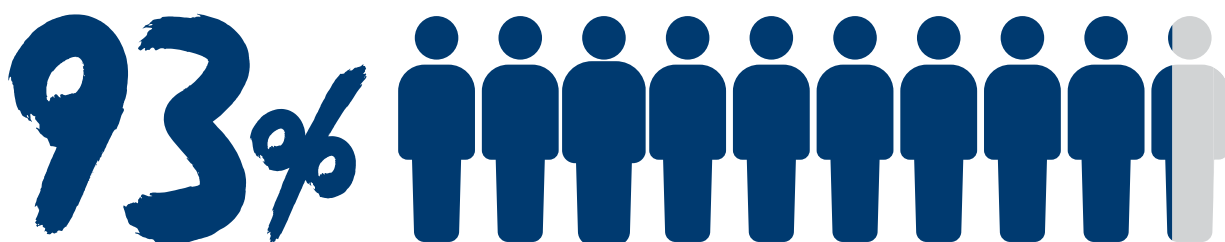


Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

IMPACTO A LARGO PLAZO EN EL HÍGADO

En el caso de aquellos que lograron una reducción de más de 1 punto en ItchRO (obs.), el 93 % estaban vivos y no se habían sometido a un trasplante 6 años después de iniciar LIVMARLI.*

El picor intratable fue una razón frecuente de trasplante de hígado en muchos pacientes con síndrome de Alagille.



estaban vivos y no se les había realizado un trasplante

En el caso de aquellos que no lograron una reducción de más de 1 punto en ItchRO (obs.), el 57 % permanecieron vivos y no se sometieron a un trasplante 6 años después de iniciar LIVMARLI.

*No se ha establecido el impacto del medicamento LIVMARLI sobre la supervivencia sin trasplante. No se recogió información sobre la fibrosis hepática (cicatrización).

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

LIVMARLI puede causar efectos secundarios graves, incluidos los siguientes:

- **Daño hepático.** Los cambios en ciertas pruebas hepáticas son frecuentes en los pacientes, pero pueden empeorar durante el tratamiento con LIVMARLI. Estos cambios pueden ser un signo de daño hepático y pueden ser graves. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre y exámenes físicos antes de comenzar el tratamiento y durante el tratamiento para comprobar su función hepática. Informe de inmediato a su proveedor de atención médica si presenta algún signo o síntoma de problemas hepáticos, incluyendo:
 - náuseas o vómitos
 - coloración amarilla de la piel o la parte blanca del ojo
 - orina oscura o marrón
 - dolor en el lado derecho del estómago (abdomen)
 - sensación de saciedad, hinchazón o acumulación de líquido en la zona del estómago (ascitis)
 - sangrado o formación de hematomas con mayor facilidad de lo habitual, incluidos vómitos con sangre



Obtenga más información sobre las puntuaciones de ItchRO en la página siguiente.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

CÓMO SE EVALUÓ LA PICAZÓN

En el estudio clínico, los pacientes mantuvieron un registro continuo de su picazón utilizando la herramienta ItchRO.

Esta herramienta se utilizó para medir la intensidad de la picazón a lo largo del tiempo según una escala de 5 puntos:



0 Nada de picazón



1 Muy poca picazón



2 Algo de picazón



3 Mucha picazón



4 Picazón extrema

Los cambios en la puntuación de ItchRO en 1 punto o más representan diferencias perceptibles en la picazón; por ejemplo, un cambio de 3 a 2 significa que un paciente pasó de sentir mucha picazón a sentir algo de picazón.

Ejemplo:



Mucha picazón



Algo de picazón

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

• **Problemas estomacales e intestinales (gastrointestinales).** LIVMARLI puede causar problemas estomacales e intestinales, como diarrea y dolor de estómago durante el tratamiento. La diarrea también puede causar la pérdida de demasiada cantidad de líquido corporal (deshidratación grave). Su proveedor de atención médica puede aconsejarle que monitoree la aparición o el empeoramiento de problemas estomacales, incluidos dolor de estómago, diarrea, sangre en las heces o vómitos.

