Note d'information et formulaire de consentement destinés aux adultes et/ou au(x) parent(s)/tuteur(s) légal(aux) pour l'accès dans des circonstances particulières à l'odevixibat

Cette note d'information et ce formulaire de consentement s'appliquent aux patients adultes ou au(x) parent(s)/tuteur(s) légal(aux) lorsque le patient est mineur.

Vous/votre enfant êtes sur le point d'accéder à l'odevixibat dans des circonstances particulières suite à une demande non sollicitée de votre médecin traitant à une société pharmaceutique nommée Ipsen. Cependant, vous/votre enfant avez le droit d'être pleinement informé(e)s des bénéfices et des risques de l'odevixibat avant de prendre la décision de participer ou non. Vous/votre enfant restez libre de changer d'avis quant à la participation.

Ce document fournit des informations sur l'accès à l'odevixibat dans des circonstances particulières, ci-après dénommé « l'accès anticipé », et sur la manière dont vos données personnelles/celles de votre enfant sont traitées. Il est important que vous lisiez toutes les informations contenues dans ce document et que vous posiez toutes les questions que vous pourriez avoir. Vous pouvez également discuter avec d'autres personnes si vous le souhaitez. Prenez le temps de décider si vous êtes intéressé(e).

- Si vous/votre enfant recevrez de l'odevixibat en accès anticipé, vous devrez signer et dater à la fin de ce document.
- Si vous/votre enfant ne recevrez pas d'odevixibat en accès anticipé, cela n'affectera pas les soins médicaux vous/votre enfant recevrez. Votre médecin traitant/celui de votre enfant discutera des options de traitement alternatives, le cas échéant.

Votre médecin traitant/celui de votre enfant vous fournira toutes les informations nécessaires pour vous permettre de prendre une décision éclairée. Veuillez parler à votre médecin traitant/celui de votre enfant si vous avez des questions sur cet accès anticipé et sur l'odevixibat. Votre médecin traitant/celui de votre enfant vous informera/informera votre enfant en temps opportun si de nouvelles informations deviennent disponibles au cours de cet accès anticipé qui pourraient vous faire changer d'avis quant à la poursuite du traitement par odevixibat.

L'odevixibat n'est pas approuvé ni commercialisé dans votre pays de résidence pour votre affection médicale/l'affection médicale de votre enfant, le syndrome d'Alagille (SALG). Votre médecin traitant/celui de votre enfant obtiendra toutes les approbations réglementaires et éthiques requises pour l'accès anticipé à l'odevixibat en dehors d'une indication approuvée.
Vous/votre enfant ferez partie de cet accès anticipé pour le SALG jusqu'à ce que vous, votre ou vos tuteurs légaux, le cas échéant, votre médecin ou Ipsen décidiez d'arrêter, ou jusqu'à ce qu'un autre médicament soit mis à disposition pour le SALG dans votre pays de résidence.

L'accès anticipé est conçu pour durer jusqu'aux conditions ci-dessous, selon la première éventualité :

- L'odevixibat devient disponible commercialement dans le pays de la demande ou

- jusqu'à 24 mois après l'autorisation de mise sur le marché (c'est-à-dire l'approbation réglementaire locale de commercialisation de l'odevixibat pour le SALG) dans le pays de la demande, en cas de remboursement et les négociations sur les prix dans le pays concerné ne peuvent être conclues pour aucune raison (par exemple, le produit pour l'indication n'est pas reconnu comme essentiel par les payeurs).

Lorsque le remboursement de l'odevixibat pour le SALG est accordé dans le pays de la demande, la transition de l'odevixibat de cet accès précoce à l'approvisionnement commercial doit être achevée dans les 3 (trois) mois suivant le remboursement. Au cours de cette période de 3 mois, Ipsen évaluera au cas par cas, afin d'assurer une transition complète vers le produit remboursé lorsque cela est possible, et éventuellement arrêter la fourniture de l'odevixibat par la voie d'accès anticipé.

