

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

For Adult Patients

Program title	Compassionate Use Program (CUP) for the treatment with givinostat in ambulant patients of 6 years and older with Duchenne muscular dystrophy (DMD) aged 6 years and older 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) are able to walk, are 6 years of age 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. *This document tells you about what will happen during the program and the possible risks and benefits.* You can also ask the doctor any questions you have.

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 Take Part (Inclusion Criteria):

- You have been diagnosed with Duchenne muscular dystrophy (DMD).
- You are able to walk.
- You are 6 years of age or older.
- You are currently taking corticosteroid treatment for DMD.
- You 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 are willing to use effective contraception during the programme.
- You live in the country where this programme is offered and have valid health insurance.

Who Cannot Take Part (Exclusion Criteria):

- Your blood has a low number (less than $150 \times 10^9/l$) of platelets (these are cells that help your blood to clot). Your doctor can explain this in more detail if needed.
- You have high levels of triglycerides (a type of fat in your blood) above 300 mg/dL. Your doctor can also explain this if it's unclear.
- Concomitant treatment with any DMD drug (investigational or licensed) other than 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.
- Patient is eligible for any ongoing clinical trial for DMD or Patient is participating in any ongoing clinical trial or another CUP.
- 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.

If the program doctor from all these tests evaluates that you do not meet all of the requirement to participate in the program, you will be informed and you 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 before starting treatment with givinostat, every two 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 month
- ✓ 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 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 this 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 this 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 this 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 this 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
- ✓ Voluntarily agree to take part

Adult patient's name (PLEASE PRINT)

Adult's person signature

Date

Treating doctor or person administering
consent name (PLEASE PRINT)

Treating doctor or person administering
consent signature

Date

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

Pour les patients adultes

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 (au traitement) ?

Vous êtes invité à participer à ce programme thérapeutique parce que vous êtes atteint de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD), capable de marcher, âgé de 6 ans et plus et recevez actuellement un traitement par corticostéroïdes. Votre médecin vous recommande ce traitement car il pourrait améliorer votre état. Nous ne savons pas avec certitude si cela fonctionnera pour vous. Vous pourriez ou non tirer un bénéfice de ce traitement, ou vous pourriez vous sentir moins bien à cause de ce traitement. Votre médecin vous recommande ce programme thérapeutique parce qu'à l'heure actuelle, vous ne pouvez 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 vous n'êtes candidat à aucune option de traitement de la dystrophie musculaire

de Duchenne (DMD) autorisé, à l'exception des corticoïdes disponibles au moment de l'inclusion dans ce programme.

Vous choisirez si vous souhaitez 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, votre médecin vous l'expliquera. Vous devez également en parler avec votre famille. *Ce document vous explique ce qui se passera pendant le programme et les risques et bénéfices possibles.* Vous pouvez également poser toutes vos questions au médecin.

La décision de participer au programme vous appartient.

Dois-je participer à ce programme thérapeutique ?

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

Principales raisons pour lesquelles vous pourriez vouloir participer au programme thérapeutique :	Principales raisons pour lesquelles vous pourriez ne pas vouloir participer au programme thérapeutique :
<ul style="list-style-type: none">✓ Ton médecin vous recommande ce traitement parce qu'il pense qu'il pourrait vous aider.	<ul style="list-style-type: none">✓ Il se peut que vous ne retiriez aucun bénéfice du traitement.✓ Les visites et les examens à l'hôpital nécessiteront un peu de votre temps.✓ Le traitement peut entraîner certains événements indésirables (effets indésirables). Le médecin pourrait modifier votre dose pour faire disparaître ces effets négatifs.



Ce ne sont là que quelques-uns des éléments qui pourraient vous aider à décider si vous souhaitez participer au programme thérapeutique. Votre médecin vous expliquera plus en détail les risques, les bénéfices et les alternatives à la participation au programme thérapeutique, et vous trouverez des informations supplémentaires lors de la lecture de ce document.

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

Si vous décidez de participer, le médecin vous 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, vous devrez remplir les conditions suivantes (Critères d'inclusion) :

- Vous avez reçu un diagnostic de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD).
- Vous pouvez marcher.
- Vous avez 6 ans ou plus.
- Vous suivez actuellement un traitement par corticoïdes pour la DMD.
- Vous n'êtes pas candidat à une option thérapeutique pharmacologique DMD autorisée et remboursée ou standard - à l'exception des corticostéroïdes - disponible au moment de l'inclusion.
- Vous acceptez d'utiliser une contraception efficace pendant le programme.
- Vous résidez dans le pays où ce programme est proposé et disposez d'une assurance maladie valide.