Informe de inmediato a su proveedor de atención médica si presenta algún signo o síntoma nuevo de problemas estomacales e intestinales, o un empeoramiento de tales signos o síntomas, incluidos:

- diarrea
- deposiciones más frecuentes de lo habitual
- heces negras, alquitranadas, pegajosas o con sangre o mucosidad
- dolor o sensibilidad graves en la zona del estómago
- vómitos
- micción menos frecuente de lo habitual
- mareos
- dolor de cabeza



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

Una dosis, una vez por día

¿CÓMO SE TOMA LIVMARLI?

Una vez que usted y su médico hayan decidido que LIVMARLI una vez al día es el tratamiento adecuado, **aquí le mostramos cómo y cuándo puede tomar su medicamento líquido:**



¿Cómo se toma LIVMARLI?

LIVMARLI es un medicamento **líquido que se toma por vía oral**, directamente desde un dispositivo medidor que viene con el medicamento.



¿Cuándo se toma LIVMARLI?

LIVMARLI se toma por vía oral, **1 vez al día**, 30 minutos antes de una comida por la mañana.



¿Qué cantidad se toma de LIVMARLI?

La mayoría de los pacientes toman 1 ml o menos, **¡aproximadamente un cuarto de una cucharadita!***

*La dosis se basa en el peso.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

- Una afección llamada **deficiencia de vitaminas liposolubles (VLS) causada por niveles bajos de ciertas vitaminas (vitaminas A, D, E y K), que se almacenan en la grasa corporal.** La deficiencia de VLS es frecuente en los pacientes con síndrome de Alagille, pero puede empeorar durante el tratamiento. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes y durante el tratamiento, y puede monitorear las fracturas óseas y las hemorragias, que son efectos secundarios frecuentes.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

¡Siempre la seguridad primero!

¿CUÁLES SON LOS POSIBLES EFECTOS SECUNDARIOS DE LIVMARLI?

LIVMARLI puede causar efectos secundarios. Hable con su médico o el médico de su hijo sobre qué esperar y cómo manejar cualquier efecto secundario.

Efectos secundarios frecuentes

Los efectos secundarios más frecuentes con LIVMARLI incluyen los siguientes:

- Diarrea
- Dolor abdominal
- Vómitos
- Una afección llamada deficiencia de vitaminas liposolubles (VLS), causada por niveles bajos de ciertas vitaminas (vitaminas A, D, E y K), que se almacenan en la grasa corporal.
- Otros efectos secundarios frecuentes notificados durante el tratamiento con LIVMARLI fueron anomalías en las pruebas hepáticas y fracturas óseas.

Su médico puede cambiarle la dosis o interrumpir de forma temporal o permanente el tratamiento con LIVMARLI si tiene ciertos efectos secundarios. Estos no son todos los posibles efectos secundarios de LIVMARLI. Llame a su médico para obtener asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA, llamando al 1-800-FDA-1088.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Informe a su proveedor de atención médica sobre todos los medicamentos que toma, ya que LIVMARLI puede interactuar con otros medicamentos.

Si toma un medicamento que reduce el colesterol mediante la unión a ácidos biliares, como la colestiramina, el colesevelam o el colestipol, tómelo al menos 4 horas antes o 4 horas después de tomar LIVMARLI.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

CONSEJOS PARA ALGUNOS EFECTOS SECUNDARIOS



¿Qué hacer si se producen efectos secundarios?

Como siempre, si experimenta efectos secundarios al tomar LIVMARLI, o si sus síntomas empeoran, póngase en contacto con su médico o equipo de atención de la salud. Es recomendable que les diga si estaba experimentando estos síntomas antes de iniciar el tratamiento y, si es así, tomar nota de cómo han cambiado ahora que está tomando LIVMARLI.

