

Recommended young person assent form for a compassionate use program in Duchenne muscular dystrophy

For older children (12-17 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 you this treatment program because at the moment you cannot be candidate to participate in any ongoing clinical trial with givinostat or any other ongoing clinical trial and are 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.

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.



Should I join this treatment program?

Here are some of the main reasons you should think about before choosing to join this treatment program:

Main reasons you might want to join the treatment program:	Main reasons you might not want to join the treatment program:
<ul style="list-style-type: none">✓ Your doctor is advising this treatment because they think it may help you.	<ul style="list-style-type: none">✓ You may not have any benefit from the treatment.✓ The hospital visits and assessments will require some of your time.✓ The treatment may have some adverse events (side effects). The doctor might change your dose to make these negative effects go away.
 These are just some of the things that might help you decide if you want to join the treatment program. Your doctor will explain more about the risks, benefits, and alternatives to joining the treatment program, and you will find additional information going on reading this document.	

What will happen during the treatment program?

If you decide to participate the treating doctor will do some tests and evaluations on you to determine whether you meet the requirement to participate, as well as the standard evaluations as per DMD clinical practice.

Who Can Join the Programme:

- You have a condition called Duchenne muscular dystrophy (DMD).
- You can still walk.
- You are 6 years old 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 any hypersensitivity to the components of the CUP medication.
- You have a sorbitol intolerance or sorbitol malabsorption or have the hereditary form of fructose intolerance. Please ask your doctor, together with your parent or the person who takes care of you, if needed.

If, after these tests, the program doctor evaluates that you do not meet all of the requirements to participate in the program, you will be informed as well as your parent or the person who takes care of you, and together can discuss with the treating doctor the next steps for you.

If the program doctor evaluates that you meet the requirements to participate to the program, here are some of the things we might do at a hospital visit:

- ✓ Give you a check-up, that could include physical exam, height, weight, vital signs (blood pressure, pulse rate, temperature)
- ✓ Take some of your blood. Usually 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 blood cells in your body; also the triglycerides, a type of fat in your blood, will be measured before starting treatment with givinostat, on the third month, on the sixth month and then every 6 months
- ✓ You may have an electrocardiogram (ECG) to measure the electrical activity of your heart
- ✓ Ask you to show how you walk and move (Functional movement tests)
- ✓ Ask you questions about how you are feeling and the medicines you are taking.

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. In any case, the treating doctor will decide on the frequency and type of assessment, in the best interest of your safety

At home, you will need to take a liquid medicine once in the morning and once in the evening. Your doctor will show you how to best take the medicine, and how your parents or you need to store it at home.

What are the side effects of the program drug and tests that I will have?

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 blood, most notably the number of blood platelets responsible for clotting of the blood (a condition known as thrombocytopenia).
 - Your doctor will check your blood for levels of platelets before treatment and regularly during the entire course of treatment with Givinostat.
 - Your doctor may reduce your dose to increase your platelet count or stop treatment with Givinostat if thrombocytopenia continues.
 - Inform your doctor if you notice any unexpected bleeding.
 - Your doctor can explain to you, together with your parent or the person who takes care of you, what this means in case it is not clear to you.
- Givinostat may be associated with increased levels of fats (triglycerides) in your blood.
 - Your doctor will do blood tests before you start 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 blood.
 - Your doctor may stop treatment if the levels of fats in your blood (triglycerides) do not decrease despite dietary measures and dose reductions.
 - Your doctor can explain to you, together with your parent or the person who takes care of you, what this means in case it is not clear to you.
- You may experience diarrhoea and vomiting while taking givinostat.
 - Your doctor may adjust the dose of givinostat based on severity of diarrhoea or stop treatment if diarrhoea and vomiting do not improve.
 - Your doctor might consider the use of medicines to treat vomiting, diarrhoea and to avoid excessive loss of fluids.
 - Your doctor can explain to you, together with your parent or the person who takes care of you, what this means in case it is not clear to you.
- High doses of givinostat (5 times higher than the recommended dose) may cause an irregular heartbeat. Your doctor will consider if you can use givinostat when there is an increased risk for abnormal heartbeat, abnormal mineral levels in your body or concomitant use of other medicines.
 - Your doctor may check your heart function when starting givinostat if you have an underlying heart problem or if you use medicines that can cause irregular heartbeat.
 - Your doctor may consider to stop treatment with givinostat if your heartbeat is found irregular.
 - Your doctor can explain to you, together with your parent or the person who takes care of you, what this means in case it is not clear to you.

- Contact your doctor, together with your parent or the person who takes care of you, as he may stop your therapy with givinostat, if any of the above conditions appear.

Other Possible Risks, Side Effects or Discomfort

There are also possible risks and discomforts that you may experience from the procedures during the program. These include:

- Blood draws: You may get a red spot on your arm where the needle is inserted. If you feel dizzy or lightheaded when the blood is being taken, be sure to tell the program doctor or the program staff.
- Electrocardiogram (ECG): ECG patches placed on your skin may cause itching, redness, or mild rash. It may be necessary to shave the area on your chest for placement of the ECG patches directly on your skin.

