

# Recommended child assent form for an compassionate use program in Duchenne muscular dystrophy

For younger children (6-11 years old)

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.
Company who produces the drug:	Italfarmaco S.p.A.
Doctor name:	
Hospital where the doctor works	
Where you will go for your visits:	[insert name & address of site]
Program Doctor Daytime Telephone Number:	[insert telephone number]



## Why are you asking me to be in this compassionate use (treatment) program?

You are being asked to take part in this treatment program because you have Duchenne muscular dystrophy (DMD), you are able to walk, are aged 6 years and older and are currently receiving corticosteroid treatment. Your doctor is advising this treatment because it may improve your condition. We do not know with certainty that it will work for you. You may or may not benefit from this treatment, or this treatment could make you feel worse. Your doctor is advising this treatment program because at the moment you cannot be a candidate for any other DMD medicine except for corticosteroids, medicine you are familiar with and already taking.

You will choose if you want to be in this treatment program or not.

## How do I make this choice?

Before you make a choice to either join or not, your doctor will tell you about it first. You should talk about it with your family too. You can also ask the doctor any questions you have.

Your parent or the person who takes care of you also got some information about the program. They said it's OK for you to join if you want. You can also ask to read the information they got.

**Being in the program is your choice.**

## What will happen during the treatment program?

If you decide to take part to this program your treating doctor will visit you and do some tests to make sure it is ok for you to be in the program. Please look at the following list and ask to your doctor about anything that is not clear to you:

### Who Can Join the Programme:

- You have a condition called Duchenne muscular dystrophy (DMD).
- You can still walk.
- You are 6 years or older.
- You are taking a medicine called corticosteroids for your DMD.
- You are 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.
- You agree to use protection to avoid having a baby (this will be explained to you if needed).
- You live in the country where this programme is happening and have health insurance.

### Who Cannot Join the Programme:

- Your blood has a low number (less than  $150 \times 10^9/l$ ) of cells called platelets (these help your blood stop bleeding). Your doctor can explain what this means.
- You have too much fat (called triglycerides more than 300 mg/dl) in your blood. Your doctor can explain this too.
- You are taking other new or special medicines for DMD (except corticosteroids).
- You have previously taken any DMD drug (investigational or licensed) other than corticosteroids, and not enough time has passed since you stopped taking it (i.e., without an adequate washout period). Your doctor can explain what this means.
- You are already in another special medicine programme (called a CUP) or any ongoing clinical trial or you can join any ongoing clinical trial for DMD.
- You have hypersensitivity to some parts of the CUP medication.
- You have some intolerances to some substances called sorbitol or fructose: your doctor can explain you and your parent or the person taking care of you what this means in case this is not clear to you.

If your doctor says you can be in the program, they will communicate to you, your parent or the person who takes care of you when you have to go to the hospital to have visits and tests. For example, your treating doctor will have to take some of your blood more frequently when you start the treatment and can decide to make more or less visits depending on how you feel.

Here are some of the things we might do at a hospital visit:

- ✓ Give you a check-up that could include examination of your body, measurement of height, weight, temperature, blood pressure and other vital signs
- ✓ Take some of your blood : this will usually happens 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 blood cells in your body and to check the amount of fat in your blood (called triglycerides). Triglycerides will be measured before starting treatment with givinostat, on the third month, on the sixth month and then every 6 months.
- ✓ Look at your heart using special machines called ECG. Having this test will not be painful.
- ✓ Ask you to show us how you walk and move.
- ✓ Ask you questions about how you are feeling and the medicines you are taking.

Not all of these things will take place at all of the visits. The doctor can tell you more about which things happen at each visit.

At home, you will need to take a liquid medicine once in the morning and once in the evening.

### **Will it hurt if I take part in this program?**

If you think that the medicine is not good for you, or if something seems strange to you, tell your parents or your doctor right away. This is very important so that we can help you properly. For example, the medicine may make you feel tired, make your body hurt, cause upset tummy and may cause you to throw up or go poop a lot or not enough. The program medicine may cause a fever and red bumps or spots on your skin. The program medicine might make you feel bad or do something to your body we don't know yet. If you feel different, tell your parent, guardian, doctor or nurse.

Collecting blood may hurt a little, like a sharp scratch, but the nurse or doctor will do their best not to hurt you. They may use a small plastic tube in your arm to collect the blood several times. You can have your parent or guardian with you, or your favourite toy. The doctor may also use a cream to help you not feel hurt.