Vous ne pourrez pas bénéficier du traitement, si vous remplissez l'une des conditions suivantes : (Critères d'exclusion) :

- Votre sang présente un faible taux de plaquettes (moins de $150 \times 10^9/l$) (cellules qui contribuent à la coagulation du sang). Votre médecin pourra vous expliquer cela plus en détail si nécessaire.
- Vous avez un taux élevé de triglycérides (un type de graisse dans le sang) supérieur à 300 mg/dl. Votre médecin pourra également vous expliquer cela en cas de doute.
- Vous recevez un traitement concomitant dans la DMD (autorisé ou dans le cadre d'un essai clinique) autre que les corticostéroïdes
- Vous avez déjà pris un médicament contre la DMD (autorisé ou dans le cadre d'un essai clinique) autre que les corticostéroïdes, et vous n'avez pas arrêté le traitement depuis suffisamment longtemps (c.-à-d. sans période de sevrage adéquate). Votre médecin peut vous expliquer ce que cela signifie.
- Vous êtes éligible à un essai clinique en cours pour la DMD, ou participez à un essai clinique en cours ou à un autre programme d'accès compassionnel.
- Vous avez une hypersensibilité à un des composants du médicament du PAC.
- Vous avez une intolérance au sorbitol ou une malabsorption du sorbitol, ou vous présentez une forme héréditaire d'intolérance au fructose.

Si, sur la base de tous ces tests, le médecin du programme estime que vous ne remplissez pas tous les critères d'éligibilité pour participer au programme, vous en serez informé et vous pourrez discuter avec le médecin des prochaines étapes vous concernant.

Si le médecin du programme évalue que vous remplissez les exigences pour participer au programme, voici quelques-unes des choses que nous pourrions effectuer lors d'une visite à l'hôpital :

- ✓ Bilan de santé, qui pourrait comprendre un examen physique, la mesure de votre taille, de votre poids et de vos signes vitaux (tension artérielle, pouls et température).
- ✓ Prise de sang: avant de commencer le traitement par givinostat, toutes les deux semaines pendant les deux 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. Les triglycérides, un type de graisse dans votre sang, seront également mesurés avant de commencer le traitement par givinostat, au troisième mois, au sixième mois, puis tous les 6 mois
- ✓ Electrocardiogramme (ECG) si besoin pour mesurer l'activité électrique de votre cœur.
- ✓ Tests pour montrer comment vous marchez et vous bougez (tests des mouvements fonctionnels).
- ✓ Questions pour savoir comment vous vous sentez et les médicaments que vous prenez.

Tout cela ne se produira pas à chacune de vos visites. Le médecin peut vous 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'examen, dans le meilleur intérêt de votre sécurité.

À la maison, vous devrez prendre un médicament liquide une fois le matin et une fois le soir. Votre médecin vous montrera comment prendre au mieux le médicament et comment vos parents ou vous-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. Vous pourriez 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
- Vertiges
- 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).

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

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

Avertissez votre médecin de tout saignement inattendu.

Votre médecin pourra vous expliquer, avec l'aide de vos parents ou de la personne qui s'occupe de vous, ce que cela signifie si vous ne comprenez pas bien.

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

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

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

Votre médecin peut interrompre le traitement si votre taux de lipides sanguins (triglycérides) ne diminue pas malgré des mesures diététiques et des réductions de dose. Votre médecin peut vous expliquer, avec l'aide de vos parents ou de la personne qui s'occupe de vous, ce que cela signifie si vous ne comprenez pas bien.

Vous pourriez souffrir de diarrhée et de vomissements pendant votre traitement par givinostat.

Votre médecin 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 médecin pourra envisager l'utilisation de médicaments pour traiter les vomissements, la diarrhée et éviter les pertes excessives de liquide.

Votre médecin pourra vous expliquer, avec votre parent ou la personne qui s'occupe de vous, ce que cela signifie si vous ne comprenez pas bien.

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

Votre médecin pourra vérifier votre fonction cardiaque au début du traitement par givinostat si vous souffrez d'un problème cardiaque sous-jacent ou si vous prenez des médicaments pouvant provoquer des irrégularités du rythme cardiaque.

