



Superar el prurito colestásico (picazón) para...

VIVIR A LO GRANDE

INDICACIÓN

LIVMARLI es un medicamento de venta con receta que se usa para tratar el prurito colestásico (picazón) en pacientes de 12 meses de edad en adelante con colestasis intrahepática familiar progresiva (Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis, PFIC).

LIVMARLI no está indicado para su uso en pacientes con PFIC de tipo 2 que presentan un defecto grave en la proteína de la bomba de exportación de sales biliares (bile salt export pump, BSEP).

Se desconoce si LIVMARLI es seguro y eficaz en niños con PFIC menores de 12 meses de edad. Se desconoce si LIVMARLI es seguro y eficaz en adultos de 65 años 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 con PFIC, pero pueden empeorar durante el tratamiento.

Consulta la página 2 para obtener más información sobre el daño hepático.



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

LIVMARLI ES UN MEDICAMENTO LÍQUIDO APROBADO POR LA FDA

para pacientes de 12 meses de edad en adelante con prurito colestásico (picazón) con PFIC

AYUDA PARA LOS PACIENTES CON PFIC

a superar el prurito colestásico (picazón)

Descubrir que su hijo tiene colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) 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 la PFIC.



Si cuida de un niño de 12 meses de edad o más que tiene PFIC, consulte la página 24 de este folleto para ver formas de hablar con el niño sobre LIVMARLI.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

Estos cambios pueden ser un signo de daño hepático y pueden ser graves o derivar en un trasplante o producir la muerte. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre y exámenes físicos antes de empezar y durante tal tratamiento con LIVMARLI 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 la Información para el paciente completa.

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

¿QUÉ PUEDE ENCONTRAR EN ESTE FOLLETO?

4

¿Qué es la PFIC?

6

¿Cuáles son los efectos de la acumulación de ácidos biliares?

8

El prurito colestásico (picazón) es algo más que simplemente rascarse

10

La necesidad de un tratamiento eficaz

11

LIVMARLI para prurito colestásico (picazón) en PFIC

12

¿Cómo actúa LIVMARLI?

13

Más alivio con LIVMARLI

14

Cómo se evaluó el prurito colestásico (picazón)

15

Mejorías tempranas del prurito colestásico (picazón)

16

¿Cómo se toma LIVMARLI?

17

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de LIVMARLI?

18

Consejos para algunos efectos secundarios

20

Mirum Access Plus

23

¿Qué otros recursos hay disponibles?

24

Hablar con su hijo sobre LIVMARLI



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

¿QUÉ ES LA PFIC?

La **colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC)** es un grupo de enfermedades hereditarias raras que afectan principalmente el hígado.

Existen 3 tipos principales de PFIC y varios otros tipos más raros. Estos se denominan subtipos. Los 2 subtipos más frecuentes son PFIC2 y PFIC3.

Los 3 tipos principales de PFIC:

PFIC1

es causada por **cambios en una proteína del hígado llamada proteína 1 asociada a colestasis intrahepática familiar (FIC1)**. La PFIC1 no es muy frecuente.

PFIC2

se refiere a **cambios en una proteína del hígado llamada bomba exportadora de sales biliares (BSEP)**. La PFIC2 es el tipo más frecuente y representa **aproximadamente la mitad** de todos los casos.