When we check your heart with an ECG, sticky patches will be put on your arms, legs and chest. Taking off the sticky patches may feel funny or bother you but it should not hurt.

### Do I have to be in the program?

**No.** it is your choice.

No one will be upset if you say **No** to being in the program. Your doctor will still take care of you.

If you say Yes, it should be because you want to.

### Can I leave the program if I change my mind?

**Yes.**

Even if you say **Yes** now, you can stop at any time if you change your mind. You do not have to tell us the reason, and no one will be upset with you or your family.

### Will my information be safe?

We will do everything we can to keep the information we learn about you safe.

Sign this form only if you:

- ✓ have understood what you will be doing for this program,
- ✓ have had all your questions answered,
- ✓ have talked to your parent(s) or person looking after you about this program, and
- ✓ agree to take part voluntarily

Name and Surname of Child (Print)

\_\_\_\_\_

Assent of Child (Signature)

\_\_\_\_\_

Date

\_\_\_\_\_

Name and Surname of Treating doctor or

\_\_\_\_\_

Date

Person Administering Consent

\_\_\_\_\_

Signature of Treating doctor

\_\_\_\_\_

Date

# Formulaire de consentement de l'enfant recommandé pour un programme d'accès compassionnel dans la dystrophie musculaire de Duchenne

Pour les enfants (6 à 11 ans)

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.
Société qui produit le médicament :	Italfarmaco S.p.A.
Nom du médecin :	
Hôpital où travaille le médecin :	
Lieu de tes visites :	[insérer le nom et l'adresse du centre]
Numéro de téléphone du médecin du programme en journée :	[insérer le numéro de téléphone]



## **Pourquoi me demandez-vous de participer à ce programme d'accès compassionnel (à un traitement) ?**

Tu es invité à participer à ce programme de traitement parce que tu es atteint de dystrophie musculaire de Duchenne tu es capable de marcher, âgé de 6 ans et plus et reçois actuellement un traitement par corticostéroïdes. Ton médecin te recommande ce traitement car il pourrait te permettre d'aller mieux. Nous ne savons pas avec certitude si cela fonctionnera pour toi. Tu pourrais ou non tirer un bénéfice de ce traitement, ou tu pourrais te sentir moins bien à cause de ce traitement. Ton médecin te recommande ce programme car, pour le moment, tu ne peux pas être candidat à un autre médicament contre la DMD, à l'exception des corticoïdes, un médicament que tu connais et que tu prends déjà.

Tu choisiras si tu souhaites ou non participer à ce programme de traitement.



## Comment dois-je faire ce choix ?

Avant de prendre la décision de participer ou non à ce programme, ton médecin te l'expliquera. Tu dois également en parler avec ta famille. Tu peux également poser toutes tes questions au médecin.

Tes parents ou la personne qui s'occupe de toi ont également obtenu des informations sur le programme. Ils ont dit que tu peux participer si tu veux. Tu peux également demander à lire les informations qu'ils ont obtenues.

### **La décision de participer au programme t'appartient.**

## Que se passera-t-il pendant le programme de traitement ?

Si tu décides de participer à ce programme, ton médecin te rendra visite et réalisera des examens pour s'assurer que tu peux y participer. Nous t'invitons à consulter la liste suivante et à interroger ton médecin sur tout ce qui ne te semble pas clair :

Pour pouvoir bénéficier du traitement, tu devras remplir les conditions suivantes :

- ✓ Tu es atteint d'une maladie appelée la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD).
- ✓ Tu peux encore marcher.
- ✓ Tu as 6 ans ou plus.
- ✓ Tu prends des corticoïdes pour ta DMD.

Tu n'es pas candidat à une option thérapeutique pharmacologique DMD autorisée et remboursée ou standard - à l'exception des corticostéroïdes - disponible au moment de l'inclusion.

- ✓ Tu acceptes d'utiliser une protection pour éviter d'avoir un bébé (cela vous sera expliqué si nécessaire).
- ✓ Tu résides dans le pays où se déroule ce programme et disposes d'une assurance maladie.