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.

Pregnancy /birth control methods (if applicable)

If you are able to get pregnant or if you are sexually active with a partner who is able to get pregnant, you and your partner must be willing to use highly effective contraceptive methods of birth control consistently and correctly during the program and for at least 3 months after you have stopped taking the program drug. The program doctor will discuss with you the appropriate methods of birth control that you and your partner must use during this program. Your program doctor will also discuss the methods of birth control which are not considered appropriate during this program.

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

Will my information be safe?

Information about you will be collected and used as part of this treatment program. The doctor and their team may collect information on your name, age, medical history, what treatments you are taking, and if you have any negative effects from the treatment. All of your information will be strictly confidential.

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

Young person's name (PLEASE PRINT)

Young person's signature

Date

Treating doctor or person administering
consent name (PLEASE PRINT)

Treating doctor or person administering
consent signature

Date

Formulaire de consentement de l'adolescent recommandée pour un programme d'accès compassionnel dans la dystrophie musculaire de Duchenne

Pour les adolescents (12 à 17 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 thérapeutique 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 améliorer ton état. 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 thérapeutique parce qu'à l'heure actuelle, tu ne peux pas être candidat à participer à un essai clinique en cours portant sur le givinostat ou à un autre essai clinique en cours et que

tu n'es candidat à aucune option de traitement approuvée ou standard de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD), à l'exception des corticoïdes disponibles au moment de l'inclusion dans ce programme.

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



Comment dois-je faire ce choix ?

Avant de prendre la décision de participer ou non à ce programme, ton médecin te t'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 sont d'accords pour que tu participes si tu le souhaites. Tu peux également demander à lire les informations qu'ils ont obtenues.

La décision de participer au programme t'appartient.



Dois-je participer à ce programme thérapeutique?

Voici quelques-unes des principales raisons auxquelles tu dois réfléchir avant de choisir de participer à ce programme thérapeutique:

Principales raisons pour lesquelles tu pourrais vouloir participer au programme thérapeutique :	Principales raisons pour lesquelles tu pourrais ne pas vouloir participer au programme thérapeutique :
<ul style="list-style-type: none">✓ Ton médecin te recommande ce traitement parce qu'il pense qu'il pourrait t'aider.	<ul style="list-style-type: none">✓ Les visites et les examens à l'hôpital nécessiteront un peu de ton temps.✓ Il se peut que tu ne retires aucun bénéfice du traitement.✓ Le traitement peut entraîner certains événements indésirables (effets indésirables). Le médecin pourrait modifier ta dose pour faire disparaître ces effets négatifs.
 Ce ne sont là que quelques-uns des éléments qui pourraient t'aider à décider si tu souhaites participer au programme thérapeutique. Ton médecin t'expliquera plus en détail les risques, les bénéfices et les alternatives à la participation au programme de traitement, et tu trouveras des informations supplémentaires en cours de lecture de ce document.	

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

Si tu décides de participer, le médecin te fera passer des tests et des évaluations afin de déterminer si tu remplis les conditions requises pour participer, ainsi que des évaluations standards conformément à la pratique clinique dans la DMD:

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 $150 \times 10^9/l$) 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, après ces tests, le médecin du programme évalue que tu ne satisfais pas à toutes les exigences pour participer au programme, tu en seras informé ainsi que tes parents ou la personne qui s'occupe de toi, et ensemble, vous pourrez discuter avec le médecin des prochaines étapes te concernant.

Si le médecin du programme évalue que tu remplis les critères d'éligibilité pour participer au programme, voici quelques-unes des choses que nous pourrions faire lors d'une visite à l'hôpital :

- ✓ Te faire passer un bilan de santé, qui pourrait comprendre un examen physique, la mesure de ta taille, de ton poids et de tes signes vitaux (tension artérielle, pouls et température).
- ✓ Faire une prise de sang : avant de commencer le traitement par givinostat, toutes les 2 semaines pendant les 2 premiers mois de traitement, au mois 3, puis tous les 3 mois par la suite, pour mesurer le nombre de vos cellules sanguines dans votre corps.
- ✓ Egalement les triglycérides, un type de graisse dans votre sang, seront mesurés avant de commencer le traitement par givinostat, au troisième mois, au sixième mois puis tous les 6 mois
- ✓ Te faire passer un électrocardiogramme (ECG) si besoin pour mesurer l'activité électrique de ton cœur.
- ✓ Te faire passer des tests montrer comment tu marches et tu te déplaces (tests des mouvement fonctionnels).
- ✓ Te questionner pour savoir comment tu te sens et les médicaments que tu prends.

Tout cela ne se produira pas à chacune de tes visites. Le médecin peut t'expliquer ce qui se passera lors de chaque visite. Certaines des évaluations pourraient être réalisées à proximité de votre domicile par un médecin ou une infirmière. Dans tous les cas, le médecin décidera de la fréquence et du type d'exams, dans le meilleur intérêt de ta sécurité.

