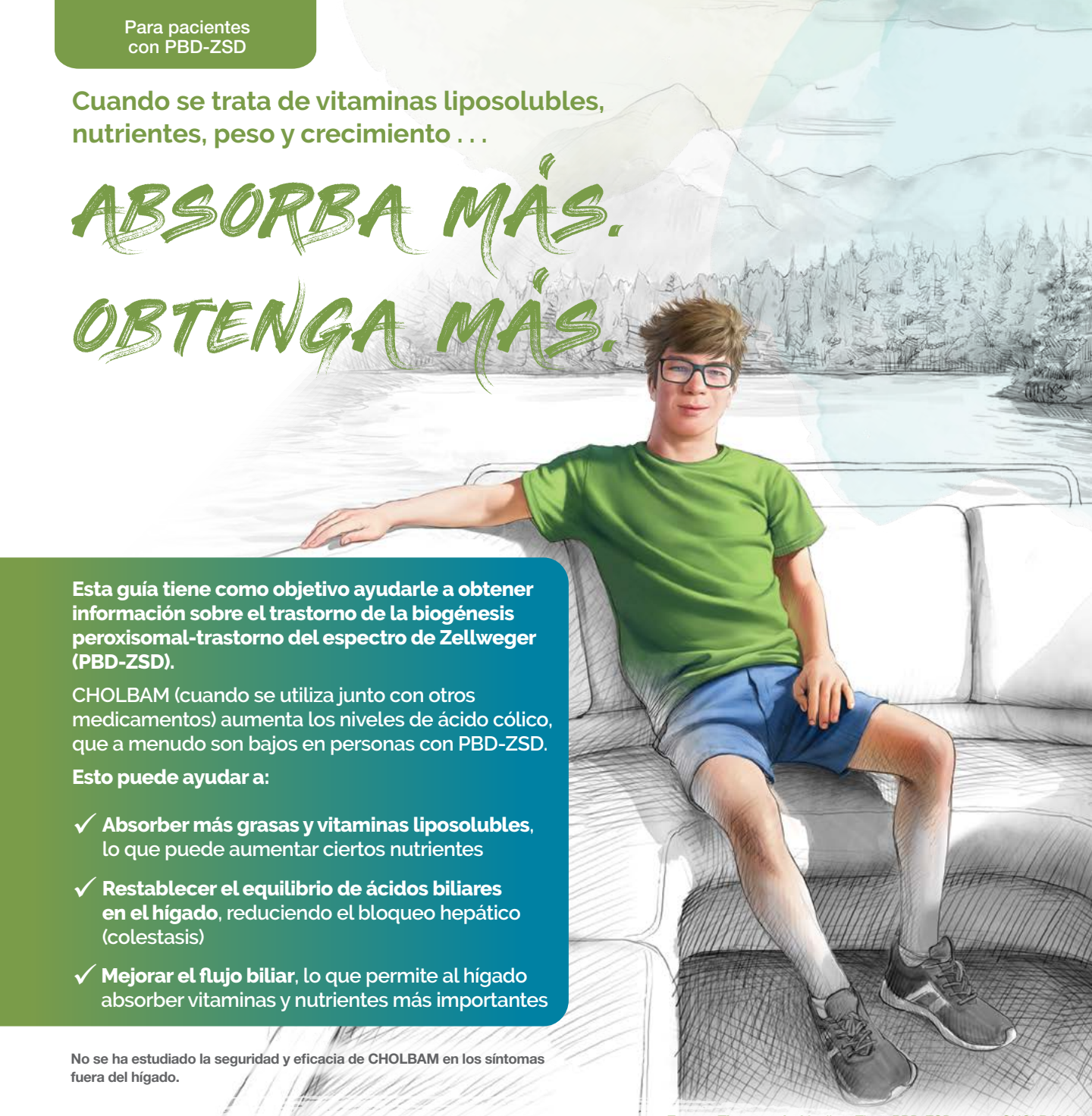
Para pacientes con PBD-ZSD

Cuando se trata de vitaminas liposolubles, nutrientes, peso y crecimiento . . .