Tu ne pourras pas bénéficier du traitement, si tu remplis l'une des conditions suivantes :

- ✓ Ton sang présente un faible taux (moins de 150 x 10<sup>9</sup>/l) de plaquettes (elles aident à arrêter les saignements). Votre médecin pourra vous expliquer cela plus en détail si nécessaire.
- ✓ Tu as un taux de graisses (triglycérides, supérieur à 300 mg/dl) trop élevé dans le sang. Ton médecin pourra également t'expliquer cela plus en détails.
- ✓ Tu prends d'autres médicaments nouveaux ou spécifiques pour la DMD (à l'exception des corticoïdes).

- ✓ Tu as déjà pris un médicament contre la DMD (autorisé ou dans le cadre d'un essai clinique) autre que des corticostéroïdes, et tu n'as pas arrêté le traitement depuis suffisamment longtemps (c'est-à-dire sans période de sevrage adéquate). Ton médecin peut t'expliquer ce que cela signifie.
- ✓ Tu participes déjà à un autre programme de médecine spécialisée (appelé PAC) ou à un essai clinique en cours, ou tu pourrais participer à un essai clinique en cours pour la DMD
- ✓ Tu présentes une hypersensibilité aux composants du médicament du programme d'accès compassionnel.
- ✓ Tu présentes une intolérance au sorbitol ou une malabsorption du sorbitol, ou tu présentes la forme héréditaire d'intolérance au fructose. Ton médecin peut t'expliquer, avec l'aide de tes parents ou de la personne qui s'occupe de toi, ce que cela signifie, si besoin

Si ton médecin dit que tu peux participer au programme, il vous expliquera, à toi, à tes parents ou à la personne qui s'occupe de toi, quand tu devras te rendre à l'hôpital pour passer des visites et des examens. Par exemple, ton médecin devra te faire des prises de sang plus fréquemment lorsque tu commenceras le traitement, et il pourra décider d'augmenter ou réduire les visites en fonction de comment tu te sens.

Voici certaines choses que nous pourrions faire lors d'une visite à l'hôpital :

- ✓ Te faire passer un bilan de santé qui pourrait comprendre un examen de ton corps, la mesure de ta taille, de ton poids, de ta température, de ta tension artérielle et d'autres signes vitaux.
- ✓ Une prise de sang est généralement effectuée avant le début du traitement par givinostat, toutes les deux semaines pendant les deux premiers mois de traitement, au troisième mois, puis tous les trois mois par la suite, afin de mesurer le nombre de cellules sanguines et de vérifier la quantité de graisses dans le sang (triglycérides). Les triglycérides seront mesurés avant le début du traitement par givinostat, au troisième mois, au sixième mois, puis tous les six mois..
- ✓ Examiner ton cœur à l'aide d'une machine spéciale, ce que l'on appelle un électrocardiogramme (ECG). Cet examen ne sera pas douloureux.
- ✓ Te demander de nous montrer comment tu marches et te bouges.
- ✓ Te poser des questions pour savoir comment tu te sens et les médicaments que tu prends.

Toutes ces choses n'auront pas lieu à chacune de tes visites. Le médecin pourra t'expliquer ce qui se passe lors de chaque visite.

À la maison, tu devras prendre un médicament liquide une fois le matin et une fois le soir.

### **Est-ce que j'aurai mal si je participe à ce programme ?**

Si tu penses que le médicament n'est pas bon pour toi, ou si quelque chose te semble étrange, tu devras le dire immédiatement à tes parents ou à ton médecin. C'est très

important pour que nous puissions t'aider. Par exemple, le médicament peut te fatiguer, causer des douleurs dans ton corps ou des maux de ventre et te faire vomir ou aller à la selle (faire caca) beaucoup ou pas assez. Le médicament du programme peut provoquer de la fièvre et des boutons rouges ou des boutons sur la peau. Le médicament du programme pourrait te faire te sentir mal ou faire quelque chose à ton corps que nous ne connaissons pas encore. Si tu te sens différent, dis-le à tes parents, à ton tuteur, à ton médecin ou à ton infirmière.

Le prélèvement de sang peut faire un peu mal, comme une éraflure, mais l'infirmière ou le médecin fera de son mieux pour ne pas te faire mal. Ils pourraient utiliser un petit tube en plastique inséré dans ton bras pour prélever le sang plusieurs fois. Tu pourras avoir tes parents ou ton tuteur avec toi, ou ton jouet préféré. Le médecin pourra également utiliser une crème pour t'aider à ne pas sentir de douleur.

Lorsque nous contrôlerons ton cœur par un ECG, des pastilles autocollantes seront apposées sur tes bras, tes jambes et ta poitrine. Le retrait des pastilles autocollantes pourrait te sembler drôle ou gênant, mais cela ne devrait pas te faire mal.

