harliku™
(nitisinona) Tabletas

Un paso hacia un mejor futuro; ¡allá vamos!

Esta guía le brindará apoyo para tomar HARLIKU™ (nitisinona) Tabletas y manejar la alcaptonuria (ACU). También contiene información útil sobre Cycle Vita™, nuestro programa de apoyo al paciente dedicado, que brinda apoyo personalizado* en cada paso.

Este manual está dirigido a cuidadores y pacientes en los EE. UU. a los que se les ha recetado HARLIKU. Solo se proporciona con fines informativos. No pretende reemplazar al asesoramiento médico ni debe usarse con tal motivo.

Indicaciones: HARLIKU™ (nitisinona) Tabletas está indicado para la reducción del ácido homogentísico (HGA) en orina en pacientes adultos con alcaptonuria (ACU).

Consulte la información importante de seguridad en la página 2
y la información de prescripción completa en harliku.com/pi/.

NO ES UN PACIENTE REAL

Información importante de seguridad

Indicaciones

HARLIKU™ (nitisinona) Tabletas está indicado para la reducción del ácido homogentísico (HGA) en orina en pacientes adultos con alcaptonuria (ACU).

Información importante de seguridad

No tome HARLIKU si tiene alergia a la nitisinona o a alguno de los otros ingredientes. Hable con su profesional de la salud sobre cualquier problema de salud y si está embarazada, planea quedar embarazada o si está amamantando antes de comenzar el tratamiento.

Reacciones adversas graves:

Síntomas oculares y cambios en la piel por niveles aumentados de tirosina en plasma:

La restricción inadecuada de la ingesta de tirosina y fenilalanina puede causar aumento de los niveles de tirosina plasmática y ocasionar queratitis (problemas oculares) y placas hiperqueratósicas (engrosamiento de la piel en las plantas de los pies y las palmas de las manos).

- Su profesional de la salud solicitará un examen con lámpara de hendidura antes de iniciar el tratamiento con HARLIKU, regularmente durante el tratamiento, y podría reexaminarlo si usted desarrollara síntomas o niveles altos de tirosina en plasma.
- Se puede interrumpir el tratamiento con HARLIKU temporalmente hasta que se resuelvan los síntomas.

Cambios en el perfil sanguíneo:

- Puede desarrollar leucopenia (disminución del número de glóbulos blancos, los cuales forman parte del sistema inmunitario) y trombocitopenia grave (nivel anormalmente bajo de plaquetas, las cuales ayudan a que se coagule la sangre).
- Su profesional de la salud vigilará los conteos de plaquetas y glóbulos blancos durante el tratamiento con HARLIKU.

Reacciones adversas frecuentes:

Las reacciones adversas más frecuentes (≥1 %) informadas en pacientes con ACU que toman nitisinona en los ensayos clínicos fueron niveles elevados de tirosina, disminución en el nivel de plaquetas (trombocitopenia) e inflamación de la córnea, irritación ocular, dolor ocular y fotofobia (queratitis).

Interacciones farmacológicas:

La nitisinona puede interferir en el efecto de otros medicamentos. Hable con su profesional de la salud o farmacéutico si está tomando, ha tomado recientemente o podría tomar otros medicamentos.

Consulte la información de prescripción completa en harliku.com/pi/.

Uso en poblaciones específicas:

Embarazo: no se ha estudiado la seguridad de este medicamento en el embarazo. Informe a su profesional de la salud de inmediato si está embarazada o planea quedar embarazada.

Lactancia: no se ha estudiado la seguridad de este medicamento en mujeres que estén amamantando. Hable con su profesional de la salud de inmediato si planea amamantar.

Uso pediátrico: no se ha estudiado la seguridad de este medicamento en pacientes pediátricos con ACU.

Uso geriátrico: los estudios clínicos de HARLIKU no incluyeron una cantidad suficiente de pacientes de 65 años o más para determinar si responden de manera diferente a pacientes adultos más jóvenes. Los adultos mayores deben tener precaución si tienen disminución de la función hepática, renal o cardíaca, y enfermedad simultánea u otro tratamiento con medicamentos.

Si tiene algún efecto secundario, hable con su profesional de la salud. Esto incluye posibles efectos secundarios no mencionados anteriormente.

Para obtener más información detallada, consulte la información de prescripción completa en harliku.com/pi/.