À la maison, tu devras prendre un médicament liquide une fois le matin et une fois le soir. Ton médecin te montrera comment prendre au mieux le médicament et comment tes parents ou à la personne qui s'occupe de toi ou toi-même devez le conserver à la maison.

Quels sont les effets indésirables du médicament du programme et des examens dont je ferai l'objet ?

Le médicament du programme peut entraîner des effets indésirables, qui peuvent inclure les suivants, provenant de l'évaluation de 222 patients atteints de DMD traités par givinostat :

Effets secondaires possibles

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets secondaires, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde. Tu pourras 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 une 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, notamment le nombre de plaquettes responsables de la coagulation (thrombocytopénie).

Ton médecin contrôlera ton taux de plaquettes sanguines avant le traitement et régulièrement pendant toute la durée du traitement par givinostat.

Ton médecin pourra réduire ta dose pour augmenter la numération plaquettaire ou interrompre le traitement par givinostat si la thrombocytopénie persiste.

Informe ton médecin, avec l'aide de tes parents ou de la personne qui s'occupe de toi, de tout saignement inattendu.

Ton médecin pourra t'expliquer, avec l'aide de tes parents ou de la personne qui s'occupe de toi, ce que cela signifie si tu ne comprends pas bien.

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

Ton médecin effectuera des analyses sanguines avant le début du traitement par givinostat et régulièrement pendant le traitement afin de vérifier ton taux de triglycérides.

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

Ton médecin peut interrompre le traitement si le taux de lipides (triglycérides) dans le sang ne diminue pas malgré les mesures diététiques et les réductions de dose.

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 tu ne le comprends pas bien.

- Vous pouvez présenter des diarrhées et des vomissements pendant le traitement par Givinostat.
- Votre médecin peut ajuster la dose de givinostat en fonction de la gravité de la diarrhée ou interrompre le traitement si la diarrhée et les vomissements ne s'améliorent pas.

Ton médecin peut envisager l'utilisation de médicaments pour traiter les vomissements, la diarrhée et éviter les pertes excessives de liquides.

Ton médecin peut t'expliquer, avec l'aide de tes parents ou de la personne qui s'occupe de toi, ce que cela signifie au cas où ce ne serait pas clair pour toi.

- Des doses élevées de givinostat (5 fois supérieures à la dose recommandée) peuvent provoquer des irrégularités du rythme cardiaque. Ton médecin évaluera si tu peux utiliser givinostat en cas de risque accru d'arythmie cardiaque, de taux de minéraux anormaux dans ton organisme ou d'utilisation concomitante d'autres médicaments.

Ton médecin pourra vérifier ta fonction cardiaque au début du traitement par givinostat si tu souffres d'un problème cardiaque sous-jacent ou si tu prends des médicaments pouvant provoquer des irrégularités du rythme cardiaque.

Ton médecin pourra envisager d'arrêter le traitement par givinostat si ton rythme cardiaque est irrégulier.

Ton médecin pourra t'expliquer, avec l'aide de tes parents ou de la personne qui s'occupe de toi, ce que cela signifie si tu ne comprends pas bien.

- Contacte ton médecin, avec l'aide de tes parents ou de la personne qui s'occupe de toi, car il pourrait interrompre ton traitement par givinostat si l'une des affections ci-dessus apparaît.

Autres risques, effets indésirables ou désagréments possibles

Il existe également des risques et des désagréments possibles que tu pourrais présenter en

raison des examens réalisés pendant le programme. Ceux-ci comprennent :

- Prises de sang : tu pourrais présenter une tache rouge sur le bras à l'endroit où l'aiguille est insérée. Si tu as des vertiges ou des étourdissements lorsque le sang est prélevé, assure-toi d'en informer le médecin ou le personnel du programme.
- Électrocardiogramme (ECG) : les électrodes d'ECG placées sur ta peau peuvent provoquer des démangeaisons, des rougeurs ou une légère éruption cutanée. Il pourrait être nécessaire de raser la zone de ta poitrine pour les électrodes d'ECG soit en contact direct avec ta peau.

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 ne sera fâché contre toi ou ta famille.

Grossesse/Méthodes contraceptives (le cas échéant)

Si tu peux être enceinte ou si tu as des rapports sexuels avec une partenaire en mesure de débiter une grossesse, toi et ta partenaire devrez accepter d'utiliser des méthodes contraceptives hautement efficaces de manière systématique et correcte pendant le programme et pendant au moins 3 mois après avoir arrêté de prendre le médicament du programme. Le médecin du programme discutera avec toi des méthodes contraceptives appropriées que toi et ta partenaire devrez utiliser pendant ce programme. Il discutera également des méthodes contraceptives qui ne sont pas considérées comme appropriées pendant ce programme.

Si tu engendres ou penses avoir engendré une grossesse, ou si ta partenaire débute une grossesse ou pense être enceinte, pendant le programme ou dans les 3 mois suivant l'arrêt du médicament du programme, tu devras en informer immédiatement le médecin. Ce dernier pourra également vous poser des questions concernant votre grossesse ou celle de votre partenaire et sur le bébé.