### **Suis-je obligé de participer au programme ?**

**Non.** C'est ton choix.

Personne ne t'en voudra si tu réponds **Non** à la participation au programme. Ton médecin continuera à s'occuper de toi.

Si tu dis « **Oui** », c'est parce que tu le souhaites.

### **Pourrai-je quitter le programme si je change d'avis ?**

**Oui.**

Même si tu réponds **Oui** maintenant, tu peux arrêter à tout moment si tu changes d'avis. Tu n'auras pas à nous en donner la raison et personne n'en voudra à toi ou ta famille.

### **Mes informations seront-elles en sécurité ?**

Nous ferons tout notre possible pour préserver la sécurité des informations que nous apprenons à ton sujet.

-  
Ne signe ce formulaire que si :

- ✓ tu as compris ce que tu feras dans le cadre de ce programme ;
- ✓ tu as obtenu des réponses à toutes tes questions ;
- ✓ tu as parlé de ce programme à ton ou tes parents ou à la personne qui s'occupe de toi ; et

✓ tu acceptes de participer volontairement.

Nom et prénom de l'enfant (en caractères d'imprimerie)

\_\_\_\_\_  
Assentiment de l'enfant (Signature)

\_\_\_\_\_  
Date

---

Nom et prénom du médecin ou  
de la personne recueillant le consentement

---

Date

---

---

Signature du médecin

---

---

Date

# Aanbevolen instemmingsformulier voor kinderen voor een Compassionate Use Programma voor Duchenne spierdystrofie (DMD)

Voor kinderen van 6-11 jaar oud

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 corticosteroiden.
Bedrijf dat het geneesmiddel produceert:	Italfarmaco S.p.A.
Naam arts:	
Ziekenhuis waar de arts werkt:	
Waar u naartoe gaat voor uw bezoeken:	[naam en adres van centrum invoegen ]
Telefoonnummer van de programma-arts voor overdag:	[telefoonnummer invoegen ]

## **Waarom vraagt u mij om mee te doen aan dit Compassionate Use Programma (CUP) voor givinostat?**

Je wordt gevraagd om mee te doen aan dit behandelingsprogramma omdat je Duchenne spierdystrofie hebt en je kunt lopen, je bent 6 jaar of ouder en ontvangt momenteel een corticosteroïdbehandeling. Je dokter raadt je deze behandeling aan omdat deze je aandoening kan verbeteren. We weten niet met zekerheid dat het voor jou zal werken. Je kunt al dan niet baat hebben bij deze behandeling, of deze behandeling kan je je misschien minder goed laten voelen. Je dokter raadt dit behandelingsprogramma aan omdat je op dit moment geen kandidaat kunt zijn voor een ander DMD-geneesmiddel, behalve corticosteroïden, geneesmiddelen die je al kent en al gebruikt.

Je kiest zelf of je aan dit behandelingsprogramma wilt meedoen of niet.

## **Hoe maak ik deze keuze?**

Voordat je kiest om al dan niet mee te doen, zal je dokter je er eerst over vertellen. Je moet er ook over praten met je familie. Je kunt de dokter ook alle vragen stellen die je hebt.

Je ouder of de persoon die voor je zorgt heeft ook wat informatie over het programma gekregen. Ze zeiden dat het goed is dat je meedoet als je dat wilt. Je kunt ook vragen om de informatie die ze hebben gekregen te lezen.

## **Meedoen aan het programma is jouw keuze.**

### **Wat gebeurt er tijdens het behandelingsprogramma?**

Als je beslist om aan dit programma mee te doen, zal de dokter die je behandelt je bezoeken en een aantal tests doen om er zeker van te zijn dat het oké is dat je aan het programma meedoet. Bekijk de volgende lijst en vraag je dokter alles wat je niet duidelijk is:

Wie kan deelnemen aan het programma:

- Je hebt de aandoening Duchenne spierdystrofie (DMD).
- Je kunt nog lopen.
- Je bent 6 jaar of ouder.
- Je gebruikt corticosteroiden voor je DMD.
- Je 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.
- Je stemt ermee in om bescherming te gebruiken om een zwangerschap te voorkomen (dit wordt je indien nodig uitgelegd).
- Je woont in het land waar dit programma plaatsvindt en hebt een ziektekostenverzekering.