Para informar sobre SUPUESTAS REACCIONES ADVERSAS, comuníquese con Cycle Pharmaceuticals al 1-855-831-5413, o con la FDA al 1-800-FDA-1088 o a través de www.fda.gov/medwatch.

Puede recibir llamadas del equipo de Cycle Vita para brindarle apoyo en su tratamiento.

Es importante que responda nuestras llamadas para evitar demoras en la recepción del medicamento.

Agende el número de Cycle Vita en su teléfono:
888-360-8482

Cycle Vita le da la bienvenida

CYCLE VITA™
Apoyo *para la vida*

En Cycle Vita, sabemos que, como paciente que vive con una enfermedad poco frecuente, puede necesitar ayuda adicional para manejar su afección.

Por eso, HARLIKU, el primer tratamiento aprobado por la FDA para usar en la ACU, tiene en cuenta sus necesidades. A través de Cycle Vita, nuestro programa de apoyo al paciente* dedicado, podemos brindarle asistencia del producto y proceso que necesita en cada paso de su tratamiento. Esto abarca ayuda para acceder a HARLIKU mediante su proveedor de seguro, apoyo al producto constante, asistencia nutricional o recursos sobre cómo mantenerse en actividad con ACU.

Independientemente de la etapa en la que esté, estamos aquí para brindarle ayuda para avanzar hacia un mejor futuro con HARLIKU. ¡Allá vamos!

Nuestros mejores deseos,

Cycle Vita

Información importante de seguridad

No tome HARLIKU si tiene alergia a la nitisinona o cualquier otro de los ingredientes. Hable con su profesional de la salud sobre cualquier problema de salud y si está embarazada, planea quedar embarazada o está amamantando antes de comenzar el tratamiento.

¿Qué es la ACU?

La ACU es una afección genética extremadamente poco frecuente que se estima que afecta a cerca de 1 en 1,000,000 de personas en los EE. UU.[2] Los pacientes con ACU tienen problemas para desintegrar una sustancia química llamada ácido homogentísico (HGA), una sustancia que interviene en la digestión de las proteínas.[2] Con el tiempo, el HGA se deposita en los huesos y cartílagos y los vuelve negros; por eso, recibe el nombre de enfermedad de los huesos negros.[3]

Los signos más tempranos de ACU son pañales con manchas oscuras causadas por orina negra o amarronada. Estos síntomas pueden pasarse por alto si la orina no tuvo tiempo de interactuar con el oxígeno del aire. Dada la progresión lenta de la ACU, los síntomas más observables suelen aparecen en la adultez.

Según la información disponible, la ACU no afecta la esperanza de vida,[4] pero **mientras más pronto puedan darse un diagnóstico y cuidado adecuados, mayores serán las posibilidades de retrasar la progresión de síntomas no reversibles.**[5]

Estos son algunos síntomas frecuentes:

- Decoloración de los ojos, los oídos y alrededor de la nariz (ocronosis).
- Dolor de articulaciones, primero espalda y rodilla, luego en cadera y hombro (artrosis).
- Cálculos en riñones y vejiga.
- Complicaciones en el corazón y el tejido conjuntivo.[3]

Información importante de seguridad

Reacciones adversas graves: Síntomas oculares y cambios en la piel por niveles aumentados de tirosina en plasma: La restricción inadecuada de la ingesta de tirosina y fenilalanina puede causar aumento de los niveles de tirosina plasmática y ocasionar queratitis (problemas oculares) y placas hiperqueratósicas (engrosamiento de la piel en las plantas de los pies y las palmas de las manos).

Vivir con ACU

HARLIKU, un tratamiento aprobado por la FDA para la ACU ahora está disponible para reducir los niveles de HGA en orina.[1]

Para un manejo de los síntomas, el profesional de la salud puede recomendarle medicamentos antiinflamatorios y analgésicos, mientras que los casos más graves pueden necesitar cirugía y reemplazo de las articulaciones.[4] Mantenerse en actividad con ejercicios livianos puede ayudar a retrasar la progresión de artrosis.[6]

Puede hacer algunos ejercicios suaves para mejorar la flexibilidad de las articulaciones y generar fuerza muscular, por ejemplo:

Pilates

Taichí

Ciclismo

Yoga

Caminata

Natación

Pruebe estos ejercicios de pilates de la AKU Society aquí

Debe **evitar** deportes o ejercicios de alto impacto que suman más presión a las articulaciones, como:

- Béisbol
- Básquetbol
- Fútbol americano
- Fútbol

Consulte a su profesional de la salud antes de comenzar un nuevo programa de ejercicios. Cycle Pharmaceuticals no acepta responsabilidad por lesiones o problemas de salud que surjan de la participación en estas actividades.