ABSORBA MÁS. OBTENGA MÁS.



Esta guía tiene como objetivo ayudarle a obtener información sobre el trastorno de la biogénesis peroxisomal-trastorno del espectro de Zellweger (PBD-ZSD).

CHOLBAM (cuando se utiliza junto con otros medicamentos) aumenta los niveles de ácido cólico, que a menudo son bajos en personas con PBD-ZSD.

Esto puede ayudar a:

- ✓ **Absorber más grasas y vitaminas liposolubles**, lo que puede aumentar ciertos nutrientes
- ✓ **Restablecer el equilibrio de ácidos biliares en el hígado**, reduciendo el bloqueo hepático (colestasis)
- ✓ **Mejorar el flujo biliar**, lo que permite al hígado absorber vitaminas y nutrientes más importantes

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

Este es Thomas, de 20 años. Tiene PBD-ZSD y toma CHOLBAM desde 2015. Los resultados individuales pueden variar.

INDICACIÓN ¿Qué son las cápsulas de CHOLBAM® (ácido cólico)?

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.

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

Cholbam® (cholic acid) capsules

¿Qué es el trastorno de la biogénesis peroxisomal-trastorno del espectro de Zellweger (PBD-ZSD)?

El PBD-ZSD es una condición genética rara que se debe a un cambio en los genes PEX. Esto provoca la pérdida de la función de los peroxisomas.

Los peroxisomas son responsables de varias funciones clave en el cuerpo, incluidas las siguientes:

Descomposición de grasas

Los peroxisomas ayudan a **descomponer** las grasas, especialmente los ácidos grasos de cadena muy larga (AGCML), que son importantes para la energía.

Eliminación de residuos

Los peroxisomas ayudan a **limpiar** los desechos y las toxinas en las células para que el cuerpo pueda funcionar correctamente.

Una condición, varios nombres:

El PBD-ZSD es un espectro de 3 trastornos relacionados, que van de leves a graves. La gravedad puede variar, y la forma en que afecta a cada persona puede depender, en parte, de la edad a la que aparecen los síntomas por primera vez.

Efectos del PBD-ZSD

Peroxisomas y función hepática:
Las personas con PBD-ZSD tienen peroxisomas que no funcionan como deberían. No pueden producir los ácidos biliares sanos que necesitan. En cambio, los ácidos biliares tóxicos, el ácido dihidroxicolestanoico (DHCA) y el ácido trihidroxicolestanoico (THCA) se acumulan en el hígado.

Esta alteración del flujo biliar se denomina colestasis, una condición grave que puede provocar:

Inflamación hepática

Daño hepático

Cicatrización del hígado (cirrosis)

Signos y síntomas de una función hepática deficiente en las personas que tienen PBD-ZSD:

Crecimiento deficiente (no cumple los hitos de peso o estatura para la edad)

Deficiencias vitamínicas (vitaminas A, D, E, K)

Heces pálidas y malolientes

Orina oscura (color té)

Aumento del tamaño del hígado o del bazo

Niveles elevados de enzimas hepáticas

Ictericia (un color amarillento de la piel o de la parte blanca de los ojos)

CHOLBAM es ácido cólico

CHOLBAM es un medicamento de venta con receta que, cuando se utiliza junto con otros medicamentos, puede aumentar el ácido cólico, un ácido biliar fundamental necesario para la digestión y la función hepática.

El ácido cólico es una sustancia producida por el hígado

El cuerpo produce ácido cólico para ayudar a digerir las grasas y a absorber los nutrientes, pero las personas que tienen el trastorno de la biogénesis peroxisomal-trastorno del espectro de Zellweger (PBD-ZSD) pueden tener niveles de ácido cólico más bajos de lo normal en sus cuerpos.