Wie kan niet deelnemen aan het programma:

- Jouw bloed bevat een laag aantal (minder dan  $150 \times 10^9/l$ ) bloedplaatjes (deze helpen je bloed te stoppen met bloeden). Jouw arts kan uitleggen wat dit betekent.
- Je hebt te veel vet (triglyceriden, meer dan 300 mg/dl) in jouw bloed. Jouw arts kan dit ook uitleggen.
- Je gebruikt andere nieuwe of speciale medicijnen voor DMD (behalve corticosteroiden).
- Je hebt eerder andere DMD-medicijnen (experimenteel of geregistreerd) gebruikt dan corticosteroiden, en er is nog niet genoeg tijd verstreken sinds je ermee bent gestopt (d.w.z. zonder een adequate uitwasperiode). Jouw arts kan uitleggen wat dit betekent.
- Je neemt al deel aan een ander speciaal geneesmiddelenprogramma (een CUP) of een lopende klinische studie, of je kunt deelnemen aan een lopende klinische studie voor DMD.

Als je dokter zegt dat je aan het programma kunt meedoen, zal hij/zij aan jou, je ouder of de persoon die voor je zorgt vertellen wanneer je naar het ziekenhuis moet komen voor onderzoeken en tests. De dokter die je behandelt zal bijvoorbeeld vaker wat van je bloed moeten afnemen wanneer je met de behandeling begint.

Ook kan hij of zij bepalen of je vaker of minder vaak voor een bezoek moet komen, afhankelijk van hoe jij je voelt.

Hier zijn een aantal dingen die we kunnen doen tijdens een bezoek aan het ziekenhuis:

- ✓ Je tijdens het bezoek controleren, waaronder lichamelijk onderzoek, je lengte controleren, je gewicht bepalen, je temperatuur meten, je bloeddruk en andere vitale functies meten.
- ✓ Er wordt wat bloed afgenomen: dit gebeurt meestal vóór de start van de behandeling met givinostat, elke 2 weken gedurende de eerste 2 maanden van de behandeling, in maand 3, en vervolgens elke 3 maanden, om het aantal bloedcellen in uw lichaam te meten en de hoeveelheid vet in uw bloed (triglyceriden genoemd) te controleren. Triglyceriden worden gemeten vóór de start van de behandeling met givinostat, in de derde maand, in de zesde maand en vervolgens elke 6 maanden.
- ✓ Kijken naar je hart met behulp van speciale machines die ECG worden genoemd. Deze test doet geen pijn.
- ✓ We vragen je om de arts te laten zien hoe je loopt en beweegt.
- ✓ We stellen je vragen over hoe je je voelt.

Niet al deze dingen zullen bij alle bezoeken plaatsvinden. De dokter kan je meer vertellen over welke dingen er bij elk bezoek gebeuren.

Thuis moet je een vloeibaar medicijn innemen, eenmaal 's ochtends en eenmaal 's avonds.

### **Doet het pijn als ik meedoe aan dit programma?**

Als je denkt dat het geneesmiddel niet goed voor je is, of als iets vreemd lijkt voor jou, vertel het dan meteen aan je ouders of je dokter. Dit is erg belangrijk zodat we je goed kunnen helpen. Het geneesmiddel kan bijvoorbeeld zorgen dat je moe wordt, dat je lichaam pijn doet, dat je buik van streek raakt en dat je moet overgeven of heel vaak of juist niet genoeg naar het grote toilet moet. Het geneesmiddel kan koorts en rode bultjes of vlekken op je huid veroorzaken. Het geneesmiddel kan ervoor zorgen dat je je slecht voelt of iets met je lichaam doen dat we nog niet weten. Als je je anders voelt, zeg dit dan tegen je ouder, voogd, dokter of verpleegkundige.

Het afnemen van bloed kan een beetje pijn doen, zoals een scherpe kras, maar de verpleegkundige of dokter zal hun best doen om je geen pijn te doen. Ze kunnen een klein plastic buisje in je arm gebruiken om het bloed meerdere keren af te nemen. Je kunt je ouder of voogd bij je hebben, of je favoriete speeltje. De dokter kan ook een crème gebruiken om ervoor te zorgen dat je geen pijn voelt.

Wanneer de dokter je hart controleert met een ECG, worden er plakkers op je armen, benen en borst aangebracht. Het verwijderen van de plakkers kan vreemd aanvoelen of vervelend zijn, maar het mag geen pijn doen.

