

Recommended information sheet template for a compassionate use program in Duchenne muscular dystrophy

For parents/legal guardians

Program title:	Compassionate Use Program (CUP) for the treatment with givinostat in ambulant patients of 6 years and older with Duchenne muscular dystrophy (DMD) and with concomitant corticosteroid treatment.
Manufacturer:	Italfarmaco S.p.A.
Doctor's name:	[insert name]
Doctor's address or affiliation	[insert address]
Where you will go for your visits in this program:	[insert name & address of site]
Doctor's Daytime Telephone Number:	[insert telephone number]

Important information about this Compassionate Use Program

Instructions to Parent or Guardian: This information sheet and consent form gives you important information that will help you decide if you want your child to join this Compassionate Use Program.

Take your time, and feel free to talk it over with your child and family or friends. Please ask the Compassionate Use Program team if you have any questions about anything in this form. If you have questions later, contact the doctor at the phone number listed above.

Treatment in Compassionate Use Programs include only people who choose to take part. It is your choice whether or not you want your child to take part in this program. Please take your time to make a decision about participating. You can discuss your decision with your family, friends and health care team.

You may take this information sheet home and an unsigned copy of the consent form with you and discuss with family or friends before making your decision.

1. Background

What is a Compassionate Use Program ?

Compassionate use is a potential pathway for a patient with a serious or life-threatening disease or condition to try an investigational medical product for treatment outside of clinical trials when there are no comparable or satisfactory therapies available.

This Compassionate Use Program provides givinostat as an investigational product for the potential treatment of Duchenne muscular dystrophy (DMD) in ambulant patients, aged 6 years and older and with concomitant corticosteroid treatment . Italfarmaco S.p.A. will provide access to givinostat free of charge for patients registered in this compassionate use during the entire program.

During this program, your child will be treated and followed-up by a doctor specialised in DMD and will be able to continue their DMD standard care of treatment including corticosteroids. However, your child will not be able to participate simultaneously in any other Compassionate Use Program, clinical study or take any DMD investigational drug or any other DMD drug- except of corticosteroids.

Why is this Compassionate Use Program being offered to my child?

Your child is being asked to take part in this compassionate use program by their treating doctor because they have Duchenne muscular dystrophy, have health care insurance, reside in Belgium and there is no other comparable or satisfactory therapy available for them. This means that your child is not candidate to participate in any ongoing clinical trial with givinostat or any other ongoing clinical trial and is not a candidate for any licensed or standard-of-care-DMD therapy option, except for corticosteroids available at the time of inclusion to this program.

Your child's participation in this program is voluntary. If you decide to not have your child take part in this program, your child can continue with their current medical care.

Has givinostat been used in clinical studies?

Givinostat is an investigational drug that has been tested in clinical trials and is approved by the Food and Drug Administration (FDA) and by the European Medicines Agency (EMA), this means that the authorization to market such drug in Europe has been granted. Overall, more than 200 patients with DMD have received givinostat within the clinical trial setting.

Compassionate Use Program Activities

What will happen if I decide to let my child join the program?

Before any program-related tests and procedures can be done, you will be asked to read this information sheet and sign the consent form. Additionally, if appropriate, your child, will be asked to provide their assent.

Please note that in case your child reaches majority during participation in the program, they will be asked to confirm or not their agreement to participate in the program, and they will sign a new consent form if they want to continue.

The treating doctor will make some tests and evaluations on your child to determine whether your child meets the requirements to participate, as well as the standard evaluations as per DMD clinical practice.

The following inclusion criteria must be met from your child:

- Confirmed diagnosis of DMD in ambulant patients aged 6 years and older with concomitant corticosteroid treatment.
- Patient is not a candidate for any licensed and reimbursed or standard-of-care pharmacological DMD therapy option -except for Corticosteroids- available at the time of inclusion.
- Patient must be willing to use adequate contraception
- Health Care Insurance and Patient residency in respective country

The following exclusion criteria will apply for your child:

- Patients with a platelet count less than $150 \times 10^9/l$
- Fasting triglycerides > 300 mg/dl
- Concomitant treatment with any DMD drug (investigational or licensed) other than corticosteroids
- Previous exposure to any DMD drug (investigational or licensed) other than corticosteroids without adequate wash out.
- Patient is participating in another CUP or any ongoing clinical trial
- Have any hypersensitivity to the components of the CUP medication.
- Have a sorbitol intolerance or sorbitol malabsorption or have the hereditary form of fructose intolerance. Please ask your doctor more information, if needed.

If the program doctor evaluates that your child does not meet all of the requirement to participate in the program, you will be informed and you can discuss with him the next steps for your child.

What will happen during the treatment program?

The frequency and type of assessments beyond the recommended standards of care are under the discretion of the treating doctor and in the best interest for your child's safety.

If needed, safety assessments may need to be performed at specific timepoints/frequency, as per treating doctor decision. These assessments could also be performed close to your home by a local qualified physician, under the supervision / advice of the treating doctor.

Usually at a hospital visit the treating doctor conducts the standard evaluations as per DMD clinical practice and can also decide whether to include additional examinations/tests according to the health status of your child. The blood tests need to be performed before starting treatment with givinostat, every 2 weeks for the first 2 months of treatment, at month 3, and then every 3 months thereafter to measure the number of your child's blood cells; before starting treatment with givinostat, on the third month, on the sixth month and then every 6 months to measure also the triglycerides, a type of fat in the blood. Standard evaluations for your child include but are not limited to:

- ✓ Physical exam, height, weight, vital signs (blood pressure, pulse rate, temperature)
- ✓ Blood tests, including level of platelets and triglycerides
- ✓ Electrocardiogram (ECG) to measure the electrical activity of your child's heart
- ✓ Functional movement tests.
- ✓ Ask your child questions about how they are feeling.

Not all of these things will happen at all of the visits. The doctor can tell you more about which things happen at each visit. Some of the assessments could happen close to your home by a local doctor or nurse. Transfer of the identifying personal data (such as name and address) will be sent to the local doctor or nurse via the doctor, and that this will not be given to the sponsor or another third party. In any case, the treating doctor will decide on the frequency and type of assessment, in the best interest of your child's safety.

During the Compassionate Use Program you will be asked to:

- ✓ Bring your child to all visits, as scheduled by the treating doctor.
- ✓ At home, store the bottle(s) of givinostat in the refrigerator. Before use, shake for at least 30 seconds by rotating the bottle by 180° for approximately 40 times, and the homogeneity of the suspension should be visually verified. Incorrect shaking may lead to over dosing or under dosing. Administer, as directed, orally twice daily with food.

- ✓ Follow the treating doctor's instructions about whether your child may continue to take their regular medications or other prescribed or over-the-counter medicines during the program period.
- ✓ Tell the treating doctor of any changes to your child's current medications, illnesses or injuries, unexpected or troublesome side effects, or problems that occur during the program.
- ✓ Tell the treating doctor if your child is planning to have an elective surgery or any other medical treatment or procedure.
- ✓ Make sure that givinostat is kept out of the reach of children and people who have a limited capacity to read or understand. Your child is the only person who should be given givinostat.
- ✓ Contact the treating doctor if you or your child have any question about the program after you sign the consent form.

2. Benefits, Available options, and Costs

What are the benefits of being in this program?

There is no guarantee that your child will receive any benefits. However, the treating doctor will explain the possible benefits and risks associated with your child's participation in the program.

What are the other options available for not being in this program?

Since your child's participation in this program is voluntary, the alternative would be to not join the program and to continue regular care under the supervision of your child's usual doctor.

Who is paying for this program?

Italfarmaco S.p.A. will provide access to givinostat free of charge for patients registered in the Compassionate use during the entire program. Please discuss with the treating doctor on any other costs that may be associated with the treatment.

3. Risks and possible discomforts

There may be risks in the Compassionate Use Program that are unforeseeable, but the known risks are listed below.

Possible side effects

Like all medicines, this medicine can cause side effects, although not everybody gets them.

You may have one or more of the following side effects after taking givinostat:

Very common side effects (may affect more than 1 in 10 people):

- belly (abdominal) pain
- decrease in blood platelet count (thrombocytopenia)
- diarrhoea
- elevated levels of blood fats (hypertriglyceridaemia)
- fever (pyrexia)
- vomiting

Common side effects (may affect up to 1 in 10 people):

- anxiety
- constipation
- decreased appetite
- dizziness
- skin redness (erythema)
- tiredness (fatigue)
- diarrhoea and vomiting (gastroenteritis)
- collection of blood under the skin (haematoma)
- increased thyroid stimulating hormone (TSH) levels in blood
- joint pain (arthralgia)
- muscle pain (myalgia)
- muscular weakness
- rash

Givinostat lowers the number of blood cells in your child's blood, most notably the number of blood platelets responsible for clotting of the blood (a condition known as thrombocytopenia). Your doctor will check your child's blood for levels of platelets before treatment and regularly during the entire course of treatment with givinostat.

Your doctor may reduce your child's dose to increase your platelet count or stop treatment with givinostat if thrombocytopenia continues.

Inform your doctor if you or your child notice any unexpected bleeding.

Givinostat may be associated with increased levels of fats (triglycerides) in your child's blood. Your doctor will do blood tests before your child starts givinostat and regularly during treatment to check your triglyceride levels.

The dose of givinostat may be reduced in case of persistent increase in levels of fats (triglycerides) in your child's blood.

Your child's doctor may stop treatment if the levels of fats in your child's blood (triglycerides) do not decrease despite dietary measures and dose reductions.

Your child may experience diarrhoea and vomiting while taking givinostat.
Your child's doctor may adjust the dose of givinostat based on severity of diarrhoea or stop treatment if diarrhoea and vomiting do not improve.
Your child's doctor might consider the use of medicines to treat vomiting, diarrhoea and to avoid excessive loss of fluids.

High doses of givinostat (5 times higher than the recommended dose) may cause an irregular heartbeat. Your doctor will consider if your child can use givinostat when there is an increased risk for abnormal heartbeat, abnormal mineral levels in your child body or concomitant use of other medicines.

Your child's doctor may check your child's heart function when starting givinostat if your child has an underlying heart problem or if your child use medicines that can cause irregular heartbeat.

Your child's doctor may consider to stop treatment with givinostat if your child heartbeat is found irregular.

Contact your child's doctor, who may stop your child's therapy with givinostat, if any of the above conditions appear.

Your child may not benefit from participation in this Compassionate Use Program and his DMD symptoms may worsen.

There may be risks and side effects that are unknown. All drugs have a possible risk of an allergic reaction.

Blood Test Risks: The blood tests in the program will take few mL of blood. It is possible that your child will feel some pain and have some bruising at the needle site. Also, sometimes during blood tests, a vein can become inflamed, or in rare cases, a blood clot may occur.

Electrocardiogram (ECG): ECG patches placed on your child's skin may cause itching, redness, or mild rash. It may be necessary to shave the area on your child's chest for placement of the ECG patches directly on his skin.

All participants in the program will be watched carefully for any side effects; however, the treating doctor does not know all the effects that the program drug may have on your child. The treating doctor may give your child medicines to help reduce side effects. These side effects may be mild or serious. In some cases, these side effects might be long-lasting, or permanent, and may even be life-threatening.

In any case you observe side effects, contact your treating doctor or report directly to FAMHP (Federal Agency for Medicines and Health products) : www.eenbijwerkingmelden.be / www.notifieruneffetindesirable.be

What happens if my child has a problem or gets injured while in the program?

If your child's health is affected or they suffer any damage during or after this treatment, please contact the treating doctor. They will initiate the necessary steps for your child.

<Treatment site> will provide you with necessary emergency medical treatment if your child suffers a physical reaction or injury as a result of givinostat or a procedure required by this treatment.

You do not give up any of your or your child's rights by signing this form.

Pregnancy /birth control methods (if applicable)

If your child is able to get pregnant or if your child is sexually active with a partner who is able to have children, they and their partner must be willing to use highly effective contraceptive methods of birth control consistently and correctly until 3 months after your child takes the last dose of program drug. The treating physician will discuss with you and your child the appropriate methods of birth control that they and their partner must use during this program.

Acceptable methods of birth control include a condom with spermicide in addition to the female partner using an acceptable method of contraception, such as an oral, transdermal, injectable, or implanted steroid based contraceptive, or a diaphragm or a barrier method of contraception in conjunction with spermicidal jelly such as a cervical cap with spermicide jelly.

True abstinence (absence of any sexual intercourse) is also an acceptable method of birth control, when in line with the preferred and usual lifestyle of the child. Periodic abstinence (such as calendar, ovulation, symptothermal [is a natural method of birth control by abstaining from sexual intercourse on days that a woman is fertile, or capable of getting pregnant], postovulation methods) and withdrawal are not acceptable methods of contraception.

If your child/child's partner becomes pregnant or thinks she may be pregnant during the program or within 3 months after your child takes the last dose of program drug, you or your child must tell the treating physician immediately. The treating physician may also ask your child/child's partner questions about pregnancy and baby.

4. Deciding Not to Participate

What happens if I do not allow my child to be in the program?

Nothing bad will happen to you or your child if you say no. No one will be angry with you or treat you or your child any differently than before you were asked to be in the program.

Being in this program is completely voluntary. Your child's usual medical care will not change if you decide not to allow your child to be in the program.

Can my child leave the program after it begins?

Yes. Even if you agree to allow your child to join the program, your child is still free to leave the program at any time without giving any reason. There will also not be any penalty or loss of benefits to which your child is entitled at this site if you decide not to take part or if you decide to leave the program.

If you decide that your child leaves the program, you should contact the treating doctor who will explain the safest way to end your child's participation.

Can my child be taken out of the program even if we want to continue?

Yes. Sometimes the treating doctor may have to end your child's participation in the program even if you or your child want to stay in it. This

can happen if:

- ✓ Any change in your child's medical condition that might be harmful to your child.
- ✓ Your failure to follow the treating physician's instructions.
- ✓ Your child no longer meets the program health care insurance eligibility criteria
- ✓ Compassionate Use Programs enable participants to gain access to a medicine before its approval by the competent health authorities.
 - If the competent health authorities do not grant the approval for givinostat, Italfarmaco SpA reserves the right to revise or discontinue the Compassionate Use Program.

- If givinostat is approved and authorized by the health authorities for reimbursement for Duchenne Muscular Dystrophy, the compassionate use program will be phased out, and access to the product will then be under the normal system.

5. Confidentiality and Privacy

How will you protect my child's privacy?

Information about your child will be collected as part of the Compassionate Use Program. The hospital (name is indicated on page 1 of this information sheet) will process and record your child's personal data, in particular that information regarding your child's health, exclusively in order to implement the program and for purposes of pharmaceutical vigilance. A full updated list of the organizations that will have access to your child's data will be available to the treating doctor on request.

The information collected in this program will be handled by qualified people who will follow the local requirements of confidentiality and sensitivity of the data.

Every effort will be made to keep all information about your child private. Therefore, all information which is sent/provided outside of the hospital will show only a coded patient identification number instead of your child's name.

You will find the complete details about the processing of the personal data of your child in the "Information Notice and declaration of consent to the processing of personal data" attached as Addendum A.

6. Other Concerns

Will you tell me anything you learn that may change my mind about my child being in the Compassionate Use Program?

If new findings come up during the program that would affect your child's safety and/or your willingness to have your child participate in the program, you will be told as soon as possible so you can decide whether to continue or leave the program.

What if I have a question or concern?

You and your child should feel free to ask questions about the program and your child's rights as a patient before, during, and after the program.

Whom can I call?

If you or your child has any questions about this program or your child's rights, or if at any time you believe that your child has a treatment-related injury or a reaction to the program medication, you should contact the treating doctor whose details are indicated on page 1 of this information sheet.

In any case you observe side effects, contact your treating doctor or report directly to FAMHP (Federal Agency for Medicines and Health products) : www.eenbijwerkingmelden.be / www.notifierunefetindesirable.be

Important

Do not sign the consent form unless you have had a chance to ask questions and have received satisfactory answers to all of your questions.

Signing your name to the consent form means that you voluntarily agree for your child to take part in this program.

This agreement can be withdrawn at any time.

Parent's or Guardian's Consent Form for givinostat Compassionate Use Program

[insert physician name]

[insert physician address or affiliation]

[insert physician telephone number]

Program Title: Compassionate Use Program (CUP) for the treatment with givinostat in ambulant patients of 6 years and older with Duchenne Muscular Dystrophy DMD and with concomitant corticosteroid treatment.

- I have been given ample time to read and understand the information sheet and this consent form. I have been given the opportunity to ask any questions I had about the program, and all the questions I asked were answered to my satisfaction. I understand the potential risks and benefits of my child's participation as described in the information sheet. By signing this consent form, I freely consent to have my child treated with givinostat under the treating doctor's direction. I also certify that, to the best of my knowledge, all information I have given about my child's medical history is true and correct.
- The program has been explained to my child in my presence, in language he can understand. He has been encouraged to ask questions, both now and in the future, about the program. If appropriate for this age, he has freely assented ("agreed") to take part in this program.
- I understand that my child is free to withdraw from the program at any time for any reason. I will notify the treating doctor if he decides to withdraw so that his participation may be ended in an orderly manner and future care can be discussed.
- I understand that I will be informed of any information that might relate to my child's willingness to continue in the program.
- If my child has any physical or mental health symptoms or problems, I will tell the treating physician.
- I understand that I will receive a signed and dated copy of this consent form for my records.

- My consent for my child to participate in this program does not take away any legal rights in the case of negligence or other legal fault of anyone who is involved with this program. Nothing in the information sheet and this consent form is intended to change any applicable local laws regarding informed consent.

First and Last Names of Parent or Guardian (Print)

Signature of Parent or Guardian

Date

First and Last Names of Second Parent or Guardian, if applicable (Print)

Signature of Second Parent or Guardian, if applicable

Date

First and Last Names of Program Doctor or Person Administering the Consent (Print)

Signature of Program Doctor
or Person Administering Consent

Date

Impartial Witness (if needed)

I am an impartial witness and was present during the entire informed consent discussion. I attest that the information in this consent form was accurately explained to, and apparently understood by, _____, and that he/she freely gave consent for his/her child to participate.

First and Last Names of Witness (Print)

Signature of Witness

Date

ADDENDUM A
PERSONAL DATA PROTECTION INFORMATION SHEET AND CONSENT FORM
for the processing of personal data

for Parents/Legal Guardian

FOR COMPASSIONATE USE PROGRAM (CUP) OF AN UNAUTHORISED DRUG (GIVINOSTAT)

Dear Parents / Legal Guardian of _____ ,

<Treatment site> provides you with the information below relating to the processing of personal data as a result of the entry into force of new Regulation (EU) 2016/67 on 25 May 2018. This is information about your child that will be collected by the <Treatment site> if you agree to the participation of your child in the compassionate use program (CUP) of an unauthorised Drug (Givinostat) about which you have been informed through the dedicated Information Sheet and Consent Form that you have signed.

Please note that “personal data” means any information that may be used to identify your child and therefore relates to you.

1. Why should you read this Information Sheet?

The <Treatment site> will use the information concerning your child, and you have the right to be informed about what this information is, for what purposes it will be used, to whom it may be disclosed etc. After being informed of the consequences related to your refusal to consent, you will be free to choose whether to authorize or not authorize the <Treatment site> to process your child’s personal data.

2. Who is the Controller of your personal data?

The Controller of your child’s personal data is <Treatment site>

3. Other entities participating in the Compassionate Use Program (CUP)

The other entities participating in the Compassionate Use Program (CUP), who will deal with personal data processing, are as follows:

Entity name	Role in the Program

The contact person for your personal data processing, acting on behalf of, is <Treatment site>. His/her contact details are the following: <contact details>.

<Treatment site> guarantees that personal data processing is carried out while observing the fundamental rights and freedoms, and the dignity of the person involved, with special reference to confidentiality, personal identity and the right to personal data protection in compliance with the provisions of Regulation 679/2016/EU, the Italian national legislation of harmonization with such Regulation and the measures taken by the [relevant Data Protection Authority] on the subject.