PFIC3

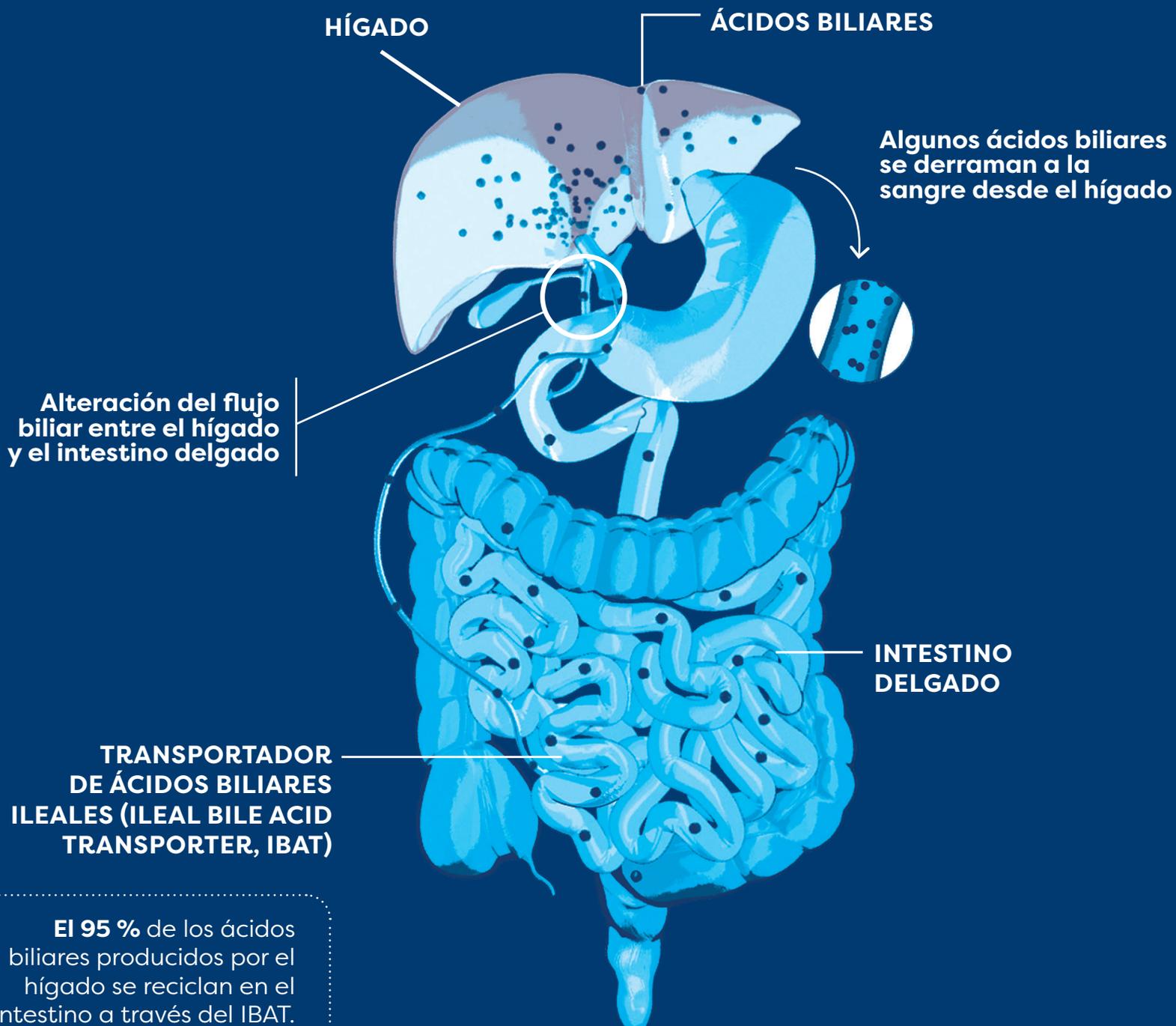
es producto de **cambios en una proteína del hígado llamada resistencia a múltiples fármacos de clase III (MDR3)**. La PFIC3 constituye **aproximadamente un tercio** de todos los casos.



¿QUÉ ES LA PFIC?

¿Cómo afecta la PFIC al hígado?

El hígado produce un líquido llamado bilis que ayuda con la digestión de las grasas. Los ácidos biliares, que forman parte de la bilis, son producidos por las células hepáticas. En la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC), los ácidos biliares se atascan dentro de las células. **Con el tiempo, los ácidos biliares se acumulan en el hígado y la sangre.**



¿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 **altos niveles de ácidos biliares son un factor que contribuye al prurito colestásico (picazón)** en la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC).

El prurito colestásico afecta

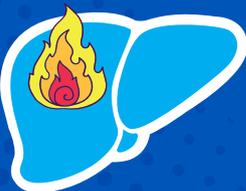
del **76%**
al **100%**

de las personas con PFIC y también es el síntoma más molesto.