Información importante de seguridad

Su profesional de la salud solicitará un examen con lámpara de hendidura antes de iniciar el tratamiento con HARLIKU, regularmente durante el tratamiento, y podría reexaminarlo si usted desarrollara síntomas o niveles altos de tirosina en plasma. Se puede interrumpir el tratamiento con HARLIKU temporalmente hasta que se resuelvan los síntomas.

Presentación de HARLIKU

El primer y único tratamiento aprobado por la FDA para la ACU.[1]

El primer y único tratamiento aprobado por la FDA para la ACU[1]

Reduce los niveles de HGA en orina en hasta un 97 %[1], lo que puede demorar la progresión de la ACU[7]

Con respaldo de Cycle Vita, donde puede obtener apoyo personalizado*

NO SON PACIENTES REALES

Información importante de seguridad

Cambios en el perfil sanguíneo: puede desarrollar leucopenia (disminución del número de glóbulos blancos, los cuales forman parte del sistema inmunitario) y trombocitopenia grave (nivel anormalmente bajo de plaquetas, las cuales ayudan a que se coagule la sangre). Su profesional de la salud vigilará los conteos de plaquetas y glóbulos blancos durante el tratamiento con HARLIKU.

HARLIKU

Los efectos de la nitisinona, el ingrediente activo de HARLIKU, se estudiaron en ensayos clínicos, y se demostró que benefician a pacientes adultos con ACU.[7,8]

Según los resultados de los estudios en los que se trató a los pacientes con nitisinona por hasta tres años, HARLIKU ayudó a los pacientes de estas formas:

- Mejoró la calidad de vida en las áreas de dolor, los niveles de energía y el funcionamiento físico.[8]
- Mejoró el rendimiento en una prueba de caminata.[8]
- Demoró la progresión de la ACU.[7]

NO ES UN PACIENTE REAL

Un paso hacia un mejor futuro con HARLIKU; ¡allá vamos!

Información importante de seguridad

Reacciones adversas frecuentes: las reacciones adversas más frecuentes (≥1 %) informadas en pacientes con ACU que toman nitisinona en los ensayos clínicos fueron niveles elevados de tirosina, disminución en el nivel de plaquetas (trombocitopenia) e inflamación de la córnea, irritación ocular, dolor ocular y fotofobia (queratitis).

Toma de HARLIKU

Tome **una tableta** (2 mg de nitisinona) por vía oral, una vez al día, todos los días.

Tiene la flexibilidad de tomar HARLIKU **con o sin alimentos.**

Si se olvida de una dosis, **tome la siguiente a la hora programada.** NO tome dos dosis a la vez para compensar la dosis omitida.

Durante el tratamiento, el profesional de la salud puede controlar sus niveles de tirosina en sangre con frecuencia. Si sus niveles de tirosina son altos, el profesional de la salud puede recomendarle ajustes en la alimentación o pausar el tratamiento con HARLIKU.

Información importante de seguridad

Interacciones farmacológicas: la nitisinona puede interferir en el efecto de otros medicamentos. Hable con su profesional de la salud o farmacéutico si está tomando, ha tomado recientemente o podría tomar otros medicamentos.

Cycle Vita: apoyo dedicado para usted

CYCLE VITA™
Apoyo *para la vida*

Sabemos que los tratamientos transformadores necesitan un sistema de apoyo personalizado a los desafíos únicos que usted pueda enfrentar. Por eso, creamos Cycle Vita, nuestro programa de apoyo al paciente dedicado, que brinda asistencia personalizada* del producto y proceso en cada paso, que incluye lo siguiente:

Programa Bridge: un suministro gratis de HARLIKU para que pueda comenzar el tratamiento inmediatamente mientras Cycle Vita le brinda ayuda con la verificación de beneficios y la autorización previa. El Programa Bridge también está disponible si tiene una interrupción temporal en el seguro. La duración del programa depende de la búsqueda activa de cobertura del seguro de su clínica.

Programa de Apoyo para Copagos: los pacientes idóneos con seguro comercial pueden llegar a pagar $0.