Si tiene efectos secundarios con LIVMARLI, su médico puede sugerirle que haga lo siguiente:

Náuseas, vómitos, heces sueltas o diarrea



BEBA muchos líquidos transparentes, como agua, para evitar la deshidratación



INGIERA alimentos que sean suaves para el estómago. Muchas personas encuentran que el caldo claro y/o las tostadas les ayudan con las náuseas o los vómitos, mientras que los productos lácteos y/o los dulces concentrados pueden empeorar los síntomas gastrointestinales



NO haga ejercicio inmediatamente después de comer

Dolor abdominal



HABLE con su médico para obtener asesoramiento médico sobre el dolor abdominal.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Su proveedor de atención médica puede cambiarle la dosis o interrumpir de forma temporal o permanente el tratamiento si tiene ciertos efectos secundarios.

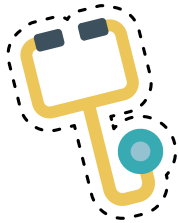
LIVMARLI se toma por vía oral, 1 vez al día, 30 minutos antes de una comida por la mañana.

Asegúrese de usar el dosificador oral proporcionado para medir con exactitud la dosis del medicamento.



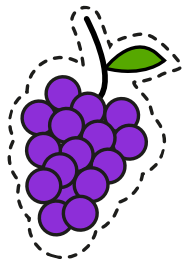
Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

CONSEJOS PARA ALGUNOS EFECTOS SECUNDARIOS



¿Se debe interrumpir el tratamiento con LIVMARLI si se producen efectos secundarios?

Su médico podría decidir pausar el tratamiento o reducir su dosis de LIVMARLI si está experimentando ciertos efectos secundarios. Si se pausa el tratamiento, su médico puede recomendar reiniciar LIVMARLI a una dosis más baja y aumentarlo lentamente hasta que pueda tolerarlo. Nunca debe ajustar su dosis sin hablar con un proveedor de atención médica.



¿Qué sabor tiene LIVMARLI?

LIVMARLI es un medicamento líquido con sabor a uva. Si a alguien no le gusta tomar medicamentos líquidos, aquí hay un par de consejos:

- **Apunte bien.** Utilice el dispositivo medidor que viene con LIVMARLI para introducir el medicamento en el interior de la mejilla para un contacto mínimo con las papilas gustativas.
- **Añada un toque rico.** Succione el jugo de una fruta, como una naranja o limón, antes o después de tomar LIVMARLI.
- **Enfríelo.** Considere guardar su frasco de LIVMARLI en el frigorífico.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de LIVMARLI. Para obtener más información, consulte a su proveedor de atención médica o farmacéutico. Llame a su médico para obtener asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA, llamando al 1-800-FDA-1088.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

Empezar es sencillo

Mirum Access Plus



Aproximadamente, el 94 % de los pacientes están aprobados para recibir LIVMARLI por su seguro y el 98 % de los pacientes pagan \$10 o menos por resurtido.*†

Mirum Access Plus es un programa de apoyo que le facilita empezar y continuar el tratamiento con LIVMARLI.

Una vez que su médico haya enviado su receta a Mirum Access Plus, su equipo exclusivo de expertos le ayudará a comprender el proceso de obtención de su medicamento.

A su alcance



Los expertos de Mirum Access Plus trabajarán con usted y con su equipo de atención de la salud para **averiguar la cobertura del seguro.**



Los expertos de Mirum Access Plus se pondrán en contacto con usted con **recordatorios de resurtido** y ayudarle con los pasos necesarios antes de su envío.



Los expertos de Mirum Access Plus **enviarán su medicamento directamente a su casa para su comodidad al día siguiente** cuando se apruebe la cobertura.

Hay más acerca de Mirum Access Plus

Cuando se registra, Mirum Access Plus le ofrece una experiencia mejorada y personalizada, que está diseñada para ayudarle a empezar la terapia y continuar en ella con educación y recursos, sin costo alguno para usted.



Empiece hoy mismo por llamarnos al 1-855-MRM-4YOU (1-855-676-4968)

¿Tiene alguna pregunta sobre Mirum Access Plus?