## Moet ik aan het programma meedoen?

**Nee.** het is jouw keuze.

Niemand zal boos zijn als je **Nee** zegt tegen meedoen aan het programma. Je dokter zal nog steeds voor je zorgen.

Als je Ja zegt, moet dat zijn omdat je dat zelf wilt.

## Kan ik het programma verlaten als ik van gedachten verander?

**Ja.**

Zelfs als je nu **Ja** zegt, kun je op elk moment stoppen als je van gedachten verandert. Je hoeft ons de reden niet te vertellen en niemand zal boos zijn op jou of je familie.

## Zal mijn informatie veilig zijn?

We zullen er alles aan doen om de informatie die we over jou leren veilig te houden.

Onderteken dit formulier alleen als:

- ✓ je begrepen hebt wat je gaat doen voor dit programma,
- ✓ al je vragen zijn beantwoord,
- ✓ je met je ouder(s) of de persoon die voor je zorgt over dit programma hebt gepraat, en
- ✓ je akkoord gaat met het vrijwillig meedoen.

Naam en achternaam van het kind (in blokletters)

\_\_\_\_\_

Instemming van het kind (handtekening)

\_\_\_\_\_

Datum

\_\_\_\_\_

Naam en achternaam van behandelend arts  
of persoon die de toestemmingsprocedure leidt

\_\_\_\_\_

Datum

=====

Handtekening van behandelend arts

=====

Datum

# Empfohlene Zustimmungserklärung für Kinder zu einem Compassionate Use- Programm bei Duchenne- Muskeldystrophie

Für junge Kinder (6-11 Jahre alt)

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 Deines Arztes/Deiner Ärztin:	[Name einfügen]
Krankenhaus, in dem Dein Arzt/Deine Ärztin arbeitet:	[Adresse einfügen]
Hier finden Deine Untersuchungstermine statt:	[Name und Adresse des Prüfzentrums einfügen]
Telefonnummer Deines Arztes/Deiner Ärztin (tagsüber):	[Telefonnummer einfügen]



## Warum werde ich gebeten, an diesem Compassionate Use-Programm (bzw. dieser Behandlung) teilzunehmen?

Du wirst gebeten, an diesem Behandlungsprogramm teilzunehmen, weil Du an Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) erkrankt bist, du gehfähig bist, mindestens 6 Jahre alt bist und du erhält derzeit eine Kortikosteroid-Behandlung.

Dein Arzt rät Dir zu dieser Behandlung, weil sie Deinen Zustand verbessern kann. Wir wissen nicht mit Sicherheit, ob das bei Dir funktionieren wird. Es kann sein, dass Dir diese Behandlung hilft, aber auch, dass Du Dich dadurch schlechter fühlst. Dein Arzt/Deine Ärztin ist der Meinung, dass Du bei diesem Behandlungsprogramm mitmachen solltest, weil Du im Moment

keine andere Behandlung gegen Deine Duchenne-Muskeldystrophie erhalten kannst als die Kortikosteroide, die Du schon kennst und zurzeit einnimmst.

Du entscheidest selbst, ob Du an diesem Behandlungsprogramm teilnehmen möchtest oder nicht.

## **Wie kann ich diese Entscheidung treffen?**

Bevor Du Dich dafür oder dagegen entscheidest, bei dem Programm mitzumachen, informiert Dich Dein Arzt/Deine Ärztin ausführlich darüber. Du solltest auch mit Deiner Familie darüber sprechen. Du kannst dem Arzt/der Ärztin auch alle Fragen stellen, die Du hast.

Deine Eltern oder die Person, die Dich betreut, haben ebenfalls Informationen über das Programm erhalten. Sie sind mit Deiner Teilnahme einverstanden, wenn Du mitmachen willst. Du kannst Dir gerne auch die Informationen durchlesen, die sie bekommen haben.

**Es ist Deine Entscheidung, ob Du an dem Programm teilnehmen willst.**

## **Wie läuft das Behandlungsprogramm ab?**

Wenn Du entscheidest, dass Du bei diesem Programm mitmachen möchtest, wird Dein Arzt ein paar Tests mit Dir machen, um sicher zu sein, dass es keine Gründe gibt, warum Du doch nicht bei dem Programm mitmachen solltest.