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

Votre médecin peut vous expliquer, avec l'aide de vos parents ou de la personne qui s'occupe de vous, ce que cela signifie si vous ne comprenez pas bien.

Contactez votre médecin, avec l'aide de vos parents ou de la personne qui s'occupe de vous, car il pourrait interrompre votre traitement par givinostat si l'une des situations ci-dessus apparaît.

Autres risques, effets secondaires ou désagréments possibles

Il existe également des risques et des désagréments possibles que vous pourriez présenter en raison des examens réalisés pendant le programme. Ceux-ci comprennent :

- Prises de sang: vous pourriez présenter une tâche 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 votre peau peuvent provoquer des démangeaisons, des rougeurs ou une légère éruption cutanée. Il pourrait être nécessaire de raser la zone de votre poitrine pour que les électrodes d'ECG soient en contact direct avec votre peau.

Suis-je obligé de participer au programme ?

Non. C'est votre choix.

Personne ne vous en voudra si vous répondez **Non** à la participation au programme. Votre médecin continuera d'assurer votre prise en charge.

Si vous dites « Oui », c'est parce que vous le souhaitez.

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

Oui.

Même si vous répondez **Oui** maintenant, vous pouvez arrêter à tout moment si vous changez d'avis. Vous n'aurez pas à nous en donner la raison et personne ne vous en tiendra rigueur ni à vous ni à votre famille.

Grossesse/Méthodes contraceptives (le cas échéant)

Si vous pouvez être enceinte ou si vous avez des rapports sexuels avec une partenaire en mesure de débuter une grossesse, vous et votre 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 vous des contraceptives appropriées que vous et votre partenaire devrez utiliser pendant ce programme. Il discutera également des méthodes contraceptives qui ne sont pas considérées comme appropriées pendant ce programme.

Si vous engendrez ou pensez 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, vous devrez en informer immédiatement le médecin traitant. 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 vous concernant seront recueillies et utilisées dans le cadre de ce programme. Le médecin et son équipe pourront recueillir des informations sur votre nom, votre âge, vos antécédents médicaux, les traitements que vous prenez et si vous présentez des effets négatifs en raison du traitement. Toutes vos informations seront strictement confidentielles.

Ne signez ce formulaire que :

- ✓ si vous avez compris ce que tu feras dans le cadre de ce programme ;
- ✓ si vous avez obtenu des réponses à toutes tes questions ;
- ✓ si vous avez parlé de ce programme à vos parents ou à la personne qui s'occupe de toi ; et
- ✓ si vous acceptez de participer volontairement.

Nom du patient adulte (EN CARACTÈRES D'IMPRIMERIE)

Signature de la personne adulte

Date

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

Nom du médecin ou de la personne recueillant
la signature du consentement

Date

Aanbevolen instemmingsformulier voor volwassenen voor Compassionate Use Programma voor Duchenne spierdystrofie (DMD)

Voor volwassen patiënten van 18 jaar en ouder

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 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 behandelingsprogramma omdat je Duchenne spierdystrofie (DMD) hebt, je kunt lopen, je 6 jaar of ouder bent en momenteel wordt behandeld 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 baat hebben bij deze behandeling, maar deze behandeling kan je ook slechter laten 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. *Dit document vertelt u wat er tijdens het programma zal gebeuren en wat de mogelijke risico's en voordelen zijn.* Je kunt de dokter ook alle vragen stellen die je hebt.

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">✓ Het is mogelijk dat je geen voordeel ondervindt van de behandeling.✓ De ziekenhuisbezoeken en -beoordelingen kosten je tijd.✓ 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 standaardbeoordelingen volgens de klinische DMD-praktijk.

De volgende lijst met criteria wordt beoordeeld.

Wie mag deelnemen (inclusiecriteria):

- U heeft de diagnose Duchenne spierdystrofie (DMD).
- U kunt lopen.
- U bent 6 jaar of ouder.
- U gebruikt momenteel corticosteroïden voor DMD.
- U komt niet in aanmerking voor een goedgekeurde en vergoede of standaardbehandeling met farmacologische DMD-therapie, met uitzondering van corticosteroïden, die beschikbaar is op het moment van inclusie.
- U bent bereid effectieve anticonceptie te gebruiken tijdens het programma.
- U woont in het land waar dit programma wordt aangeboden en heeft een geldige ziektekostenverzekering.