Visite LIVMARLI.com/mirum-access-plus-map/ o póngase en contacto con nosotros llamando al 1-855-MRM-4YOU (1-855-676-4968).

Estamos disponibles de lunes a viernes, de 8:00 a. m. a 8:00 p. m., hora del este.

*Datos del 1/1/2022 al 12/31/2023.

†Los pacientes inscritos en el Programa de asistencia al paciente de Mirum están incluidos en aquellos que pagan \$10 o menos por resurtido.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

 **Livmarli**
(maralixibat) solución oral 20

¿Qué otros recursos hay disponibles?

Si quiere conectarse con personas que entienden por lo que está pasando, tenemos lo que necesita.

Existen grupos de apoyo disponibles que lo escucharán, compartirán información y le ayudarán a superar los desafíos que supone vivir con el síndrome de Alagille.



Alagille Syndrome Alliance (ALGSA) (Alianza del Síndrome de Alagille)

ALGSA es una organización sin fines de lucro cuyo único objetivo es facilitarle la vida a las personas con síndrome de Alagille. Brinda apoyo a la comunidad del síndrome de Alagille promoviendo la unidad y abogando por una cura para inspirar, empoderar y enriquecer las vidas de las personas afectadas por el síndrome de Alagille. No está solo en este viaje.

Únase al ALGSA y aproveche estos beneficios:

- Recursos y materiales gratuitos
- Actualizaciones sobre la investigación y los estudios clínicos
- Conexión con familias
- Apoyo telefónico con personas que lo comprenden

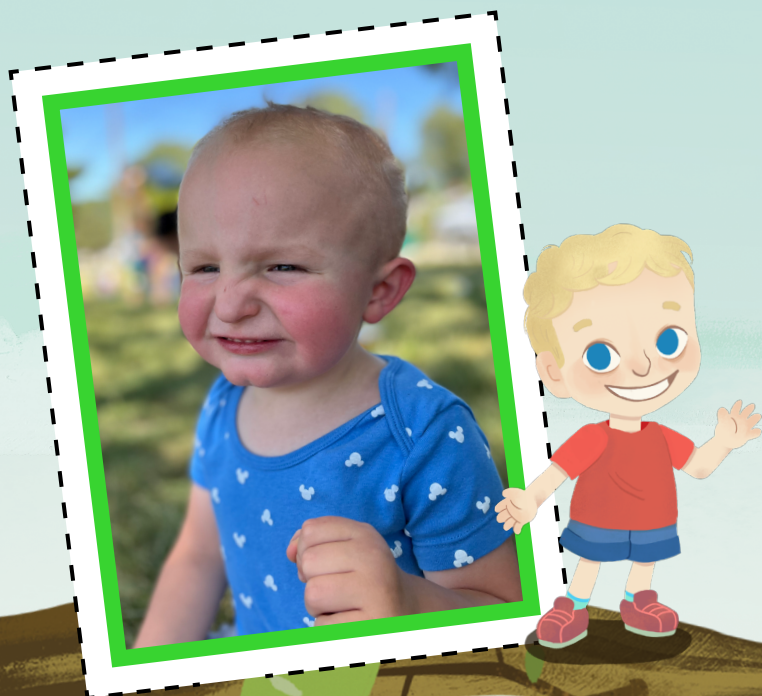
**Obtenga más información
sobre ALGSA en Alagille.org**



¡CONOZCA A SAMMY!

Con 4 años tomando LIVMARLI desde 2021

Historia enviada por el cuidador.
Los resultados individuales pueden variar.



