

CTEXLI es el **único** tratamiento aprobado por la FDA para la xantomatosis cerebrotendinosa (CTX) en adultos. Está diseñado para ayudar a detener la acumulación de toxinas CTX y evita que se almacenen por todo el cuerpo, donde pueden causar síntomas. Hable con un proveedor de atención médica para obtener más información sobre CTEXLI.

**CTX deja brechas críticas en la producción de ácidos biliares.
CTEXLI ayuda a recuperar los niveles de ácidos biliares.**

CTEXLI AYUDA A RECUPERAR LO QUE LA CTX ELIMINA

INDICACIÓN

CTEXLI está indicado para el tratamiento de la xantomatosis cerebrotendinosa (CTX) en adultos.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de CTEXLI?

- **Efectos secundarios graves; hepatotoxicidad (lesión hepática):** Tendrá que someterse a pruebas analíticas antes de empezar y periódicamente durante el tratamiento con CTEXLI para evaluar la función hepática. Pueden producirse cambios en ciertas pruebas hepáticas durante el tratamiento, que podrían ser un signo de lesión hepática. Las personas con enfermedad hepática preexistente o anomalías en los conductos biliares pueden tener un mayor riesgo de lesión hepática durante el tratamiento.

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

 **Ctexli**[®]
(chenodiol) tablets 250mg

¿Qué es la CTX?

La xantomatosis cerebrotendinosa o CTX es un **trastorno raro y hereditario de acumulación de lípidos**. Los lípidos son un tipo de grasa. Los trastornos del almacenamiento de lípidos se producen cuando el organismo no es capaz de descomponer los lípidos. Cuando esto sucede, los lípidos y otras sustancias tóxicas se acumulan en el cuerpo. La acumulación puede interferir en el funcionamiento del cuerpo.

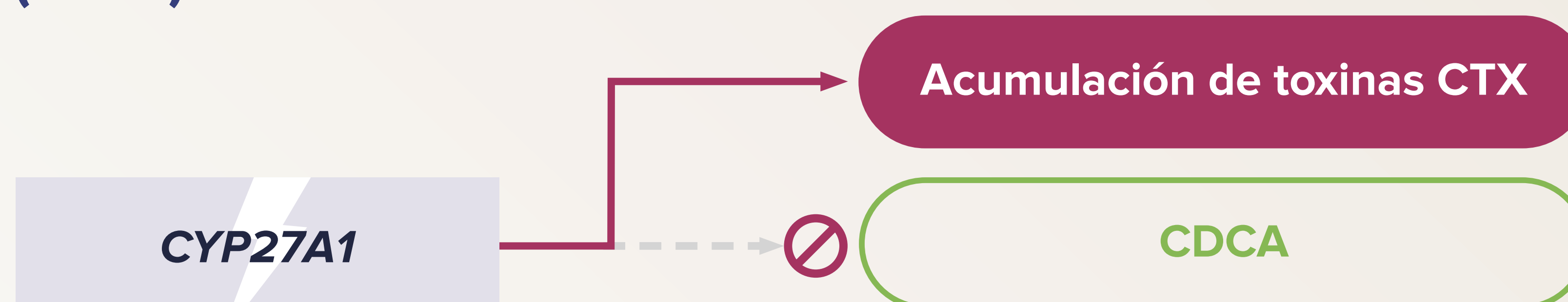
Las personas con CTX tienen **una mutación en el gen CYP27A1** que impide que una enzima importante (esterol 27-hidroxilasa) funcione correctamente. Una enzima es una proteína que acelera ciertos procesos en el organismo.

Cuando esta enzima en particular no funciona bien, impide que el organismo descomponga las grasas y produzca ciertos ácidos biliares necesarios para ayudar a digerir los alimentos. Como resultado, **las toxinas CTX se acumulan en el torrente sanguíneo, los ojos, los tendones, el cerebro y otros tejidos a lo largo del tiempo**. Esta acumulación da lugar a una serie de signos y síntomas.

Dado que la CTX es genética, puede transmitirse en las familias. Pídales a los miembros de la familia que también se hagan pruebas de CTX.

La CTX impide que el cuerpo produzca un ácido biliar llamado ácido quenodesoxicólico (CDCA)

La CDCA desempeña un papel importante en la regulación del proceso de producción de ácidos biliares. Cuando no hay suficiente CDCA, puede producirse la acumulación de toxinas CTX.