Mes données seront-elles protégées ?

Des informations te concernant seront recueillies et utilisées dans le cadre de ce programme thérapeutique. Le médecin et son équipe pourront recueillir des informations sur ton nom, ton âge, tes antécédents médicaux, les traitements que tu prends et si tu présentes des effets négatifs en raison du traitement. Toutes tes informations seront strictement confidentielles.

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 de l'adolescent (EN CARACTÈRES D'IMPRIMERIE)

Signature de l'adolescent

Date

Nom du médecin ou de la personne recueillant
le consentement (EN CARACTÈRES
D'IMPRIMERIE)

Nom du médecin ou de personne recueillant la
signature du consentement

Date

Aanbevolen instemmingsformulier voor jonge mensen voor een Compassionate Use Programma voor Duchenne spierdystrofie (DMD)

Voor kinderen van 12-17 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)?

Je wordt gevraagd om mee te doen aan dit CUP omdat je Duchenne spierdystrofie hebt je kunt lopen, je bent 6 jaar of ouder en ontvangt momenteel een behandeling met corticosteroiden. 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, maar door deze behandeling kan je je ook misschien minder goed gaan voelen. Je arts raadt je dit behandelingsprogramma aan omdat je op dit moment niet in aanmerking kunt komen voor deelname aan een lopend klinisch onderzoek met givinostat of een ander lopend klinisch onderzoek en niet in aanmerking komt voor een goedgekeurde of standaardbehandeling met DMD, behalve voor corticosteroiden die

beschikbaar zijn op het moment van opname in dit programma. 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.

Moet ik meedoen aan dit behandelingsprogramma?

Hier zijn enkele van de belangrijkste redenen waarover je moet nadenken voordat je ervoor kiest om mee te doen aan dit behandelingsprogramma:

Belangrijkste redenen waarom je misschien wilt meedoen aan het behandelingsprogramma:	Belangrijkste redenen waarom je misschien niet wilt meedoen aan het behandelingsprogramma:
<ul style="list-style-type: none">✓ Je arts raadt deze behandeling aan omdat hij denkt dat dit je kan helpen.	<ul style="list-style-type: none">✓ De ziekenhuisbezoeken en -beoordelingen kosten je tijd.✓ Het is mogelijk dat je geen voordeel ondervindt van de behandeling.✓ De behandeling kan een aantal negatieve effecten (bijwerkingen) hebben. De arts kan je dosis veranderen om deze negatieve effecten te laten verdwijnen.
 Dit zijn slechts enkele dingen die je kunnen helpen beslissen of je wilt meedoen aan het behandelingsprogramma. Je arts zal je meer vertellen over de risico's, voordelen en alternatieven voor meedoen aan het behandelingsprogramma, en je vindt aanvullende informatie door dit document te lezen.	

Wat gebeurt er tijdens het behandelingsprogramma?

Als je beslist om mee te doen, zal de behandelend arts een aantal tests en onderzoeken bij je uitvoeren om te zien of je voldoet aan de vereisten voor deelname, en ook de

standaardonderzoeken volgens de klinische DMD-praktijk.

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:

- Je bloed bevat een laag aantal (minder dan $150 \times 10^9/l$) bloedplaatjes (deze helpen bloedingen te stoppen). Jouw arts kan uitleggen wat dit betekent.
- Je hebt te veel vet (triglyceriden, meer dan 300 mg/dl) in je 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.
- Je bent overgevoelig voor de bestanddelen van de CUP-medicatie.
- Je hebt een sorbitolintolerantie of sorbitolmalabsorptie of hebt de erfelijke vorm van fructose-intolerantie. Vraag het aan jouw arts, eventueel samen met jouw ouder(s) of degene die voor je zorgt.

Als je behandelend arts na deze tests beoordeelt dat je niet voldoet aan alle vereisten om aan het programma mee te doen, worden jij en je ouder(s) of degene die voor je zorgt, hiervan op de hoogte gesteld en kun je samen met de behandelend arts bespreken wat de volgende stappen voor je zijn.

Als je behandelend arts beoordeelt dat je voldoet aan de vereisten om mee te doen aan het programma, zijn hier enkele dingen die we kunnen doen bij een bezoek aan het ziekenhuis:

- ✓ Je onderzoeken, waaronder lichamelijk onderzoek, je lengte en gewicht bepalen, en je vitale functies (bloeddruk, hartslag, temperatuur) meten.
- ✓ Er wordt wat bloed afgenomen. Gebruikelijk is dat je vóór de start van de behandeling met givinostat elke 2 weken gedurende de eerste 2 maanden van de behandeling, na 3 maanden en daarna elke 3 maanden, het aantal bloedcellen in jouw lichaam moet meten. Ook de triglyceriden, een soort vet, in jouw bloed worden gemeten vóór de start van de behandeling met givinostat, in de derde maand, in de zesde maand en vervolgens elke 6 maanden. Er kan een elektrocardiogram (ECG) worden gemaakt om de elektrische activiteit van je hart te meten.
- ✓ Je vragen om te laten zien hoe je loopt en beweegt (functionele bewegingstests).
- ✓ We stellen je vragen over hoe je je voelt en de medicijnen die je gebruikt.