Bitte schaue Dir die folgende Liste an, die dafür überprüft wird und frage Deinen Arzt/Deine Ärztin alles, was Du nicht verstehst:

Wer kann am Programm teilnehmen:

- Du leitest an der Muskeldystrophie Duchenne (DMD).
- Du kannst noch laufen.
- Du bist 6 Jahre oder älter.
- Du nimmst Kortikosteroide gegen Ihre DMD ein.
- Du bist ist kein Kandidat für eine zum Zeitpunkt der Aufnahme verfügbare zugelassene und erstattungsfähige oder standardmäßige pharmakologische DMD-Therapieoption (mit Ausnahme von Kortikosteroiden).
- Du verpflichtest dich, Verhütungsmittel zu verwenden, um eine Schwangerschaft zu vermeiden (dies wird dir bei Bedarf erklärt).
- Du wohnst in dem Land, in dem dieses Programm durchgeführt wird, und bist krankenversichert.

Wer kann nicht am Programm teilnehmen:

- Dein Blut enthält eine geringe Anzahl (weniger als  $150 \times 10^9/l$ ) von Blutplättchen (diese helfen, Blutungen zu stoppen). Dein Arzt kann dir erklären, was das bedeutet.

- Du hast zu viel Fett (sogenannte Triglyceride, über 300 mg/dl) in deinem Blut. Dein Arzt kann dir auch dies erklären.
- Du nimmst andere neue oder spezielle Medikamente gegen DMD ein (außer Kortikosteroide).
- Du hast zuvor ein anderes DMD-Medikament (Prüfpräparat oder zugelassenes Medikament) als Kortikosteroide eingenommen und es ist nicht genügend Zeit vergangen, seit du die Einnahme beendet hast (d. h. ohne ausreichende Auswaschphase). Dein Arzt kann dir erklären, was dies bedeutet.
- Du nimmst bereits an einem anderen speziellen Medikamentenprogramm (CUP) oder einer laufenden klinischen Studie teil oder kannst an einer laufenden klinischen Studie für DMD teilnehmen.
- Du hast eine Überempfindlichkeit (so ähnlich wie eine Allergie) gegen irgendeinen Bestandteil der Medizin, die Du im Rahmen des Programms erhältst
- Du hast Unverträglichkeiten gegenüber bestimmten Substanzen namens Sorbit oder Fruktose: Dein Arzt kann dir und deinen Eltern oder der Person, die dich pflegt, erklären, was das bedeutet, falls dir dies nicht klar ist.

Wenn der Programmarzt/Die Programmärztin sagt, dass Du am Programm teilnehmen kannst, wird er/sie Dir, Deinen Eltern bzw. der Person, die Dich betreut, sagen, wann ihr für die Untersuchungstermine und Tests zum Krankenhaus kommen sollt. Zum Beispiel muss der Arzt/die Ärztin, der/die Dich behandelt, am Anfang der neuen Behandlung öfter Blut bei Dir abnehmen. Und er/sie kann auch sagen, dass ihr öfter oder weniger oft für Untersuchungen zum Krankenhaus kommen sollt. Das hängt davon ab, wie es Dir geht.

Wenn Du zum Krankenhaus kommst, werden wir vielleicht Folgendes machen:

- ✓ Wir untersuchen Dich gründlich. Das kann zum Beispiel eine allgemeine Untersuchung Deines Körpers umfassen oder wir messen wie groß Du bist, wie schwer Du bist, Deine Körpertemperatur, Deinen Blutdruck und anderer Dinge, die „Vitalzeichen“ genannt werden.
- ✓ Wir nehmen Dir Blut ab. Dies geschieht üblicherweise vor Beginn der Behandlung mit Givinostat, alle 2 Wochen während der ersten 2 Monate der Behandlung, im dritten Monat und danach alle 3 Monate, um die Anzahl Ihrer Blutzellen und Ihren Blutfettgehalt (die sogenannten Triglyceride) zu messen. Die Triglyceride werden vor Beginn der Behandlung mit Givinostat, im dritten Monat, im sechsten Monat und anschließend alle 6 Monate gemessen.
- ✓ Wir zeichnen mit einem Spezialgerät ein Elektrokardiogramm (EKG) auf; das ist eine Untersuchung Deines Herzens und tut nicht weh.
- ✓ Wir bitten Dich, uns zu zeigen, wie Du gehst und wie Du Dich allgemein bewegst.
- ✓ Wir fragen Dich, wie es Dir geht und die Medikamente, die du einnimmst.

