

## ANNEXE

### **Conditions ou restrictions à appliquer par les États membres relatives à l'utilisation sûre et efficace du médicament**

Il incombe aux États membres de veiller à ce que toutes les conditions ou restrictions relatives à l'utilisation sûre et efficace du médicament exposées ci-dessous soient mises en œuvre.

Le titulaire de l'autorisation de mise sur le marché, en accord avec les autorités compétentes des États membres, mettra en place, avant le lancement, un programme de formation pour les médecins visant à fournir du matériel de formation concernant la pose d'un diagnostic correct et les gestions thérapeutiques du traitement des erreurs congénitales de la synthèse des acides biliaires primaires dues à un déficit en  $3\beta$ -hydroxy- $\Delta^5$ -C<sub>27</sub>-stéroïde oxydoréductase ou en  $\Delta^4$ -3-oxostéroïde-5 $\beta$  réductase, ainsi que des informations sur les risques attendus et potentiels liés au traitement.

Le programme de formation pour les médecins doit comprendre les éléments clés suivants:

- prescription d'une dose suprathérapeutique (terme de la convention MedDRA: toxicité des médicaments)
- risque de calculs biliaires