The coded patient identification number of your child, his weight and age will be sent to Italfarmaco S.p.A. and third parties (individuals and/or companies) that act on its behalf for the delivery of the drug.

4. Who is the Data Protection Officer (DPO) according to Art. 13.1b of Regulation 679/2016/EU?

DPO acting on behalf of <Treatment site>

To exercise your rights, you may contact the Data Protection Officer, <name> appointed by the <Treatment site>, who can be contacted at the following e-mail address: <email address>

5. What data do we need from you?

The data processed by <Treatment site> conducting the Compassionate Use Program are ordinary personal, identifying data, as well as data belonging to special categories:

- genetic data
- biometric data
- data concerning health
- data on ethnic and racial origin
- data on lifestyle or sexual orientation

Please be informed that the provision of personal and special data which are the subject of this Compassionate Use Program is necessary in order to process your child's data for the conduct of the above program. If you do not provide the data correctly, your child's participation in the Compassionate Use Program will not be guaranteed.

Your child's data will be processed using a code that will be assigned to each patient.

The Data Controller will adopt all technical and organizational measures to ensure the observance of the data minimization principle as provided for by art. 89 of (EU) Regulation 2016/679.

6. Purposes for processing your personal data (Art. 13.1.c Regulation 679/2016)

All personal and sensitive data you provide will be processed by the Data Controller, based on one or more of the following legitimate reasons:

- Consent given by the person involved (Art. 6.1, letter a) and Art. 9.2, letter a) Regulation 679/2016);
- Protection of the vital interests of the person involved and/or the community (Art. 6.1, letter d) Regulation 679/2016);
- The processing is necessary to safeguard a vital interest of the person involved or of another natural person if the person involved is physically or legally unable to give his/her consent (Art. 9.2, letter a) Regulation 679/2016);
- The processing is necessary for reasons of public interest in the public health sector, such as protection from serious cross-border threats to health or to ensure high quality and safety levels in healthcare, medicinal products and medical devices, based on the European Union or Members States right that requires appropriate and specific

measures to protect the rights and freedoms of the person involved, in particular professional secrecy (Art. 9.2, letter i) Regulation 679/2016;

Listed below are the purposes for which your child's personal data will be processed:

- Inclusion in company computer databases;
- Execution, monitoring and progress of the Compassionate Use Program;
- Response to specific requests of the person involved.

7. Possible recipients or categories of recipients of the personal data (Art. 13.1, letter e) Regulation 679/2016)

Your child's personal data, when necessary, may be shared with/transmitted to (i.e. disclosed to one or more specified subjects), in addition to the subjects listed under point 7:

- subjects whose right to access the data is granted by the law, secondary or EU legislation, and collective bargaining.

Personal data regarding the state of health, lifestyle or sexual orientation, ethnic or racial origin, genetic data and biometric data are not in any case divulged (i.e. disclosed in any way to different unspecified subjects).

**8. Transfer of data to non-EU countries (Art. 13.1, letter f) Regulation 679/2016/EU)
(complete or delete the following sections as applicable)**

Personal data that are the subject of the Compassionate Use Program will not be disclosed to third parties who do not operate on the EU territory.

Or, in case of an external Data Controller

Personal data which are the subject of the Program may be disclosed to third parties who do not operate on the EU territory.

Countries that guarantee an adequate level of protection and confidentiality

The following countries guarantee an adequate level of protection and confidentiality of personal data pursuant to articles 45, 46, 47 of Regulation 679/2016/EU.

Country	Adequacy decision	Appropriate/Suitable guarantees

For the Countries listed in this paragraph, which do not guarantee an adequate level of data protection and security, transfer is only possible when the person involved gives his/her consent (art. 49, paragraph 1, letter a). **These Countries are: ...**

The personal data which are the subject of the Compassionate Use Program will be transmitted using the generated code and not the name.

9. Criteria used to determine the storage period (Art. 13.2, letter a) Regulation 679/2016)

*<Treatment Site> declares that it will keep the Compassionate Use Program documentation containing your child personal data for **XXXX ()** years or Your child's personal data and medical findings will be archived in accordance with local law after the completion or premature termination of the Compassionate Use Program but could be retained for longer if required by regulatory requirements.*

10. Data processing modalities

The data, which may also be processed using electronic equipment, will be disseminated in a strictly anonymous way, for example in scientific and statistical publications and scientific conferences.

You can, at any time and without giving any justification, interrupt your child's participation in the Compassionate Use Program; in this case no further data concerning him will be collected.

11. Your rights (Art. 13.2, letter b) Regulation 679/2016)

Please be informed that, at any time, you can exercise the following rights:

- Right to revoke your consent at any time, without prejudice to the lawfulness of the processing, based on the consent given prior to revocation, as per Art. 7.3 Regulation 679/2016;
- Right to ask the Data Controller, as per Art. 15 Regulation 679/2016, to access the personal data;
- Right to ask the Data Controller, as per Art. 16 Regulation 679/2016, to amend the personal data, if this is not in contrast with current regulations on data storage and the need to protect, in case of legal dispute, the health professionals who processed them;
- Right to ask the Data Controller, as per Art. 17 Regulation 679/2016, to cancel the personal data, if this is not in contrast with current regulations on data storage and the need to protect, in case of legal dispute, the health professionals who processed them;
- Right to ask the Data Controller, as per Art. 18 Regulation 679/2016, to limit the processing of the personal data;
- Right to oppose the data processing, as per Art. 21 Regulation 679/2016;
- Right to ask the Data Controller, only in the cases provided for by art. 20 of Regulation 679/2016, that the personal data be transmitted to another health operator in a legible format

12. Right to file a complaint (Art. 13.2, letter d) Regulation 679/2016

You will always have the right to file a complaint with the [relevant Data Protection Authority] in order to exercise your child's rights or for any other issue connected with the personal data processing.

2. STATEMENT OF CONSENT

I, the undersigned (first and last name) _____

born in _____ on _____

Taxpayer's Code _____

place of residence (Municipality, Province, State) _____

address _____

In my personal capacity or by declaring under my own responsibility to act as (tick the box as appropriate):

Parents of _____ (for minors)

Parental care of _____ (for minors)

YES, I agree or **NO, I don't** agree that my child's personal data will be collected and processed during the program by the program treating physician or his/her staff and the person authorized by health and legal authorities as described and in accordance with the procedure defined in this document.

YES, I agree or **NO, I don't** agree that my child's personal data (as listed in section 3) will be sent to Italfarmaco S.p.A., and third parties (individuals and/or companies) that act on its behalf for the delivery of the drug.

YES, I agree or **NO, I don't** agree that my child's personal data will be to the transfer out of the EU for the purposes discussed in this document. I am aware that laws in these countries might not provide the same level of data protection as in my country. I agree to the processing and storage of my encoded personal data in these third-party countries.

I, the undersigned (first and last name) _____

born in _____ on _____

Taxpayer's Code _____

place of residence (Municipality, Province, State) _____

address _____

In my personal capacity or by declaring under my own responsibility to act as (tick the box as appropriate):

Parents of _____(for minors)
Parental care of _____(for minors)

YES, I agree or **NO, I don't** agree that my child's personal data will be collected and processed during the program by the program treating physician or his/her staff and the person authorized by health and legal authorities as described and in accordance with the procedure defined in this document.

YES, I agree or **NO, I don't** agree that my child's personal data (as listed in section 3) will be sent to Italfarmaco S.p.A., and third parties (individuals and/or companies) that act on its behalf for the delivery of the drug.

YES, I agree or **NO, I don't** agree that my child's personal data will be to the transfer out of the EU for the purposes discussed in this document. I am aware that laws in these countries might not provide the same level of data protection as in my country. I agree to the processing and storage of my encoded personal data in these third-party countries.

Modèle de note d'information recommandé pour un programme d'accès compassionnel dans la dystrophie musculaire de Duchenne

Pour les parents/tuteurs légaux

Titre du programme :	Programme d'accès compassionnel (PAC) pour le traitement par givinostat chez des patients ambulants atteints de Dystrophie Musculaire de Duchenne (DMD) âgés de 6 ans et plus et recevant un traitement concomitant par corticostéroïdes.
Fabricant :	Italfarmaco S.p.A.
Nom du médecin :	[insérer le nom]
Adresse ou affiliation du médecin :	[insérer l'adresse]
Lieu de vos visites dans le cadre de ce programme :	[insérer le nom et l'adresse du centre]
Numéro de téléphone de jour du médecin :	[insérer le numéro de téléphone]

Informations importantes concernant ce programme d'accès compassionnel

Instructions pour le parent ou le tuteur : cette note d'information et ce formulaire de consentement vous donnent des informations importantes qui vous aideront à décider si vous souhaitez que votre enfant participe à ce programme d'accès compassionnel.

Prenez votre temps et n'hésitez pas à en parler avec votre enfant et votre famille ou vos amis. Veuillez vous adresser à l'équipe du programme d'accès compassionnel si vous avez des questions concernant ce formulaire. Si vous avez des questions plus tard, contactez votre médecin au numéro de téléphone indiqué ci-dessus.

Dans les programmes d'accès compassionnel, seuls les patients ayant décidé de participer recevront le traitement du programme. Il vous appartient de décider si vous souhaitez ou non que votre enfant participe à ce programme. Il vous est recommandé de prendre le temps de

réfléchir pour prendre une décision quant à son éventuelle participation. Vous pouvez notamment échanger avec votre famille, vos amis et l'équipe soignante à propos de votre décision .

Vous pouvez emporter chez vous cette note d'information et un exemplaire vierge du formulaire de consentement , et en discuter avec votre famille ou vos amis avant de prendre votre décision.

1. Contexte

Qu'est-ce qu'un programme d'accès compassionnel ?

L'accès compassionnel offre une possibilité pour un patient atteint d'une maladie ou d'une affection grave ou mettant en jeu le pronostic vital d'essayer un produit médical expérimental pour un traitement en dehors des essais cliniques lorsqu'il n'y a pas de thérapies comparables ou satisfaisantes disponibles.

Ce programme d'accès compassionnel fournit le givinostat comme produit expérimental pour le traitement potentiel de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) chez des patients ambulants âgés de 6 ans et plus et recevant un traitement concomitant par corticostéroïdes.

Au cours de ce programme, votre enfant sera traité et suivi par un médecin spécialisé dans la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) et pourra continuer à recevoir son traitement standard pour la DMD, y compris les corticoïdes.

Toutefois, votre enfant ne pourra pas participer simultanément à un autre programme d'accès compassionnel, à une autre étude clinique ou prendre un médicament expérimental, ou tout autre médicament, pour le traitement de la DMD, à l'exception des corticoïdes.

Pourquoi ce programme d'accès compassionnel est-il proposé à mon enfant ?

Votre enfant est invité à participer à ce programme d'accès compassionnel par son médecin parce qu'il est atteint de dystrophie musculaire de Duchenne, qu'il a une assurance maladie, qu'il réside en Belgique et qu'il n'existe aucun autre traitement comparable ou satisfaisant pour lui. Cela signifie que votre enfant n'est pas candidat à participer à un essai clinique en cours portant sur le givinostat ou à tout autre essai clinique en cours et qu'il n'est candidat à aucune option thérapeutique déjà approuvée de la DMD, à l'exception des corticoïdes disponibles au moment de l'inclusion dans ce programme.

La participation de votre enfant à ce programme est volontaire. Si vous décidez de ne pas autoriser votre enfant à participer à ce programme, celui-ci pourra poursuivre ses soins médicaux actuels.

Le givinostat a-t-il été utilisé dans des études cliniques ?

Le givinostat est un médicament expérimental qui a été évalué dans le cadre d'essais cliniques et

qui est approuvé par l'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (Food and Drug Administration, FDA), et est approuvé par l'Agence européenne des médicaments (European Medicines Agency, EMA), ce qui signifie que l'autorisation de mise sur le marché de ce médicament en Europe a été accordée. Dans l'ensemble, plus de 200 patients atteints de DMD ont reçu du givinostat dans le cadre d'essais cliniques.

Activités du programme d'accès compassionnel

Que se passera-t-il si je décide de laisser mon enfant participer au programme ?

Avant de réaliser tout test et toute procédure lié au programme, il vous sera demandé de lire cette note d'information et de signer le formulaire de consentement. En outre, le cas échéant, votre enfant devra fournir son assentiment.

Notez bien que si votre enfant atteint la majorité pendant sa participation au programme, il lui sera demandé de confirmer ou non son accord à participer au programme, et il devra signer un nouveau formulaire de consentement s'il souhaite poursuivre sa participation.

Le médecin réalisera certains tests et évaluations afin de déterminer si ce dernier satisfait aux critères d'éligibilité, ainsi que les évaluations standards conformément à la pratique clinique habituelle dans la DMD.

Les critères d'inclusion suivants doivent être remplis par votre enfant :

- Diagnostic confirmé de DMD chez les patients ambulants âgés de 6 ans et plus, sous traitement concomitant par corticothérapie.
- Le patient n'est pas candidat à une option thérapeutique pharmacologique DMD autorisée et remboursée ou standard - à l'exception des corticostéroïdes - disponible au moment de l'inclusion.
- Le patient doit être disposé à utiliser une contraception adéquate.
- Le patient doit disposer d'une assurance maladie et résider le pays concerné

Les critères d'exclusion suivants s'appliqueront à votre enfant :

- Patients présentant une numération plaquettaire inférieure à $150 \times 10^9/l$
- Triglycérides à jeun $> 300 \text{ mg/dl}$
- Patient recevant un traitement concomitant dans la DMD (autorisé ou dans le cadre d'un essai clinique) autre que les corticostéroïdes
- Patient ayant déjà été exposé à un traitement dans la DMD (autorisé ou dans le cadre d'un essai clinique) autres que les corticoïdes, sans période de sevrage thérapeutique (wash-out) adaptée
- Patient participant à un autre programme d'accès compassionnel (autre que les corticoïdes) en cours ou à un programme clinique en cours
- Patient éligible à un essai clinique en cours pour la dystrophie musculaire de

Duchenne (DMD)

- Hypersensibilité à tout composant du médicament du PAC
- Intolérance au sorbitol ou une malabsorption du sorbitol, ou présenter une forme héréditaire d'intolérance au fructose Veuillez demander plus d'informations à votre médecin, si nécessaire.

Si le médecin du programme estime que votre enfant ne remplit pas tous les critères pour participer au programme, vous en serez informé(e) et vous pourrez en discuter avec lui pour définir la suite de la prise en charge de votre enfant.

Que se passera-t-il pendant le programme thérapeutique ?

La fréquence et le type des examens nécessaires en complément de la prise en charge habituellement recommandée seront à la discrétion du médecin et dans le meilleur intérêt pour la sécurité de votre enfant.

Si nécessaire, des évaluations pour s'assurer du suivi de la sécurité avec le médicament pourront être réalisées à des moments ou à une fréquence spécifique, selon la décision du médecin. Ces évaluations pourraient également être effectuées à proximité de votre domicile par un médecin local qualifié, sous la supervision et les conseils du médecin.

En général, lors d'une visite à l'hôpital, le médecin effectuera les évaluations standard conformément à la pratique clinique de prise en charge de la DMD et pourra également décider d'inclure ou non des examens et des tests supplémentaires selon l'état de santé de votre enfant. Les analyses de sang doivent être effectuées :

- Pour mesurer le nombre de cellules sanguines de votre enfant : avant de commencer le traitement par givinostat, toutes les 2 semaines pendant les 2 premiers mois de traitement, au 3ème mois, puis tous les 3 mois
- Pour mesurer également les triglycérides, un type de graisse dans le sang : avant de commencer le traitement par givinostat, au 3ème mois, au 6ème mois puis tous les 6 mois.

Les examens habituels de votre enfant comprendront notamment :

- ✓ Examen clinique, taille, poids, signes vitaux (tension artérielle, pouls et température).
- ✓ Analyses de sang, avec le de plaquettes et de triglycérides.
- ✓ Électrocardiogramme (ECG) pour mesurer l'activité électrique du cœur de votre enfant.
- ✓ Tests de mobilité fonctionnelle.
- ✓ Votre enfant devra répondre à des questions pour savoir comment il se sent.

Votre enfant ne devra pas passer l'ensemble de ces examens à toutes les visites. Le médecin pourra

vous expliquer ce qui se passe lors de chaque visite. Certains des examens pourraient être réalisées à proximité de votre domicile par un médecin ou par une infirmière. Les données personnelles d'identification (telles que le nom et l'adresse) seront transmises au médecin ou à l'infirmière locale par l'intermédiaire du médecin, et ne seront pas transmises au sponsor ou à un autre tiers. Dans tous les cas, le médecin décidera de la fréquence et du type d'examens requis pour veiller au mieux à la sécurité de votre enfant.

Au cours du programme d'accès compassionnel, vous devrez :

- ✓ Amener votre enfant à toutes les visites programmées par le médecin;
- ✓ Conserver le ou les flacons de givinostat dans votre réfrigérateur. Avant utilisation, agiter le flacon pendant au moins 30 secondes en effectuant une quarantaine de rotations de 180°. L'homogénéité de la suspension doit être vérifiée visuellement. Une agitation incorrecte peut entraîner un surdosage ou un sous-dosage. Prendre le médicament, selon les instructions, par voie orale deux fois par jour avec de la nourriture ;
- ✓ Suivre les instructions du médecin de votre enfant pour savoir si votre enfant peut continuer à prendre ses médicaments habituels ou d'autres médicaments sur ordonnance ou en vente libre pendant la période du programme ;
- ✓ Informer votre médecin de tout changement concernant les médicaments actuels de votre enfant, toute maladie ou blessure, tout effet indésirable inattendu ou gênant, ou tout problème survenant pendant le programme ;
- ✓ Informer votre médecin si votre enfant doit faire l'objet d'une intervention chirurgicale non urgente ou de tout autre traitement ou acte médical ;
- ✓ Vous assurer que le givinostat est tenu hors de la portée des enfants et des personnes qui ont une capacité limitée de lecture ou de compréhension. Votre enfant est la seule personne qui devra recevoir le givinostat ;
- ✓ Contacter si vous ou votre enfant avez la moindre question sur le programme après la signature du formulaire de consentement.

2. Avantages, options disponibles et coûts

Quels sont les avantages d'une participation à ce programme ?

Il n'y a aucune garantie que votre enfant tirera des bénéfices de sa participation. Toutefois, votre médecin vous expliquera les avantages et les risques potentiellement associés à la participation de votre enfant au programme.

Quelles sont les autres options disponibles que la participation à ce programme ?

Étant donné que la participation de votre enfant à ce programme se fait sur la base du volontariat, l'alternative serait pour votre enfant de ne pas participer au programme et de poursuivre sa prise en charge habituelle sous la supervision du médecin habituel.

Qui finance ce programme ?

Italfarmaco S.p.A. fournira l'accès au givinostat gratuitement aux patients inscrits à l'accès compassionnel pendant toute la durée du programme. Veuillez discuter avec votre médecin de tout autre coût pouvant être associé au traitement.

3. Risques et désagréments possibles

Le programme d'accès compassionnel peut comporter des risques imprévisibles, mais les risques connus sont énumérés ci-dessous.

Effets indésirables du médicament du programme

Effets secondaires possibles

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets secondaires, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Votre enfant pourrait présenter un ou plusieurs des effets secondaires suivants après la prise de givinostat :

Effets secondaires très fréquents (pouvant affecter plus d'1 personne sur 10) :

- douleurs abdominales
- diminution du nombre de plaquettes sanguines (thrombocytopénie)
- diarrhée
- augmentation du taux de lipides sanguins (hypertriglycémie)
- fièvre (pyrexie)
- vomissements

Effets secondaires fréquents (pouvant affecter jusqu'à 1 personne sur 10) :

- anxiété
- constipation
- diminution de l'appétit
- étourdissements
- rougeur cutanée (érythème)
- fatigue
- diarrhée et vomissements (gastro-entérite)
- accumulation de sang sous la peau (hématome)
- augmentation du taux de thyroïdostimuline (TSH) dans le sang
- douleurs articulaires (arthralgies)

- douleurs musculaires (myalgies)
- faiblesse musculaire
- éruption cutanée

Givinostat diminue le nombre de cellules sanguines dans le sang de votre enfant, notamment le nombre de plaquettes responsables de la coagulation sanguine (thrombocytopénie).