La CTX es progresiva, lo que significa que puede empeorar con el tiempo. El diagnóstico y tratamiento tempranos pueden ayudar a prevenir más daños.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

- **Efectos secundarios graves; hepatotoxicidad (lesión hepática):** deje de tomar CTEXLI inmediatamente e informe a su proveedor de atención médica de inmediato si presenta algún signo o síntoma de problemas hepáticos, como los siguientes:
 - Dolor de estómago (abdomen)
 - Sensación de cansancio (fatiga)
 - Náuseas
 - Hematomas
 - Hemorragia
 - Picor
 - Orina de color oscuro
 - Coloración amarillenta de la piel y los ojos

2

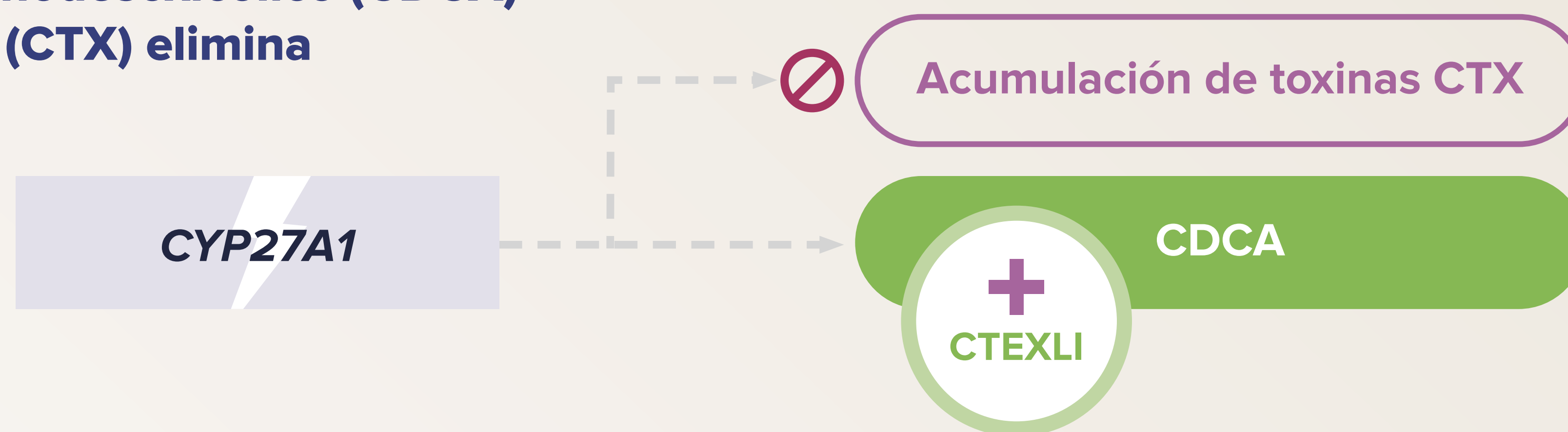
Consulte la Información importante de seguridad a lo largo del documento y la Información de prescripción completa que se adjunta.

 **Ctexli**[®]
(chenodiol) tablets 250mg

¿Cómo funciona CTEXLI?

CTEXLI ayuda a recuperar el ácido quenodesoxicólico (CDCA) que la xantomatosis cerebrotendinosa (CTX) elimina

CTEXLI está diseñado para ayudar a detener la acumulación de toxinas CTX. Esto lo hace sustituyendo la CDCA que falta en adultos con CTX.



CTEXLI ayuda a:



Reponer

la CDCA, un ácido biliar importante que al cuerpo le cuesta producir debido a la CTX



Reiniciar

el ciclo que impide que se produzcan más toxinas perjudiciales



Reducir

los niveles de toxinas perjudiciales en la sangre y orina que pueden provocar signos y síntomas de CTX

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

- **Efectos secundarios más frecuentes:** diarrea, dolor de cabeza, dolor de estómago, estreñimiento, presión arterial alta, debilidad muscular e infección de las vías respiratorias altas.
- Informe a su proveedor de atención médica sobre todos los medicamentos que toma, ya que CTEXLI puede interactuar con otros medicamentos. No tome agentes secuestradores de ácidos biliares ni antiácidos a base de aluminio mientras toma CTEXLI. Si toma cumarina, su médico tendrá que controlar su tiempo de protrombina (TP) mientras toma CTEXLI y podría ajustar su dosis de cumarina.