L'odevixibat est un médicament disponible sous forme de gélules (200 mcg, 400 mcg, 600 mcg et 1 200 mcg) prises par voie orale une fois par jour le matin, avec ou sans nourriture. Comme tous les médicaments, l'odevixibat peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Le traitement par odevixibat dans le cadre d'un accès anticipé comporte certains risques, notamment des risques connus, inconnus ou imprévisibles. Si vous/votre enfant présentez un effet indésirable à tout moment au cours de cet accès anticipé, veuillez en informer immédiatement votre médecin traitant/celui de votre enfant. Veuillez vous référer à la note d'information sur l'odevixibat fournie par votre médecin traitant/celui de votre enfant et demandez-lui plus de détails.

Il existe des avertissements et précautions particuliers concernant l'utilisation de l'odevixibat, comme indiqué dans les informations de sécurité de référence sur l'odevixibat (résumé des caractéristiques du produit) fournies à votre médecin traitant/celui de votre enfant :

- Hypersensibilité à la substance active ou à l'un des excipients (ingrédients non médicinaux).
- Les patients présentant une insuffisance hépatique sévère (problèmes de foie) n'ont pas été étudiés. Des tests périodiques de la fonction hépatique (testant la santé de votre foie de temps à autre) doivent être envisagés pour les patients atteints d'insuffisance hépatique sévère (problèmes hépatiques).
- Dans les essais cliniques, des taux élevés aux tests de la fonction hépatique ont été observés (constatés) chez certains patients recevant de l'odevixibat. L'évaluation (prise de sang à analyser) des tests de la fonction hépatique (ALAT, ASAT, GGT, PAL et bilirubine totale, qui sont des substances produites par le foie qui peuvent être mesurées par un test sanguin) est recommandée pour tous les patients avant d'instaurer (de commencer) l'odevixibat, avec une surveillance conformément à la pratique clinique standard (la pratique de soins habituelle de votre médecin). Chez les patients présentant des élévations des tests de la fonction hépatique, une surveillance plus fréquente doit être envisagée.
- L'évaluation des taux de vitamines liposolubles (vitamines A, D, E) et du rapport international normalisé (INR) est recommandée pour tous les patients avant d'instaurer le traitement par odevixibat, avec une surveillance conformément à la pratique clinique standard. Si un déficit en vitamines liposolubles est diagnostiqué, un traitement supplémentaire doit être prescrit.
- Une diarrhée (selles molles ou fréquentes) a été signalée comme un effet indésirable fréquent lors de la prise d'odevixibat. La diarrhée peut entraîner une déshydratation (soif) et potentiellement un déséquilibre électrolytique (substances chimiques présentes dans le sang). Les patients doivent être surveillés régulièrement pour assurer une hydratation adéquate (par exemple, en buvant des liquides) pendant les épisodes de diarrhée.

Tous les médicaments présentent un risque potentiel de réaction allergique qui, si elle n'est pas traitée rapidement, peut mettre la vie en danger. Vous devez consulter immédiatement un médecin si vous pensez présenter l'un des symptômes suivants d'une réaction allergique grave : difficulté à respirer ou gonflement du visage, de la bouche, des lèvres, des gencives, de la langue ou du cou.

D'autres symptômes d'une réaction allergique peuvent inclure une éruption cutanée, de l'urticaire ou des cloques. Vous devez informer votre médecin traitant/celui de votre enfant de toute allergie ou de toute réaction allergique antérieure à des médicaments ou à des aliments.

Risques liés à la grossesse pour les femmes en capacité de procréer

Les femmes en capacité de procréer doivent utiliser une méthode de contraception efficace lorsqu'elles sont traitées par l'odevixibat. L'odevixibat est déconseillé pendant la grossesse et chez les femmes en capacité de procréer n'utilisant pas de contraception.

Les effets de l'odevixibat sur le fœtus sont inconnus. Les risques liés à la grossesse étant imprévisibles, il est important que vous utilisiez, le cas échéant, les méthodes de contraception recommandées par votre médecin traitant/celui de votre enfant tout au long de cet accès anticipé.