Votre médecin contrôlera le taux de plaquettes sanguines de votre enfant avant le traitement et régulièrement pendant toute la durée du traitement par givinostat.

Votre médecin pourra réduire la dose de votre enfant afin d'augmenter son taux de plaquettes ou interrompre le traitement par givinostat si la thrombocytopénie persiste.

Avertissez votre médecin si vous ou votre enfant remarquez des saignements inattendus.

Givinostat peut être associé à une augmentation du taux de lipides (triglycérides) dans le sang de votre enfant.

Votre médecin effectuera des analyses sanguines avant le début du traitement par givinostat et régulièrement pendant le traitement afin de contrôler son taux de triglycérides.

La dose de givinostat pourra être réduite en cas d'augmentation persistante du taux de lipides (triglycérides) dans le sang de votre enfant.

Votre pédiatre pourra interrompre le traitement si le taux de lipides (triglycérides) dans le sang de votre enfant ne diminue pas malgré les mesures diététiques et les réductions de dose.

Votre enfant peut présenter des diarrhées et des vomissements pendant le traitement par givinostat.

Votre pédiatre pourra ajuster la dose de givinostat en fonction de la gravité de la diarrhée ou arrêter le traitement si la diarrhée et les vomissements ne s'améliorent pas.

Votre pédiatre pourra envisager l'utilisation de médicaments pour traiter les vomissements, la diarrhée et éviter une perte excessive de liquides.

De fortes doses de givinostat (5 fois supérieures à la dose recommandée) peuvent provoquer des irrégularités du rythme cardiaque. Votre pédiatre évaluera si votre enfant peut utiliser givinostat en cas de risque accru d'anomalies du rythme cardiaque, de taux de minéraux anormaux ou d'utilisation concomitante d'autres médicaments.

Votre pédiatre pourra vérifier la fonction cardiaque de votre enfant au début du traitement par givinostat si votre enfant présente un problème cardiaque sous-jacent ou s'il prend des médicaments pouvant provoquer des irrégularités du rythme cardiaque.

Votre pédiatre pourra envisager d'arrêter le traitement par givinostat si le rythme cardiaque de votre enfant est irrégulier.

Contactez votre pédiatre, qui pourra interrompre le traitement par givinostat si l'une des affections ci-dessus apparaît.

Il se peut que votre enfant ne tire aucun bénéfice de sa participation à ce programme d'accès

compassionnel et ses symptômes de DMD pourraient s'aggraver.

Il peut y avoir des risques et des effets indésirables inconnus. Tous les médicaments comportent un risque de réaction allergique.

- Risques liés aux analyses de sang: les analyses de sang réalisées dans le cadre du programme nécessiteront le prélèvement de quelques millilitres de sang. Il est possible que votre enfant ressente une certaine douleur et présente une ecchymose au point d'insertion de l'aiguille. De plus, lors du prélèvement de sang, une veine peut présenter une inflammation ou, dans de rares cas, un caillot sanguin peut se former.
- Électrocardiogramme (ECG): les électrodes d'ECG placées sur la peau de votre enfant peuvent causer des démangeaisons, des rougeurs ou une légère éruption cutanée. Il pourrait être nécessaire de raser la zone de la poitrine de votre enfant pour la mise en place des électrodes d'ECG directement sur sa peau.

Tous les participants au programme seront étroitement surveillés pour déceler tout effet indésirable; toutefois, votre médecin ne connaît pas tous les effets que le médicament du programme pourrait avoir sur votre enfant. Il pourra prescrire à votre enfant des médicaments pour aider à réduire les effets indésirables. Ces effets indésirables peuvent être légers ou graves. Dans certains cas, ces effets indésirables pourraient être de longue durée, ou permanents, et pourraient même mettre la vie en danger.

Dans tous les cas, si vous observez des effets indésirables, contactez votre médecin ou contactez directement à la AFMPS (Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé) : www.notifieruneffetindesirable.be

Que se passera-t-il si mon enfant présente un problème ou subit un préjudice pendant sa participation au programme ?

Si l'état de santé de votre enfant est affecté ou s'il présente un préjudice pendant ou après ce traitement, veuillez contacter le médecin. Il prendra les mesures nécessaires pour votre enfant.

<Le centre de traitement> vous fournira le traitement médical d'urgence nécessaire si votre enfant présente une réaction physique ou subit un préjudice résultant de la prise du givinostat ou d'une intervention dans le cadre du traitement.

Vous ne renoncez à aucun de vos droits ni à ceux de votre enfant en signant ce formulaire.

Grossesse/Méthodes contraceptives (le cas échéant)

Si votre enfant peut être enceinte ou votre enfant a des rapports sexuels avec une partenaire en mesure de débuter une grossesse, lui et sa partenaire devront accepter d'utiliser des méthodes contraceptives hautement efficaces de manière systématique et correcte jusqu'à 3 mois après la prise de la dernière dose du médicament du programme par votre enfant. Le médecin discutera avec vous et votre enfant des méthodes contraceptives appropriées que lui et sa partenaire devront utiliser pendant ce programme.

Les méthodes de contraception acceptables comprennent un préservatif avec spermicide en plus de la partenaire féminine utilisant une méthode contraceptive acceptable, comme un contraceptif stéroïdien oral, transdermique, injectable ou implanté, ou un diaphragme, ou une méthode de contraception barrière en association avec un gel spermicide comme une cape cervicale avec gel spermicide.

L'abstinence totale (absence de tout rapport sexuel) est également une méthode contraceptive acceptable, lorsqu'elle est conforme au mode de vie préféré et habituel de l'enfant.

L'abstinence périodique (telle que la méthode du calendrier, de l'ovulation, symptothermique [il s'agit d'une méthode contraceptive naturelle qui consiste à s'abstenir de tout rapport sexuel les jours où une femme est fertile ou en mesure de débiter une grossesse] et post-ovulation) et le retrait ne sont pas des méthodes contraceptives acceptables.

Si votre enfant engendre ou pense avoir engendré une grossesse, ou si sa partenaire débute une grossesse ou pense être enceinte, pendant le programme ou dans les 3 mois suivant la prise de la dernière dose du médicament du programme par votre enfant, vous ou votre enfant devrez en informer immédiatement le médecin. Ce dernier pourra également poser des questions à votre enfant ou sa partenaire sur la grossesse et le bébé.

4. Décision de ne pas participer

Que se passera-t-il si je n'autorise pas mon enfant à participer au programme ?

Si vous refusez de laisser participer votre enfant au programme, cela n'aura aucune conséquence négative ni sur votre enfant, ni sur vous-même. Personne ne vous en voudra ou ne vous traitera, vous ou votre enfant, différemment qu'avant cette proposition de participer au programme.

La participation à ce programme est entièrement volontaire. La prise en charge médicale habituelle de votre enfant ne changera pas si vous décidez de ne pas autoriser votre enfant à participer au programme.

Mon enfant pourra-t-il quitter le programme après le début de sa participation ?

Oui. Même si vous acceptez d'autoriser votre enfant à participer au programme, celui-ci reste libre de le quitter à tout moment sans avoir à se justifier. Votre enfant ne sera pas pénalisé ou ne perdra aucun des bénéfices auxquels votre enfant a droit dans ce centre, si vous décidez de ne pas participer ou si vous décidez de quitter le programme.

Si vous décidez que votre enfant quitte le programme, vous devrez contacter le médecin qui expliquera la façon la plus sûre de mettre un terme à la participation de votre enfant.

Mon enfant pourra-t-il être retiré du programme même si nous souhaitons continuer à participer ?

Oui. Il se peut que le médecin mette fin à la participation de votre enfant au programme, même si vous ou votre enfant souhaitez poursuivre votre participation. Cela peut se produire dans les situations suivantes :

- ✓ Tout changement dans l'état de santé de votre enfant qui pourrait être lui être préjudiciable.
- ✓ Votre incapacité à suivre les instructions du médecin.
- ✓ Votre enfant n'est plus pris en charge par l'assurance
- ✓ Les programmes d'accès compassionnel permettent aux participants d'accéder à un médicament avant son approbation par les autorités de santé compétentes.
 - Si les autorités de santé compétentes n'accordent pas l'approbation pour le givinostat, Italfarmaco S.p.A. se réserve le droit de réviser ou d'interrompre le programme d'accès compassionnel.
 - Si le givinostat est approuvé et son remboursement autorisé par les autorités sanitaires dans la dystrophie musculaire de Duchenne, le programme d'accès compassionnel sera progressivement arrêté et l'accès au produit s'effectuera alors selon le régime de droit commun.

5. Confidentialité et vie privée

Comment protégez-vous la vie privée de mon enfant ?

Des informations concernant votre enfant seront recueillies dans le cadre du programme d'accès compassionnel. L'hôpital (nom indiqué en page 1 de cette note d'information) traitera et enregistrera les données à caractère personnel de votre enfant, en particulier les informations concernant sa santé, exclusivement afin de mettre en œuvre le programme et à des fins de vigilance pharmaceutique. Une liste complète mise à jour des organismes qui auront accès aux données de votre enfant sera mise à la disposition du médecin sur demande.

Les informations recueillies dans le cadre de ce programme seront traitées par des personnes qualifiées qui respecteront les exigences locales en matière de confidentialité et de sensibilité des données.

Tout sera mis en œuvre pour préserver la confidentialité de toutes les informations concernant votre enfant. Par conséquent, toutes les informations envoyées ou fournies en dehors de l'hôpital comporteront un numéro d'identification de patient à la place du nom de votre enfant.

Vous trouverez tous les détails concernant le traitement des données à caractère personnel de votre enfant dans la « Note d'information et déclaration de consentement au traitement des données à caractère personnel » jointe en tant qu'addendum A.

6. Autres questionnements

Me tiendrez-vous informer de tout élément qui pourrait me faire changer d'avis quant à la participation de mon enfant au programme d'accès compassionnel ?

Si de nouvelles informations éléments apparaissent pendant le programme qui pourraient affecter la sécurité de votre enfant et/ou votre volonté de laisser votre enfant participer au programme, vous en serez informé(e) dès que possible afin que vous puissiez décider de poursuivre ou de quitter le programme.

Que faire si j'ai une question ou une préoccupation ?

Avant, pendant et après le programme, vous et votre enfant devez-vous sentir libres de poser des questions sur le programme et les droits de votre enfant en tant que patient.

Qui puis-je appeler ?

Si vous ou votre enfant avez des questions concernant ce programme ou les droits de votre enfant, ou si à tout moment vous pensez que votre enfant a subi un préjudice lié au traitement ou une réaction au médicament du programme, vous devez contacter le médecin dont les coordonnées figurent en page 1 de cette note d'information.

Dans tous les cas, si vous observez des effets indésirables, contactez votre médecin ou contacter directement à la AFMPS (Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé) : www.notifieruneffetindesirable.be

Important

Ne signez pas le formulaire de consentement à moins d'avoir eu la possibilité de poser des questions et d'avoir reçu des réponses satisfaisantes à toutes vos questions.

La signature en votre nom de ce formulaire de consentement signifie que vous acceptez volontairement que votre enfant participe à ce programme.

Cet accord peut être retiré à tout moment.

Formulaire de consentement du parent ou du tuteur pour le programme d'accès compassionnel au givinostat

[insérer le nom du médecin]

[insérer l'adresse ou l'affiliation du

médecin] [insérer le numéro de

téléphone du médecin]

Titre du programme : Programme d'accès compassionnel (PAC) pour le traitement par givinostat chez les patients ambulants atteints de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) âgés de 6 ans et plus et recevant un traitement concomitant par corticostéroïdes.

- J'ai eu suffisamment de temps pour lire et comprendre la note d'information et ce formulaire de consentement. J'ai eu l'occasion de poser toutes les questions que j'avais au sujet du programme et j'ai obtenu des réponses satisfaisantes à toutes mes questions. Je comprends les risques et les bénéfices potentiels de la participation de mon enfant comme décrit dans la note d'information. En signant ce formulaire de consentement, je consens librement à ce que mon enfant soit traité par givinostat sous la direction du médecin. J'atteste également que, à ma connaissance, toutes les informations que j'ai données sur les antécédents médicaux de mon enfant sont vraies et exactes.
- Le programme a été expliqué à mon enfant en ma présence, dans un langage qu'il peut comprendre. Il a été encouragé à poser des questions, maintenant et à l'avenir, sur le programme. Si cela est approprié en raison de son âge, il a librement donné son assentiment (« accepté ») à participer à ce programme.
- Je comprends que mon enfant est libre de se retirer du programme à tout moment, pour quelque raison que ce soit. J'informerai le médecin s'il décide de se retirer afin que sa participation puisse être interrompue de manière ordonnée et que des soins futurs puissent être discutés.
- Je comprends que je serai informé(e) de tout renseignement qui pourrait avoir trait à la volonté de mon enfant de poursuivre le programme.
- Si mon enfant présente des symptômes ou des problèmes de santé physique ou mentale, j'en informerai le médecin.
- Je comprends que je recevrai un exemplaire signé et daté du présent formulaire de consentement à conserver.

- Mon consentement à la participation de mon enfant à ce programme ne me prive d'aucun des droits que la loi me confère en cas de négligence ou de toute autre faute légale de la part de toute personne impliquée dans ce programme. Rien dans la note d'information et le présent formulaire de consentement ne vise à modifier les lois locales en vigueur concernant le consentement éclairé.

Prénom et nom du parent ou du tuteur (en caractères d'imprimerie)

Signature du parent ou du tuteur

Date

Prénom et nom du second parent ou tuteur, le cas échéant (en caractères d'imprimerie)

Signature du second parent ou tuteur, le cas échéant

Date

Prénom et nom du médecin du programme ou de la personne recueillant le consentement (en caractères d'imprimerie)

Signature du médecin du programme ou de la personne recueillant le consentement

Date

Témoin impartial (si nécessaire)

Je suis un témoin impartial et j'étais présent(e) pendant toute la discussion sur le consentement éclairé. J'atteste que les informations contenues dans ce formulaire de consentement ont été expliquées avec précision à, et apparemment comprises par, __, et qu'il/elle a librement donné son consentement à la participation de son enfant.

Prénom et nom du témoin (en caractères d'imprimerie)

Signature du témoin

Date

ADDENDUM A
NOTE D'INFORMATION ET FORMULAIRE DE CONSENTEMENT SUR LA PROTECTION DES DONNÉES À
CARACTÈRE PERSONNEL
pour le traitement des données à caractère personnel

pour les parents/le tuteur légal

**POUR LE PROGRAMME D'ACCÈS COMPASSIONNEL (CUP) D'UN MÉDICAMENT NON AUTORISÉ
(GIVINOSTAT)**

Chers parents de ,

<Le centre de traitement> vous fournit les informations ci-dessous relatives au traitement des données à caractère personnel en raison de l'entrée en vigueur du nouveau Règlement (UE) 2016/67 du 25 mai 2018. Il s'agit d'informations concernant votre enfant qui seront recueillies par le <Centre de traitement> si vous acceptez la participation de votre enfant au programme d'accès compassionnel (CUP) d'un médicament non autorisé (givinostat) dont vous avez été informés par le biais de la note d'information et du formulaire de consentement dédiés que vous avez signés.

Notez bien que « données à caractère personnel » désigne toute information pouvant être utilisée pour identifier votre enfant et vous concernant.

1. Pourquoi devez-vous lire cette note d'information ?

Le <Centre de traitement> utilisera les informations concernant votre enfant, et vous avez le droit d'être informé sur ces informations, savoir à quelles fins elles seront utilisées, à qui elles pourraient être divulguées, etc. Après avoir été informés des conséquences liées à votre refus de consentir, vous serez libre de choisir d'autoriser ou non le <Centre de traitement> à traiter les données à caractère personnel de votre enfant.

2. Qui est le responsable du traitement de vos données à caractère personnel ?

Le responsable du traitement des données à caractère personnel de votre enfant est le <Centre de traitement>.

3. Autres entités participant au programme d'accès compassionnel (CUP)

Les autres entités participant au programme d'accès compassionnel (CUP), qui seront chargées du traitement des données à caractère personnel, sont les suivantes :

Nom de l'entité	Rôle dans le programme

La personne à contacter pour le traitement de vos données à caractère personnel, agissant au nom de, est <Centre de traitement>. Ses coordonnées sont les suivantes : <coordonnées>. Le <Centre de traitement> garantit que le traitement des données à caractère personnel est effectué en respectant les droits et libertés fondamentaux, et la dignité de la personne impliquée, avec une référence particulière à la confidentialité, à l'identité personnelle et au droit à la protection des données à caractère personnel, conformément aux dispositions du Règlement (UE) 2016/679, à la législation nationale italienne d'harmonisation avec ledit règlement et aux mesures prises par [l'autorité compétente en matière de protection des données].

Le numéro d'identification de patient codé de votre enfant, son poids et son âge seront envoyés à Italfarmaco S.p.A. et à des tiers (personnes et/ou sociétés) qui agissent en son nom pour la livraison du médicament.

4. Qui est le délégué à la protection des données (DPD) conformément à l'art. 13.1b du Règlement (UE) 2016/679 ?

DPD agissant au nom de <Centre de traitement>

Pour exercer vos droits, vous pouvez contacter le délégué à la protection des données, <nom> nommé par le <centre de traitement>, qui peut être contacté à l'adresse e-mail suivante : <adresse e-mail>.

5. De quelles données avons-nous besoin de votre part ?

Les données traitées par le <Centre de traitement> menant le programme d'accès compassionnel sont des données à caractère personnel ordinaires permettant de vous identifier, ainsi que des données appartenant à des catégories spéciales :

- données génétiques
- données biométriques
- données relatives à la santé
- données relatives à l'origine ethnique et raciale

- données relatives au mode de vie ou à l'orientation sexuelle

Notez bien que la fourniture de données à caractère personnel et spéciales qui font l'objet de ce programme d'accès compassionnel est nécessaire pour traiter les données de votre enfant aux fins de la conduite du programme susmentionné. Si vous ne fournissez pas les données correctement, la participation de votre enfant au programme d'accès compassionnel ne sera pas garantie.

Les données de votre enfant seront traitées à l'aide d'un code qui sera attribué à chaque patient.

Le responsable du traitement des données adoptera toutes les mesures techniques et organisationnelles pour assurer le respect du principe de minimisation des données tel que prévu par l'art. 89 du Règlement (UE) 2016/679.

6. Finalités du traitement de vos données à caractère personnel (art. 13.1.c du Règlement [UE] 2016/679)

Toutes les données à caractère personnel et sensibles que vous fournissez seront traitées par le responsable du traitement des données, sur la base d'une ou plusieurs des raisons légitimes suivantes :

- Consentement donné par la personne impliquée (art. 6.1, lettre a) et art. 9.2, lettre a) du Règlement [UE] 2016/679) ;
- Protection des intérêts vitaux de la personne impliquée et/ou de la communauté (art. 6.1, lettre d) du Règlement [UE] 2016/679) ;
- Le traitement est nécessaire pour protéger un intérêt vital de la personne impliquée ou d'une autre personne physique si la personne impliquée est physiquement ou légalement incapable de donner son consentement (art. 9.2, lettre a) du Règlement [UE] 2016/679) ;
- Le traitement est nécessaire pour des raisons d'intérêt public dans le secteur de la santé publique, telles que la protection contre les menaces transfrontalières graves pour la santé ou pour assurer des niveaux élevés de qualité et de sécurité dans les soins de santé, les médicaments et les dispositifs médicaux, sur la base du droit de l'Union européenne (UE) ou des États membres qui exige des mesures appropriées et spécifiques pour protéger les droits et libertés de la personne impliquée, en particulier le secret professionnel (art. 9.2, lettre i) du Règlement [UE] 2016/679).