Acerca de Sammy

- **Diagnóstico de síndrome de Alagille:** 2 meses de edad
- **Nivel de picazón:** picazón con pequeñas marcas rojas
- **Impacto del prurito colestásico en la vida diaria:**
 - Algunos arañazos y marcas rojas
 - Mal humor y ansiedad
 - Siempre se lo vestía con enteritos para evitar nuevos arañazos
 - Se lo bañaba con poca frecuencia para evitar la sequedad excesiva de la piel/ agravar la picazón

Experiencia con LIVMARLI

- **Nivel de picazón:** frotamiento o rascado ligero cuando no está distraído
- **Cuándo se vio mejoría en la picazón de Sammy:** en 4 semanas
- **Vivir con menos picazón:**
 - Se rasca mucho menos
 - Menos malhumorado y menos irritable
- **Efectos secundarios:** heces sueltas, cambios en las pruebas hepáticas

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

LIVMARLI puede causar efectos secundarios graves, incluidos los siguientes:

- **Daño hepático.** Los cambios en ciertas pruebas hepáticas son frecuentes en los pacientes, pero pueden empeorar durante el tratamiento con LIVMARLI.

Consulte la página 24 para obtener más información sobre las pruebas hepáticas.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

¡CONOZCA A EMMA!

Con 20 años tomando
LIVMARLI desde 2016

Historia enviada por el cuidador.
Los resultados individuales
pueden variar.



Acerca de Emma

- **Diagnóstico de síndrome de Alagille:** 3 meses de edad
- **Nivel de picazón:** rascado activo constante que provocaba marcas rojas, sangrado y cicatrices
- **Impacto del prurito colestásico en la vida diaria:**
 - Mal humor e irritabilidad
 - Trastornos del sueño significativos
 - La madre de Emma dijo que a menudo rasgaba agujeros en su ropa y se mordía la piel

Experiencia con LIVMARLI

- **Nivel de picazón:** frotamiento ocasional o rascado ligero cuando no está distraída
- **Cuándo se vio mejoría en la picazón de Emma:** en 2 semanas; la mejoría se confirmó en la cita de seguimiento a las 3 semanas
- **Vivir con menos picazón:**
 - Menos marcas rojas y no más sangrado
 - Menos nerviosismo y menos irritabilidad
 - Menos trastornos del sueño

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Estos cambios pueden ser un signo de daño hepático y pueden ser graves. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre y exámenes físicos antes de comenzar el tratamiento y durante el tratamiento para comprobar su función hepática.

Informe de inmediato a su proveedor de atención médica si presenta algún signo o síntoma de problemas hepáticos, incluyendo:

- náuseas o vómitos
- coloración amarilla de la piel o la parte blanca del ojo
- orina oscura o marrón
- dolor en el lado derecho del estómago (abdomen)
- sensación de saciedad, hinchazón o acumulación de líquido en la zona del estómago (ascitis)
- sangrado o formación de hematomas con mayor facilidad de lo habitual, incluidos vómitos con sangre



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

PROGRAMA DE PARES DE LIVMARLI

¿Está listo para ponerse en contacto con otra persona que entienda verdaderamente lo que significa vivir con prurito colestásico en el síndrome de Alagille? El programa de pares de LIVMARLI está dirigido a pacientes y cuidadores que están intentando conectarse con otras personas que comparten sus experiencias.

El Programa de pares de LIVMARLI

Converse individualmente con una persona como usted, pero con capacitación en LIVMARLI: una persona real con experiencia sobre cómo ir por la vida con prurito colestásico en el síndrome de Alagille.

¿Está listo para obtener más información sobre cómo unirse al Programa de pares de LIVMARLI? Explore nuestra creciente comunidad en LIVMARLIPeerProgram.com



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

- **Problemas estomacales e intestinales (gastrointestinales).** LIVMARLI puede causar problemas estomacales e intestinales, como diarrea y dolor de estómago durante el tratamiento. La diarrea también puede causar la pérdida de demasiada cantidad de líquido corporal (deshidratación grave). Su proveedor de atención médica puede aconsejarle que monitoree la aparición o el empeoramiento de problemas estomacales, incluidos dolor de estómago, diarrea, sangre en las heces o vómitos.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

CONOZCA A SUS PARES DE LIVMARLI



Michelle

Michelle es madre de Téa, una niña de 10 años, que tiene prurito colestásico en el síndrome de Alagille. Ella vio la diferencia que hizo LIVMARLI en la picazón constante que sufría su hija y quiere compartir su historia con otras personas.