Niet al deze dingen zullen bij alle bezoeken gebeuren. De arts kan je meer vertellen over welke dingen er bij elk bezoek gebeuren. Sommige van de onderzoeken kunnen door een plaatselijke arts of verpleegkundige dicht bij je thuis worden gedaan. In elk geval zal de behandelend arts beslissen over de frequentie en het type onderzoek, in het belang van je veiligheid.

Thuis moet je een vloeibaar medicijn innemen, eenmaal 's ochtends en eenmaal 's avonds. Je arts zal je laten zien hoe je het medicijn het beste kunt innemen en hoe je ouders of jij het thuis moeten bewaren.

Wat zijn de bijwerkingen van het geneesmiddel van het programma en de tests die ik zal krijgen?

Zoals alle geneesmiddelen kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

Je kunt een of meer van de volgende bijwerkingen krijgen 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)
- bloedophoping (hematoom)
- verhoogde concentraties thyreoïdstimulerend hormoon (TSH) in het bloed
- gewrichtspijn (artralgie)
- spierpijn (myalgie)
- spierzwakte
- huiduitslag

Givinostat verlaagt het aantal bloedcellen in je bloed, met name het aantal bloedplaatjes dat verantwoordelijk is voor de bloedstolling (een aandoening die trombocytopenie wordt genoemd). Jouw arts zal je bloed controleren op bloedplaatjes vóór de behandeling en regelmatig gedurende de gehele behandeling met Givinostat.

Jouw arts kan je dosis verlagen om het aantal bloedplaatjes te verhogen of de behandeling met Givinostat stopzetten als de trombocytopenie aanhoudt.

Informeer jouw arts als je een onverwachte bloeding opmerkt.

Jouw arts kan je, samen met jouw ouder of jouw verzorger, uitleggen wat dit betekent, mocht het je niet duidelijk zijn.

Givinostat kan in verband worden gebracht met verhoogde vetgehaltenes (triglyceriden) in je bloed.

Jouw arts zal bloedonderzoek doen voordat je met givinostat begint en regelmatig tijdens de behandeling om jouw triglyceridengehalte te controleren.

De dosis givinostat kan worden verlaagd bij een aanhoudende stijging van de vetgehaltenes (triglyceriden) in jouw bloed.

Jouw arts kan de behandeling stopzetten als de vetgehaltenes (triglyceriden) in jouw bloed niet dalen ondanks dieetmaatregelen en dosisverlagingen.

Jouw arts kan je, samen met jouw ouder of uw verzorger, uitleggen wat dit betekent, mocht het je niet duidelijk zijn.

Je kunt last krijgen van diarree en braken tijdens het gebruik van givinostat.

Jouw arts 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.

Jouw arts kan overwegen om geneesmiddelen te gebruiken om braken en diarree te behandelen en om overmatig vochtverlies te voorkomen.

Jouw arts kan je, samen met jouw ouder of uw verzorger, uitleggen wat dit betekent, mocht het je niet duidelijk zijn.

Hoge doses givinostat (5 keer hoger dan de aanbevolen dosis) kunnen een onregelmatige hartslag

veroorzaken. Jouw arts zal overwegen of je givinostat kunt gebruiken wanneer er een verhoogd risico is op een abnormale hartslag, abnormale mineraalwaarden in jouw lichaam of gelijktijdig gebruik van andere geneesmiddelen.

Jouw arts kan jouw hartfunctie controleren bij het starten met givinostat als je een onderliggend hartprobleem hebt of als je geneesmiddelen gebruikt die een onregelmatige hartslag kunnen veroorzaken.

Jouw arts kan overwegen om de behandeling met givinostat te stoppen als jouw hartslag onregelmatig blijkt te zijn.

•Jouw arts kan je, samen met jouw ouder of jouw verzorger, uitleggen wat dit betekent, mocht het je niet duidelijk zijn.

Neem contact op met jouw arts, samen met jouw ouder of jouw verzorger, aangezien hij of zij jouw behandeling met givinostat kan stopzetten als een van de bovenstaande aandoeningen optreedt.

Andere mogelijke risico's, bijwerkingen of ongemakken

Er zijn ook mogelijke risico's en ongemakken die je kunt ondervinden van de procedures tijdens het programma. Dit zijn onder meer:

- Bloedafnames: Je kunt een rode plek op je arm krijgen waar de naald wordt ingestoken. Als je je duizelig of licht in het hoofd voelt wanneer het bloed wordt afgenomen, moet je dit tegen de arts of verpleegkundige zeggen.
- Elektrocardiogram (ECG): ECG-plakkers die op je huid worden geplaatst, kunnen jeuk, roodheid of een lichte huiduitslag veroorzaken. Het kan nodig zijn om het gebied op je borst te scheren bij het plaatsen van de ECG-plakkers rechtstreeks op je huid.

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 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.