Wie mag niet deelnemen (uitsluitingscriteria):

- Uw bloed heeft een laag aantal (minder dan 150x10⁹/l) bloedplaatjes (dit zijn cellen die helpen bij de bloedstolling). Uw arts kan dit indien nodig nader toelichten.
- U heeft een hoog triglyceridengehalte (een soort vet in uw bloed) boven de 300 mg/dl. Uw arts kan dit ook toelichten als het onduidelijk is.
- Gelijktijdige behandeling met een ander DMD-geneesmiddel (experimenteel of geregistreerd) dan corticosteroïden
- U heeft eerder een ander DMD-geneesmiddel (experimenteel of geregistreerd) dan corticosteroïden gebruikt en er is nog niet genoeg tijd verstreken sinds u ermee bent gestopt (d.w.z. zonder een adequate uitwasperiode). Uw arts kan uitleggen wat dit betekent.
- U komt in aanmerking voor deelname aan een lopend klinisch onderzoek naar DMD of de patiënt neemt deel aan een lopend klinisch onderzoek of een ander CUP.
- U bent overgevoelig voor de bestanddelen van de CUP-medicatie.
- U hebt een sorbitolintolerantie of sorbitolmalabsorptie of hebt de erfelijke vorm van fructose-intolerantie.

Als de programma-arts na al deze tests beoordeelt dat u niet voldoet aan alle vereisten voor deelname aan het programma, wordt u hierover geïnformeerd en kunt u de volgende stappen voor u met de behandelend arts bespreken.

Als de 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, lengte, gewicht, vitale functies (bloeddruk, hartslag, temperatuur).
- ✓ Een bloedafname voordat u met de behandeling met givinostat begint, elke twee weken gedurende de eerste twee maanden van de behandeling, in maand drie, en daarna elke drie maanden, om het aantal bloedcellen in uw lichaam te meten; ook de triglyceriden, een soort vet in uw bloed, worden gemeten voordat u met de behandeling met givinostat begint, in de derde maand, in de zesde maand en vervolgens elke zes 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.

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 onderzoeken kunnen door een plaatselijke arts of verpleegkundige dicht bij u thuis plaatsvinden. In elk geval zal de behandelend arts beslissen over de frequentie en het type onderzoeken, 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/verzorgers of jij het thuis moeten bewaren.

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

Givinostat gebruik kan bijwerkingen geven. In klinische studies met 222 DMD patiënten zijn de onderstaand bijwerkingen waargenomen:

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
- afname 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 onder de huid (hematoom)
- verhoogde concentraties thyreïdstimulerend hormoon (TSH) in het bloed
- gewrichtspijn (artralgie)
- spierpijn (myalgie)
- spierzwakte
- huiduitslag

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

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

Informeer uw arts als u een onverwachte bloeding opmerkt.

Uw arts kan u, samen met uw ouder of uw verzorger, uitleggen wat dit betekent, mocht het u niet duidelijk zijn.

Givinostat kan in verband worden gebracht met verhoogde vetgehaltenes (triglyceriden) in uw bloed. Uw arts zal bloedonderzoek doen voordat u 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 vetgehaltenes (triglyceriden) in uw bloed.

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

Uw arts kan u, samen met uw ouder of uw verzorger, uitleggen wat dit betekent, mocht dit voor u niet duidelijk zijn.

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

Uw 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.

Uw arts kan overwegen om geneesmiddelen te gebruiken om braken en diarree te behandelen en om overmatig vochtverlies te voorkomen. Uw arts kan u, samen met uw ouder(s) of degene die voor u zorgt, uitleggen wat dit betekent, als het voor u niet duidelijk is.

Hoge doses givinostat (5 keer hoger dan de aanbevolen dosis) kunnen een onregelmatige hartslag veroorzaken. Uw arts zal overwegen of u givinostat kunt gebruiken als er een verhoogd risico is op

een abnormale hartslag, abnormale mineraalwaarden in uw lichaam of gelijktijdig gebruik van andere geneesmiddelen.

Uw arts kan uw hartfunctie controleren bij het starten met givinostat als u een onderliggend hartprobleem heeft of als u geneesmiddelen gebruikt die een onregelmatige hartslag kunnen veroorzaken.

Uw arts kan overwegen de behandeling met givinostat te stoppen als uw hartslag onregelmatig is.

Uw arts kan u, samen met uw ouder of degene die voor u zorgt, uitleggen wat dit betekent als dit voor u niet duidelijk is.