HOLA, SOY TÉA



Terisa

Terisa tiene 3 hijos; su hijo del medio, Tyler, tiene prurito colestásico en el síndrome de Alagille. Después de 13 años de picazón persistente, Tyler ha experimentado menos picazón con LIVMARLI. Terisa está encantada de escuchar las historias de otros y compartir su experiencia con LIVMARLI.

HOLA, SOY TYLER



Dani y Jay

Dani y Jay son padres de 2 varones y su hijo de 3 años, Finley, tiene prurito colestásico en el síndrome de Alagille. Están aquí para hablar con otros cuidadores sobre por qué LIVMARLI fue lo adecuado para su hijo.

HOLA, SOY FINLEY



Nota: Los resultados individuales pueden variar.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Informe de inmediato a su proveedor de atención médica si presenta algún signo o síntoma nuevo de problemas estomacales e intestinales, o un empeoramiento de tales signos o síntomas, incluidos:

- diarrea
- deposiciones más frecuentes de lo habitual
- heces negras, alquitranadas, pegajosas o con sangre o mucosidad
- dolor o sensibilidad graves en la zona del estómago
- vómitos
- micción menos frecuente de lo habitual
- mareos
- dolor de cabeza



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

HABLAR CON SU HIJO SOBRE LIVMARLI

Si cuida de un niño pequeño con síndrome de Alagille, puede que tenga preguntas. Aquí tiene algunas sugerencias sobre cómo hablar con su hijo sobre LIVMARLI.



¿Qué hace que mi hígado sea diferente?

Cuando se tiene el síndrome de Alagille, **el hígado necesita ayuda adicional** para asegurarse de que el flujo de bilis no se obstruya al salir del hígado.



¿Cómo hablo sobre la picazón que siento?

Puede ser difícil saber cómo hablar sobre la picazón. Piensa en cualquier momento o instante en el que te sientas incómodo, tengas picazón o no pares de moverte. Asegúrate de contarle esta información a tu médico.



¿Por qué LIVMARLI podría ser adecuado para mí?

La picazón puede ser difícil de manejar, pero **LIVMARLI se creó para ayudarle a sentir menos picazón**. Hable con su médico para saber si LIVMARLI es adecuado para usted.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

- Una afección llamada **deficiencia de vitaminas liposolubles (VLS) causada por niveles bajos de ciertas vitaminas (vitaminas A, D, E y K), que se almacenan en la grasa corporal**. La deficiencia de VLS es frecuente en los pacientes con síndrome de Alagille, pero puede empeorar durante el tratamiento. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes y durante el tratamiento, y puede monitorear las fracturas óseas y las hemorragias, que son efectos secundarios frecuentes.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la [Información para el paciente de LIVMARLI](#).

HABLAR CON SU HIJO SOBRE LIVMARLI



¿Qué es LIVMARLI?

LIVMARLI es un medicamento que entra en el cuerpo, encuentra lo que te está haciendo sentir picazón y lucha para ayudarte a sentir menos picazón.



¿Cómo ayudó LIVMARLI a niños como yo?

LIVMARLI ayudó a otros niños con prurito colestásico en el síndrome de Alagille, que tienen una acumulación de ácidos biliares y sienten picazón. Después de tomar LIVMARLI, muchos niños tuvieron **menos picazón en general y algunos días no sintieron ninguna picazón.**



¿Cómo tomo LIVMARLI?

¡Tomar LIVMARLI es fácil! LIVMARLI es un medicamento con sabor a uva que se echa en la boca. Lo tomarás todas las mañanas apenas te levantes. Después de tomarlo, tendrás que esperar 30 minutos antes de poder comer. Puedes usar ese tiempo para jugar, dibujar o prepararte para empezar el día.



¿Cómo me hará sentir LIVMARLI?