CHOLBAM puede ayudar a las personas con PBD-ZSD a:

Absorber más grasas y vitaminas liposolubles, que **pueden proporcionar apoyo nutricional**

Restablecer el equilibrio de ácidos biliares en el hígado, reduciendo el bloqueo hepático (colestasis)

Mejorar el flujo biliar, lo que permite al cuerpo absorber vitaminas y nutrientes más importantes para una mejor **salud general,** incluida la digestión, la desintoxicación y la inmunidad

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.

Cholbam® (cholic acid) capsules

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de CHOLBAM?

CHOLBAM tiene un perfil de seguridad bien establecido. Ha sido aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA) y está disponible desde 2015.

Como con cualquier medicamento, existe la posibilidad de que se produzcan efectos secundarios.

- 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 se realizó un seguimiento de los efectos secundarios del ensayo de forma organizada. Más del 1 % de los pacientes pueden experimentar efectos secundarios.

Los pacientes que tomen CHOLBAM deberán someterse periódicamente a pruebas de laboratorio durante el tratamiento para evaluar la función hepática. CHOLBAM puede empeorar la función hepática. Llame inmediatamente a su médico o al de su ser querido si se da alguna de las siguientes circunstancias, ya que pueden ser signos de empeoramiento de la función hepática:

- Coloración amarillenta de la piel o de la parte blanca de los ojos
- Orina oscura o marrón (color té)
- Dolor en el lado derecho del estómago
- Hemorragia o hematomas que se producen con más facilidad de lo normal
- Mayor cansancio

Póngase en contacto con su médico si está experimentando algún efecto secundario. No interrumpa el tratamiento sin hablar primero con su médico.

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.

Cholbam® (cholic acid) capsules

¿Cómo se toma CHOLBAM?

Dosis recomendada

- 10 mg/kg a 15 mg/kg de peso corporal.
- CHOLBAM se presenta en cápsulas de 50 mg y 250 mg.
- El médico recetará el número correcto de cápsulas en función del peso y las necesidades.
- El médico puede considerar empezar con la dosificación de dos veces al día a medida que usted o su ser querido se acostumbre a dosis más altas de CHOLBAM.

Tomar con alimentos

- CHOLBAM se toma por vía oral (por boca).
- Tome CHOLBAM con alimentos.
- 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 las cápsulas. Para los pacientes que no pueden tragar cápsulas, consulte los pasos adicionales en la página siguiente.

Cronograma

- CHOLBAM se toma una vez al día o en 2 dosis divididas.
- Configure recordatorios diarios para asegurarse de que el tratamiento se toma según lo prescrito.

Ajustes de peso y dosis

- La dosificación recomendada cambiará a medida que cambie el peso.
- No ajuste la dosis sin primero consultar con su médico o el de su ser querido. El médico la ajustará según sea necesario, especialmente durante períodos de crecimiento rápido.

Pregunte a su médico si 2 dosis divididas son adecuadas para usted.

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.

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

Cholbam® (cholic acid) capsules

¿Cómo se deben tomar las cápsulas si no se pueden tragar?

Se pueden abrir las cápsulas de CHOLBAM y mezclar el contenido con otros alimentos para enmascarar cualquier sabor desagradable. Puede mezclarse con lo siguiente:

- Fórmula infantil o leche materna extraída (para niños más pequeños)
- Una cucharada de yogur o compota de manzana (para niños más pequeños, niños mayores y adultos)
- Su jarabe favorito, como jarabe de chocolate o jarabe de arce (para niños mayores y adultos)
- Crema para café (para niños mayores y adultos)
- Alimentos blandos, como puré de patatas o puré de manzana (para niños mayores y adultos)

Pasos para abrir las cápsulas de CHOLBAM y mezclar el contenido

1. Sostenga la cápsula sobre el líquido/alimento preparado, gire suavemente para abrirla y deje que el contenido caiga en el líquido/alimento.
2. Mezcle todo el contenido de la cápsula con 1 o 2 cucharadas (15 ml-30 ml) de fórmula infantil, leche materna extraída, jarabe, yogur, crema para café o alimentos blandos, como puré de patatas o puré de manzana.
3. Remueva durante 30 segundos.
4. El contenido de la cápsula permanecerá en forma de gránulos finos en la leche o los alimentos y no se disolverá.
5. Tome la mezcla inmediatamente.