Si vous êtes/votre enfant est de sexe féminin, et que vous/votre enfant a des règles et êtes/est susceptible de devenir enceinte, votre médecin traitant/le médecin traitant de votre enfant peut demander à faire un test de grossesse sanguin pour s'assurer que vous n'êtes pas/votre enfant n'est pas enceinte. Vous devez informer immédiatement votre médecin traitant/le médecin traitant de votre enfant si vous débutez/votre enfant débute une grossesse. Si vous débutez/votre enfant débute une grossesse, le traitement par odevixibat sera immédiatement arrêté.

Si vous êtes/votre enfant est un garçon, vous devez informer immédiatement votre médecin traitant/le médecin traitant de votre enfant si votre/sa partenaire débute une grossesse pendant votre participation/la participation de votre enfant à cet accès anticipé.

Vous serez/votre enfant sera invité(e) à fournir des informations sur votre/son état de santé général, l'issue de la grossesse et l'évolution clinique du nourrisson jusqu'à 2 (deux) ans après l'accouchement.

CONSENTEMENT À RECEVOIR L'ODEVIXIBAT EN ACCÈS ANTICIPÉ

1. Je confirme que mon médecin traitant/le médecin traitant de mon enfant m'a informé(e) sur l'odevixibat ainsi que sur les détails de l'accès anticipé à l'odevixibat, y compris les effets indésirables et les risques possibles. J'ai reçu la note d'information sur l'odevixibat de mon médecin traitant/du médecin traitant de mon enfant. J'ai eu suffisamment de temps pour examiner l'accès anticipé à l'odevixibat et j'ai eu l'occasion de poser des questions.
2. Je comprends qu'il existe des risques associés à l'utilisation de l'odevixibat, énumérés ci-dessus dans ce document.
3. Je comprends que l'odevixibat n'est pas approuvé ou commercialisé dans mon pays de résidence pour mon affection médicale/l'affection médicale de mon enfant.
4. J'accepte de participer volontairement/que mon enfant participe volontairement à l'accès anticipé. Je comprends que je suis libre de retirer mon consentement à tout moment sans aucune raison.
5. Je comprends qu'il me sera demandé de retourner toute fourniture d'odevixibat non utilisée si je/mon enfant ou le médecin traitant ou Ipsen décide d'arrêter l'accès anticipé.
6. Je confirme que je comprends que des sections de mon dossier médical/du dossier médical de mon enfant peuvent être consultées par des personnes autorisées d'Ipsen, son groupe et/ou ses sous-traitants et/ou des autorités réglementaires locales et éventuellement étrangères et/ou comités d'éthique, le cas échéant.
7. Je recevrai un exemplaire signé et daté de ce formulaire.

Nom et prénom du médecin traitant	
Numéro de téléphone professionnel du médecin traitant	

Lorsque le patient est adulte et n'a pas de tuteur légal :

Nom du patient	**Signature du patient**	**Date**

Lorsque le patient est un adulte et a un ou plusieurs tuteurs légaux, le ou les tuteurs légaux doivent signer OU lorsque le patient est un enfant, le(s) parent(s)/le(s) tuteur(s) légal(aux) de l'enfant doit (doivent) signer :

Nom du ou des parents ou du tuteur légal du patient	**Signature du ou des parents ou du tuteur légal du patient***	**Date**
Nom du ou des parents ou du tuteur légal du patient	**Signature du ou des parents ou du tuteur légal du patient***	**Date**

*****_Selon la législation locale ou la décision du tribunal, plusieurs signatures peuvent être requises._

AVIS DE CONFIDENTIALITÉ DES DONNÉES

Si vous décidez/votre enfant décide de recevoir de l'odevixibat dans le cadre de cet accès anticipé, vos données personnelles/les données personnelles de votre enfant peuvent être traitées dans le cadre de l'accès anticipé.

Existe-t-il une loi qui protège vos données/les données de votre enfant ?

