



ORKAMBI®

(lumacaftor/ivacaftor)

100 / 125 mg • 150 / 188 mg oral granules

Kristi, mamá
de Sydney

Sydney, 4 años,
F508del/
F508del

CONOZCA A ORKAMBI®

Un recurso para
cuidadores de niños
de 2 a 5 años con
2 copias de la
mutación F508del
en el gen CFTR



¿QUÉ ES ORKAMBI® (lumacaftor/ivacaftor)?

ORKAMBI es un medicamento recetado que se usa para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en pacientes a partir de los 2 años que presentan dos copias de la mutación F508del (F508del/F508del) en el gen CFTR.

ORKAMBI no se debe usar en pacientes que no presentan dos copias de la mutación F508del en el gen CFTR.

Se desconoce si ORKAMBI es seguro y eficaz en niños menores de 2 años.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD

No tome ORKAMBI si está tomando ciertos medicamentos o suplementos herbales, por ejemplo:

- Antibióticos: rifampicina (RIFAMATE®, RIFATER®) o rifabutina (MYCOBUTIN®)
- Medicamentos anticonvulsivos: fenobarbital, carbamazepina (TEGRETOL®, CARBATROL®, y EQUETRO®) o fenitoína (DILANTIN®, PHENYTEK®)
- Sedantes y ansiolíticos: triazolam (HALCION®) o midazolam (DORMICUM®, HYPNOVEL®, y VERSED®)
- Medicamentos inmunosupresores: ciclosporina, everolimus (ZORTRESS®), sirolimus (RAPAMUNE®), o tacrolimus (ASTAGRAF XL®, ENVARSUS® XR, PROGRAF®, PROTOPIC®)
- Hierba de San Juan (*Hypericum perforatum*)

Hable con su médico antes de tomar ORKAMBI si toma alguno de los medicamentos o suplementos mencionados anteriormente.

Todas las fotos son de personas con FQ que presentan 2 copias de la mutación F508del en el gen CFTR o de sus cuidadores. Las personas con FQ pueden o no estar tomando ORKAMBI.

Consulte la [Información importante de seguridad adicional en el folleto](#) y la [Información de prescripción completa, incluida la Información del paciente](#).

Consulte la [Información de prescripción en inglés aquí](#).



ORKAMBI®

(lumacaftor/ivacaftor)

100 / 125 mg • 150 / 188 mg oral granules

ORKAMBI® SE ESTUDIÓ EN NIÑOS DE 2 A 5 AÑOS

ESTUDIO DE SEGURIDAD

El propósito principal del estudio de 24 semanas de 60 niños de 2 a 5 años con 2 copias de la mutación F508del en el gen CFTR fue determinar la seguridad de ORKAMBI.

Este estudio también evaluó los niveles de cloruro en el sudor, que son una medida de la cantidad de sal que hay en el sudor de un niño (mmol/l). La medición del nivel de cloruro en el sudor se usa para diagnosticar la fibrosis quística (FQ). Los niveles altos de cloruro en el sudor son una característica distintiva de la FQ. Después de 24 semanas, hubo un período de 2 semanas en el que los niños interrumpieron la administración de ORKAMBI para observar los cambios en el cloruro en el sudor.

CÓMO SE ADMINISTRÓ ORKAMBI



Los niños que pesaban **menos de ~31 libras** (menos de 14 kg) recibieron los gránulos de ORKAMBI (100 mg de lumacaftor/125 mg de ivacaftor) para uso oral cada 12 horas.



Los niños que pesaban **~31 libras o más** (14 kg o más) recibieron los gránulos de ORKAMBI (150 mg de lumacaftor/188 mg de ivacaftor) para uso oral cada 12 horas.

Todos los niños tomaron un sobre de gránulos de ORKAMBI para uso oral mezclado con **1 cucharadita de alimento blando o líquido** cada 12 horas. Todos los niños comieron alimentos con contenido graso justo antes o después de tomar la dosis de los gránulos para uso oral. Ningún niño del estudio tomó placebo. Todos los niños continuaron recibiendo sus otros tratamientos recetados para la FQ durante todo el estudio, incluido el período de 2 semanas en el que interrumpieron la administración de ORKAMBI.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

Antes de tomar ORKAMBI, informe a su médico sobre todas sus afecciones médicas, incluido si usted:

- tiene o tuvo problemas hepáticos;
- ha tenido transplante de órganos;
- tiene problemas renales;
- está utilizando anticonceptivos (anticonceptivos hormonales, incluidos formatos orales, inyectables, transdérmicos o implantables). Los anticonceptivos hormonales no deben utilizarse como método anticonceptivo cuando se toma ORKAMBI. Hable con su médico sobre el mejor método anticonceptivo que debe utilizar cuando toma ORKAMBI
- está embarazada o planea quedar embarazada. Se desconoce si ORKAMBI dañará a su bebé nonato. Usted y su médico deben decidir si tomará ORKAMBI durante el embarazo;
- está amamantando o planea amamantar. Se desconoce si ORKAMBI se transmite a la leche materna. Usted y su médico deben decidir si tomará ORKAMBI durante el amamantamiento.

Consulte la [Información importante de seguridad adicional en el folleto y la Información de prescripción completa](#), incluida la [Información del paciente](#).



ORKAMBI[®]

(lumacaftor/ivacaftor)

100 / 125 mg • 150 / 188 mg oral granules

RESULTADOS DEL ESTUDIO

SEGURIDAD



La seguridad en este estudio fue similar a la observada en estudios de ORKAMBI[®] realizados en pacientes mayores. Consulte los efectos secundarios posibles de ORKAMBI en la página siguiente.