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.

Cholbam® (cholic acid) capsules

Hablar con su médico sobre CHOLBAM

Lleve esta guía con usted y considere hacer las siguientes preguntas sobre CHOLBAM en su próxima visita:

¿Cómo sé si CHOLBAM es el tratamiento adecuado para mí o mi ser querido?

¿Cómo sabré si CHOLBAM está funcionando?

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de CHOLBAM? ¿Qué se puede hacer para ayudar a controlar cualquier efecto secundario que pueda aparecer?

¿Cómo puedo obtener CHOLBAM?

Escuche a los cuidadores hablar de su experiencia con PBD-ZSD y CHOLBAM: Visite la página de recursos y vídeos en CHOLBAM.com

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.

Cholbam® (cholic acid) capsules

Preguntas frecuentes sobre CHOLBAM

¿Cómo funciona CHOLBAM?

CHOLBAM actúa aportando a su cuerpo el ácido biliar que le falta, llamado ácido cólico. Esto ayuda al cuerpo a absorber más grasas y vitaminas liposolubles. El equilibrio de los ácidos biliares reduce el bloqueo del flujo biliar en el hígado y permite al cuerpo absorber vitaminas y nutrientes importantes para una mejor salud general.

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

¿Por qué es importante tomar CHOLBAM todos los días?

Es muy importante tomar CHOLBAM todos los días, tal y como le haya recetado su médico. He aquí el motivo:

El cuerpo necesita ácido cólico (CHOLBAM) para absorber los nutrientes esenciales para mantener una buena salud general. Las dosis omitidas privan al cuerpo del suministro constante necesario para hacer su trabajo. Tomar CHOLBAM de forma constante garantiza que el cuerpo siempre tenga el ácido cólico que necesita para funcionar adecuadamente y mantener la función hepática.

¿Cuándo podría empezar a notar los resultados de tomar CHOLBAM?

Aunque cada persona es diferente, su médico hará un seguimiento minucioso de su progreso, sobre todo mediante la realización de una prueba de la función hepática en la visita de seguimiento a los 3 meses. Si para entonces no se observan mejoras, es posible que su médico le plantee otras opciones.

Llevará tiempo ver los resultados, pero el viaje hacia una mejor salud comienza con un tratamiento constante. Su médico le indicará qué puede esperar y qué otras mejoras espera observar.

¿Qué puedo hacer sobre los efectos secundarios de CHOLBAM?

Hable con su médico sobre las opciones que pueden ayudar con los efectos secundarios. Lo más importante que debe hacer si experimenta algún efecto secundario, sobre todo si es nuevo, grave o preocupante, es ponerse en contacto con su médico de inmediato.

El sabor de CHOLBAM hace que sea difícil tomarlo diariamente. ¿Hay algún recurso para ayudar a enmascarar el sabor?

Si no puede tragar las cápsulas de CHOLBAM enteras, es comprensible que el sabor pueda suponer un reto. La buena noticia es que el medicamento viene con instrucciones específicas para ayudar con esto. Consulte la página 7 de este folleto para obtener instrucciones sobre cómo tomar CHOLBAM mezclándolo con alimentos o bebidas para enmascarar el sabor.

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.

Cholbam® (cholic acid) capsules

¿Cómo puedo empezar a tomar CHOLBAM?