Vous trouverez ci-dessous les finalités pour lesquelles les données à caractère personnel de votre enfant seront traitées :

- Inclusion dans les bases de données informatiques de la société ;
- Exécution, surveillance et progrès du programme d'accès compassionnel ;
- Réponse aux demandes spécifiques de la personne impliquée.

7. Destinataires possibles ou catégories de destinataires des données à caractère personnel (art. 13.1, lettre e) du Règlement [UE] 2016/679)

En cas de besoin, les données à caractère personnel de votre enfant pourront être partagées avec et transmises aux (c.-à-d. divulguées à un ou plusieurs sujets spécifiés), en plus des sujets énumérés au point 7 :

- sujets dont le droit d'accès aux données est accordé par la loi, la législation secondaire ou de l'UE, et les négociations collectives.

Les données à caractère personnel concernant l'état de santé, le mode de vie ou l'orientation sexuelle, l'origine ethnique ou raciale, les données génétiques et les données biométriques ne sont en aucun cas divulguées (c.-à-d. qu'elles ne sont divulguées de quelque manière que ce soit à différents sujets non spécifiés).

8. Transfert de données vers des pays non-membres de l'UE (art. 13.1, lettre f) du Règlement [UE] 2016/679)

(Compléter ou supprimer les sections suivantes, le cas échéant)

Les données à caractère personnel qui font l'objet du programme d'accès compassionnel ne seront pas divulguées à des tiers qui n'exercent pas leurs activités sur le territoire de l'UE.

Ou, dans le cas d'un responsable du traitement des données externe

Les données à caractère personnel qui font l'objet du programme peuvent être divulguées à des tiers qui n'exercent pas leurs activités sur le territoire de l'UE.

Pays qui garantissent un niveau adéquat de protection et de confidentialité

Les pays suivants garantissent un niveau adéquat de protection et de confidentialité des données à caractère personnel en vertu des articles 45, 46, 47 du Règlement (UE) 2016/679.

Pays	Décision d'adéquation	Garanties appropriées/adéquates

Pour les pays listés dans ce paragraphe, qui ne garantissent pas un niveau adéquat de protection et de sécurité des données, le transfert n'est possible que lorsque la personne impliquée donne son consentement (art. 49, paragraphe 1, lettre a)). Ces pays sont les suivants : ...

Les données à caractère personnel qui font l'objet du programme d'accès compassionnel seront transmises à l'aide du code généré et non en utilisant le nom.

9. Critères utilisés pour déterminer la durée de conservation (art. 13.2, lettre a) du Règlement [UE] 2016/679)

<Le centre de traitement> déclare qu'il conservera la documentation du programme d'accès compassionnel contenant les données à caractère personnel de votre enfant pendant **XXXX () ans** ; ou Les données à caractère personnel et les résultats médicaux de votre enfant seront archivés conformément à la législation locale après la fin ou l'arrêt prématuré du programme d'accès compassionnel, mais pourraient être conservés plus longtemps si les exigences réglementaires l'exigent.

10. Modalités de traitement des données

Les données, qui peuvent également être traitées à l'aide d'équipements électroniques, seront diffusées de manière strictement anonyme, par exemple dans des publications scientifiques et statistiques et lors de conférences scientifiques.

Vous pouvez, à tout moment et sans avoir à vous justifier, interrompre la participation de votre enfant au programme d'accès compassionnel ; dans ce cas, aucune autre donnée le concernant ne sera recueillie.

11. Vos droits (art. 13.2, lettre b) du Règlement [UE] 2016/679)

Nous vous informons que vous pouvez exercer à tout moment les droits suivants :

- Droit de révoquer votre consentement à tout moment, sans préjudice de la légalité du traitement, sur la base du consentement donné avant la révocation, conformément à l'art. 7.3 du Règlement (UE) 2016/679 ;
- Droit de demander au responsable du traitement des données, conformément à l'art. 15 du Règlement (UE) 2016/679, d'accéder aux données à caractère personnel ;
- Droit de demander au responsable du traitement des données, selon l'art. 16 du Règlement (UE) 2016/679, de modifier les données à caractère personnel, si cela n'est pas contraire à la réglementation en vigueur sur la conservation des données et la nécessité de protéger, en cas de litige juridique, les professionnels de santé qui les ont traitées ;
- Droit de demander au responsable du traitement des données, selon l'art. 17 du Règlement (UE) 2016/679, d'annuler les données à caractère personnel, si cela n'est pas contraire à la réglementation en vigueur sur la conservation des données et la nécessité de protéger, en cas de litige juridique, les professionnels de santé qui les ont traitées ;
- Droit de demander au responsable du traitement des données, conformément à l'art. 18 du Règlement (UE) 2016/679, de limiter le traitement des données à caractère personnel ;
- Droit d'opposition au traitement des données, conformément à l'art. 21 du Règlement (UE) 2016/679 ;

- Droit de demander au responsable du traitement des données, uniquement dans les cas prévus par l'art. 20 du Règlement (UE) 2016/679, que les données à caractère personnel soient transmises à un autre opérateur de santé dans un format lisible.

12. Droit de déposer une plainte (art. 13.2, lettre d) du Règlement (UE) 2016/679)

Vous aurez toujours le droit de déposer une plainte auprès de [*l'autorité de protection des données compétente*] afin d'exercer les droits de votre enfant ou pour toute autre question liée au traitement des données à caractère personnel.

2. DÉCLARATION DE CONSENTEMENT

Je soussigné(e) (prénom et nom) _____

né(e) à _____ le _____

Code postal _____

lieu de résidence (municipalité, province, département) _____

adresse _____

À titre personnel ou en déclarant sous ma propre responsabilité agir en tant que
(cochez la case appropriée) :

Parents de _____ (pour les mineurs)

Soins parentaux de _____ (pour les mineurs)

OUI, j'accepte ou **NON, je n'accepte pas** que les données à caractère personnel de mon enfant soient recueillies et traitées au cours du programme par le médecin du programme ou son personnel et la personne autorisée par les autorités de santé et juridiques, comme décrit et conformément à la procédure définie dans le présent document.

OUI, j'accepte ou **NON, je n'accepte pas** que les données à caractère personnel de mon enfant (comme indiqué à la section 3) soient envoyées à Italfarmaco S.p.A., et à des tiers (personnes et/ou sociétés) qui agissent en son nom pour la livraison du médicament.

OUI, j'accepte ou **NON, je n'accepte pas** que les données à caractère personnel de mon enfant soient transférées hors de l'UE aux fins décrites dans le présent document. Je sais que les lois de ces pays pourraient ne pas fournir le même niveau de protection des données que dans mon pays. J'accepte le traitement et la conservation de mes données à caractère personnel codées dans ces pays tiers.

Je soussigné(e) (prénom et nom) _____
né(e) à _____ le _____

Code postal _____

lieu de résidence (municipalité, province, département) _____

adresse _____

À titre personnel ou en déclarant sous ma propre responsabilité agir en tant que (cochez la case appropriée) :

Parents de _____ (pour les mineurs)

Soins parentaux de _____ (pour les mineurs)

OUI, j'accepte ou **NON, je n'accepte pas** que les données à caractère personnel de mon enfant soient recueillies et traitées au cours du programme par le médecin du programme ou son personnel et la personne autorisée par les autorités de santé et juridiques, comme décrit et conformément à la procédure définie dans le présent document.

OUI, j'accepte ou **NON, je n'accepte pas** que les données à caractère personnel de mon enfant (comme indiqué à la section 3) soient envoyées à Italfarmaco S.p.A., et à des tiers (personnes et/ou sociétés) qui agissent en son nom pour la livraison du médicament.

OUI, j'accepte ou **NON, je n'accepte pas** que les données à caractère personnel de mon enfant soient transférées hors de l'UE aux fins décrites dans le présent document. Je sais que les lois de ces pays pourraient ne pas fournir le même niveau de protection des données que dans mon pays. J'accepte le traitement et la conservation de mes données à caractère personnel codées dans ces pays tiers.

Aanbevolen sjabloon voor informatieblad voor Compassionate Use Programma voor Duchenne spierdystrofie (DMD)

Voor ouders/wettelijke voogden

Programmatitel:	Givinostat Compassionate Use Programma (CUP) voor de behandeling van ambulante patiënten van 6 jaar en ouder met Duchenne spierdystrofie (DMD) en met gelijktijdige behandeling met corticosteroïden.
Fabrikant:	Italfarmaco S.p.A.
Naam arts:	[naam invoegen]
Adres of affiliatie van de arts	[adres invoegen]
Waar u naartoe gaat voor uw bezoeken in dit programma:	[naam en adres van centrum invoegen]
Telefoonnummer arts voor overdag:	[telefoonnummer invoegen]

Belangrijke informatie over dit Compassionate Use Programma (CUP)

Instructies voor ouder of voogd: Dit informatieblad en toestemmingsformulier geeft u belangrijke informatie die u zal helpen beslissen of u wilt dat uw kind meedoet aan dit CUP.

Neem de tijd en bespreek het gerust met uw kind en familie of vrienden. Als u vragen heeft over iets in dit formulier, stel deze dan aan het team van het CUP. Als u later vragen heeft, neem dan contact op met uw arts op het hierboven vermelde telefoonnummer.

Behandeling in het CUP is uitsluitend voor mensen die daar vrijwillig voor kiezen. Het is uw keuze of u wilt dat uw kind aan dit programma meedoet. Neem de tijd om een beslissing te nemen over deelname. U kunt uw beslissing bespreken met uw familie, vrienden en medisch team.

U kunt dit informatieblad en een niet-ondertekend exemplaar van het toestemmingsformulier meenemen naar huis en met familie of vrienden bespreken voordat u een beslissing neemt.

1. Achtergrond

Wat is een Compassionate Use Programma (CUP)?

Compassionate Use wordt soms ook "gebruik in schrijnende gevallen" genoemd. Het is een potentiële manier voor een patiënt met een ernstige of levensbedreigende ziekte of aandoening om een experimenteel medisch product te proberen als behandeling buiten klinische onderzoeken wanneer er geen vergelijkbare of bevredigende behandelingen beschikbaar zijn.

Met dit CUP wordt het geneesmiddel givinostat beschikbaar gesteld voor de mogelijke behandeling van ambulante Duchenne spierdystrofie patiënten van 6 jaar en ouder en met gelijktijdige behandeling met corticosteroiden. Italfarmaco S.p.A. biedt givinostat gratis aan voor patiënten die zijn geregistreerd in dit CUP voor de duur van de deelname aan het programma.

Tijdens dit programma wordt uw kind behandeld en opgevolgd door een arts die gespecialiseerd is in de behandeling van DMD en er kan doorgedaan worden met de standaardbehandeling voor DMD, waaronder corticosteroiden.

Uw kind kan echter niet gelijktijdig meedoen aan een ander CUP, klinisch onderzoek of een ongeautoriseerd geneesmiddel voor DMD of een ander geneesmiddel voor DMD gebruiken, behalve corticosteroiden.

Waarom wordt dit CUP aangeboden aan mijn kind?

Uw kind wordt door zijn behandelend arts gevraagd om mee te doen aan dit CUP omdat het Duchenne spierdystrofie (DMD) heeft, een ziektekostenverzekering heeft, in België woont en er geen andere vergelijkbare of bevredigende behandeling voor hem beschikbaar is. Dit betekent dat uw kind niet in aanmerking komt voor deelname aan een lopend klinisch onderzoek met givinostat of een ander lopend klinisch onderzoek en geen kandidaat is voor een goedgekeurde of standaard-DMD-behandelingsoptie, behalve voor corticosteroiden die beschikbaar zijn op het moment van opname in dit programma.

De deelname van uw kind aan dit programma is vrijwillig. Als u besluit om uw kind niet aan dit programma te laten meedoen, kan uw kind doorgaan met zijn huidige medische zorg.

Is givinostat gebruikt in klinische onderzoeken?

Givinostat is een ongeautoriseerd geneesmiddel dat in klinische onderzoeken is onderzocht en is goedgekeurd door de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) en is goedgekeurd door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA). Dit betekent dat de goedkeuring om het geneesmiddel in Europa op de markt te brengen is verleend. Tot nu toe hebben meer dan 200 patiënten met DMD givinostat gekregen binnen de klinische onderzoek setting.

Activiteiten in het CUP

Wat gebeurt er als ik besluit om mijn kind aan het programma te laten meedoen?

Voordat er tests en procedures in verband met het programma kunnen worden uitgevoerd, wordt u gevraagd om dit informatieblad te lezen en het toestemmingsformulier te ondertekenen. Daarnaast wordt uw kind, indien gepast, gevraagd om zijn instemming te geven.

Houd er rekening mee dat als uw kind tijdens deelname aan het programma meerderjarig wordt, uw kind zal worden gevraagd om te bevestigen of het wel of niet instemt met deelname aan het programma, en dat uw kind een nieuw toestemmingsformulier zal ondertekenen als het wil doorgaan.

De behandelend arts zal een aantal tests en beoordelingen bij uw kind uitvoeren om te bepalen of uw kind voldoet aan de vereisten voor deelname, evenals de standaardbeoordelingen volgens de klinische DMD-praktijk.

Uw kind moet voldoen aan de volgende inclusiecriteria:

- Bevestigde diagnose van DMD bij ambulante patiënten van 6 jaar en ouder met gelijktijdige behandeling met corticosteroiden.
- De patiënt komt niet in aanmerking voor een goedgekeurde en vergoede of standaardbehandeling met farmacologische DMD-therapie, met uitzondering van corticosteroiden, die beschikbaar is op het moment van inclusie.
- De patiënt moet bereid zijn adequate anticonceptie te gebruiken.
- Zorgverzekering en woonplaats van de patiënt in het betreffende land.

De volgende exclusiecriteria zijn van toepassing op uw kind:

- Patiënten met een bloedplaatjesaantal van minder dan $150 \times 10^9/l$
- Nuchtere triglyceriden $> 300 \text{ mg/dl}$
- Gelijktijdige behandeling met een ander DMD-medicijn (onderzoeksgeneesmiddel of geregistreerd geneesmiddel) dan corticosteroiden
- Eerdere blootstelling aan een ander DMD-medicijn (onderzoeksgeneesmiddel of geregistreerd geneesmiddel) dan corticosteroiden zonder adequate washout.
- De patiënt neemt deel aan een andere CUP of een lopende klinische studie.
- Overgevoeligheid voor de bestanddelen van het CUP-medicijn.
- Een sorbitolintolerantie of sorbitolmalabsorptie hebben of de erfelijke vorm van fructose-intolerantie hebben. Vraag indien nodig meer informatie aan uw arts.

Als de programma-arts beoordeelt dat uw kind niet voldoet aan alle vereisten voor deelname aan het programma, wordt u hierover geïnformeerd en kunt u de volgende stappen voor uw kind met hem/haar bespreken.

Wat gebeurt er tijdens het behandelingsprogramma?

De frequentie en het type beoordelingen buiten de aanbevolen zorgstandaard vallen onder het oordeel van de behandelend arts en in het belang van de veiligheid van uw kind.

Indien nodig kunnen veiligheidsbeoordelingen worden uitgevoerd op/met specifieke tijdstippen/frequentie, volgens de beslissing van de behandelend arts. Deze beoordelingen kunnen ook dicht bij u thuis worden uitgevoerd door een lokaal gekwalificeerde arts, onder toezicht/advies van de behandelend arts.

Meestal voert de behandelend arts bij een ziekenhuisbezoek de standaardbeoordelingen uit volgens de klinische DMD-praktijk en kan hij ook beslissen of hij extra onderzoeken/tests doet aan de hand van de gezondheidstoestand van uw kind. De bloedtesten moeten worden uitgevoerd vóór de start van de behandeling met givinostat, elke 2 weken gedurende de eerste 2 maanden van de behandeling, in maand 3, en daarna elke 3 maanden om het aantal bloedcellen van uw kind te meten; vóór de start van de behandeling met givinostat, in de derde maand, in de zesde maand en vervolgens elke 6 maanden om ook de triglyceriden, een soort vet in het bloed te meten.

Standaardbeoordelingen voor uw kind omvatten, maar zijn niet beperkt tot:

- ✓ Lichamelijk onderzoek, lengte, gewicht, vitale functies (bloeddruk, hartslag, temperatuur)
- ✓ Bloedonderzoek, waaronder het aantal bloedplaatjes en triglyceriden
- ✓ Elektrocardiogram (ECG) om de elektrische activiteit van het hart van uw kind te meten
- ✓ Functionele bewegingstests.
- ✓ Uw kind vragen stellen over hoe het zich voelt.

Niet al deze dingen zullen bij alle bezoeken gebeuren. De arts kan u meer vertellen over welke dingen er bij elk bezoek gebeuren. Sommige van de beoordelingen kunnen door een plaatselijke arts of verpleegkundige dicht bij u thuis plaatsvinden. Overdracht van de identificerende persoonsgegevens (zoals naam en adres) wordt via de arts naar de plaatselijke arts of verpleegkundige gestuurd en niet aan de sponsor of een andere derde partij. In elk geval zal de behandelend arts beslissen over de frequentie en het type beoordeling, in het belang van de veiligheid van uw kind.

Tijdens deelname in het CUP wordt u het volgende gevraagd:

- ✓ Breng uw kind mee naar alle bezoeken, zoals gepland door de behandelend arts.
- ✓ Bewaar de fles(sen) givinostat thuis in de koelkast. Schud de fles vóór gebruik minimaal 30 seconden door deze ongeveer 40 keer 180° te draaien en controleer visueel of de suspensie homogeen is. Onjuist schudden kan leiden tot over- of onderdosering. Dien de suspensie tweemaal daags oraal toe, zoals voorgeschreven, met voedsel.

- ✓ Volg de instructies van uw behandelend arts over of uw kind zijn reguliere geneesmiddelen of andere voorgeschreven of zonder recept verkrijgbare geneesmiddelen mag blijven gebruiken tijdens de programmaperiode.
- ✓ Vertel uw behandelend arts over eventuele veranderingen in de huidige medicatie, ziekten of letsels van uw kind, onverwachte of vervelende bijwerkingen of problemen die zich tijdens het programma voordoen.
- ✓ Vertel het uw behandelend arts als uw kind van plan is een operatie of andere medische behandeling of procedure te ondergaan.
- ✓ Zorg ervoor dat givinostat buiten het bereik wordt gehouden van kinderen en mensen met een beperkt vermogen om te lezen of te begrijpen. Uw kind is de enige persoon die givinostat mag krijgen.
- ✓ Neem contact op met uw behandelend arts als u of als uw kind vragen heeft over het programma nadat u het toestemmingsformulier heeft ondertekend.

2. Voordelen, beschikbare opties en kosten

Wat zijn de voordelen van deelname aan dit programma?

Er is geen garantie dat uw kind er baat bij zal hebben. Uw behandelend arts zal echter de mogelijke voordelen en risico's in verband met de deelname van uw kind aan het programma uitleggen.

Welke andere opties zijn er beschikbaar als we niet deelnemen aan dit programma?

Omdat de deelname van uw kind aan dit programma vrijwillig is, is het alternatief om niet mee te doen aan het programma en de reguliere zorg onder toezicht van de behandelend arts van uw kind voort te zetten.

Wie betaalt dit programma?

Italfarmaco S.p.A. biedt gedurende het gehele programma gratis toegang tot givinostat voor patiënten die in dit CUP zijn geregistreerd. Bespreek met uw behandelend arts eventuele andere kosten die verband kunnen houden met de behandeling.

3. Risico's en mogelijke ongemakken

Het CUP kan risico's met zich meebrengen die niet te voorzien zijn, maar de bekende risico's staan hieronder vermeld.