Apoyo de investigación para el reembolso: el equipo de Cycle Vita es experto en brindarle ayuda para garantizar la cobertura y puede darle asistencia en todo el proceso, incluidas las investigaciones de beneficios y ayuda con la autorización previa. Cuando se requiera una apelación, Cycle Vita trabajará con su aseguradora para entender los requisitos y ayudar con las brechas de reembolso.

Apoyo al producto clínico constante: Cycle Vita le brinda apoyo al producto para manejar cada aspecto de la rutina terapéutica de HARLIKU, como el proceso de inicio del tratamiento, la información clínica y el cumplimiento del tratamiento. Los servicios de apoyo adicional con la alimentación y el manejo de aspectos físicos de la ACU están disponibles a pedido.

Información importante de seguridad

Uso en poblaciones específicas:

Embarazo: no se ha estudiado la seguridad de este medicamento en el embarazo. Hable con su profesional de la salud de inmediato si está embarazada o planea quedar embarazada.

El equipo de Cycle Vita

CYCLE VITA™
Apoyo *para la vida*

El equipo de Cycle Vita está disponible con una simple llamada. Durante el tratamiento con HARLIKU, puede esperar que lo contacten dos tipos distintos de personas de Cycle Vita:

Gerentes de información clínica

Le brindan información clínica, asistencia al producto y apoyo con la alimentación (cuando sea necesario).*

Especialistas en acceso

Le permiten obtener HARLIKU mediante apoyo farmacéutico, económico y en la inscripción.*

Un equipo amable y familiar lo espera en Cycle Vita

888-360-8482 hello@cyclevita.life www.cyclevita.life

Información importante de seguridad

Uso en poblaciones específicas:

Lactancia: no se ha estudiado la seguridad de este medicamento en mujeres que estén amamantando. Hable con su profesional de la salud de inmediato si planea amamantar.

Visite harliku.com para obtener más información.

Visite harliku.com/pi/ para obtener la información de prescripción completa.

harliku™
(nitisinona) Tabletas

Referencias

1. HARLIKU (nitisinone) Tablets. Prescribing Information. Cycle Pharmaceuticals Ltd 2. Introne WJ, Perry M, Chen M. 2003 (actualizado en 2021). Alkaptonuria. Disponible en https://www.ncbi.nlm.nih.gov/sites/books/NBK1454/ [Consultado el 29 de mayo de 2025]. 3. AKU Society. Symptoms. Disponible en https://akusociety.org/symptoms/ [Consultado el 9 de mayo de 2025] 4. NORD. 2017. Alkaptonuria. Disponible en https://rarediseases.org/rare-diseases/alkaptonuria/ [Consultado el 12 de mayo de 2025] 5. Rudebeck M, Scott C, Sireau N, Ranganath L. 2020. A patient survey on the impact of alkaptonuria symptoms as perceived by the patients and their experiences of receiving diagnosis and care. JIMD Rep. 53(1):71-79. doi:10.1002/jmd2.12101 6. AKU Society. Self-Management. Disponible en https://akusociety.org/self-management/ [Consultado el 12 de mayo de 2025] 7. Ranganath LR, Khedr M, Milan AM, et al. 2018. Nitisinone arrests ochronosis and decreases rate of progression of Alkaptonuria: Evaluation of the effect of nitisinone in the United Kingdom National Alkaptonuria Centre. Mol Genet Metab. 125(1-2):127-134. doi:10.1016/j.ymgme.2018.07.011 8. Spears KR, Rossignol F, Perry MB, et al. 2024 Patient-reported outcomes and functional assessments of patients with Alkaptonuria in a 3-year Nitisinone treatment trial. Mol Genet Metab. 143(1-2),108562. doi:10.1016/j.ymgme.2024.108562

Consulte la información importante de seguridad en la página 2 y la información de prescripción completa en harliku.com/pi/.

* Algunas áreas de apoyo pueden no ser accesibles para todos los pacientes. Pueden aplicarse criterios de elegibilidad para garantizar el cumplimiento de todos los requisitos federales y estatales aplicables, y los beneficios pueden limitarse a pacientes con seguro comercial únicamente. Para obtener más información sobre la elegibilidad, los términos y las condiciones, comuníquese con el equipo de Cycle Vita al 888-360-8482.

©2025 Cycle Pharmaceuticals Limited. Todos los derechos reservados. HARLIKU™ y Cycle Vita™ son marcas comerciales de Cycle Pharmaceuticals Limited en los Estados Unidos. US-HKU-2500011 | Julio de 2025