El rascado es una señal

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)



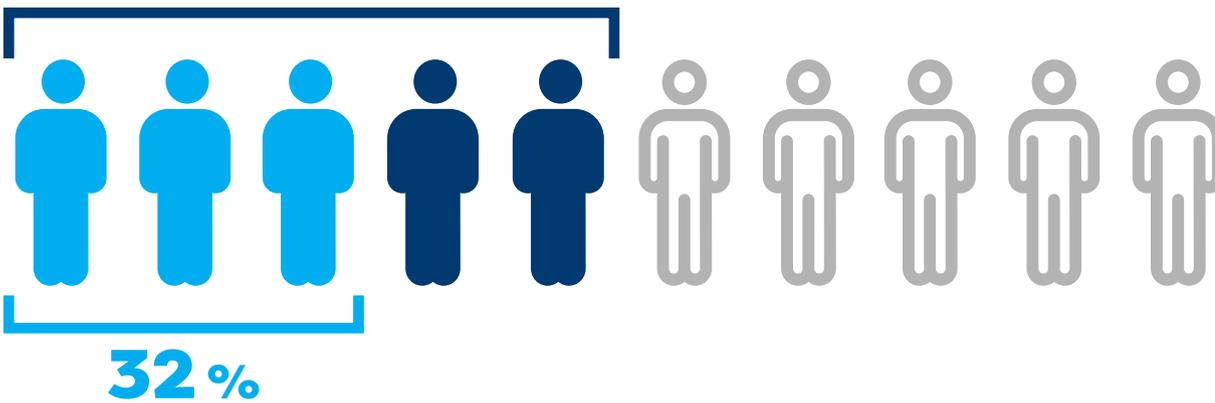
¿CUÁLES SON LOS EFECTOS DE LA ACUMULACIÓN DE ÁCIDOS BILIARES?

Impacto en el hígado

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

La investigación ha demostrado que aproximadamente el

50 % de los pacientes con PFIC1 o PFIC2 aún conserva su hígado a los 10 años de edad.



En PFIC2, específicamente, solo el **32 % de los pacientes aún conserva su hígado a los 18 años.**

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

El prurito colestásico suele ser un síntoma muy desafiante para las personas con colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC).

El prurito colestásico se observa con frecuencia por primera vez a los **3 meses de edad en personas con PFIC1 y PFIC2**, y entre los **2 años y los 3 años de edad en personas con PFIC3**.

Más allá de rascarse, puede ser difícil atravesar todos los aspectos del prurito colestásico sin el apoyo adecuado. Los signos y síntomas relacionados con el prurito colestásico pueden verse diferentes durante el día y/o la noche y variar para cada persona.

La carga del prurito colestásico

 ~60%

de los cuidadores informan que su niño a cargo sufre **alteraciones del sueño debido al prurito colestásico**.

Las alteraciones del sueño incluyen necesitar ayuda para conciliar el sueño, necesitar calmarse y dormir con un cuidador.

Los signos y síntomas adicionales relacionados con el prurito colestásico pueden incluir los siguientes:



Daño en la piel



Empeoramiento del desempeño escolar



Impacto negativo en las actividades sociales



Irritabilidad



Empeoramiento de la función física



Empeoramiento de la salud general



Impacto cognitivo negativo



Sensación de ardor, hormigueo o pinchazos



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



CUENTE LA HISTORIA COMPLETA DEL PRURITO COLESTÁSICO

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

- ¿Nota que su hijo 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?

LA NECESIDAD DE UN TRATAMIENTO EFICAZ



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

El prurito colestásico afecta del **76 % al 100 %** de las personas con colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) y es el síntoma más molesto.



Más opciones para tratar el prurito colestásico

Las opciones de tratamiento para el prurito colestásico en PFIC han sido **limitadas**. En los casos en los que el prurito colestásico es intratable, muchas personas aún eligen someterse a una cirugía o a un trasplante de hígado.



En un estudio de 38 pacientes pediátricos con PFIC que se sometieron a cirugía, el **92 % fue motivado por el prurito colestásico**.



En otro estudio, la enfermedad hepática terminal fue el motivo más frecuente de trasplante de hígado en pacientes pediátricos con PFIC. **El prurito colestásico persistente fue el segundo motivo más frecuente.**



Obtenga información sobre una opción de tratamiento para ayudar a aliviar el prurito colestásico en la **PFIC**.

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 la **Información para el paciente completa.**

Un tratamiento aprobado por la FDA

LIVMARLI PARA PRURITO COLESTÁSICO (PICAZÓN) EN PFIC

LIVMARLI es un tratamiento aprobado por la FDA para el prurito colestásico en pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) que tienen 12 meses de edad o más. LIVMARLI ayuda a reducir la acumulación de ácidos biliares y a aliviar el prurito colestásico.