Mogelijke bijwerkingen

Zoals alle geneesmiddelen kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. U kunt een of meer van de volgende bijwerkingen ervaren na het innemen van givinostat:

Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen bij meer dan 1 op de 10 personen voorkomen):

- buikpijn
- verlaging van het aantal bloedplaatjes (trombocytopenie)
- diarree
- verhoogde bloedvetwaarden (hypertriglyceridemie)
- koorts (pyrexie)
- braken

Vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen bij maximaal 1 op de 10 personen voorkomen):

- angst
- constipatie
- verminderde eetlust
- duizeligheid
- roodheid van de huid (erytheem)
- vermoeidheid
- diarree en braken (gastro-enteritis)
- ophoping van bloed onder de huid (hematoom)
- verhoogde concentraties thyreoïdstimulerend hormoon (TSH) in het bloed
- gewrichtspijn (artralgie)
- spierpijn (myalgie)
- spierzwakte
- huiduitslag

Givinostat verlaagt het aantal bloedcellen in het bloed van uw kind, met name het aantal bloedplaatjes dat verantwoordelijk is voor de bloedstolling (een aandoening die trombocytopenie wordt genoemd).

Uw arts zal het bloed van uw kind controleren op bloedplaatjes vóór de behandeling en regelmatig gedurende de gehele behandeling met givinostat.

Uw arts kan de dosis van uw kind verlagen om het aantal bloedplaatjes te verhogen of de behandeling met givinostat stopzetten als de trombocytopenie aanhoudt.

Informeer uw arts als u of uw kind een onverwachte bloeding opmerkt.

Givinostat kan in verband worden gebracht met verhoogde vetgehaltes (triglyceriden) in het bloed van uw kind.

Uw arts zal bloedonderzoek doen voordat uw kind met givinostat begint en regelmatig tijdens de behandeling om uw triglyceridengehalte te controleren.

De dosis givinostat kan worden verlaagd bij een aanhoudende stijging van de vetgehaltes (triglyceriden) in het bloed van uw kind.

Uw kinderarts kan de behandeling stopzetten als de vetgehaltes (triglyceriden) in het bloed van uw kind niet dalen ondanks dieetmaatregelen en dosisverlagingen.

Uw kind kan last krijgen van diarree en braken tijdens het gebruik van givinostat.

Uw kinderarts kan de dosis givinostat aanpassen op basis van de ernst van de diarree of de behandeling stopzetten als de diarree en het braken niet verbeteren.

Uw kinderarts kan het gebruik van geneesmiddelen overwegen om braken en diarree te behandelen en overmatig vochtverlies te voorkomen.

Hoge doses givinostat (5 keer hoger dan de aanbevolen dosis) kunnen een onregelmatige hartslag veroorzaken. Uw arts zal overwegen of uw kind givinostat kan gebruiken als er een verhoogd risico is op een abnormale hartslag, abnormale mineraalwaarden in het lichaam van uw kind of gelijktijdig gebruik van andere geneesmiddelen.

Uw (kinder)arts kan de hartfunctie van uw kind controleren bij het starten met givinostat als uw kind een onderliggend hartprobleem heeft of als uw kind geneesmiddelen gebruikt die een onregelmatige hartslag kunnen veroorzaken.

Uw (kinder)arts kan overwegen de behandeling met givinostat te stoppen als de hartslag van uw kind onregelmatig blijkt te zijn.

Neem contact op met uw (kinder)arts, die de behandeling met givinostat voor uw kind kan stopzetten als een van de bovenstaande aandoeningen optreedt.

Het is mogelijk dat uw kind geen voordeel ondervindt van deelname aan dit CUP en dat DMD-symptomen kunnen verergeren.

Er kunnen risico's en bijwerkingen zijn die onbekend zijn. Alle geneesmiddelen hebben een mogelijk risico op een allergische reactie.

Risico's van bloedonderzoek: Voor de bloedtesten in het programma wordt een paar ml bloed afgenomen. Het is mogelijk dat uw kind wat pijn voelt en een blauwe plek krijgt op de plaats van de naaldprik. Soms kan er tijdens bloedonderzoek ook een ader ontstoken raken of, in zeldzame gevallen, kan er een bloedstolsel ontstaan.

Elektrocardiogram (ECG): ECG-plakkers die op de huid van uw kind worden geplaatst, kunnen jeuk, roodheid of een lichte huiduitslag veroorzaken. Het kan nodig zijn om het gebied op de borst van uw kind te scheren om de ECG-plakkers rechtstreeks op de huid te plaatsen.

Alle deelnemers aan het programma worden nauwlettend gecontroleerd op bijwerkingen; uw behandelend arts kent echter niet alle effecten die het geneesmiddel van het programma op uw kind kan hebben. Uw behandelend arts kan uw kind geneesmiddelen geven om bijwerkingen te helpen verminderen. Deze bijwerkingen kunnen licht of ernstig zijn. In sommige gevallen kunnen deze bijwerkingen langdurig of permanent zijn en zelfs levensbedreigend.

Indien u bijwerkingen constateert, neem dan contact op met de behandelend arts of neem rechtstreeks contact op met het FAGG (Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten): www.eenbijwerkingmelden.be.

Wat gebeurt er als mijn kind een probleem heeft of gewond raakt tijdens deelname aan het programma?

Als de gezondheid van uw kind wordt aangetast of als er schade optreedt tijdens of na deze behandeling, neem dan contact op met de behandelend arts. Zij zullen de noodzakelijke stappen voor uw kind starten.

<Behandelcentrum > zal u de nodige medische spoedbehandeling bieden als uw kind een lichamelijke reactie of letsel oploopt als gevolg van givinostat of een procedure die vereist is voor deze behandeling.

Door dit formulier te ondertekenen, doet u geen afstand van uw rechten of die van uw kind.

Zwangerschap/anticonceptiemethoden (indien van toepassing)

Als uw kind zwanger kan worden of als uw kind seksueel actief is met een partner die kinderen kan krijgen, moeten beiden bereid zijn om consequent en correct zeer effectieve anticonceptiemethoden te gebruiken tot 3 maanden nadat uw kind de laatste dosis van het geneesmiddel van het programma heeft ingenomen. De behandelend arts zal met u en uw kind de juiste anticonceptiemethoden bespreken die hij en zijn partner tijdens dit programma moeten gebruiken.

Aanvaardbare anticonceptiemethoden zijn een condoom met zaaddodend middel, terwijl de vrouwelijke partner een aanvaardbare anticonceptiemethode gebruikt, zoals een orale, transdermale, injecteerbare of geïmplanteerde steroïde gebaseerde anticonceptiemethode, of een pessarium of een barrièremethode in combinatie met zaaddodende gel, zoals een cervixkapje met zaaddodende gel.

Volledige onthouding (afwezigheid van geslachtsgemeenschap) is ook een acceptabele anticonceptiemethode, indien in overeenstemming met de geprefereerde en gebruikelijke levensstijl van het kind. Periodieke onthouding (zoals kalender-, ovulatie-, symptothermale [is een natuurlijke anticonceptiemethode door onthouding van geslachtsgemeenschap op dagen dat een vrouw vruchtbaar is of zwanger kan worden], postovulatiemethoden) en terugtrekking zijn geen aanvaardbare anticonceptiemethoden.

Als uw kind of de partner van uw kind zwanger wordt of denkt zwanger te zijn tijdens het programma of binnen 3 maanden nadat uw kind de laatste dosis van het geneesmiddel in het programma heeft genomen, moet u of uw kind dit onmiddellijk aan de behandelend arts vertellen. De behandelend arts kan uw kind of de partner van uw kind ook vragen stellen over zwangerschap en baby.

4. Beslissen om niet deel te nemen

Wat gebeurt er als ik mijn kind niet aan het programma laat meedoen?

Er zal niets ergs met u of uw kind gebeuren als u nee zegt. Niemand zal boos op u zijn of u of uw kind anders behandelen dan voordat u werd gevraagd om aan het programma mee te doen.

Deelname aan dit programma is geheel vrijwillig. De gebruikelijke medische zorg van uw kind zal niet veranderen als u besluit om uw kind niet aan het programma te laten meedoen.

Kan mijn kind het programma verlaten nadat het is begonnen?

Ja. Zelfs als u ermee akkoord gaat om uw kind aan het programma te laten meedoen, staat het uw kind nog steeds vrij om het programma op elk moment te verlaten zonder een reden op te geven. Er zal ook geen boete of verlies van voordelen zijn waarop uw kind recht heeft in dit centrum als u besluit om niet deel te nemen of als u besluit om het programma te verlaten.

Als u besluit dat uw kind het programma verlaat, moet u contact opnemen met de behandelend arts die de veiligste manier zal uitleggen om de deelname van uw kind te beëindigen.

Kan mijn kind uit het programma worden gehaald, zelfs als we willen doorgaan?

Ja. Soms moet de behandelend arts de deelname van uw kind aan het programma beëindigen, ook al wilt u of uw kind eraan blijven deelnemen. Dit kan gebeuren als:

- ✓ Er een verandering is in de medische toestand van uw kind die schadelijk kan zijn voor uw kind.
- ✓ De instructies van de behandelend arts niet worden opgevolgd.
- ✓ Uw kind niet langer voldoet aan de geschiktheidscriteria van de zorgverzekering van het programma.
- ✓ Programma's zoals CUP stellen deelnemers in staat om toegang te krijgen tot een geneesmiddel voordat de goedkeuring ervan door de bevoegde instanties is verkregen.
- ✓ Als de bevoegde instanties de goedkeuring voor givinostat niet verlenen, behoudt Italfarmaco SpA zich het recht voor om het CUP te herzien of stop te zetten.
- ✓ Als givinostat wordt goedgekeurd en wordt geautoriseerd door de gezondheidsautoriteiten voor terugbetaling voor Duchenne Spierdystrofie, zal het Compassionate Use Programma geleidelijk worden afgeschaft en zal de toegang tot het product dan onder het normale systeem vallen.

5. Vertrouwelijkheid en privacy

Hoe beschermen jullie de privacy van mijn kind?

Informatie over uw kind wordt verzameld als onderdeel van het CUP. Het ziekenhuis (naam wordt aangegeven op pagina 1 van dit informatieblad) verwerkt en registreert de persoonsgegevens van uw kind, met name informatie met betrekking tot de gezondheid van uw kind, uitsluitend om het programma te implementeren en voor farmaceutische waakzaamheid. Een volledige bijgewerkte lijst van de organisaties die toegang zullen hebben tot de gegevens van uw kind zal op verzoek beschikbaar zijn voor de behandelend arts.

De informatie die in dit programma wordt verzameld, wordt behandeld door gekwalificeerde mensen die de lokale vereisten voor vertrouwelijkheid en gevoeligheid van de gegevens zullen volgen.

Alles zal in het werk worden gesteld om alle informatie over uw kind privé te houden. Daarom zal alle informatie die buiten het ziekenhuis wordt verzonden/verstrekt, alleen een gecodeerd patiëntidentificatienummer tonen in plaats van de naam van uw kind.

U vindt de volledige details over de verwerking van de persoonsgegevens van uw kind in de "Informatieve mededeling en toestemmingsverklaring voor de verwerking van persoonsgegevens" bijgevoegd als Addendum A.

6. Andere zorgen

Informeert u mij over alle zaken die mijn beslissing over deelname van mijn kind aan het CUP kunnen beïnvloeden?

Als er tijdens het programma nieuwe bevindingen naar voren komen die van invloed kunnen zijn op de veiligheid van uw kind en/of uw bereidheid om uw kind aan het programma te laten deelnemen, wordt u zo snel mogelijk op de hoogte gebracht, zodat u kunt beslissen of u wilt doorgaan of het programma wilt verlaten.

Wat als ik een vraag of zorg heb?

U en uw kind mogen gerust vragen stellen over het programma en de rechten van uw kind als patiënt voor, tijdens en na het programma.

Wie kan ik bellen?

Als u of uw kind vragen heeft over dit programma of de rechten van uw kind, of als u op enig moment denkt dat uw kind een behandelingsgerelateerd letsel of een reactie op het geneesmiddel van het programma heeft, moet u contact opnemen met de behandelend arts wiens gegevens worden vermeld op pagina 1 van dit informatieblad. Wanneer u of uw kind een bijwerking waarneemt, neem dan contact op met de behandelend arts, of neem rechtstreeks contact op met het FAGG (Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten): www.eenbijwerkingmelden.be. neem rechtstreeks contact op met het FAGG (Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten): www.eenbijwerkingmelden.be.

Belangrijk

Onderteken het toestemmingsformulier niet voordat u de kans heeft gehad om vragen te stellen en bevredigende antwoorden heeft gekregen op al uw vragen.

Het ondertekenen van uw naam op het toestemmingsformulier betekent dat u vrijwillig akkoord gaat met deelname van uw kind aan dit programma. Deze overeenkomst kan te allen tijde worden ingetrokken.

Toestemmingsformulier voor ouders of voogd voor het givinostat-CUP

[naam arts invoegen]

[adres of affiliatie van arts invoegen]

[telefoonnummer van arts invoegen]

Programmatitel: Compassionate Use Programma (CUP) voor de behandeling met givinostat bij ambulante patiënten van 6 jaar en ouder met Duchenne spierdystrofie DMD en met gelijktijdige behandeling met corticosteroiden.

- Ik heb voldoende tijd gekregen om het informatieblad en dit toestemmingsformulier te lezen en te begrijpen. Ik heb de gelegenheid gekregen om alle vragen te stellen die ik over het programma had, en alle vragen die ik heb gesteld zijn naar mijn tevredenheid beantwoord. Ik begrijp de mogelijke risico's en voordelen van de deelname van mijn kind zoals beschreven in het informatieblad. Door dit toestemmingsformulier te ondertekenen, geef ik vrijwillig toestemming voor de behandeling van mijn kind met givinostat onder leiding van de behandelend arts. Ik verklaar ook dat, naar mijn beste weten, alle informatie die ik heb gegeven over de medische voorgeschiedenis van mijn kind waar en juist is.
- Het programma is in mijn aanwezigheid aan mijn kind uitgelegd in een taal die hij kan begrijpen. Hij is aangemoedigd om vragen te stellen, zowel nu als in de toekomst, over het programma. Indien passend voor deze leeftijd, heeft hij vrijwillig ingestemd ('akkoord gegaan') met deelname aan dit programma.
- Ik begrijp dat mijn kind zich op elk moment en om welke reden dan ook uit het programma kan terugtrekken. Ik zal de behandelend arts op de hoogte stellen als mijn kind besluit om zich terug te trekken, zodat de deelname op een ordelijke manier kan worden beëindigd en toekomstige zorg kan worden besproken.
- Ik begrijp dat ik zal worden geïnformeerd over alle informatie die betrekking kan hebben op de bereidheid om door te gaan met het programma.
- Als mijn kind lichamelijke of geestelijke gezondheidssymptomen of problemen heeft, zal ik dit aan de behandelend arts vertellen.
- Ik begrijp dat ik een ondertekend en gedateerd exemplaar van dit toestemmingsformulier zal ontvangen voor mijn administratie.
- Mijn toestemming voor deelname van mijn kind aan dit programma doet geen afbreuk aan wettelijke rechten in geval van nalatigheid of andere wettelijke schuld van iemand die bij dit programma betrokken is. Niets in het informatieblad en dit toestemmingsformulier is bedoeld om toepasselijke lokale wetten met betrekking tot geïnformeerde toestemming te

wijzigen.

Voor- en achternaam van ouder of voogd (in blokletters)

Handtekening van ouder of voogd

Datum

Voor- en achternaam van tweede ouder of voogd,
indien van toepassing (in blokletters)

Handtekening van tweede ouder of voogd,
indien van toepassing

Datum

Voor- en achternaam van de programma-arts of de
persoon die de toestemmingsprocedure leidt
(blokletters)

Handtekening van de programma-arts of de persoon
die de toestemmingsprocedure leidt

Datum

Onpartijdige getuige (indien nodig)

Ik ben een onpartijdige getuige en was aanwezig tijdens het gehele gesprek over geïnformeerde toestemming. Ik verklaar dat de informatie in dit toestemmingsformulier nauwkeurig is uitgelegd aan en klaarblijkelijk is begrepen door, _____, en dat hij/zij vrijwillig toestemming heeft gegeven voor deelname van zijn/haar kind.

Voor- en achternaam van de getuige (in blokletters)

Handtekening van de getuige

Datum

ADDENDUM A
INFORMATIEBLAD EN TOESTEMMINGSFORMULIER VOOR BESCHERMING VAN
PERSOONSgegevens

voor de verwerking van persoonsgegevens

voor ouders/wettelijke vertegenwoordiger

VOOR PROGRAMMA VOOR HET COMPASSIONATE USE PROGRAMMA (CUP) VAN EEN ONGEAUTORISEERD GENEESMIDDEL (GIVINOSTAT)
--

Beste ouders van ,

<Behandelcentrum> biedt u de onderstaande informatie met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens als gevolg van de inwerkingtreding van nieuwe Verordening (EU) 2016/67 op 25 mei 2018. Dit is informatie over uw kind die wordt verzameld door het <Behandelcentrum> als u akkoord gaat met deelname van uw kind aan het Compassionate Use Programma (CUP) van een ongeautoriseerd geneesmiddel (Givinostat) waarover u bent geïnformeerd via het speciale informatieblad en toestemmingsformulier dat u heeft ondertekend.

Houd er rekening mee dat "persoonsgegevens" alle informatie betekent die kan worden gebruikt om uw kind te identificeren en dat het daarom ook betrekking heeft op u.

1. Waarom moet u dit informatieblad lezen?

Het <Behandelcentrum > zal de informatie over uw kind gebruiken en u heeft het recht om geïnformeerd te worden over welke informatie het is, voor welke doeleinden deze zal worden gebruikt, aan wie deze kan worden bekendgemaakt, enz. Nadat u bent geïnformeerd over de gevolgen van uw weigering om toestemming te geven, kunt u kiezen of u al dan niet toestemming geeft aan het <Behandelcentrum > om de persoonsgegevens van uw kind te verwerken.

2. Wie is de verwerkingsverantwoordelijke van uw persoonsgegevens?

De gegevensbeheerder van de persoonsgegevens van uw kind is <Behandelcentrum >

3. Andere entiteiten die deelnemen aan het Compassionate Use Programma (CUP)

De andere entiteiten die deelnemen aan het CUP, die zich bezighouden met de verwerking van persoonsgegevens, zijn als volgt:

Naam entiteit	Rol in het programma

De contactpersoon voor de verwerking van uw persoonsgegevens die namens u handelt, is <Behandelcentrum >. Zijn/haar contactgegevens zijn als volgt: <contactgegevens >.

<Behandelcentrum > garandeert dat de verwerking van persoonsgegevens wordt uitgevoerd met inachtneming van de fundamentele rechten en vrijheden, en de waardigheid van de betrokken persoon, met speciale verwijzing naar vertrouwelijkheid, persoonlijke identiteit en het recht op bescherming van persoonsgegevens in overeenstemming met de bepalingen van Verordening 679/2016/EU, de Italiaanse nationale wet van harmonisatie met een dergelijke verordening en de maatregelen die worden genomen door de [relevante Gegevensbeschermingsautoriteit] voor de proefpersoon.

Het gecodeerde patiëntidentificatienummer van uw kind, zijn gewicht en leeftijd worden verzonden naar Italfarmaco S.p.A. en derden (personen en/of bedrijven) die namens Italfarmaco S.p.A. optreden voor de levering van het geneesmiddel.

4. Wie is de functionaris voor gegevensbescherming (Data Protection Officer, DPO) volgens art. 13.1b van Verordening 679/2016/EU?

DPO die handelt namens <Behandelcentrum >

Om uw rechten uit te oefenen, kunt u contact opnemen met de functionaris voor gegevensbescherming, <naam > aangewezen door het <Behandelcentrum >, met wie contact kan worden opgenomen via het volgende e-mailadres: <e-mailadres >

5. Welke gegevens hebben we van u nodig?

De gegevens die worden verwerkt door <Behandelcentrum > dat het CUP uitvoert, zijn gewone persoonlijke, identificerende gegevens, evenals gegevens die behoren tot speciale categorieën:

- genetische gegevens
- biometrische gegevens
- gegevens over gezondheid
- gegevens over etnische en raciale afkomst
- gegevens over levensstijl of seksuele geaardheid

Houd er rekening mee dat het verstrekken van persoonlijke en speciale gegevens die het onderwerp zijn van dit CUP noodzakelijk is om de gegevens van uw kind te verwerken voor de uitvoering van het bovenstaande programma. Als u de gegevens niet correct verstrekt, wordt de deelname van uw kind aan het CUP niet gegarandeerd.