LIVMARLI puede ayudarte a sentir menos picazón. Algunos niños pueden tener diarrea o dolor de barriga después de empezar a tomar LIVMARLI, pero debería desaparecer en unos días. Habla con un adulto que pueda decirle a tu médico cómo te sientes. **Tu médico está aquí para ayudarte.**



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Informe a su proveedor de atención médica sobre todos los medicamentos que toma, ya que LIVMARLI puede interactuar con otros medicamentos. Si toma un medicamento que reduce el colesterol mediante la unión a ácidos biliares, como la colestiramina, el colesevelam o el colestipol, tómelo al menos 4 horas antes o 4 horas después de tomar LIVMARLI.

Su proveedor de atención médica puede cambiarle la dosis o interrumpir de forma temporal o permanente el tratamiento si tiene ciertos efectos secundarios.



Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

Superar el prurito
colestásico (picazón) para

VIVIR A LO GRANDE



MEJORAS TEMPRANAS CON IMPACTO A LARGO PLAZO

Más del 80 % de los pacientes tuvieron menos picazón de lo que sentían al inicio con LIVMARLI. Las mejoras se observaron ya en la primera evaluación (semana 3).

En el caso de los pacientes que tuvieron una mejora significativa de la picazón, es decir, una reducción de más de 1 punto en ItchRO (obs.)^{*}, el 93 % estaban vivos y no se habían sometido a un trasplante de hígado 6 años después de iniciar LIVMARLI (consulte información importante sobre el diseño del estudio en las páginas 13 y 14).^{†‡}

[†]No se ha establecido el impacto del medicamento LIVMARLI sobre la supervivencia sin trasplante. No se recogió información sobre la fibrosis hepática (cicatrización).

[‡]El picor intratable fue una razón frecuente de trasplante de hígado en muchos pacientes con síndrome de Alagille.



AYUDA A LOS PACIENTES DESDE HACE AÑOS

Respaldo por más de 5 años de datos,[§] LIVMARLI tiene un registro de seguridad bien conocido en pacientes con picazón en el síndrome de Alagille.

Durante los últimos 6 años, más de 850 pacientes con síndrome de Alagille han utilizado LIVMARLI para combatir la acumulación de ácidos biliares.^{||}

^{||}Incluye estudios clínicos, programa de acceso temprano y tratamiento comercial.



EMPEZAR Y ENCONTRAR APOYO ES SENCILLO

Aproximadamente el 94 % de los pacientes están aprobados para usar LIVMARLI por su seguro y el 98 % de los pacientes paga \$10 o menos por resurtido.^{‡#} Mirum Access Plus ofrece recursos, educación y servicios para ayudarte a comenzar el tratamiento con LIVMARLI y permanecer en él.

Para obtener más información sobre
LIVMARLI, hable con su médico o visite
[LIVMARLI.com](https://www.livmarli.com)

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

LIVMARLI se toma por vía oral, 1 vez al día, 30 minutos antes de una comida por la mañana. Asegúrese de usar el dosificador oral proporcionado para medir con exactitud la dosis del medicamento.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de LIVMARLI. Para obtener más información, consulte a su proveedor de atención médica o farmacéutico. Llame a su médico para obtener asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar los efectos secundarios a la FDA, llamando al 1-800-FDA-1088.

Consulte toda la información importante de seguridad y toda la Información para el paciente de LIVMARLI.

^{*}El resultado de picazón informado por los observadores (ItchRO [obs.]) es una herramienta diseñada para que los cuidadores midan la intensidad de la picazón a lo largo del tiempo.

[§]A partir de una observación prolongada de pacientes que tomaron LIVMARLI después de completar un estudio controlado con placebo.

[†]Datos del 1/1/2022 al 12/31/2023.

[#]Los pacientes inscritos en el Programa de asistencia al paciente de Mirum están incluidos en aquellos que pagan \$10 o menos por resurtido.



© 2024 – Mirum Pharmaceuticals, Inc.
Todos los derechos reservados. US-LIV-2300311v2 07/2024