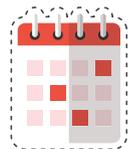


La población más amplia de los subtipos de PFIC estudiados*

LIVMARLI ha demostrado resultados en 5 subtipos de PFIC.

LIVMARLI tiene un perfil de seguridad bien conocido en pacientes con prurito colestásico en PFIC.

*LIVMARLI no está indicado para su uso en pacientes con PFIC de tipo 2 que presentan un defecto grave en la proteína de la bomba de exportación de sales biliares (BSEP).



Mejorías tempranas y duraderas del prurito colestásico

Se observaron mejorías en el prurito colestásico a las 2 semanas posteriores a iniciar LIVMARLI y continuaron durante 2 años.

El 64 % de los pacientes experimentó mejorías significativas en el prurito colestásico dentro de los primeros 6 meses de tratamiento con LIVMARLI.†

†En comparación con el 29 % de los pacientes que recibieron placebo.



Empezar es sencillo

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

Comience enviando un mensaje de texto con la palabra MIRUM al 47936 o llame al 1-855-MRM-4YOU (1-855-676-4968) de lunes a viernes, de 8:00 a. m. a 8:00 p. m., hora del este.

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 la Información para el paciente completa.

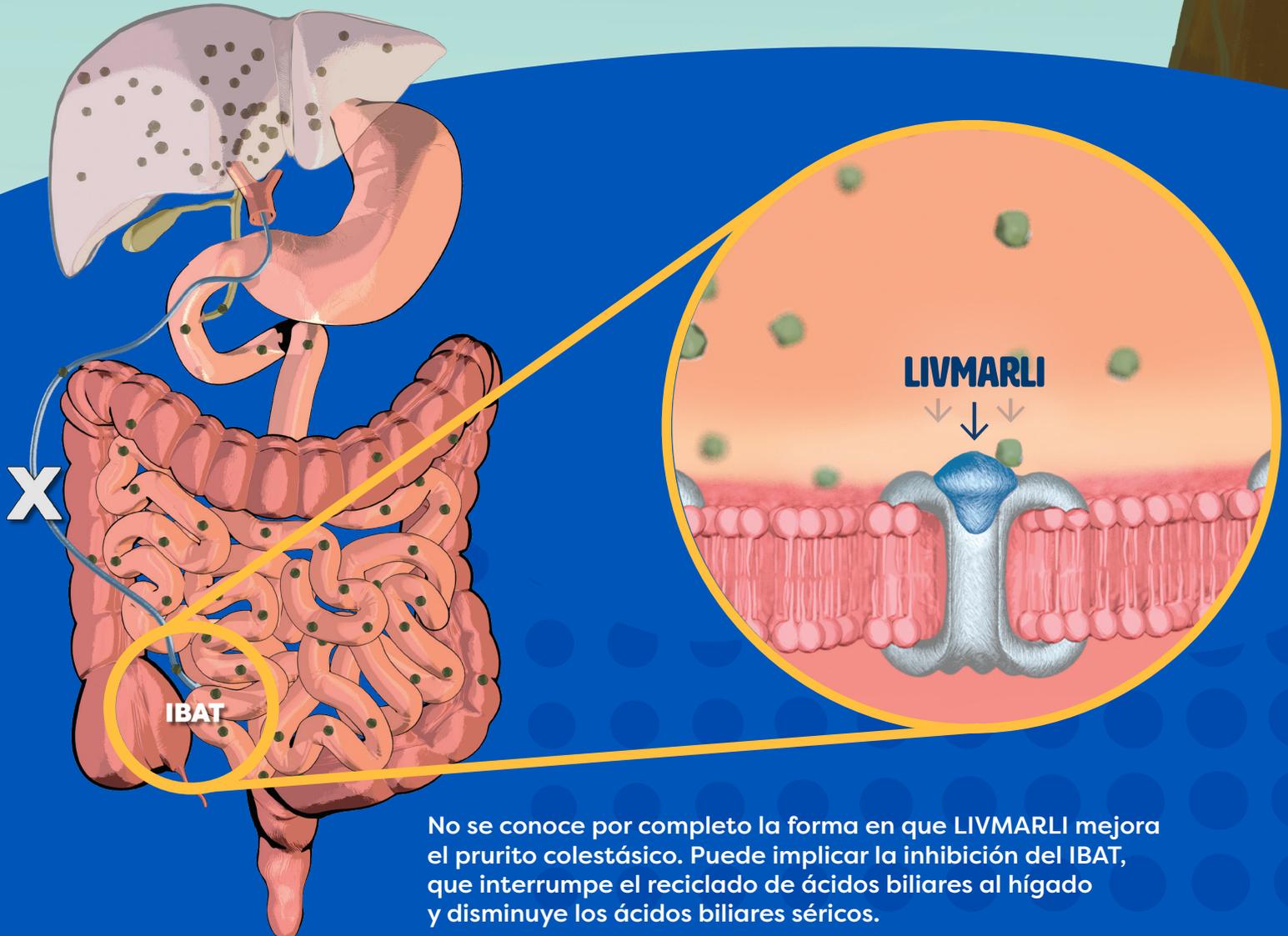


Superar el prurito colestásico (picazón)

¿CÓMO ACTÚA LIVMARLI?

LIVMARLI **se dirige y bloquea en forma temporal** algo que hay en el cuerpo, llamado transportador de ácidos biliares del íleon, o IBAT. 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



No se conoce por completo la forma en que LIVMARLI mejora el prurito colestásico. Puede implicar la inhibición del IBAT, que interrumpe el reciclado de ácidos biliares al hígado y disminuye los ácidos biliares séricos.

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 PFIC, pero puede empeorar durante el tratamiento. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre antes de empezar el tratamiento y durante este, y puede monitorear las fracturas óseas y las hemorragias, que son efectos secundarios frecuentes.



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

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

Mejorías del prurito colestásico (picazón)

MÁS ALIVIO CON LIVMARLI

El objetivo de LIVMARLI es proporcionar **alivio rápido y duradero del prurito colestásico**.

Cómo se evaluó el prurito colestásico

Los pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) recibieron tratamiento con LIVMARLI o un placebo en un estudio clínico de 6 meses.