Nicht alles davon passiert bei jedem Besuchstermin. Der Arzt/Die Ärztin kann Dir mehr darüber sagen, wie die einzelnen Untersuchungstermine ablaufen.

Zu Hause musst Du einmal morgens und einmal abends ein flüssiges Medikament einnehmen.

## Wird es weh tun, wenn ich an dem Programm teilnehme?

Wenn Du das Gefühl hast, dass die Medizin nicht gut für Dich ist oder wenn Dir irgendwas komisch vorkommt, sage das bitte sofort Deinen Eltern oder Deinem Arzt/Deiner Ärztin. Das ist sehr wichtig, damit wir Dir möglichst gut helfen können.

Es kann zum Beispiel sein, dass die Medizin Dich müde macht, dass Dir irgendwas weh tut, dass Du Bauchschmerzen bekommst oder dass Du Dich übergeben musst. Auch kann es sein, dass Du entweder Durchfall hast, also ganz oft für ein großes Geschäft auf die Toilette musst, oder aber, dass Du Verstopfung hast, also Dein großes Geschäft nicht gut erledigen kannst. Außerdem kann die Medizin, die Du im Programm einnimmst, Fieber und rote Beulen oder Flecken auf der Haut hervorrufen. Und die Medizin könnte auch dazu führen, dass Du Dich allgemein schlecht fühlst, oder sie könnte etwas mit Deinem Körper machen, von dem wir noch nichts wissen. Bitte sage deshalb Deinen Eltern, der Person, die Dich betreut, dem Arzt/der Ärztin oder der Schwester/dem Pfleger Bescheid, wenn Du Dich irgendwie anders fühlst als sonst.

Wenn man Dir Blut abnimmt, kann das etwas weh tun, wie bei einem Kratzer. Die Schwester/der Pfleger oder der Arzt/die Ärztin werden sich aber bemühen, Dir nicht weh zu tun. Wenn sie öfter Blut abnehmen müssen, führen sie vielleicht einen kleinen Plastikschauch in Deinen Arm ein. Deine Eltern oder die Person, die Dich betreut, können dabei sein und Du kannst auch gern Dein Lieblingsspielzeug mitbringen. Der Arzt/Die Ärztin kann auch eine Creme auf Deinen Arm auftragen, die hilft, dass es nicht weh tut.

Wenn wir Dein Herz mit dem EKG untersuchen, kleben wir dafür Pflaster auf Deine Arme, Deine Beine und Deinen Brustkorb. Es kann sich komisch anfühlen oder unangenehm sein, wenn diese wieder abgezogen werden, aber das sollte nicht weh tun.

## Muss ich an dem Programm teilnehmen?

**Nein**, es ist Deine Entscheidung.

Niemand wird Dir böse sein, wenn Du Dich **gegen** die Teilnahme an dem Programm entscheidest.

Dein Arzt/Deine Ärztin wird sich weiterhin um Dich kümmern.

Wenn Du zustimmst, solltest Du es tun, weil Du es willst.

## Kann ich aus dem Programm ausscheiden, wenn ich meine Meinung ändere?

**Ja**.

Auch wenn Du jetzt **“Ja“ sagst**, kannst Du jederzeit wieder aufhören, wenn Du Deine Meinung änderst. Du musst uns den Grund nicht nennen. Niemand wird Dir oder Deiner Familie böse sein.

## Sind meine Daten sicher?

Wir tun alles in unserer Macht Stehende, um die Informationen, die wir über Dich erhalten, zu schützen.

Unterschreibe diese Erklärung nur, wenn folgende Punkte zutreffen:

- ✓ Du hast verstanden, was bei der Teilnahme an diesem Programm auf Dich zukommt.
- ✓ Alle Deine Fragen wurden beantwortet.
- ✓ Du hast mit Deinen Eltern oder der Person, die Dich betreut, über dieses Programm gesprochen.
- ✓ Du stimmst der Teilnahme freiwillig zu.

Name des Kindes  
(BITTE IN DRUCKSCHRIFT)

-----  
Unterschrift des Kindes

-----  
Datum

Name behandelnder Arzt/Ärztin  
oder aufklärender Person  
(BITTE IN DRUCKSCHRIFT)

-----  
Unterschrift des behandelnden Arztes/der  
behandelnden Ärztin bzw. der aufklärenden  
Person

-----  
Datum