Durante el estudio, 3 niños que tomaban ORKAMBI interrumpieron permanentemente su administración debido a niveles altos de enzimas hepáticas.

CLORURO EN EL SUDOR



Cloruro en el sudor



En la Semana 24:

Disminuyó 31.7 mmol/l en promedio

(el nivel de mmol/l promedio al comienzo del estudio fue de 105.8)



En la Semana 26, después de interrumpir la administración de ORKAMBI durante 2 semanas:

Aumentó 33.0 mmol/l en promedio

CONSIDERACIONES DEL ESTUDIO

- No se pudieron hacer comparaciones con placebo porque todas las personas del estudio recibieron ORKAMBI. **Por lo tanto, se desconoce si los cambios en los niveles de cloruro en el sudor se debieron a ORKAMBI.**
- Los cambios en los niveles de cloruro en el sudor no se relacionan con cambios en la función pulmonar.

Se realizaron otros estudios de ORKAMBI en diferentes grupos etarios. Para obtener más información, visite ORKAMBI.com.

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

ORKAMBI puede afectar el modo en que funcionan otros medicamentos, y otros medicamentos pueden afectar cómo funciona ORKAMBI.

Infórmele a su médico todos los medicamentos que toma, incluidos los de venta con receta y los de venta libre, vitaminas y suplementos herbales, porque puede ser necesario ajustar la dosis de ORKAMBI cuando se toma con ciertos medicamentos.


Dígale especialmente a su médico si usted toma:

- Medicamentos antifúngicos, que incluyen ketoconazol (tal como NIZORAL[®]), itraconazol (tal como SPORANOX[®]), posaconazol (tal como NOXAFIL[®]) o voriconazol (tal como VFEND[®])
- Antibióticos que incluyen telitromicina (como por ejemplo KETEK[®]), claritromicina (como por ejemplo BIAXIN[®]) o eritromicina (como por ejemplo ERY-TAB[®]).

Infórmele a su médico si deja de tomar ORKAMBI por más de 1 semana. Su médico quizá deba cambiar su dosis de ORKAMBI u otros medicamentos que toma.

Consulte la [Información importante de seguridad](#) adicional en el folleto y la [Información de prescripción completa](#), incluida la [Información del paciente](#).

INFORMACIÓN IMPORTANTE DE SEGURIDAD (CONTINUACIÓN)

 ¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de ORKAMBI[®]?

ORKAMBI puede provocar efectos secundarios graves, incluidos los siguientes:



Deterioro de la función hepática en personas con enfermedad hepática grave. El deterioro de la función hepática puede ser grave o provocar la muerte. Hable con su médico si le han informado que tiene una enfermedad hepática, ya que es posible que su médico deba ajustar la dosis de ORKAMBI.

Altas enzimas hepáticas en la sangre, lo que puede ser un signo de daño hepático, en personas que recibían ORKAMBI. Su médico le hará análisis de sangre para controlar su hígado:

- antes de que comience con ORKAMBI;
- cada 3 meses durante el primer año de tomar ORKAMBI;
- cada un año mientras está tomando ORKAMBI.



Llame a su médico de inmediato si presenta cualquiera de los siguientes síntomas de problemas hepáticos:

- dolor o malestar en el área (abdominal) superior derecha del estómago;
- náuseas o vómitos;
- color amarillo en la piel o en la parte blanca de los ojos;
- orina oscura y de color ámbar;
- pérdida del apetito;
- confusión.



Problemas respiratorios, como por ejemplo falta de aire u opresión en el pecho en pacientes al comenzar con ORKAMBI, especialmente en pacientes con función pulmonar pobre. Si tiene una función pulmonar pobre, quizá su médico deba controlarlo más de cerca cuando comience con ORKAMBI.



Aumento en la presión arterial en algunas personas que recibían ORKAMBI. Su médico debe controlar su presión arterial durante el tratamiento con ORKAMBI.



Anormalidad del lente ocular (cataratas) en algunos niños y adolescentes que recibían ORKAMBI. Si es niño o adolescente, su médico debe realizar exámenes oftalmológicos antes de y durante el tratamiento con ORKAMBI para buscar cataratas.

Los efectos secundarios más comunes de ORKAMBI incluyen:

- problemas respiratorios, como falta de aire u opresión en el pecho
- náuseas
- diarrea
- fatiga
- aumento en una enzima de la sangre, llamada creatinfosfoquinasa
- erupción
- gases
- gripe común, incluido dolor de garganta, congestión o secreción nasal
- gripe o síntomas similares a gripe
- períodos irregulares, faltantes o anormales (menstruación) y aumento en la cantidad de sangrado menstrual

Los efectos secundarios observados en niños son similares a los observados en adultos y adolescentes. Otros efectos secundarios comunes observados en niños incluyen:

- tos con esputo
- congestión nasal
- dolor de cabeza
- dolor de estómago
- aumento del esputo

Estos no son todos los posibles efectos secundarios de ORKAMBI. Llame a su médico para recibir asesoramiento médico sobre los efectos secundarios. Puede informar efectos secundarios a la FDA al 1-800-FDA-1088.

Consulte la [Información importante de seguridad adicional en el folleto](#) y la [Información de prescripción completa](#), incluida la [Información del paciente](#).



Sepa cómo tomar los gránulos de ORKAMBI para uso oral

Visite ORKAMBI.com para:

- [Ver un video que muestra cómo administrar a su hijo los gránulos de ORKAMBI para uso oral.](#)
- [Obtener sugerencias sobre alimentos con contenido graso.](#)

Si tiene preguntas sobre ORKAMBI, asegúrese de hablar con su proveedor de atención médica o el de su hijo.