3

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

 **Ctexli**[®]
(chenodiol) tablets 250mg

¿Cómo se estudió CTEXLI?

CTEXLI se evaluó en un estudio clínico de 24 semanas

El objetivo del estudio era ver si CTEXLI ayuda a reducir la producción de 2 toxinas clave de la xantomatosis cerebrotendinosa (CTX).



Se observaron mejoras en un plazo de 4 semanas



Se lograron **niveles más bajos de toxinas** en los participantes que tomaban CTEXLI frente a los que tomaron placebo

Los pacientes que tomaron CTEXLI tuvieron niveles más bajos de toxinas en sangre y orina después de 4 semanas de tratamiento en comparación con los que recibieron placebo.



Con el tratamiento en curso con CTEXLI, la **reducción de las toxinas CTX permanece en el tiempo**

Los niveles de toxina en sangre y orina se mantuvieron constantemente bajos con el uso continuado de CTEXLI.



Cuando los participantes **dejaron de tomar CTEXLI**, los **niveles de toxina CTX aumentaron**

Cuando los pacientes cambiaron de CTEXLI a placebo, las toxinas CTX en la sangre y la orina aumentaron en el plazo de 2 semanas.

Participaron en el estudio 13* personas de 16 años o más. Se trató de un estudio aleatorizado y doble ciego, lo que significa que ni los participantes ni los médicos sabían quién recibió CTEXLI o un placebo. El placebo se parece a un medicamento “real”, pero no tiene ningún medicamento activo.

- Los 13 participantes recibieron CTEXLI durante las primeras 8 semanas
- Los participantes se dividieron en 2 grupos durante las 4 semanas siguientes:
 - Un grupo recibió CTEXLI
 - El otro grupo recibió un placebo
- Ambos grupos recibieron CTEXLI de nuevo durante 8 semanas
- En las 4 últimas semanas, los grupos cambiaron de tratamiento:
 - El grupo que había recibido CTEXLI recibió placebo
 - El grupo que había recibido placebo recibió CTEXLI

*14 participantes se inscribieron en el estudio, pero finalmente solo se incluyeron 13.

Dado que dejar de tomar CTEXLI puede hacer que las toxinas CTX en la sangre y la orina vuelvan a subir, es importante que siga tomando CTEXLI según lo prescrito por su proveedor de atención médica.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

- **Efectos secundarios más frecuentes:** su proveedor de atención médica puede interrumpir de forma temporal o permanente el tratamiento si usted tiene ciertos efectos secundarios.

CTEXLI se toma por vía oral tres (3) veces al día y puede tomarse con o sin alimentos. Trague los comprimidos enteros.

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de CTEXLI. Para obtener más información, consulte a su proveedor de atención médica o farmacéutico. Informe a su médico si tiene algún efecto secundario que le preocupa o que no desaparece.

4

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

 **Ctexli**[®]
(chenodiol) tablets 250mg

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios?

CTEXLI puede causar efectos secundarios. Hable con su médico sobre qué esperar y cómo manejar cualquier efecto secundario.

Los efectos secundarios más frecuentes con CTEXLI incluyen los siguientes:

- Heces frecuentes, flojas o acuosas (diarrea)
- Dolor de estómago (abdominal)
- Presión arterial alta (hipertensión)
- Infección en la nariz, garganta o senos paranasales (infección de las vías respiratorias superiores)
- Dolor de cabeza
- Estreñimiento
- Cansancio o debilidad en los músculos

La hepatotoxicidad (lesión hepática) es un posible efecto secundario grave de CTEXLI. Tendrá que someterse a pruebas analíticas (análisis de sangre) antes de empezar y periódicamente durante el tratamiento con CTEXLI para evaluar la función hepática. Pueden producirse cambios en ciertas pruebas hepáticas durante el tratamiento, que podrían ser un signo de lesión hepática. Las personas con enfermedad hepática preexistente o anomalías en los ácidos biliares pueden tener un mayor riesgo de lesión hepática durante el tratamiento. Deje de tomar CTEXLI inmediatamente e informe a su proveedor de atención médica de inmediato si presenta algún signo o síntoma de problemas hepáticos, como los siguientes:

- Dolor de estómago (abdominal)
- Orina de color oscuro
- Hemorragia
- Náuseas
- Hematomas
- Sensación de cansancio
- Coloración amarillenta de la piel y los ojos
- Picor

Su médico puede cambiarle la dosis o interrumpir de forma temporal o permanente el tratamiento con CTEXLI si usted tiene ciertos efectos secundarios. Estos no son todos los posibles efectos secundarios de CTEXLI.