- Vos données/les données de votre enfant seront traitées conformément au règlement [(UE) 2016/679 [Règlement général sur la protection des données (RGPD)] et autres réglementations locales, le cas échéant.

Quelle est la finalité du traitement des données ?

- La finalité du traitement de vos données personnelles/des données personnelles de votre enfant est la réalisation de l'accès anticipé décrit dans ce document.
- Les résultats de cet accès anticipé pourront être soumis aux autorités réglementaires, publiés ou présentés lors de réunions scientifiques. Dans ce contexte, votre identité/l'identité de votre enfant restera confidentielle.

Qui est responsable du traitement de vos données personnelles et de celles de votre enfant ?

- Ipsen est le responsable du traitement de vos données personnelles/des données personnelles de votre enfant.
- Les sociétés affiliées d'Ipsen, ses partenaires et ses tiers (y compris les sous-traitants de tiers) sont les sous-traitants de données de l'accès anticipé.
- Ipsen traitera vos données personnelles/les données personnelles de votre enfant pour répondre à ses obligations légales. Un tel traitement est nécessaire dans l'intérêt public dans le domaine de la santé publique. Ipsen traitera vos données personnelles/les données personnelles de votre enfant dans le cadre de cet accès anticipé car il est nécessaire d'évaluer les résultats et la sécurité des patients.
- Afin de garantir votre sécurité/la sécurité de votre enfant, Ipsen, ses sociétés affiliées, ses partenaires, ses tiers (y compris les sous-traitants de tiers), ses sous-traitants, le cas échéant, ont une obligation légale de traiter vos données/les données de votre enfant. Un tel traitement est nécessaire dans l'intérêt public dans le domaine de la santé publique.

Quelles données personnelles sont recueillies ?

- Votre médecin traitant/le médecin traitant de votre enfant et l'équipe du centre consigneront les informations personnelles de base vous concernant/concernant votre enfant, y compris les initiales, le sexe, la date de naissance/l'âge, pays de résidence, la taille, le poids et les données de santé.
- Ipsen, ses sociétés affiliées, ses partenaires, ses tiers (y compris les sous-traitants de tiers), ses sous-traitants, le cas échéant, consigneront des données personnelles de base vous concernant/concernant votre enfant, y compris les initiales, le sexe, la date de naissance/l'âge, le pays de résidence, la taille, le poids, les rapports de sécurité d'emploi et les données de santé.
- Ils recueilleront également des informations sur vos antécédents médicaux/les antécédents médicaux de votre enfant et l'affection médicale liée à votre participation/la participation de votre enfant à l'accès anticipé.

Comment vos données personnelles seront-elles traitées ?

- Pour garantir la confidentialité, toutes les données personnelles recueillies sur vous/votre enfant seront identifiées par un code d'identification de patient(e) unique.

Seules les entités suivantes pourront connecter ce code à vos initiales/aux initiales de votre enfant, et/ou à la date de naissance :

- Médecin traitant de l'accès anticipé et son équipe, tenus au secret professionnel, par une liste qui sera conservée de manière sécurisée par l'équipe du centre.
- Clinigen, le prestataire de services agréé et qualifié par Ipsen, et ses tiers qui doivent se conformer à son obligation légale de valider chaque patient, d'effectuer des contrôles de licence d'importation et de se conformer à ses responsabilités réglementaires ; et
- Ipsen peut intervenir de manière occasionnelle et ponctuelle lorsque des exigences légales ou réglementaires l'exigent, par exemple en cas de changement de prestataire de services d'accès précoce, afin de garantir la cohérence du traitement pour les patients en accès précoce.

Qui peut accéder à vos données personnelles ?