- El placebo era idéntico a un tratamiento “real” y tenía el mismo sabor, pero no contenía ningún medicamento activo.

El propósito del estudio fue determinar si el tratamiento con LIVMARLI reducía la acumulación de ácidos biliares y mejoraba el prurito colestásico.

Los pacientes del estudio se dividieron en varias cohortes o grupos:



GRUPO DE PFIC2

Solo se incluyeron pacientes con PFIC2.



GRUPO DE TODAS LAS PFIC

Se incluyeron pacientes con PFIC2 y pacientes con PFIC1, PFIC3, PFIC4 o PFIC6.

También se estudiaron otros pacientes con formas menos frecuentes o más variables de PFIC.

Los pacientes también tuvieron la opción de continuar tomando LIVMARLI durante un máximo de 2 años como parte de un estudio a largo plazo.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

Informe a su proveedor de atención médica sobre todos los medicamentos que usa, 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 la [Información para el paciente completa](#).

CÓMO SE EVALUÓ EL PRURITO COLESTÁSICO (PICAZÓN)

La herramienta ItchRO

En el estudio clínico, los pacientes mantuvieron un registro continuo de su prurito colestásico utilizando la herramienta de resultados notificados de la picazón (Itch Reported Outcome, ItchRO). Esta herramienta se utilizó para medir la intensidad del prurito colestásico 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 el puntaje de ItchRO de 1 punto o más representan diferencias notorias en el prurito colestásico y los médicos los consideran “clínicamente significativos”.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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



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

Alivio rápido y duradero

MEJORÍAS TEMPRANAS DEL PRURITO COLESTÁSICO (PICAZÓN)

Se observaron mejorías en el prurito colestásico ya a las 2 semanas y continuaron durante todo el tratamiento con LIVMARLI tanto en el grupo de PFIC2 como en el grupo de todas las PFIC.



Grupo de PFIC2

Durante los primeros 6 meses de tratamiento, los pacientes que tomaron LIVMARLI en el grupo de PFIC2 experimentaron **mejoras significativas en el prurito colestásico** en comparación con aquellos que tomaron placebo.

Grupo de todas las PFIC



64 %

MEJORÍAS DEL PRURITO COLESTÁSICO

Durante los 6 meses de tratamiento con LIVMARLI, el 64 % de los pacientes del grupo de todas las PFIC experimentaron mejorías notables en el prurito colestásico en comparación con el 29 % de los pacientes que recibieron placebo.