Neem contact op met uw arts, samen met uw ouder of degene die voor u zorgt, aangezien hij of zij uw 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 programma-arts of het programmapersoneel 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 programma-arts zal met de juiste anticonceptiemethoden met je bespreken die jij en je partner tijdens dit programma moeten gebruiken. Je programma-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 volwassen patiënt (IN BLOKLETTERS)

Handtekening van de volwassen persoon

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 Erwachsene zu einem Compassionate Use-Programm bei Duchenne-Muskeldystrophie

Für erwachsene Patienten

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



Warum werde ich gefragt, ob ich an diesem Compassionate Use-Programm (bzw. dieser Behandlung) teilnehmen möchte?

Wir fragen Sie, ob Sie an diesem Behandlungsprogramm teilnehmen möchten, weil Sie an Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) erkrankt sind, Sie gehfähig sind, mindestens 6 Jahre alt sind und derzeit eine Kortikosteroid-Behandlung erhalten. Ihr Arzt/Ihre Ärztin rät zu dieser Behandlung, weil sie Ihren Zustand verbessern kann. Wir wissen nicht mit Sicherheit, ob die

Behandlung bei Ihnen wirken wird. Es kann sein, dass Sie von dieser Behandlung profitieren, aber auch, dass Sie sich dadurch schlechter fühlen. Ihr Arzt/Ihre Ärztin rät Ihnen zu diesem Behandlungsprogramm, da Sie im Moment an keiner laufenden klinischen Studie zu Givinostat und auch an keiner anderen laufenden Studie teilnehmen können. Darüber hinaus steht zum Zeitpunkt Ihrer Aufnahme in das Programm keine für DMD zugelassene Behandlung oder Standardtherapie zur Verfügung, die Sie erhalten könnten, mit Ausnahme von Kortikosteroiden oder vergleichbaren Medikamenten.

Sie entscheiden selbst, ob Sie an diesem Behandlungsprogramm teilnehmen möchten oder nicht.

Wie kann ich diese Entscheidung treffen?

Bevor Sie sich für oder gegen eine Teilnahme entscheiden, wird Sie Ihr Arzt/Ihre Ärztin ausführlich über das Programm informieren. Darüber hinaus können Sie dies auch mit Freunden oder Familienangehörigen besprechen. *In diesem Dokument erfahren Sie, was während des Programms geschieht und welche möglichen Risiken bzw. welchen möglichen Nutzen das Programm für Sie hat.* Zusätzlich können Sie Ihrem Arzt/Ihrer Ärztin alle Fragen stellen, die Sie haben.

Es ist Ihre Entscheidung, ob Sie an dem Programm teilnehmen möchten.

Sollte ich an diesem Behandlungsprogramm teilnehmen?

Hier finden Sie einige der wichtigsten Gründe, die Sie berücksichtigen sollten, bevor Sie sich für die Teilnahme an diesem Behandlungsprogramm entscheiden:

Wichtige Gründe, die für eine Teilnahme an dem Programm sprechen:	Wichtige Gründe, die gegen eine Teilnahme an dem Programm sprechen:
<ul style="list-style-type: none">✓ Ihr Arzt/Ihre Ärztin rät zu dieser Behandlung, weil er/sie glaubt, dass sie Ihnen helfen könnte.	<ul style="list-style-type: none">✓ Es kann sein, dass Sie keinen Nutzen aus der Behandlung ziehen.✓ Die Termine im Krankenhaus und die Untersuchungen nehmen etwas Zeit in Anspruch.✓ Bei der Behandlung kann es zu unerwünschten Ereignissen (Nebenwirkungen) kommen.

Gegebenenfalls ändert Ihr Arzt/Ihre Ärztin Ihre Dosis, um diese Nebenwirkungen zu lindern.



Dies sind einige Aspekte, die Ihnen bei der Entscheidung helfen können, ob Sie an dem Behandlungsprogramm teilnehmen möchten. Ihr Arzt/Ihre Ärztin wird Ihnen die Risiken, Vorteile und Alternativen zur Teilnahme am Behandlungsprogramm ausführlich erläutern. Außerdem finden Sie auch zusätzliche Informationen in diesem Dokument.

Wie läuft das Behandlungsprogramm ab?