De gegevens van uw kind worden verwerkt met een code die aan elke patiënt wordt toegewezen.

De gegevensbeheerder neemt alle technische en organisatorische maatregelen ter waarborging van de naleving van het gegevensminimaliseringsprincipe als bedoeld in artikel 89 van (EU) Verordening 2016/679.

6. Doeleinden voor de verwerking van uw persoonsgegevens (Art. 13.1.c Verordening 679/2016)

Alle persoonlijke en gevoelige gegevens die u verstrekt, worden verwerkt door de gegevensbeheerder, op basis van een of meer van de volgende legitieme redenen:

- Toestemming gegeven door betrokkene (Art. 6.1, letter a) en Art. 9.2, letter a) Verordening 679/2016);
- Bescherming van de vitale belangen van de betrokkene en/of de gemeenschap (art. 6.1, letter d) Verordening 679/2016);
- De verwerking is noodzakelijk om een vitaal belang van de betrokkene of van een andere natuurlijke persoon te waarborgen indien de betrokkene fysiek of wettelijk niet in staat is om zijn toestemming te geven (art. 9.2, letter a) Verordening 679/2016;
- De verwerking is noodzakelijk om redenen van algemeen belang in de

volksgezondheidssector, zoals bescherming tegen ernstige grensoverschrijdende bedreigingen voor de gezondheid of om te zorgen voor hoge kwaliteits- en veiligheidsniveaus in de gezondheidszorg, geneesmiddelen en medische hulpmiddelen, op basis van het recht van de Europese Unie of de lidstaten dat passende en specifieke maatregelen vereist om de rechten en vrijheden van de betrokken persoon te beschermen, met name het beroepsgeheim (Art. 9.2, letter i) Verordening 679/2016.

Hieronder staan de doeleinden vermeld waarvoor de persoonsgegevens van uw kind worden verwerkt:

- Opname in computerbestanden van het bedrijf;
- Uitvoering, controle en voortgang van het CUP;
- Reactie op specifieke verzoeken van de betrokken persoon.

7. Mogelijke ontvangers of categorieën van ontvangers van de persoonsgegevens (Art. 13.1, letter e) Verordening 679/2016)

De persoonsgegevens van uw kind kunnen, indien nodig, worden gedeeld met/overgedragen aan (d.w.z. bekendgemaakt aan een of meer gespecificeerde personen), naast de personen vermeld onder punt 7:

- personen wiens recht op toegang tot de gegevens wordt verleend door de wet, secundaire of EU-wetgeving en collectieve onderhandeling.

Persoonsgegevens met betrekking tot de gezondheidstoestand, levensstijl of seksuele geaardheid, etnische of raciale afkomst, genetische gegevens en biometrische gegevens worden in geen geval bekendgemaakt (d.w.z. op enige wijze verstrekt aan andere niet-gespecificeerde personen).

8. Overdracht van gegevens naar landen buiten de EU (Art. 13.1, letter f) Verordening 679/2016/EU)

(vul de volgende secties in of verwijder ze indien van toepassing)

Persoonsgegevens die het onderwerp zijn van het CUP worden niet bekendgemaakt aan derden die niet werkzaam zijn in de EU.

Of, in geval van een externe gegevensbeheerder

Persoonsgegevens die het onderwerp zijn van het programma kunnen worden bekendgemaakt aan derden die niet werkzaam zijn in de EU.

Landen die een adequaat niveau van bescherming en vertrouwelijkheid garanderen

De volgende landen garanderen een adequaat niveau van bescherming en vertrouwelijkheid van persoonsgegevens overeenkomstig de artikelen 45, 46, 47 van Verordening 679/2016/EU.

Land	Geschiktheidsbesluit	Passende/geschikte garanties

Voor de in dit lid genoemde landen, die geen adequaat niveau van gegevensbescherming en veiligheid garanderen, is overdracht alleen mogelijk wanneer de betrokkene zijn toestemming geeft (art. 49, lid 1, letter a). Deze landen zijn:

De persoonsgegevens die het onderwerp zijn van CUP worden verzonden met behulp van de gegenereerde code en niet de naam.

9. Criteria gebruikt om de bewaartermijn te bepalen (Art. 13.2, letter a) Verordening 679/2016)

<Behandelcentrum > verklaart dat het de documentatie van het CUP met persoonsgegevens van uw kind zal bewaren gedurende XXXX (_) jaar of

De persoonsgegevens en medische bevindingen van uw kind worden gearchiveerd in overeenstemming met de lokale wetgeving na voltooiing of voortijdige beëindiging van het CUP, maar kunnen langer worden bewaard indien vereist door wettelijke vereisten.

10. Modaliteiten voor gegevensverwerking

De gegevens, die ook verwerkt kunnen worden met elektronische apparatuur, worden strikt anoniem verspreid, bijvoorbeeld in wetenschappelijke en statistische publicaties en wetenschappelijke conferenties.

U kunt, op elk moment en zonder een reden te geven, de deelname van uw kind aan

het CUP onderbreken; in dit geval worden er geen verdere gegevens over hem verzameld.

11. Uw rechten (art. 13.2, letter b) Verordening 679/2016)

Houd er rekening mee dat u op elk moment de volgende rechten kunt uitoefenen:

- recht om uw toestemming te allen tijde in te trekken, zonder afbreuk te doen aan de rechtmatigheid van de verwerking, op basis van de toestemming die voorafgaand aan de intrekking werd gegeven, volgens art. 7.3 Verordening 679/2016;
- recht om de gegevensbeheerder, conform art. 15 Verordening 679/2016, te verzoeken om toegang tot de persoonsgegevens;
- recht om de gegevensbeheerder, conform art. 16 Verordening 679/2016, te verzoeken de persoonsgegevens te wijzigen, indien dit niet in strijd is met de huidige regelgeving inzake gegevensopslag en de noodzaak om in geval van een juridisch geschil de gezondheidsprofessionals die ze hebben verwerkt, te beschermen;
- recht om de gegevensbeheerder, conform art. 17 Verordening 679/2016, te verzoeken de persoonsgegevens te annuleren, indien dit niet in strijd is met de huidige regelgeving inzake gegevensopslag en de noodzaak om in geval van een juridisch geschil de gezondheidsprofessionals die ze hebben verwerkt, te beschermen;
- recht om de gegevensbeheerder, volgens art. 18 Verordening 679/2016, te verzoeken de verwerking van de persoonsgegevens te beperken;
- recht om bezwaar te maken tegen de gegevensverwerking, volgens art. 21 Verordening 679/2016;
- recht om de gegevensbeheerder, alleen in de gevallen voorzien in artikel 20 van Verordening 679/2016, te verzoeken dat de persoonsgegevens in leesbaar formaat aan een andere gezondheidsdienst worden doorgegeven;

12. Recht op het indienen van een klacht (Art. 13.2, letter d) Verordening 679/2016.

U heeft altijd het recht om een klacht in te dienen bij de [relevante Autoriteit Persoonsgegevens] om de rechten van uw kind uit te oefenen of voor een andere kwestie in verband met de verwerking van persoonsgegevens.

2. TOESTEMMINGSVERKLARING

Ik, ondergetekende (voor- en achternaam) _____

geboren in _____ op _____

Woonplaats _____

(gemeente) _____

adres volgens de belastingwet

In mijn persoonlijke hoedanigheid of door te verklaren onder mijn eigen verantwoordelijkheid op te treden als (vink het vakje aan wat van toepassing is):

Ouders van _____ (voor minderjarigen)

Ouders van _____ (voor minderjarigen)

JA, ik ga akkoord of

NEE, ik ga er niet mee akkoord dat de

persoonsgegevens van mijn kind tijdens het programma worden verzameld en verwerkt door de behandelend arts van het programma of zijn personeel en de persoon die is gemachtigd door gezondheids- en wettelijke instanties zoals beschreven en in overeenstemming met de procedure die in dit document wordt gedefinieerd.

JA, ik ga ermee akkoord of

NEE, ik ga er niet mee akkoord dat de

persoonsgegevens van mijn kind (zoals vermeld in sectie 3) worden verzonden naar Italfarmaco S.p.A., en derden (personen en/of bedrijven) die namens haar handelen voor de levering van het geneesmiddel.

JA, ik ga akkoord of

NEE, ik ga er niet mee akkoord dat de persoonsgegevens van

mijn kind worden overgedragen buiten de EU voor de doeleinden die in dit document worden besproken. Ik ben me ervan bewust dat wetten in deze landen mogelijk niet hetzelfde niveau van gegevensbescherming bieden als in mijn land. Ik ga akkoord met de verwerking en opslag van mijn gecodeerde persoonsgegevens in deze derde landen.

Ik, ondergetekende (voor- en achternaam) _____

geboren in _____ op _____

Woonplaats _____

(gemeente) _____

adres volgens de belastingwet

In mijn persoonlijke hoedanigheid of door te verklaren onder mijn eigen verantwoordelijkheid

op te treden als (vink het vakje aan wat van toepassing is):

Ouders van _____(voor minderjarigen)

Ouders van _____(voor minderjarigen)

JA, ik ga akkoord of **NEE**, ik ga er niet mee akkoord dat de persoonsgegevens van mijn kind tijdens het programma worden verzameld en verwerkt door de behandelend arts van het programma of zijn personeel en de persoon die is gemachtigd door gezondheids- en wettelijke instanties zoals beschreven en in overeenstemming met de procedure die in dit document wordt gedefinieerd.

JA, ik ga ermee akkoord of **NEE**, ik ga er niet mee akkoord dat de persoonsgegevens van mijn kind (zoals vermeld in sectie 3) worden verzonden naar Italfarmaco S.p.A., en derden (personen en/of bedrijven) die namens haar handelen voor de levering van het geneesmiddel.

JA, ik ga akkoord of **NEE**, ik ga er niet mee akkoord dat de persoonsgegevens van mijn kind worden overgedragen buiten de EU voor de doeleinden die in dit document worden besproken. Ik ben me ervan bewust dat wetten in deze landen mogelijk niet hetzelfde niveau van gegevensbescherming bieden als in mijn land. Ik ga akkoord met de verwerking en opslag van mijn gecodeerde persoonsgegevens in deze derde landen.

Empfohlene Vorlage für das Informationsblatt zu einem Compassionate Use-Programm bei Duchenne-Muskeldystrophie

Für Eltern/Erziehungsberechtigte

Titel des Programms:	Compassionate Use Program (CUP) für die Behandlung mit Givinostat bei gehfähige Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und gleichzeitiger Kortikosteroidbehandlung.
Unternehmen, das das Medikament herstellt:	Italfarmaco S.p.A.
Name des Arztes/der Ärztin:	[Name einfügen]
Krankenhaus, in dem der Arzt/die Ärztin arbeitet:	[Adresse einfügen]
Hier finden die Untersuchungstermine statt:	[Name und Adresse des Zentrums einfügen]
Telefonnummer des Arztes/der Ärztin(tagsüber):	[Telefonnummer einfügen]

Wichtige Informationen zu diesem Compassionate Use-Programm

Hinweise für Eltern oder Erziehungsberechtigte: Dieses Informationsblatt und diese Einwilligungserklärung enthalten wichtige Informationen, die Ihnen bei der Entscheidung helfen, ob Sie Ihr Kind an diesem Compassionate Use-Programm teilnehmen lassen möchten.

An der Behandlung im Rahmen von Compassionate Use-Programmen nehmen nur Personen teil, die sich für die Teilnahme entscheiden. Es ist Ihre Entscheidung, ob Sie Ihr Kind an diesem

Programm teilnehmen lassen wollen oder nicht. Bitte nehmen Sie sich Zeit, um Ihre Entscheidung über die Teilnahme zu treffen. Sie können Ihre Entscheidung mit Ihrem Kind, Ihrer Familie, Ihren Freunden und Ihrem medizinischen Team besprechen. Sollten Sie zu einem späteren Zeitpunkt Fragen haben, wenden Sie sich an Ihren Arzt/Ihre Ärztin unter der oben angegebenen Telefonnummer.

Sie können das Informationsblatt und ein nicht unterzeichnetes Exemplar der Einwilligungserklärung mit nach Hause nehmen, um mit Familienangehörigen oder Freunden darüber zu sprechen, bevor Sie Ihre Entscheidung treffen.

1. Hintergrund

Was ist ein Compassionate Use-Programm?

Ein Härtefallprogramm (auch „Compassionate Use-Programm“, kurz CUP, genannt) ist ein möglicher Weg für Patienten mit einer schweren oder lebensbedrohlichen Erkrankung, ein medizinisches Prüfpräparat zur Behandlung außerhalb klinischer Studien zu testen, wenn keine vergleichbaren oder angemessenen Therapien verfügbar sind.

Im Rahmen dieses Compassionate Use-Programms wird Givinostat als Prüfpräparat für die mögliche Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bereitgestellt für gehfähige Patienten ab 6 Jahren und mit gleichzeitiger Kortikosteroidbehandlung. Italfarmaco S.p.A. ermöglicht Patienten, die sich für das Härtefallprogramm registrieren, während des gesamten Programms kostenlosen Zugang zu Givinostat.

Während dieses Programms wird Ihr Kind von einem auf DMD spezialisierten Arzt/Ärztin behandelt und nachbetreut und kann seine DMD-Standardbehandlung einschließlich Kortikosteroiden fortsetzen. Ihr Kind darf jedoch nicht gleichzeitig an einem anderen Compassionate Use-Programm oder einer anderen klinischen Studie teilnehmen und kein Prüfpräparat oder anderes Medikament für die Behandlung von DMD mit Ausnahme von Kortikosteroiden einnehmen.

Warum wird dieses Compassionate Use-Programm meinem Kind angeboten?

Ihrem Kind wird von seinem behandelnden Arzt/seiner behandelnden Ärztin vorgeschlagen, an diesem Compassionate Use-Programm teilzunehmen, weil es an Duchenne-Muskeldystrophie erkrankt ist, krankenversichert ist, seinen Wohnsitz in Deutschland hat und es keine andere

vergleichbare oder angemessene Therapie für Ihr Kind gibt. Das bedeutet, dass Ihr Kind im Moment an keiner laufenden klinischen Studie zu Givinostat und auch an keiner anderen laufenden Studie teilnehmen kann. Darüber hinaus steht zum Zeitpunkt der Aufnahme Ihres Kindes in das Programm keine für DMD zugelassene Behandlung oder Standardtherapie zur Verfügung, die Ihr Kind erhalten könnte, mit Ausnahme von Kortikosteroiden oder vergleichbaren Medikamenten.

Die Teilnahme Ihres Kindes an diesem Programm erfolgt freiwillig. Wenn Sie sich gegen eine Teilnahme Ihres Kindes an diesem Programm entscheiden, kann Ihr Kind seine aktuelle medizinische Versorgung fortsetzen.

Wurde Givinostat in klinischen Studien angewendet?

Givinostat ist ein Prüfpräparat, das in klinischen Studien getestet wurde und von der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) zugelassen ist, und auch von der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA) zugelassen ist. Das bedeutet, dass es in Europa die Marktzulassung erhalten hat. Insgesamt haben mehr als 200 Patienten mit DMD im Rahmen klinischer Studien Givinostat erhalten.

Aktivitäten des Compassionate Use-Programms

Was passiert, wenn ich mich entscheide, mein Kind an dem Programm teilnehmen zu lassen?

Bevor irgendwelche programmbedingten Untersuchungen und Maßnahmen durchgeführt werden können, werden Sie gebeten, dieses Informationsblatt durchzulesen und die Einwilligungserklärung zu unterzeichnen. Darüber hinaus wird Ihr Kind ggf. gebeten, seine Zustimmung zu erteilen.

Bitte beachten Sie Folgendes: Falls Ihr Kind während seiner Programmteilnahme volljährig wird, wird es gebeten zu bestätigen, ob es mit der Teilnahme am Programm einverstanden ist oder nicht. Wenn Ihr Kind seine Teilnahme am Programm fortsetzen möchte, wird es eine neue Patienteninformation und Einwilligungserklärung unterzeichnen.

Der behandelnde Arzt/Die behandelnde Ärztin wird einige Tests und Untersuchungen bei Ihrem Kind durchführen, um festzustellen, ob es die Voraussetzungen für eine Teilnahme erfüllt.

Außerdem erfolgen die Standarduntersuchungen, die auch im Rahmen der üblichen Versorgung der DMD durchgeführt würden.

Die folgenden Einschlusskriterien müssen erfüllt sein:

- Bestätigte Diagnose einer DMD bei gefähige Patienten ab 6 Jahren mit begleitender Kortikosteroidbehandlung.
- Der Patient ist kein Kandidat für eine zum Zeitpunkt der Aufnahme verfügbare zugelassene und erstattungsfähige oder standardmäßige pharmakologische DMD-Therapieoption (mit Ausnahme von Kortikosteroiden).
- Der Patient muss bereit sein, geeignete Verhütungsmittel anzuwenden.
- Krankenversicherung und Wohnsitz des Patienten im jeweiligen Land.

Es gelten die folgenden Ausschlusskriterien:

- Patienten mit einer Thrombozytenzahl unter $150 \times 10^9/l$
- Nüchtern-Triglyceridwerte $> 300 \text{ mg/dl}$
- Begleitbehandlung mit anderen DMD-Medikamenten (in der Erprobung oder bereits zugelassen) außer Kortikosteroiden
- Vorherige Exposition gegenüber anderen DMD-Medikamenten (in der Erprobung oder bereits zugelassen) außer Kortikosteroiden ohne ausreichende Auswaschung.
- Der Patient nimmt an einer anderen CUP-Studie oder einer laufenden klinischen Studie teil.
- Überempfindlichkeit gegenüber irgendeinem Bestandteil des Programm-Medikaments
- Vorliegen einer Sorbitol-Unverträglichkeit oder Sorbitol-Malabsorption oder der hereditären (erblichen) Form der Fructose-Unverträglichkeit. Bitte fragen Sie bei Bedarf Ihren Arzt nach weiteren Informationen.

Wenn der Programmarzt/die Programmärztin zu dem Schluss kommt, dass Ihr Kind nicht alle Voraussetzungen für die Teilnahme am Programm erfüllt, wird man Sie informieren. Sie können dann mit dem Programmarzt/der Programmärztin über die weitere Behandlung Ihres Kindes sprechen.

Wie läuft das Behandlungsprogramm ab?

Die Häufigkeit und die Art der Untersuchungen, die über den empfohlenen Versorgungsstandard hinausgehen, liegen ausschließlich im Ermessen des behandelnden Arztes/der behandelnden Ärztin und im Interesse der Sicherheit Ihres Kindes.

Bei Bedarf müssen im Ermessen des behandelnden Arztes/der behandelnden Ärztin möglicherweise zu bestimmten Zeitpunkten/mit einer bestimmten Häufigkeit sicherheitsbezogene Untersuchungen durchgeführt werden. Diese können ggf. auch durch eine qualifizierte medizinische Fachkraft in der Nähe Ihres Wohnortes unter Aufsicht/Beratung des behandelnden Arztes/der behandelnden Ärztin erfolgen.