Zwangerschap/anticonceptiemethoden (indien van toepassing)

Als je zwanger kunt worden of als je seksueel actief bent met een partner die kinderen kan krijgen, moeten jij en je partner bereid zijn om consequent en correct zeer effectieve

anticonceptiemethoden te gebruiken tijdens het programma en tot tenminste 3 maanden nadat je bent gestopt met het innemen van het geneesmiddel van het programma. De behandelend arts zal met de juiste anticonceptiemethoden met je bespreken die jij en je partner tijdens dit programma moeten gebruiken. Je behandelend arts zal ook de anticonceptiemethoden bespreken die tijdens dit programma niet geschikt worden geacht.

Als jij of je partner zwanger wordt of denkt zwanger te zijn tijdens het programma of binnen 3 maanden nadat je bent gestopt met het innemen van het geneesmiddel in het programma, moet je dit onmiddellijk aan de behandelend arts vertellen. De behandelend arts kan je ook vragen stellen over de zwangerschap van jou of je partner en de baby.

Zal mijn informatie veilig zijn?

Er wordt informatie over je verzameld en gebruikt als onderdeel van dit behandelingsprogramma. De arts en zijn/haar team kunnen informatie verzamelen over je naam, leeftijd, medische voorgeschiedenis, welke behandelingen je krijgt en of je negatieve effecten hebt van de behandeling. Al je informatie zal strikt vertrouwelijk zijn.

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 jongere (IN BLOKLETTERS)

Handtekening van de jongere

Datum

Naam van behandelende arts of persoon die de toestemming afneemt (BLOKLETTERS)

Handtekening van de behandelende arts of de persoon die de toestemming afneemt

Datum

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

Für Jugendliche (von 12-17 Jahre)

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 derzeit eine Kortikosteroid-Behandlung erhält. Dein Arzt/Deine Ärztin 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 Du von dieser Behandlung profitierst, aber auch, dass Du Dich dadurch schlechter fühlst. Dein Arzt/Deine Ärztin rät Dir zu diesem Behandlungsprogramm, da Du im Moment an keiner laufenden klinischen Studie zu Givinostat und auch an keiner anderen laufenden Studie teilnehmen kannst. Zum Zeitpunkt Deiner Aufnahme in das Programm steht auch keine für DMD zugelassene Behandlung oder

Standardtherapie zur Verfügung, die Du erhalten könntest, mit Ausnahme von Kortikosteroiden oder vergleichbaren Medikamenten.

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

Wie kann ich diese Entscheidung treffen?

Bevor Du Dich für oder gegen eine Teilnahme entscheidest, informiert Dich Dein Arzt/Deine Ärztin ausführlich über das Programm. Darüber hinaus solltest Du 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.

Soll ich an diesem Behandlungsprogramm teilnehmen?

Hier findest Du einige der wichtigsten Gründe, über die Du nachdenken solltest, bevor Du Dich für die Teilnahme an diesem Behandlungsprogramm entscheidest:

Wichtige Gründe für die Teilnahme an dem Behandlungsprogramm:

- ✓ Dein Arzt/Deine Ärztin rät Dir zu dieser Behandlung, weil er/sie glaubt, dass sie Dir helfen könnte.

Wichtige Gründe gegen die Teilnahme an dem Behandlungsprogramm:

- ✓ Es kann sein, dass Du keinen Nutzen aus der Behandlung ziehst.
- ✓ Die Termine im Krankenhaus und die Untersuchungen dauern etwas.
- ✓ Bei der Behandlung kann es zu unerwünschten Ereignissen (Nebenwirkungen) kommen. Gegebenenfalls ändert der Arzt/die Ärztin Deine Dosis, damit diese Nebenwirkungen nachlassen.



Diese Informationen können Dir bei der Entscheidung helfen, ob Du an dem Behandlungsprogramm teilnehmen möchtest. Dein Arzt/Deine Ärztin erklärt Dir die Risiken, Vorteile und Alternativen zur Teilnahme am Behandlungsprogramm ausführlich. Außerdem findest Du auch in diesem Dokument zusätzliche Informationen.

Wie läuft das Behandlungsprogramm ab?

Wenn Du Dich für eine Teilnahme entscheidest, wird der behandelnde Arzt/die behandelnde Ärztin einige Tests und Untersuchungen bei Dir durchführen, um festzustellen, ob Du die Voraussetzungen für eine Teilnahme erfüllst. Außerdem erfolgen die Standarduntersuchungen, die auch im Rahmen der üblichen Versorgung Deiner DMD durchgeführt würden.

Wer kann am Programm teilnehmen:

- Du leidest an der Muskeldystrophie Duchenne (DMD).
- Du kannst noch gehen.
- Du bist mindestens 6 Jahre alt.
- Du nimmst Kortikosteroide gegen deine DMD ein.
- Du bist 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 (Triglyceride, über 300 mg/dl) in deinem Blut. Auch das kann dir dein Arzt erklären.
- Du nimmst andere neue oder spezielle Medikamente gegen DMD ein (außer Kortikosteroide).
- Du hast zuvor andere DMD-Medikamente (Prüfpräparate oder zugelassene Medikamente) 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 das bedeutet.
- Du nimmst bereits an einem anderen speziellen Medikamentenprogramm (CUP) oder einer laufenden klinischen Studie teil oder können an einer laufenden klinischen Studie gegen DMD teilnehmen.