Para obtener más información, consulte a su proveedor de atención médica o farmacéutico.

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 (1-855-676-4968).

¿Cómo se toma CTEXLI?

Tome CTEXLI según lo prescrito. La dosis recomendada de CTEXLI es **un comprimido oral de 250 mg 3 veces al día**, con o sin alimentos. Trague los comprimidos enteros.

¿Qué sucede si se omite una dosis?

Tome CTEXLI según lo recetado por su médico. Si olvida tomar uno de los comprimidos de CTEXLI programados, omita el comprimido olvidado. Tome su siguiente comprimido a la hora habitual programada. **No tome 2 comprimidos a la vez.**

¿Afectará CTEXLI a otros medicamentos o estos afectarán a CTEXLI?

Informe a su proveedor de atención médica sobre todos los medicamentos que toma, ya que CTEXLI puede interactuar con otros medicamentos. No tome agentes secuestradores de ácidos biliares ni antiácidos a base de aluminio mientras toma CTEXLI. Si toma cumarina, su médico tendrá que controlar su tiempo de protrombina (TP) mientras toma CTEXLI y podría ajustar su dosis de cumarina.

¿Qué recursos hay disponibles?



Al iniciar un medicamento nuevo, es difícil saber qué esperar y por dónde comenzar.

Mirum Access Plus trabaja estrechamente con su médico y su plan de seguro para ayudar a facilitar la cobertura de CTEXLI. Mirum Access Plus también ofrece apoyo y educación continuos para pacientes y cuidadores.

Regístrese llamándonos 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,
o visitando [CTEXLI.com](https://www.ctexli.com) para descargar
y completar el formulario de consentimiento.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (continuación)

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 (1-855-676-4968).

6

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

 **Ctexli**[®]
(chenodiol) tablets 250mg

CTEXLI es el **único** tratamiento aprobado por la FDA para la xantomatosis cerebrotendinosa (CTX) en adultos. Está diseñado para ayudar a detener la acumulación de toxinas CTX y evita que se almacenen por todo el cuerpo, donde pueden causar síntomas.



**CTX deja brechas críticas en la producción de ácidos biliares.
CTEXLI ayuda a recuperar los niveles de ácidos biliares.**

CTEXLI AYUDA A RECUPERAR LO QUE LA CTX ELIMINA

Se observaron mejoras en un plazo de 4 semanas

- Los pacientes que tomaron CTEXLI alcanzaron niveles más bajos de toxinas que los pacientes que tomaron placebo
- El tratamiento continuo con CTEXLI ayuda a mantener los niveles de toxina más bajos con el tiempo

Administración oral diaria

- Un comprimido por vía oral, 3 veces al día
- Tomar con o sin alimentos y tragar los comprimidos enteros

Seguridad establecida

- La seguridad de CTEXLI se estudió cuidadosamente en un ensayo
- Los efectos secundarios más frecuentes de CTEXLI son diarrea, dolor de cabeza, dolor de estómago, estreñimiento, presión arterial alta, debilidad muscular e infecciones de las vías respiratorias altas

INDICACIÓN

CTEXLI está indicado para el tratamiento de la xantomatosis cerebrotendinosa (CTX) en adultos.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de CTEXLI?

- **Efectos secundarios graves; hepatotoxicidad (lesión hepática):** Tendrá que someterse a pruebas analíticas antes de empezar y periódicamente durante el tratamiento con CTEXLI para evaluar la función hepática. Pueden producirse cambios en ciertas pruebas hepáticas durante el tratamiento, que podrían ser un signo de lesión hepática. Las personas con enfermedad hepática preexistente o anomalías en los conductos biliares pueden tener un mayor riesgo de lesión hepática durante el tratamiento.

Consulte toda la Información importante de seguridad y la **Información de prescripción** completa que se adjunta.

© 2025 – Mirum Pharmaceuticals, Inc.

Todos los derechos reservados. US-CTE-2500073 12/2025



Ctexli[®]
(chenodiol) tablets 250mg

Hable con un
proveedor de
atención médica y
visite **CTEXLI.com**
para obtener más
información.