62 %

POCO O NINGÚN PRURITO COLESTÁSICO

En los primeros 6 meses de tratamiento, el 62 % de los pacientes tratados con LIVMARLI tuvo significativamente más días con poco o ningún prurito colestásico (puntaje de resultado informado de picazón [ItchRO] de 0 o 1) en comparación con el 28 % de los pacientes que recibieron placebo.



50 %

MEJORÍAS EN LOS NIVELES DE SBA

Aquellos que tomaron LIVMARLI en el grupo de todas las PFIC también presentaron mejorías significativamente mayores en los niveles de ácido biliar sérico (sBA) que aquellos pacientes que tomaron placebo.

El 50 % de los pacientes que tomaron LIVMARLI vieron sus niveles de sBA reducidos en más del 75 % o tuvieron una disminución de sBA por debajo de 102 $\mu\text{mol/l}$, en comparación con el 7 % de los pacientes que tomaron placebo.



Resultados duraderos

Aquellos pacientes que continuaron recibiendo LIVMARLI en el estudio a largo plazo sintieron **alivio del prurito colestásico durante 2 años**.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

LIVMARLI se toma por vía oral, 2 veces al día, 30 minutos antes de una comida. Asegúrese de usar el dosificador oral proporcionado para medir con exactitud la dosis del medicamento.



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

Una dosis, dos veces por día

¿CÓMO SE TOMA LIVMARLI?

Una vez que usted y su médico hayan decidido que LIVMARLI 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 2 veces al día, 30 minutos antes de una comida.



¿Qué cantidad se toma de LIVMARLI?

Los pacientes tomarán 2 ml o menos por día, que es aproximadamente media cucharadita.*

*La dosis se basa en el peso. La cantidad de medicamento que tome cambiará a medida que su peso cambie. Asegúrese de mencionar cualquier cambio en el peso a su médico. Nunca cambie la cantidad de LIVMARLI sin antes hablar con su médico.



INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

LIVMARLI se toma por vía oral, 2 veces al día, 30 minutos antes de una comida. 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 la Información para el paciente completa.

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

¡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
- Anomalías en las pruebas hepáticas
- Otros efectos secundarios frecuentes incluyen sangrado rectal 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 los únicos efectos secundarios posibles 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.



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

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

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:

Diarrea



DEBE beber muchos líquidos transparentes, como agua, para evitar la deshidratación.



DEBE ingerir alimentos que sean suaves para el estómago. Muchas personas encuentran que los productos lácteos y/o los dulces concentrados pueden empeorar los síntomas gastrointestinales.



NO haga ejercicio inmediatamente después de comer.

Dolor abdominal

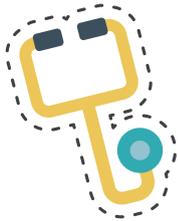


HABLE con su médico para obtener asesoramiento médico sobre el dolor abdominal.



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

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 refrigerio.



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 surtido.*†

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



Asistencia con la cobertura del seguro

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



Recordatorios de resurtidos y apoyo

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.



Entrega coordinada

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



Comience enviando un mensaje de texto con la palabra MIRUM al 47936 o llámenos al 1-855-MRM-4YOU (1-855-676-4968)

*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 surtido.



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

Mirum Access Plus

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.



Conversaciones personalizadas

Su orientador/a de Mirum Access Plus puede proporcionar apoyo tanto para el fármaco como para el bienestar general. Sus conversaciones telefónicas se centrarán en sus necesidades particulares. Cualquier dato que comparta con su orientador/a de Mirum Access Plus será confidencial y se tendrá en cuenta para su próxima llamada, para que pueda retomar la conversación convenientemente donde la dejó.



Apoyo continuo

Después de recibir su fármaco, su orientador/a exclusivo de Mirum Access Plus se ocupará con usted de cualquier cambio que haya y le brindará ayuda para no desviarse del tratamiento con asistencia continua durante el tiempo que permanezca en tratamiento, de la forma que le resulte más práctica.

¿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.



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

¡Es hora de trabajar en equipo!

Conozca a su equipo de Mirum Access Plus



ORIENTADOR/A

Un/Una orientador/a es su principal punto de contacto para Mirum Access Plus. Los orientadores están disponibles para responder sus preguntas y proporcionar recursos útiles.