- Du hast eine Überempfindlichkeit gegenüber irgendeinem Bestandteil des Programm-Medikaments
- Du hast eine Sorbitol-Unverträglichkeit oder Sorbitol-Malabsorption oder die hereditäre (erbliche) Form der Fructose-Unverträglichkeit. Bitte frage bei Bedarf deinen Arzt, gemeinsam mit deinen Eltern oder deiner Pflegeperson.

Wenn der Programmarzt/die Programmärztin auf Grundlage dieser Tests zu dem Schluss kommt, dass Du **nicht** alle Voraussetzungen für die Teilnahme an dem Programm erfüllst, wird man Dich und Deine Eltern bzw. die Person, die für Dich sorgt, informieren. Dann könnt Ihr gemeinsam mit dem behandelnden Arzt/der behandelnden Ärztin über Deine weitere Behandlung sprechen.

Kommt der Programmarzt/die Programmärztin zu dem Schluss, dass Du die Voraussetzungen für eine Teilnahme am Programm erfüllst, so werden bei Deinen Untersuchungsterminen im Krankenhaus beispielsweise einige der folgenden Maßnahmen durchgeführt:

- ✓ Allgemeine Kontrolluntersuchungen, wie zum Beispiel: Körperliche Untersuchung, Bestimmung von Körpergröße, Körpergewicht und Vitalzeichen (Blutdruck, Herzfrequenz, Körpertemperatur)
- ✓ Blutentnahme: Normalerweise vor Beginn der Behandlung mit Givinostat, alle 2 Wochen während der ersten 2 Monate der Behandlung, im dritten Monat und dann alle 3 Monate danach, um die Anzahl deiner Blutzellen in deinem Körper zu messen; auch die Triglyceride, eine Art Fett in deinem Blut, werden vor Beginn der Behandlung mit Givinostat, im dritten Monat, im sechsten Monat und dann alle 6 Monate gemessen
- ✓ Unter Umständen wird bei Dir ein Elektrokardiogramm (EKG) durchgeführt, wobei die elektrische Aktivität Deines Herzens aufgezeichnet wird
- ✓ Man wird Dich bitten, zu zeigen, wie Du gehst und wie Du Dich allgemein bewegst (funktionelle Bewegungstests)
- ✓ Man wird Dich fragen, wie es Dir geht und die Medikamente, die du einnimmst.

Nicht alles davon passiert bei jedem Untersuchungstermin. Der Arzt/Die Ärztin kann Dir mehr darüber sagen, wie die einzelnen Termine ablaufen. Einige der Untersuchungen werden ggf. von einem Arzt/einer Ärztin oder einer Pflegekraft in der Nähe Deines Wohnorts durchgeführt. In jedem Fall wird der behandelnde Arzt/die behandelnde Ärztin bei der Entscheidung über Häufigkeit und Art der Untersuchungen darauf achten, dass die Teilnahme am Programm für Dich möglichst sicher ist.

Zu Hause musst Du einmal morgens und einmal abends ein flüssiges Medikament einnehmen. Dein Arzt/Deine Ärztin zeigt Dir, wie Du das Medikament am besten einnimmst und wie Deine Eltern oder Du es zu Hause aufbewahren müssen.

Welche Nebenwirkungen sind mit dem Medikament und den Tests im Rahmen des Programms verbunden?

Das Medikament, das Du im Rahmen des Programms einnimmst, kann Nebenwirkungen haben. Dazu gehören zum Beispiel die folgenden, welche im Rahmen 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 in deinem Blut, insbesondere die Anzahl der Blutplättchen, die für die Blutgerinnung verantwortlich sind (ein Zustand, der als Thrombozytopenie bezeichnet wird).

Dein Arzt wird vor der Behandlung und regelmäßig während der gesamten Behandlung mit Givinostat deine Blutplättchenspiegel überprüfen.

Dein Arzt kann deine Dosis reduzieren, um Ihre Thrombozytenzahl zu erhöhen, oder die Behandlung mit Givinostat abbrechen, wenn die Thrombozytopenie anhält.

Informiere deinen Arzt, wenn du unerwartete Blutungen bemerken.

Dein Arzt kann dich zusammen mit deinen Eltern oder der Person die dich pflegt, erklären, was dies bedeutet, falls es dir nicht klar ist.

Givinostat kann zu erhöhten Blutfettwerten (Triglyceriden) führen.

Dein Arzt wird vor Beginn der Behandlung mit Givinostat und regelmäßig während der Behandlung Blutuntersuchungen durchführen, um deinen Triglyceridspiegel zu überprüfen.

Bei anhaltend erhöhten Blutfettwerten (Triglyceriden) kann die Givinostat-Dosis reduziert werden.