In der Regel führt der behandelnde Arzt/die behandelnde Ärztin bei den Untersuchungsterminen im Krankenhaus die Standarduntersuchungen, die auch üblicherweise bei DMD erfolgen, durch. Abhängig vom Gesundheitszustand Ihres Kindes kann er/sie entscheiden, zusätzliche Untersuchungen/Tests durchzuführen. Die Blutuntersuchungen müssen vor Beginn der Behandlung mit Givinostat, alle 2 Wochen während der ersten 2 Monate der Behandlung, im 3. Monat und danach alle 3 Monate durchgeführt werden, um die Anzahl der Blutzellen Ihres Kindes zu messen; vor Beginn der Behandlung mit Givinostat im dritten Monat, im sechsten Monat und dann alle 6 Monate, um auch die Triglyceride, eine Art Fett im Blut, zu messen. Zu den Standarduntersuchungen gehören unter anderem:

- ✓ Körperliche Untersuchungen, Bestimmung von Körpergröße, Körpergewicht, Vitalzeichen (*Blutdruck, Herzfrequenz, Körpertemperatur*)
- ✓ Bluttests, einschließlich von Thrombozyten und Triglyceriden
- ✓ Elektrokardiogramm (EKG) zur Beurteilung der elektrischen Aktivität des Herzens
- ✓ Funktionelle Bewegungstests
- ✓ Fragen zum Befinden Ihres Kindes

Nicht alle diese Maßnahmen erfolgen bei allen Untersuchungsterminen. Der Arzt/Die Ärztin kann Ihnen mehr darüber sagen, was bei jedem Termin geschieht. Einige der Untersuchungen können auch durch einen Arzt/eine Ärztin oder anderes medizinisches Fachpersonal in der Nähe Ihres Wohnortes erfolgen. Die Übermittlung der identifizierenden personenbezogenen Daten (z. B. Name und Adresse) erfolgt über den Arzt an den örtlichen Arzt oder das Pflegepersonal und erfolgt nicht an den Sponsor oder einen anderen Dritten. In jedem Fall wird der behandelnde Arzt/die behandelnde Ärztin im besten Interesse der Sicherheit Ihres Kindes über Häufigkeit und Art der Untersuchungen entscheiden.

Während des Compassionate Use-Programms werden Sie gebeten, Folgendes zu tun:

- ✓ Bringen Sie Ihr Kind zu allen mit dem behandelnden Arzt/der behandelnden Ärztin vereinbarten Besuchsterminen.
- ✓ Bewahren Sie die Flasche(n) mit Givinostat zu Hause im Kühlschrank auf. Vor Gebrauch mindestens 30 Sekunden lang schütteln, indem die Flasche etwa 40-mal um 180° gedreht wird. Die Homogenität der Suspension sollte visuell überprüft werden. Falsches Schütteln

kann zu einer Über- oder Unterdosierung führen. Verabreichen Sie das Medikament wie verordnet zweimal täglich zu einer Mahlzeit.

- ✓ Halten Sie sich an die Anweisungen des behandelnden Arztes/der behandelnden Ärztin dazu, ob Ihr Kind während des Programms weiterhin seine regulären Medikamente oder andere verordnete oder freiverkäufliche Medikamente einnehmen oder anwenden darf.
- ✓ Informieren Sie den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin über alle Änderungen der aktuellen Medikation Ihres Kindes, Krankheiten oder Gesundheitsschädigungen, unerwartete oder beschwerliche Nebenwirkungen oder Probleme, die während des Programms auftreten.
- ✓ Informieren Sie den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin, wenn bei Ihrem Kind eine elektive Operation (ein Wahleingriff, der nicht zwingend oder dringlich ist) oder eine andere medizinische Behandlung bzw. ein anderer medizinischer Eingriff geplant ist.
- ✓ Achten Sie darauf, dass Givinostat für Kinder und für Personen mit eingeschränktem Lese- oder Verständnisvermögen unzugänglich aufbewahrt wird. Ihr Kind ist die einzige Person, der Givinostat verabreicht werden darf.
- ✓ Wenn Sie oder Ihr Kind nach dem Unterzeichnen der Einwilligungserklärung Fragen zu diesem Programm haben, wenden Sie sich bitte an den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin.

2. Vorteile, verfügbare Optionen und Kosten

Welchen Nutzen bringt eine Teilnahme an diesem Programm?

Es gibt keine Garantie, dass Ihr Kind einen Nutzen haben wird. Ihr behandelnder Arzt/Ihre behandelnde Ärztin wird Sie jedoch über den möglichen Nutzen und die möglichen Risiken in Zusammenhang mit der Teilnahme Ihres Kindes an diesem Programm aufklären.

Welche Alternativen gibt es, wenn ich nicht an diesem Programm teilnehmen möchte?

Da die Teilnahme Ihres Kindes an diesem Programm freiwillig ist, bestünde die Alternative darin, nicht an dem Programm teilzunehmen und die Behandlung unter der Aufsicht des regulären Arztes/der regulären Ärztin Ihres Kindes fortzusetzen.

Wer finanziert dieses Programm?

Italfarmaco S.p.A. ermöglicht Patienten, die sich für das Compassionate Use-Programm registrieren, während des gesamten Programms kostenlosen Zugang zu Givinostat. Bitte sprechen Sie mit Ihrem behandelnden Arzt/Ihrer behandelnden Ärztin über weitere Kosten, die mit der Behandlung verbunden sein können.

3. Risiken und mögliche Beschwerden

Das Compassionate Use-Programm kann Risiken bergen, die nicht vorhersehbar sind; die bekannten Risiken sind jedoch im Folgenden aufgeführt.

Das im Programm zur Verfügung gestellte Medikament kann Nebenwirkungen haben, wie beispielsweise die folgenden, die bei der Beurteilung von 222 mit Givinostat behandelten Patienten mit DMD beobachtet wurden:

Mögliche Nebenwirkungen

Wie alle Arzneimittel kann auch dieses Arzneimittel Nebenwirkungen haben, die aber nicht bei jedem auftreten müssen.

Nach der Einnahme von Givinostat können eine oder mehrere der folgenden Nebenwirkungen auftreten:

Sehr häufige Nebenwirkungen (können mehr als 1 von 10 Personen betreffen):

- Bauchschmerzen
- Abnahme der Blutplättchenzahl (Thrombozytopenie)
- Durchfall
- Erhöhte Blutfettwerte (Hypertriglyceridämie)
- Fieber (Pyrexie)
- Erbrechen

Häufige Nebenwirkungen (können bis zu 1 von 10 Personen betreffen):

- Angstzustände

- Verstopfung
- Appetitlosigkeit
- Schwindel
- Hautrötung (Erythem)
- Müdigkeit (Fatigue)
- Durchfall und Erbrechen (Gastroenteritis)
- Blutansammlung unter der Haut (Hämatom)
- Erhöhte TSH-Werte (Thyreoidea-stimulierendes Hormon) im Blut
- Gelenkschmerzen (Arthralgie)
- Muskelschmerzen (Myalgie)
- Muskelschwäche
- Hautausschlag

Givinostat senkt die Anzahl der Blutzellen im Blut Ihres Kindes, insbesondere die Anzahl der Blutplättchen, die für die Blutgerinnung verantwortlich sind (eine Erkrankung, die als Thrombozytopenie bezeichnet wird).

Ihr Arzt wird vor der Behandlung und regelmäßig während der gesamten Behandlung mit Givinostat den Thrombozytenspiegel Ihres Kindes kontrollieren.

Ihr Arzt kann die Dosis Ihres Kindes reduzieren, um die Thrombozytenzahl zu erhöhen, oder die Behandlung mit Givinostat abbrechen, wenn die Thrombozytopenie anhält.

Informieren Sie Ihren Arzt, wenn Sie oder Ihr Kind unerwartete Blutungen bemerken.

Givinostat kann mit erhöhten Fettwerten (Triglyceriden) im Blut Ihres Kindes einhergehen.

Ihr Arzt wird vor Beginn der Givinostat-Behandlung und regelmäßig während der Behandlung Blutuntersuchungen durchführen, um Ihren Triglyceridspiegel zu überprüfen.

Bei anhaltend erhöhten Fettwerten (Triglyceriden) im Blut Ihres Kindes kann die Givinostat-Dosis reduziert werden.

Ihr Kinderarzt kann die Behandlung abbrechen, wenn der Fettspiegel im Blut Ihres Kindes (Triglyceride) trotz diätetischer Maßnahmen und Dosisreduktionen nicht sinkt.

Bei Ihrem Kind können während der Einnahme von Givinostat Durchfall und Erbrechen auftreten.

Ihr Kinderarzt kann die Givinostat-Dosis je nach Schwere des Durchfalls anpassen oder die Behandlung abbrechen, wenn sich Durchfall und Erbrechen nicht bessern.

Ihr Kinderarzt kann die Gabe von Medikamenten zur Behandlung von Erbrechen und Durchfall sowie zur Vermeidung von übermäßigem Flüssigkeitsverlust in Erwägung ziehen.

Hohe Givinostat-Dosen (fünffach höher als die empfohlene Dosis) können Herzrhythmusstörungen verursachen. Ihr Arzt wird prüfen, ob Ihr Kind Givinostat anwenden kann, wenn ein erhöhtes Risiko für Herzrhythmusstörungen, einen abnormalen Mineralstoffhaushalt oder die gleichzeitige Einnahme anderer Medikamente besteht.

Ihr Kinderarzt kann die Herzfunktion Ihres Kindes zu Beginn der Givinostat-Behandlung überprüfen, wenn Ihr Kind eine zugrunde liegende Herzerkrankung hat oder Medikamente einnimmt, die Herzrhythmusstörungen verursachen können.

Ihr Kinderarzt kann ein Absetzen der Givinostat-Behandlung in Erwägung ziehen, wenn Ihr Kind einen unregelmäßigen Herzschlag feststellt.

Wenden Sie sich an Ihren Kinderarzt, der die Givinostat-Therapie Ihres Kindes abbrechen kann, wenn einer der oben genannten Zustände auftritt.

Es kann auch Risiken und Nebenwirkungen geben, die derzeit nicht bekannt sind. Bei allen Arzneimitteln besteht ein mögliches Risiko für eine allergische Reaktion.

Risiken bei Blutuntersuchungen: Bei den Blutuntersuchungen im Rahmen des Programms werden einige Milliliter Blut entnommen. Es ist möglich, dass Ihr Kind Schmerzen an der Einstichstelle verspürt und einen Bluterguss bekommt. Außerdem kann sich bei Blutuntersuchungen manchmal eine Vene entzünden. In seltenen Fällen kann ein Blutgerinnsel entstehen.

Elektrokardiogramm (EKG): Die EKG-Elektroden, die Ihrem Kind auf die Haut geklebt werden, können Jucken, Rötung oder einen leichten Hautausschlag hervorrufen. Möglicherweise muss der Brustbereich Ihres Kindes, in dem die EKG-Elektroden direkt auf die Haut geklebt werden, zuvor rasiert werden.

Alle Teilnehmer des Programms werden engmaschig auf Nebenwirkungen hin überwacht. Dem behandelnden Arzt/der behandelnden Ärztin sind jedoch nicht alle Wirkungen bekannt, die das Programmpräparat auf Ihr Kind haben kann. Ihr behandelnder Arzt/Ihre behandelnde Ärztin kann Ihrem Kind Medikamente geben, um die Nebenwirkungen zu verringern. Diese

Nebenwirkungen können leicht ausgeprägt oder schwerwiegend sein. In einigen Fällen könnten diese Nebenwirkungen lang anhalten oder dauerhaft bestehen bleiben und möglicherweise sogar lebensbedrohlich sein.

Wenn Sie den Verdacht haben, dass Ihr Kind eine Nebenwirkung erlitten hat, wenden Sie sich an den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin oder Sie melden es direkt an die nationale Arzneimittelzulassungsbehörde in Belgien FAMHP (Federal Agency for Medicines and Health products) : www.eenbijwerkingmelden.be / www.notifieruneffetindesirable.be.

Was passiert, wenn mein Kind während der Teilnahme am Programm ein Problem hat oder sich verletzt?

Sollte Ihr Kind während oder nach der Behandlung gesundheitlich beeinträchtigt sein oder einen Schaden erleiden, wenden Sie sich bitte an den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin. Dieser/Diese wird dann die notwendigen Schritte für Ihr Kind einleiten.

Wenn bei Ihrem Kind infolge der Behandlung mit Givinostat oder infolge einer für diese Behandlung erforderlichen Maßnahme eine körperliche Reaktion oder Gesundheitsschädigung auftritt, erhält Ihr Kind am <Behandlungszentrum> die notwendige medizinische Notfallbehandlung.

Mit der Unterzeichnung dieses Formulars geben Sie keines Ihrer Rechte oder die Ihres Kindes auf.

Schwangerschaft/Verhütungsmethoden (sofern zutreffend)

Wenn Ihr Kind mit einer Partnerin, die schwanger werden kann, sexuell aktiv ist, müssen Ihr Kind und seine Partnerin bereit sein, bis 3 Monate nach Einnahme der letzten Dosis des Programmpräparats Ihres Kindes konsequent und korrekt hochwirksame Verhütungsmethoden anzuwenden. Der behandelnde Arzt/Die behandelnde Ärztin wird mit Ihnen und Ihrem Kind die angemessenen Verhütungsmethoden besprechen, die Ihr Kind und dessen Partnerin während dieses Programmes anwenden müssen.

Akzeptable Verhütungsmethoden sind unter anderem ein Kondom mit Spermizid zusätzlich zur Anwendung einer akzeptablen Verhütungsmethode durch die Partnerin. Zu den akzeptablen Verhütungsmethoden gehören orale, transdermale, injizierbare oder implantierte steroidhaltige Verhütungsmittel oder ein Diaphragma oder eine Barrieremethode in Kombination mit Spermizidgel, wie z. B. Portiokappe mit Spermizidgel.

Völlige Abstinenz (Verzicht auf Geschlechtsverkehr) ist ebenfalls eine akzeptable Verhütungsmethode, sofern dies dem bevorzugten und üblichen Lebensstil des Kindes

entspricht. Zeitweilige Enthaltbarkeit (z. B. Kalendermethode, Ovulationsmethode, symptothermale Methode [eine natürliche Verhütungsmethode, bei der an Tagen, an denen eine Frau fruchtbar ist bzw. schwanger werden kann, auf Geschlechtsverkehr verzichtet wird], Postovulationsmethode) und Coitus interruptus sind keine akzeptablen Verhütungsmethoden.

Wenn Ihr Kind bzw. die Partnerin Ihres Kindes während des Programms oder innerhalb von 3 Monaten nach Einnahme der letzten Dosis des Programmpräparats Ihres Kindes schwanger wird oder glaubt, schwanger zu sein, müssen Sie oder Ihr Kind umgehend den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin informieren. Der behandelnde Arzt/Die behandelnde Ärztin stellt Ihrem Kind bzw. der Partnerin Ihres Kindes dann möglicherweise Fragen zur Schwangerschaft und zum Kind.

4. Entscheidung gegen eine Teilnahme

Was geschieht, wenn ich nicht möchte, dass mein Kind an dem Programm teilnimmt?

Es hat für Sie oder Ihr Kind keine negativen Folgen, wenn Sie die Teilnahme ablehnen. Niemand wird Ihnen böse sein oder Sie oder Ihr Kind anders behandeln als vor der Anfrage zur Teilnahme an dem Programm.

Die Teilnahme an diesem Programm ist völlig freiwillig. Die übliche medizinische Versorgung Ihres Kindes ändert sich nicht, wenn Sie sich gegen die Teilnahme an dem Programm entscheiden.

Kann mein Kind nach dem Beginn wieder aus dem Programm ausscheiden?

Ja. Auch wenn Sie der Teilnahme Ihres Kindes an dem Programm zustimmen, kann es das Programm jederzeit ohne Angabe von Gründen verlassen. Ihrem Kind entstehen auch keine Nachteile und es verliert nicht den Anspruch auf ihm an diesem Zentrum zustehende Leistungen, wenn Sie sich gegen die Teilnahme entscheiden oder die Teilnahme am Programm beenden.

Wenn Ihr Kind aus dem Programm ausscheidet, kontaktieren Sie bitte den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin, der/die Ihnen erläutern wird, wie die Teilnahme Ihres Kindes so sicher wie möglich beendet werden kann.

Kann mein Kind aus dem Programm genommen werden, auch wenn wir es fortsetzen wollen?

Ja. Es kann vorkommen, dass der behandelnde Arzt/die behandelnde Ärztin die Teilnahme Ihres Kindes an dem Programm beenden muss, auch wenn Sie oder Ihr Kind weiter daran teilnehmen möchten.

Dies kann in folgenden Fällen geschehen:

- ✓ Der Gesundheitszustand Ihres Kindes verändert sich, wodurch eine weitere Teilnahme Ihrem Kind schaden könnte.
- ✓ Sie halten sich nicht an die Anweisungen des behandelnden Arztes/der behandelnden Ärztin.
- ✓ Ihr Kind erfüllt nicht mehr die Kriterien für die Inanspruchnahme der Programmkrankenversicherung.
- ✓ Härtefallprogramme ermöglichen es Teilnehmern, Zugang zu einem Arzneimittel zu erhalten, bevor es von den zuständigen Gesundheitsbehörden zugelassen wird.
 - Sollten die zuständigen Gesundheitsbehörden die Zulassung für Givinostat nicht erteilen, behält sich Italfarmaco SpA das Recht vor, das Härtefallprogramm zu überarbeiten oder einzustellen.
 - Wenn Givinostat von den Gesundheitsbehörden für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie zugelassen wird und in Ihrem Land verschreibungsfähig wird, läuft das Härtefallprogramm aus, damit das neue Medikament über das Gesundheitssystem in der von den Gesundheitsbehörden für die Verschreibung dieses Medikaments vorgesehenen Weise verschrieben werden kann.

5. Vertraulichkeit und Datenschutz

Wie wird die Privatsphäre meines Kindes geschützt?

Im Rahmen des Härtefallprogramms werden Daten über Ihr Kind erhoben. Vom Krankenhaus (der Name ist auf Seite 1 dieses Informationsblatts angegeben) werden personenbezogene Daten Ihres Kindes verarbeitet und aufgezeichnet. Dies betrifft insbesondere Informationen zum Gesundheitszustand Ihres Kindes, die ausschließlich für die Durchführung des Programmes und für Zwecke der Überwachung der Sicherheit des Arzneimittels (Pharmakovigilanz) verarbeitet

und aufgezeichnet werden. Der behandelnde Arzt kann Ihnen auf Wunsch eine vollständige aktualisierte Liste der Organisationen geben, die Zugang zu den Daten Ihres Kindes haben.

Die im Rahmen dieses Programms erhobenen Daten werden von qualifizierten Personen verarbeitet, die die lokalen Anforderungen bezüglich der Vertraulichkeit und Sensibilität der Daten befolgen werden.

Es werden alle Anstrengungen unternommen, um die Vertraulichkeit aller Daten Ihres Kindes zu wahren. Daher werden alle Daten, die außerhalb des Krankenhauses verschickt/bereitgestellt werden, ausschließlich mit einer verschlüsselten Patientenidentifikationsnummer anstelle des Namens Ihres Kindes versehen.

Ausführliche Informationen zur Verarbeitung der personenbezogenen Daten Ihres Kindes finden Sie in der in Anhang A beigefügten „Information und Einwilligungserklärung zur Verarbeitung von personenbezogenen Daten“.

6. Sonstiges

Werden mir neue Erkenntnisse mitgeteilt, die meine Meinung über die Teilnahme meines Kindes am Härtefallprogramm ändern könnten?

Wenn sich während des Programms neue Erkenntnisse ergeben, die Auswirkungen auf die Sicherheit Ihres Kindes und/oder Ihre Bereitschaft, Ihr Kind am Programm teilnehmen zu lassen, haben könnten, werden Sie so bald wie möglich informiert. Sie können dann entscheiden, ob Sie Ihr Kind weiterhin teilnehmen lassen oder seine Teilnahme am Programm beenden möchten.

An wen kann ich mich bei Fragen oder Bedenken wenden?

Sie und Ihr Kind können jederzeit vor, während und nach dem Programm Fragen zum Programm und zu den Rechten Ihres Kindes als Patient stellen.

Wen kann ich anrufen?