Empezar a tomar CHOLBAM es fácil con Mirum Access Plus

Mirum Access Plus es un programa de apoyo integral para pacientes a los que se les ha recetado CHOLBAM y sus cuidadores. Una vez inscritos en el programa, se asigna a los pacientes y sus cuidadores un equipo dedicado de profesionales para ayudarlos durante su tratamiento. Si usted y su médico deciden que CHOLBAM es adecuado para usted, pídale que complete el formulario de inscripción, disponible en **CHOLBAMhcp.com**.

Mirum Access Plus incluye coordinadores, farmacéuticos y orientadores que pueden hacer lo siguiente:

- **Ayudarle a entender** el trastorno de la biogénesis peroxisomal-trastorno del espectro de Zellweger (PBD-ZSD)
- **Ofrecer consejos** para ayudar a gestionar el tratamiento
- **Responder preguntas** sobre la dosificación y los regímenes de tratamiento
- **Los pacientes elegibles puede que paguen tan solo $0 de gastos de bolsillo** por resurtido de CHOLBAM*
- **Ofrecer apoyo** con preguntas sobre el seguro
- **Coordinar las renovaciones de recetas mensuales** y enviar recordatorios para que usted o su ser querido nunca se quede sin CHOLBAM
- **Organizar la entrega** del medicamento
- **Comunicarse** con sus médicos

Si tiene alguna pregunta sobre Mirum Access Plus, contáctenos 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.

*Sujeto a los términos y condiciones del programa.

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

¿Qué otros recursos hay disponibles?

Hay varios sitios web dedicados a la comunidad del PBD-ZSD

Global Foundation for Peroxisomal Disorders (GFPD)
Obtenga acceso a programas educativos, investigación y servicios de apoyo a través de GFPD, una fundación global dedicada a ayudar a niños y familias que se enfrentan a PBD-ZSD.

Visite thegfpd.org para obtener más información.

La National Organization for Rare Disorders (NORD) es una organización dedicada a identificar, tratar y curar trastornos raros a través de la educación, el apoyo con la defensa, la investigación y los servicios.

Visite rarediseases.org para obtener más información.

Childhood Liver Disease Research Network (ChiLDReN)
Participe en estudios de investigación a través de ChiLDReN, un equipo colaborativo de médicos, personal de enfermería, coordinadores de investigación, centros médicos y organizaciones de apoyo al paciente dedicadas a aprender más sobre enfermedades hepáticas raras.

Visite childrennetwork.org para obtener más información.

Mirum Pharmaceuticals no está afiliada a los recursos mencionados.

Para pacientes con PBD-ZSD

Cuando se trata de colesterol, vitaminas liposolubles, nutrientes, peso y crecimiento . . .

ABSORBA MÁS. OBTENGA MÁS.

El CHOLBAM, cuando se utiliza junto con otros medicamentos, puede ayudar a las personas con trastorno de la biogénesis peroxisomal-trastorno del espectro de Zellweger (peroxisomal biogenesis disorder-Zellweger spectrum disorder, PBD-ZSD) a:

Absorber más grasas y vitaminas liposolubles, que **pueden proporcionar apoyo nutricional**

Restablecer el equilibrio de ácidos biliares en el hígado, reduciendo el bloqueo hepático (colestasis)

Mejorar el flujo biliar, lo que permite al cuerpo absorber vitaminas y nutrientes más importantes para una **mejor salud general**, incluida la digestión, la desintoxicación y la inmunidad

Aunque el PBD-ZSD puede afectar a diferentes órganos del cuerpo debido a defectos en la producción de ácidos biliares, el CHOLBAM solo ha demostrado ayudar a disminuir los signos y síntomas relacionados con la enfermedad hepática.

Para obtener más información sobre CHOLBAM, visite CHOLBAM.com/pbd-zsd

Hable con un proveedor de atención médica para obtener más información sobre CHOLBAM.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

¿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.

mirum | Cholbam® (cholic acid) capsules

© 2026 – Mirum Pharmaceuticals, Inc. Todos los derechos reservados.
US-CHO-2600047 05/2026