Dein Arzt kann die Behandlung abbrechen, wenn deine Blutfettwerte (Triglyceride) trotz diätetischer Maßnahmen und Dosisreduktionen nicht sinken.

Dein Arzt kann dir, deinen Eltern oder deiner Pflegeperson, die Bedeutung dieser Hinweise erklären, falls diese unklar sind.

Bei der Einnahme von Givinostat können Durchfall und Erbrechen auftreten.

Dein Arzt kann die Givinostat-Dosis je nach Schweregrad des Durchfalls anpassen oder die Behandlung abbrechen, wenn sich Durchfall und Erbrechen nicht bessern.

Dein Arzt wird möglicherweise die Gabe von Medikamenten zur Behandlung von Erbrechen, Durchfall und zur Vermeidung von übermäßigem Flüssigkeitsverlust in Erwägung ziehen. Falls dir dies nicht klar ist, kann dein Arzt dir gemeinsam mit deinen Eltern oder der Person, die Sie pflegt, erklären, was dies bedeutet.

Hohe Dosen von Givinostat (fünffach höher als die empfohlene Dosis) können Herzrhythmusstörungen verursachen. Dein Arzt wird prüfen, ob du Givinostat anwenden kannst, wenn ein erhöhtes Risiko für Herzrhythmusstörungen, anormale Mineralstoffwerte in deinem Körper oder die gleichzeitige Einnahme anderer Arzneimittel besteht.

Dein Arzt wird deine Herzfunktion zu Beginn der Behandlung mit Givinostat überprüfen, wenn bei dir eine Herzerkrankung vorliegt oder du Arzneimittel einnimmst, die Herzrhythmusstörungen verursachen können.

Dein Arzt wird möglicherweise die Beendigung der Behandlung mit Givinostat in Erwägung ziehen, wenn dein Herzrhythmus unregelmäßig ist.

Dein Arzt kann dir zusammen mit Ihren Eltern oder Ihrer Pflegeperson erklären, was dies bedeutet, falls es dir nicht klar ist.

Wendest du dich zusammen mit deinen Eltern oder deiner Pflegeperson an deinem Arzt, da er deine Therapie mit Givinostat möglicherweise abbrechen wird, wenn einer der oben genannten Zustände auftritt.

Andere mögliche Risiken, Nebenwirkungen oder Beschwerden

Auch die während des Programms durchgeführten Maßnahmen können unter Umständen mit Risiken und Beschwerden verbunden sein. Dazu gehören:

- **Blutentnahmen:** An der Stelle am Arm, an der die Nadel eingeführt wird, kann ein roter Fleck auftreten. Sage unbedingt dem Programmarzt/der Programmärztin oder einem anderen Mitarbeiter/einer anderen Mitarbeiterin des Programms Bescheid, wenn Dir während der Blutentnahme schwindelig wird oder Du Dich benommen fühlst.
- **Elektrokardiogramm (EKG):** Die Pflasterelektroden, die Dir für das EKG auf die Haut geklebt werden, können Jucken, Rötung oder einen leichten Hautausschlag verursachen. Möglicherweise muss der Brustbereich, in dem die Pflasterelektroden für das EKG direkt auf die Haut geklebt werden sollen, zuvor rasiert werden.

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 der Teilnahme des Programms 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 **zustimmst**, 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.

Schwangerschaft/Verhütungsmethoden (sofern zutreffend)

Wenn Du mit einer Partnerin, die schwanger werden kann, sexuell aktiv bist, müssen Du und Deine Partnerin einverstanden sein, während der Studie und für mindestens 3 Monate nach Deinem Absetzen des Prüfpräparats konsequent und korrekt hochwirksame Verhütungsmethoden anzuwenden. Der Prüfarzt/Die bespricht mit Dir die angemessenen Verhütungsmethoden, die Du und Deine Partnerin während dieses Programmes anwenden müsst. Dein Prüfarzt/Deine Prüfarztin bespricht mit Dir auch die Verhütungsmethoden, die während dieses Programmes nicht als angemessen erachtet werden.

Wenn Du bzw. Deine Partnerin während des Programmes oder innerhalb von 3 Monaten nach Deinem Absetzen des Programmpräparats schwanger wird/wirst oder glaubt/glaubst, schwanger zu sein, musst Du umgehend den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin informieren. Dieser/Diese stellt Dir dann möglicherweise Fragen zur Schwangerschaft und zum Kind.

Sind meine Daten sicher?

Im Rahmen dieses Behandlungsprogramms werden Daten über Dich erhoben und verarbeitet. Der Arzt und sein Team erheben möglicherweise Angaben zu Deinem Namen, Deinem Alter, Deiner Krankengeschichte, Deinen Medikamenten und eventuellen negativen Auswirkungen der Behandlung. Alle Deine Daten werden streng vertraulich behandelt.

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 Deiner Betreuungsperson über dieses Programm gesprochen.
- ✓ Du stimmst der Teilnahme freiwillig zu.

Name des Jugendlichen
(BITTE IN DRUCKSCHRIFT)

Unterschrift des Jugendlichen

Datum

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

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

Datum