Wenn Sie oder Ihr Kind Fragen zum Programm oder zu den Rechten Ihres Kindes haben oder wenn Sie zu irgendeinem Zeitpunkt glauben, dass bei Ihrem Kind eine behandlungsbedingte Gesundheitsschädigung oder eine Reaktion auf das Programmpräparat aufgetreten ist, wenden Sie sich bitte an den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin. Die Kontaktinformationen finden auf Seite 1 des vorliegenden Informationsblatts.

Wenn Sie den Verdacht haben, dass Ihr Kind eine Nebenwirkung erlitten hat, wenden Sie sich an den behandelnden Arzt oder Sie melden es direkt an die nationale Zulassungsbehörde in Belgien FAMHP (Federal Agency for Medicines and Health products) : www.eenbijwerkingmelden.be / www.notifierunefffetindesirable.be

Wichtig:

Unterzeichnen Sie die Einwilligungserklärung erst, wenn Sie Gelegenheit hatten, Fragen zu stellen, und alle Ihre Fragen zu Ihrer Zufriedenheit beantwortet wurden.

Wenn Sie die Einwilligungserklärung unterzeichnen, bestätigen Sie, dass Sie freiwillig in die Teilnahme Ihres Kindes an diesem Programm einwilligen.

Einwilligungserklärung der Eltern oder Sorgeberechtigten zur Teilnahme am Härtefallprogramm zu Givinostat

[Name des Arztes/der Ärztin einfügen]

[Adresse oder Zugehörigkeit des Arztes/der Ärztin einfügen]

[Telefonnummer des Arztes/der Ärztin einfügen]

**Titel des Programms: Compassionate Use Program (CUP) für die Behandlung mit Givinostat bei
gefährliche Patienten ab 6 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie DMD
und gleichzeitiger Kortikosteroidbehandlung.**

- Ich hatte ausreichend Zeit, das Informationsblatt und die Einwilligungserklärung durchzulesen, und habe die Informationen verstanden. Ich hatte Gelegenheit, alle meine Fragen zu diesem Programm zu stellen, und alle meine Fragen wurden zu meiner Zufriedenheit beantwortet. Ich verstehe die potenziellen Risiken und den Nutzen einer Teilnahme meines Kindes wie im Informationsblatt beschrieben. Wenn ich diese Einwilligungserklärung unterzeichne, willige ich freiwillig in die Behandlung meines Kindes mit Givinostat unter der Leitung des behandelnden Arztes/der behandelnden Ärztin ein. Darüber hinaus bestätige ich nach meinem besten Wissen, dass alle meine Angaben zur Krankengeschichte meines Kindes wahr und richtig sind.
- Mein Kind wurde in meinem Beisein auf verständliche Weise über das Programm aufgeklärt. Mein Kind wurde aufgefordert, jetzt und in Zukunft Fragen zum Programm zu stellen. Sofern es für sein Alter angemessen ist, hat mein Kind freiwillig der Teilnahme an diesem Programm zugestimmt („eingewilligt“).
- Mir ist bekannt, dass es meinem Kind freisteht, jederzeit aus beliebigem Grund aus dem Programm auszusteigen. Wenn mein Kind aus dem Programm austreten möchte, werde ich den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin informieren, damit die Teilnahme meines Kindes ordnungsgemäß beendet und seine weitere Versorgung besprochen werden kann.
- Mir ist bekannt, dass mir alle Informationen mitgeteilt werden, die Auswirkungen auf meine Bereitschaft, mein Kind weiterhin am Programm teilnehmen zu lassen, haben könnten.
- Sollten bei meinem Kind körperliche oder psychische Symptome oder Probleme auftreten, werde ich den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin informieren.

- Mir ist bekannt, dass ich ein unterzeichnetes und datiertes Exemplar dieser Einwilligungserklärung für meine Unterlagen erhalte.
- Wenn ich in die Teilnahme meines Kindes an diesem Programm einwillige, verzichte ich nicht auf gesetzliche Rechte im Fall von fahrlässigem Verhalten oder sonstigem rechtlichen Verschulden von an diesem Programm beteiligten Personen. Keine der Angaben im Informationsblatt und dieser Einwilligungserklärung soll geltende lokale Gesetze in Bezug auf die informierte Einwilligung ändern.

Vor- und Nachname des Elternteils oder Sorgeberechtigten (in Druckbuchstaben)

Unterschrift des Elternteils oder Sorgeberechtigten

Datum

Ggf. Vor- und Nachname des zweiten Elternteils oder Sorgeberechtigten (in Druckbuchstaben)

Ggf. Unterschrift des zweiten Elternteils oder Sorgeberechtigten Datum

Vor- und Nachname des behandelnden Programmarztes/der behandelnden Programmärztin oder der aufklärenden Person (in Druckbuchstaben)

Unterschrift des Programmarztes/der Programmärztin
oder der aufklärenden Person

Datum

Unabhängiger Zeuge (falls nötig)

Ich bin ein unabhängiger Zeuge und war während des gesamten Aufklärungsgesprächs zur Einwilligungserklärung anwesend. Ich bestätige, dass die Informationen in dieser Einwilligungserklärung genau erläutert und von _____ offensichtlich verstanden wurden und dass er/sie freiwillig in die Teilnahme seines/ihres Kindes eingewilligt hat.

Vor- und Nachname des Zeugen (in Druckbuchstaben)

Unterschrift des Zeugen

Datum

ANHANG A

INFORMATIONSBLETT ZUM SCHUTZ PERSONENBEZOGENER DATEN UND EINWILLIGUNGSERKLÄRUNG für die Verarbeitung von personenbezogenen Daten

für Eltern/Sorgeberechtigte

ZU EINEM HÄRTEFALLPROGRAMM ZU EINEM NOCH NICHT ZUGELASSENEN ARZNEIMITTEL (GIVINOSTAT)
--

Liebe Eltern/Sorgeberechtigte von,

<Behandlungszentrum> stellt Ihnen die nachstehenden Informationen in Bezug auf die Verarbeitung personenbezogener Daten infolge des Inkrafttretens der neuen Verordnung (EU) 2016/67 am 25. Mai 2018 zur Verfügung. Dies sind Informationen über Ihr Kind, die vom <Behandlungszentrum> erhoben werden, wenn Sie der Teilnahme Ihres Kindes am Härtefallprogramm zu einem noch nicht zugelassenen Arzneimittel (Givinostat) zustimmen, über das Sie durch das von Ihnen unterzeichnete Informationsblatt und die Einwilligungserklärung informiert worden sind.

Bitte beachten Sie, dass „personenbezogene Daten“ alle Informationen sind, die zur Identifizierung Ihres Kindes verwendet werden können und sich daher auf Sie beziehen.

1. Warum sollten Sie dieses Informationsblatt lesen?

Das <Behandlungszentrum> verwendet die Informationen über Ihr Kind, wobei Sie das Recht haben, darüber informiert zu werden, um welche Informationen es sich handelt, für welche Zwecke sie verwendet werden, an wen sie möglicherweise weitergegeben werden usw. Nachdem Sie über die Folgen Ihrer Verweigerung der Einwilligung informiert wurden, können Sie frei entscheiden, ob Sie dem <Behandlungszentrum> die Verarbeitung der personenbezogenen Daten Ihres Kindes erlauben oder nicht.

2. Wer ist der Datenverantwortliche für die personenbezogenen Daten Ihres Kindes?

Der Datenverantwortliche für die personenbezogenen Daten Ihres Kindes ist <Behandlungszentrum>.

3. Andere Einrichtungen, die am Härtefallprogramm beteiligt sind

Folgende anderen Einrichtungen sind ebenfalls am Härtefallprogramm beteiligt und mit der Verarbeitung personenbezogener Daten befasst:

Name der Einrichtung	Rolle im Programm

Der Ansprechpartner/Die Ansprechpartnerin für die Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten, der im Auftrag handelt, ist <Behandlungszentrum>. Die Kontaktdaten lauten wie folgt: <Kontaktdaten>.

<Behandlungszentrum> garantiert, dass die Verarbeitung personenbezogener Daten unter Berücksichtigung der Grundrechte und Grundfreiheiten sowie der Würde des Betroffenen mit besonderem Bezug auf die Vertraulichkeit, die persönliche Identität und das Recht auf Schutz personenbezogener Daten gemäß den Bestimmungen der Verordnung 679/2016/EU, den nationalen italienischen Rechtsvorschriften zur Harmonisierung mit dieser Verordnung und den von der <zuständige Datenschutzbehörde> zu diesem Thema getroffenen Maßnahmen erfolgt.

Die verschlüsselte Patientenidentifikationsnummer Ihres Kindes, sein Gewicht und sein Alter werden an Italfarmaco S.p.A. und an Dritte (Einzelpersonen und/oder Unternehmen), die im Auftrag die Bereitstellung des Medikaments übernehmen, übermittelt.

4. Wer ist der Datenschutzbeauftragte (DSB) im Sinne von Art. 13.1b der Verordnung 679/2016/EU?

DSB im Auftrag von <Behandlungszentrum>

Um Ihre Rechte auszuüben, können Sie sich an den/die vom <Behandlungszentrum> benannten/benannte Datenschutzbeauftragten/Datenschutzbeauftragte, <Name DSB>, wenden, den/die Sie unter der folgenden E-Mail-Adresse erreichen können: <E-Mail Adresse DSB>

5. Welche Daten benötigen wir von Ihnen?

Bei den Daten, die von <Behandlungszentrum> im Rahmen des Härtefallprogramms verarbeitet werden, handelt es sich um gewöhnliche personenbezogene Daten, die zur Identifizierung dienen, sowie um Daten spezieller Kategorien:

- genetische Daten
- biometrische Daten
- gesundheitsbezogene Daten
- Daten zur ethnischen Herkunft
- Daten zum Lebensstil oder zur sexuellen Orientierung

Wir möchten Sie darauf hinweisen, dass die Bereitstellung der personenbezogenen und speziellen Daten, die Gegenstand dieses Härtefallprogramms sind, erforderlich ist, damit die Daten Ihres Kindes im Rahmen der Durchführung des oben genannten Programms verarbeitet werden können. Wenn Sie die Daten nicht korrekt angeben, kann die Teilnahme Ihres Kindes am Härtefallprogramm nicht garantiert werden.

Die Daten Ihres Kindes werden mit einem Code verarbeitet, der jedem Patienten zugewiesen wird.

Der Datenverantwortliche ergreift alle technischen und organisatorischen Maßnahmen, um die Einhaltung des Grundsatzes der Datenminimierung gemäß Art. 89 der Verordnung (EU) 2016/679 zu gewährleisten.

6. Zwecke der Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten (Art. 13.1.c Verordnung 679/2016)

Alle personenbezogenen und vertraulichen Daten, die Sie uns zur Verfügung stellen, werden von dem Datenverantwortlichen auf der Grundlage eines oder mehrerer der folgenden legitimen Gründe verarbeitet:

- Einwilligung der betroffenen Person (Art. 6.1, Buchstabe a) und Art. 9.2, Buchstabe a) Verordnung 679/2016)
- Schutz der lebenswichtigen Interessen der betroffenen Person und/oder der Allgemeinheit (Art. 6.1, Buchstabe d) Verordnung 679/2016)
- Notwendigkeit der Verarbeitung zur Wahrung eines lebenswichtigen Interesses der betroffenen Person oder einer anderen natürlichen Person, wenn die betroffene Person physisch oder rechtlich nicht in der Lage ist, ihre Einwilligung zu erteilen (Art. 9 Abs. 2 Buchstabe a) Verordnung 679/2016)
- Notwendigkeit der Verarbeitung aus Gründen des öffentlichen Interesses im Bereich der öffentlichen Gesundheit, etwa zum Schutz vor schwerwiegenden

grenzüberschreitenden Gesundheitsbedrohungen oder zur Gewährleistung eines hohen Qualitäts- und Sicherheitsniveaus in der Gesundheitsversorgung, bei Arzneimitteln und Medizinprodukten, auf der Grundlage des Rechts der Europäischen Union oder der Mitgliedstaaten, das angemessene und spezifische Maßnahmen zum Schutz der Rechte und Freiheiten der betroffenen Person erfordert, insbesondere das Berufsgeheimnis (Art. 9 Abs. 2 Buchstabe i) Verordnung 679/2016)

Im Folgenden sind die Zwecke aufgeführt, für die die personenbezogenen Daten Ihres Kindes verarbeitet werden:

- Aufnahme in die Computerdatenbanken des Unternehmens
- Durchführung, Überwachung und Fortschritte des Härtefallprogramms
- Beantwortung spezifischer Anfragen der betroffenen Person

7. Mögliche Empfänger oder Kategorien von Empfängern personenbezogener Daten (Art. 13.1, Buchstabe e) Verordnung 679/2016)

Die personenbezogenen Daten Ihres Kindes können, falls erforderlich, zusätzlich zu den unter Punkt 7 aufgeführten Personen an eine oder mehrere bestimmte Personen weitergegeben/übermittelt werden:

- Personen, deren Recht auf Zugang zu den Daten durch das Gesetz, Sekundärrecht oder EU-Recht sowie durch Tarifverhandlungen festgelegt ist

Personenbezogene Daten über den Gesundheitszustand, den Lebensstil oder die sexuelle Orientierung, die ethnische Herkunft, genetische Daten und biometrische Daten werden in keinem Fall weitergegeben (d. h. in irgendeiner Weise an andere, nicht spezifizierte Personen weitergegeben).

8. Übermittlung von Daten in Nicht-EU-Länder (Art. 13.1, Buchstabe f) Verordnung 679/2016/EU)

Personenbezogene Daten, die Gegenstand des Härtefallprogramms sind, werden nicht an Dritte weitergegeben, die nicht innerhalb der EU tätig sind.

Oder im Falle eines externen Datenverantwortlichen

Personenbezogene Daten, die Gegenstand des Programms sind, werden möglicherweise an Dritte weitergegeben, die nicht innerhalb der EU tätig sind.

Länder, die ein angemessenes Maß an Schutz und Vertraulichkeit gewährleisten

Die folgenden Länder garantieren ein angemessenes Schutzniveau und die Vertraulichkeit personenbezogener Daten gemäß Artikel 45, 46 und 47 der Verordnung 679/2016/EU.

Land	Entscheidung über Angemessenheit	Angemessene/geeignete Garantien

In die in diesem Absatz aufgeführten Länder, die kein angemessenes Datenschutz- und Sicherheitsniveau bieten, ist eine Übermittlung nur möglich, wenn die betroffene Person ihre Einwilligung gibt (Art. 49, Absatz 1, Buchstabe a). **Diese Länder sind: ...**

Personenbezogene Daten, die Gegenstand des Härtefallprogramms sind, werden unter Verwendung des generierten Codes und nicht des Namens übermittelt.

9. Kriterien zur Bestimmung des Zeitraums der Aufbewahrung (Art. 13.2, Buchstabe a) Verordnung 679/2016)

<Behandlungszentrum> erklärt, dass es die Unterlagen zum Härtefallprogramm, die personenbezogene Daten Ihres Kindes enthalten, für **XXXX (____)** Jahre aufbewahren wird.

ODER

Die personenbezogenen Daten und medizinischen Befunde Ihres Kindes werden nach Abschluss oder vorzeitiger Beendigung des Härtefallprogramms in Übereinstimmung mit den örtlichen Gesetzen archiviert, können aber länger aufbewahrt werden, wenn dies aufgrund gesetzlicher Bestimmungen erforderlich ist.

10. Modalitäten der Datenverarbeitung

Die Daten, die auch elektronisch verarbeitet werden können, werden in streng anonymer Form verbreitet, zum Beispiel in wissenschaftlichen und statistischen Veröffentlichungen und auf wissenschaftlichen Konferenzen.

Sie können die Teilnahme Ihres Kindes am Härtefallprogramm jederzeit und ohne Angabe von Gründen abbrechen; in diesem Fall werden keine weiteren Daten über Ihr Kind erhoben.

11. Ihre Rechte (Art. 13.2, Buchstabe b) Verordnung 679/2016)

Bitte beachten Sie, dass Sie jederzeit die folgenden Rechte ausüben können:

- Recht auf jederzeitigen Widerruf Ihrer Einwilligung, unbeschadet der Rechtmäßigkeit der Verarbeitung, auf der Grundlage der vor dem Widerruf erteilten Einwilligung, gemäß Art. 7.3 Verordnung 679/2016
- Recht, den Datenverantwortlichen gemäß Art. 15 Verordnung 679/2016 um Auskunft über die personenbezogenen Daten zu bitten
- Recht, den Datenverantwortlichen gemäß Art. 16 Verordnung 679/2016 aufzufordern, die personenbezogenen Daten zu ändern, wenn dies nicht im Widerspruch zu den geltenden Vorschriften über die Datenspeicherung und die Notwendigkeit steht, im Falle eines Rechtsstreits die Angehörigen der Gesundheitsberufe zu schützen, die sie verarbeitet haben
- Recht, den Datenverantwortlichen gemäß Art. 17 Verordnung 679/2016 aufzufordern, die personenbezogenen Daten zu löschen, wenn dies nicht im Widerspruch zu den geltenden Vorschriften über die Datenspeicherung und die Notwendigkeit steht, im Falle eines Rechtsstreits die Angehörigen der Gesundheitsberufe zu schützen, die sie verarbeitet haben
- Recht, den Datenverantwortlichen gemäß Art. 18 Verordnung 679/2016 um die Einschränkung der Verarbeitung der personenbezogenen Daten zu bitten
- Recht auf Widerspruch gegen die Datenverarbeitung gemäß Art. 21 Verordnung 679/2016
- Recht, vom Datenverantwortlichen nur in den in Art. 20 der Verordnung 679/2016 vorgesehenen Fällen zu verlangen, dass die personenbezogenen Daten in einem lesbaren Format an einen anderen Gesundheitsdienstleister übermittelt werden

12. Recht auf Einreichung einer Beschwerde (Art. 13.2, Buchstabe d) Verordnung 679/2016

Sie haben jederzeit das Recht, bei **<zuständige Datenschutzbehörde>** eine Beschwerde einzureichen, um die Rechte Ihres Kindes geltend zu machen oder um andere Fragen im Zusammenhang mit der Verarbeitung personenbezogener Daten zu klären.

2. EINWILLIGUNGSERKLÄRUNG

Ich, der/die Unterzeichnende (Vor- und Nachname) _____

geboren in _____ am _____

Krankenversicherungsnummer _____

Wohnort (Gemeinde, Landkreis, Bundesland) _____

Anschrift _____

In meiner persönlichen Eigenschaft oder durch Erklärung in eigener Verantwortung als
(Zutreffendes ankreuzen):

Eltern von _____ (bei Minderjährigen)

Sorgeberechtigte von _____ (bei Minderjährigen)

JA, ich stimme zu oder **NEIN, ich stimme nicht zu,**
dass die personenbezogenen Daten meines Kindes während des Programms vom
behandelnden Arzt/der behandelnden Ärztin des Programms oder seinen/ihren
Mitarbeitern und der von den Gesundheits- und Justizbehörden autorisierten Person
wie beschrieben und in Übereinstimmung mit dem in diesem Dokument definierten
Verfahren erhoben und verarbeitet werden.

JA, ich stimme zu oder **NEIN, ich stimme nicht zu,**
dass die personenbezogenen Daten meines Kindes (wie in Abschnitt 3 aufgeführt) an
Italfarmaco S.p.A. und Dritte (Einzelpersonen und/oder Unternehmen), die im
Auftrag die Bereitstellung des Medikaments übernehmen, übermittelt werden.

JA, ich stimme zu oder **NEIN, ich stimme nicht zu,**
dass die personenbezogenen Daten meines Kindes zu den in diesem Dokument
genannten Zwecken in Länder außerhalb der EU übermittelt werden. Ich bin mir
bewusst, dass die Gesetze in diesen Ländern möglicherweise nicht das gleiche Maß
an Datenschutz bieten wie in meinem Land. Ich bin mit der Verarbeitung und
Speicherung meiner verschlüsselten personenbezogenen Daten in diesen
Drittländern einverstanden.