Sofern Sie sich für eine Teilnahme entscheiden, wird der behandelnde Arzt/die behandelnde Ärztin einige Tests und Untersuchungen bei Ihnen durchführen, um festzustellen, ob Sie die Voraussetzungen für eine Teilnahme erfüllen. Außerdem erfolgen die Standarduntersuchungen, die auch im Rahmen der üblichen Versorgung Ihrer DMD durchgeführt werden würden.

Wer kann teilnehmen (Einschlusskriterien):

- Bei Ihnen wurde Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) diagnostiziert.
- Sie sind gehfähig.
- Sie sind mindestens 6 Jahre alt.
- Sie nehmen derzeit eine Kortikosteroidbehandlung gegen DMD.
- Sie sind kein Kandidat für eine zum Zeitpunkt der Aufnahme verfügbare zugelassene und erstattungsfähige oder standardmäßige pharmakologische DMD-Therapieoption (mit Ausnahme von Kortikosteroiden).
- Sie sind bereit, während des Programms eine wirksame Verhütungsmethode anzuwenden.
- Sie wohnen in dem Land, in dem dieses Programm angeboten wird, und verfügen über eine gültige Krankenversicherung.

Wer kann nicht teilnehmen (Ausschlusskriterien):

- Ihr Blut weist eine niedrige Anzahl (weniger als $150 \times 10^9/l$) an Blutplättchen auf (dies sind Zellen, die die Blutgerinnung unterstützen). Ihr Arzt kann Ihnen dies bei Bedarf genauer erklären.
- Sie haben einen hohen Triglyceridspiegel (eine Art Fett im Blut) von über 300 mg/dl. Ihr Arzt kann Ihnen dies bei Unklarheiten ebenfalls erklären.

- Begleitbehandlung mit anderen DMD-Medikamenten (in der Erprobung oder bereits zugelassen) außer Kortikosteroiden
- Sie haben zuvor andere DMD-Medikamente (in der Erprobung oder bereits zugelassen) als Kortikosteroide eingenommen und es liegt nicht genügend Zeit seit dem Absetzen der Medikamente vor (d. h. ohne ausreichende Auswaschphase). Ihr Arzt kann Ihnen dies erklären.
 - ✓ Der Patient ist für die Teilnahme an einer laufenden klinischen Studie zu DMD geeignet oder nimmt an einer laufenden klinischen Studie oder einem anderen CUP teil. Sie haben eine Überempfindlichkeit gegenüber irgendeinem Bestandteil des Programm-Medikaments
 - ✓ Sie haben eine Sorbitol-Unverträglichkeit oder Sorbitol-Malabsorption oder die hereditäre (erbliche) Form der Fructose-Unverträglichkeit

Sollte der Programmarzt/die Programmärztin auf Grundlage dieser Tests zu dem Schluss kommen, dass Sie **nicht** alle Voraussetzungen für die Teilnahme an dem Programm erfüllen, wird man Sie informieren, und Sie können mit Ihrem behandelnden Arzt/Ihrer behandelnden Ärztin über Ihre weitere Behandlung sprechen.

Kommt der Programmarzt/die Programmärztin zu dem Schluss, dass Sie die Voraussetzungen für eine Teilnahme am Programm erfüllen, so werden bei Ihren Untersuchungsterminen im Krankenhaus beispielsweise einige der folgenden Maßnahmen erfolgen:

- ✓ Allgemeine Kontrolluntersuchungen, wie zum Beispiel: Körperliche Untersuchung, Bestimmung von Körpergröße, Körpergewicht und Vitalzeichen (Blutdruck, Herzfrequenz, Körpertemperatur)
- ✓ Blutuntersuchungen: Vor Beginn der Behandlung mit Givinostat alle zwei Wochen während der ersten zwei Monate der Behandlung, im dritten Monat und danach alle drei Monate, um die Anzahl Ihrer Blutzellen in Ihrem Körper zu messen; auch die Triglyceride, eine Art Fett in Ihrem Blut, werden vor Beginn der Behandlung mit Givinostat, im dritten Monat, im sechsten Monat und dann alle sechs Monate gemessen. Umstände werden bei Ihnen ein Elektrokardiogramm (EKG) durchgeführt, wobei die elektrische Aktivität Ihres Herzens aufgezeichnet wird
- ✓ Man wird Sie bitten, zu zeigen, wie Sie gehen und wie Sie sich allgemein bewegen (funktionelle Bewegungstests)
- ✓ Man wird Ihnen Fragen zu Ihrem Befinden stellen und die Medikamente, die Sie einnehmen.