COORDINADOR/A

Un/Una coordinador/a es un/una experto/a en el proceso de cobertura del seguro. Le brindará ayuda para explorar las opciones de apoyo financiero disponibles.

“ Nuestro objetivo es proporcionar información sobre nuestro programa y el medicamento antes de que el paciente lo reciba con la esperanza de que se sienta informado y respaldado. ”

—Orientador/a de Mirum Access Plus, EVERSANA



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

¿Qué otros recursos hay disponibles?

Sabemos que como paciente o cuidador tiene mucho que manejar. El **equipo de Mirum Access Plus está aquí para ayudarlo** a lo largo del camino. Juntos, su orientador/a y su coordinador/a se centran en estar allí para usted proporcionando apoyo simple y flexible.



Red PFIC

La red PFIC es una organización sin fines de lucro que se esfuerza por mejorar las vidas de los pacientes y las familias afectadas por la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) en todo el mundo. Valoran y proporcionan conexión, educación y apoyo a la comunidad de la PFIC. No está solo en este camino.

Participe en la red PFIC:

- Únase al Registro de pacientes.
- Comparta su propia historia.
- Conéctese con otros miembros de la comunidad.
- Conviértase en mentor para otras personas con PFIC.
- Ofrézcase como voluntario en un comité de defensa.

Obtenga más información en [PFIC.org](https://www.pfic.org)



HABLAR CON SU HIJO SOBRE LIVMARLI

Si cuida a un niño pequeño con colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC), es posible que el niño tenga preguntas. Aquí tiene algunas sugerencias sobre cómo hablar con su hijo sobre LIVMARLI.



¿Qué hace que mi hígado sea diferente?

Cuando se tiene PFIC, los ácidos biliares pueden quedar atrapados dentro del hígado. Con el tiempo, la cantidad de ácidos biliares en el cuerpo puede aumentar demasiado.



¿Cómo hablo sobre mi prurito colestásico (picazón)?

Puede ser difícil aprender a hablar sobre el prurito colestásico.

Piensa en cualquier momento o instante en el que te sientas incómodo, tengas picazón o te sientas irritable. Podemos 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 ayudarte a sentir menos picazón.

Habla con tu médico para saber si LIVMARLI es adecuado para ti.



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 con PFIC, pero pueden empeorar durante el tratamiento. Estos cambios pueden ser un signo de daño hepático y pueden ser graves o derivar en un trasplante o producir la muerte. Su proveedor de atención médica debe realizarle análisis de sangre y exámenes físicos antes de empezar y durante tal tratamiento con LIVMARLI 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 la Información para el paciente completa.

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 ha ayudado a otros niños con colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) que tienen 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 que se echa en la boca. **Lo tomarás dos veces al 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. Podemos 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?

•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 la [Información para el paciente completa.](#)

Superar el prurito colestásico (picazón) para...

VIVIR A LO GRANDE



LA POBLACIÓN MÁS AMPLIA DE LOS SUBTIPOS DE PFIC ESTUDIADOS*

LIVMARLI ha demostrado resultados en **5 subtipos de colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC)**.

LIVMARLI tiene un **perfil de seguridad bien conocido** en pacientes con prurito colestásico en PFIC.

*LIVMARLI no está indicado para su uso en pacientes con PFIC de tipo 2 que presentan un defecto grave en la proteína de la bomba de exportación de sales biliares (BSEP).



MEJORÍAS TEMPRANAS Y DURADERAS DEL PRURITO COLESTÁSICO

Se observaron mejorías en el prurito colestásico **a las 2 semanas y continuaron durante 2 años**.

El 64 % de los pacientes experimentó mejorías significativas en el prurito colestásico dentro de los primeros 6 meses de tratamiento con LIVMARLI.†

†En comparación con el 29 % de los pacientes que recibieron placebo.



EMPEZAR ES SENCILLO

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

Comience enviando un mensaje de texto con la palabra MIRUM al 47936 o llame al 1-855-MRUM-4YOU (1-855-676-4968) de lunes a viernes, de 8:00 a. m. a 8:00 p. m., hora del este.

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?

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 la **Información para el paciente completa**.



© 2024 - Mirum Pharmaceuticals, Inc.
Todos los derechos reservados. US-LIV-2400244 10/2024