Nicht alle diese Maßnahmen erfolgen bei allen Untersuchungsterminen. Der Arzt/Die Ärztin kann Ihnen mehr darüber sagen, was bei jedem Besuchstermin geschieht. Einige der Untersuchungen können auch durch einen Arzt/eine Ärztin oder anderes medizinisches

Fachpersonal in der Nähe Ihres Wohnorts erfolgen. In jedem Fall wird der behandelnde Arzt/die behandelnde Ärztin im besten Interesse Ihrer Sicherheit über die Häufigkeit und Art der Untersuchungen entscheiden.

Zu Hause müssen Sie jeweils morgens und abends ein flüssiges Medikament einnehmen. Ihr Arzt/Ihre Ärztin wird Ihnen zeigen, wie Sie das Arzneimittel am besten einnehmen und wie Sie das Arzneimittel zu Hause aufbewahren müssen.

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

Es kann zu Nebenwirkungen des Programmarzneimittels kommen, zu denen die folgenden gehören können (Ergebnis der Auswertung von 222 mit Givinostat behandelten Patienten mit DMD):

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 (Thyreoida-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.

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 Einstichstelle kann eine Rötung auftreten. Sagen Sie unbedingt dem Programmarzt/der Programmärztin oder einem anderen

Mitarbeiter/einer anderen Mitarbeiterin des Programms Bescheid, wenn Ihnen während der Blutentnahme schwindelig wird oder Sie sich benommen fühlen.

- Elektrokardiogramm (EKG): Die Pflasterelektroden, die Ihnen 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 Ihre Entscheidung.

Es entstehen keine Nachteile für Sie, wenn Sie sich **gegen** die Teilnahme an dem Programm entscheiden.

Ihr Arzt/Ihre Ärztin wird sich weiterhin um Sie kümmern.

Wenn Sie der Teilnahme am Programm zustimmen, sollten Sie das tun, weil Sie das möchten.

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

Ja.

Auch wenn Sie jetzt **zustimmen**, können Sie jederzeit wieder aufhören, wenn Sie Ihre Meinung ändern. Sie müssen uns den Grund nicht nennen.

Schwangerschaft/Verhütungsmethoden (sofern zutreffend)

Wenn Sie schwanger werden können oder wenn Sie mit einem Partner im gebärfähigen Alter sexuell aktiv sind, sollten Sie und Ihr Partner darauf vorbereitet sein, drei Monate nach der letzten Dosis des Programmmedikaments konsequent und korrekt hochwirksame Verhütungsmethoden anzuwenden. Der Programmarzt/Die Programmärztin wird mit Ihnen über die angemessenen Verhütungsmethoden sprechen, die Sie und Ihre Partnerin während dieses Programms anwenden müssen. Ihr Programmarzt/Ihre Programmärztin wird mit Ihnen auch über Verhütungsmethoden sprechen, die während dieses Programmes nicht als angemessen erachtet werden.

Wenn Sie bzw. Ihre Partnerin während des Programms oder innerhalb von 3 Monaten nach Ihrer letzten Einnahme des im Rahmen dieses Programms zur Verfügung gestellten Medikaments schwanger werden oder glauben, schwanger zu sein, müssen Sie umgehend den behandelnden Arzt/die behandelnde Ärztin informieren. Dieser/Diese stellt Ihnen dann möglicherweise Fragen zur Schwangerschaft und zum Kind.

Sind meine Daten sicher?

Im Rahmen dieses Behandlungsprogramms werden Daten über Sie erhoben und verwendet. Der Arzt/Die Ärztin und sein/ihr Team erheben möglicherweise Angaben zu Ihrem Namen, Ihrem Alter, Ihrer Krankengeschichte, Ihren Behandlungen und eventuellen negativen Auswirkungen der Behandlung. Alle Ihre Daten werden streng vertraulich behandelt.

Unterschreiben Sie diese Erklärung nur, wenn folgende Punkte zutreffen:

- ✓ Sie haben verstanden, was bei der Teilnahme an diesem Programm auf Sie zukommt.
- ✓ Alle Ihre Fragen wurden beantwortet.
- ✓ Sie haben mit Freunden und Familie über dieses Programm gesprochen, und
- ✓ Sie stimmen der Teilnahme freiwillig zu.

Name des erwachsenen Patienten
(BITTE IN DRUCKSCHRIFT)

Unterschrift des erwachsenen Patienten

Datum

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

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

Datum