En plus de votre médecin traitant/du médecin traitant de votre enfant et son équipe, les personnes suivantes peuvent également accéder aux enregistrements ci-dessous au centre :

- Les auditeurs de l'accès anticipé, qui peuvent travailler pour Ipsen, ses filiales, ses partenaires, ses tiers (y compris les sous-traitants de tiers), ses sous-traitants, le cas échéant, qui vérifient que l'accès anticipé est mené correctement et que les informations recueillies à votre sujet/au sujet de votre enfant sont exactes,
- Le comité d'éthique, le cas échéant, qui a approuvé cet accès anticipé et qui veille à ce que vos droits et votre bien-être soient protégés,
- Autorités réglementaires nationales et internationales impliquées dans cet accès anticipé.
- Ipsen partagera également vos données codées/les données codées de votre enfant avec ses sociétés affiliées, ses partenaires, ses tiers (y compris les sous-traitants de tiers), ses sous-traitants, le cas échéant, aux fins de l'accès anticipé. Une liste des sociétés auxquelles vos données personnelles codées sont transférées est disponible auprès d'Ipsen via votre médecin traitant/le médecin traitant de votre enfant.
- Les autres utilisateurs de Clinigen Direct, étant des professionnels de santé ou des administrateurs du même institut ayant autorisé l'accès à l'accès anticipé à l'odevixibat sur la plateforme Clinigen Direct au titre de ce même institut, afin de faciliter la commande et l'approvisionnement de l'odevixibat.
- D'autres médecins et/ou administrateurs (qui ont accès à Clinigen Direct) du même établissement ou d'un établissement différent, si un patient consent à être confié aux soins d'un autre médecin ou pharmacien.
- Les destinataires de vos données codées/des données codées de votre enfant peuvent être situés à l'extérieur de votre pays/du pays de résidence de votre enfant et, s'il est différent, hors du pays d'exercice professionnel du médecin traitant. Si ces autres pays ne disposent pas de normes équivalentes en matière de protection des données personnelles, Ipsen s'assurera que des garanties équivalentes concernant les normes de protection des données personnelles sont en place avant de transférer les données codées vers des pays situés hors de l'Union européenne. Vous pouvez toujours contacter votre médecin/le médecin traitant de votre enfant pour obtenir plus d'informations sur de tels transferts.

Combien de temps vos données codées seront-elles conservées ?

- Après la fin de cet accès anticipé, vos données codées/les données codées de votre enfant seront disponibles auprès d'Ipsen pendant deux
  (2) ans, puis elles seront archivées pendant 8 (huit) années supplémentaires conformément à la réglementation en vigueur. Vos données/les données de votre enfant seront ensuite supprimées ou anonymisées.

Quels sont vos droit/les droits de votre enfant en vertu de la loi sur la protection des données ?

Selon la législation applicable et les circonstances, vous pouvez avoir droit à :

- Demander l'accès et la modification de vos informations/des informations de votre enfant.
- Demander la restriction de l'utilisation de vos informations/des informations de votre enfant.
- Déposer une plainte auprès d'une autorité de protection des données si vous n'êtes pas satisfait(e) de la manière dont Ipsen utilise les informations.

- Pour exercer ces droits, veuillez en premier lieu contacter de préférence votre médecin traitant/le médecin traitant de votre enfant et le délégué à la protection des données du centre car Ipsen n'a pas accès à votre identité complète.
- Si vous souhaitez également contacter le responsable de la protection des données d'Ipsen, sachez que votre nom/le nom de votre enfant n'y est pas connu. Vous devrez lier votre identité à votre numéro de participant(e) à l'accès anticipé/au numéro de participant(e) de votre enfant à l'accès anticipé, ce qui peut compromettre votre vie privée. Si vous souhaitez exercer l'un de ces droits, veuillez contacter Ipsen :
  - En remplissant le formulaire disponible à l'adresse : https://www.ipsen.com/global-privacy-policy/
  - E-mail : Délégué à la confidentialité des données d'Ipsen à dataprivacy@ipsen.com
  - Lettre : Ipsen Pharma, 70 rue Balard, 75015 Paris, France

Accès dans des circonstances particulières pour l'odevixibat

Note d'information et consentement pour les jeunes enfants (7 à 11 ans)

Accès à l'odevixibat dans des circonstances particulières

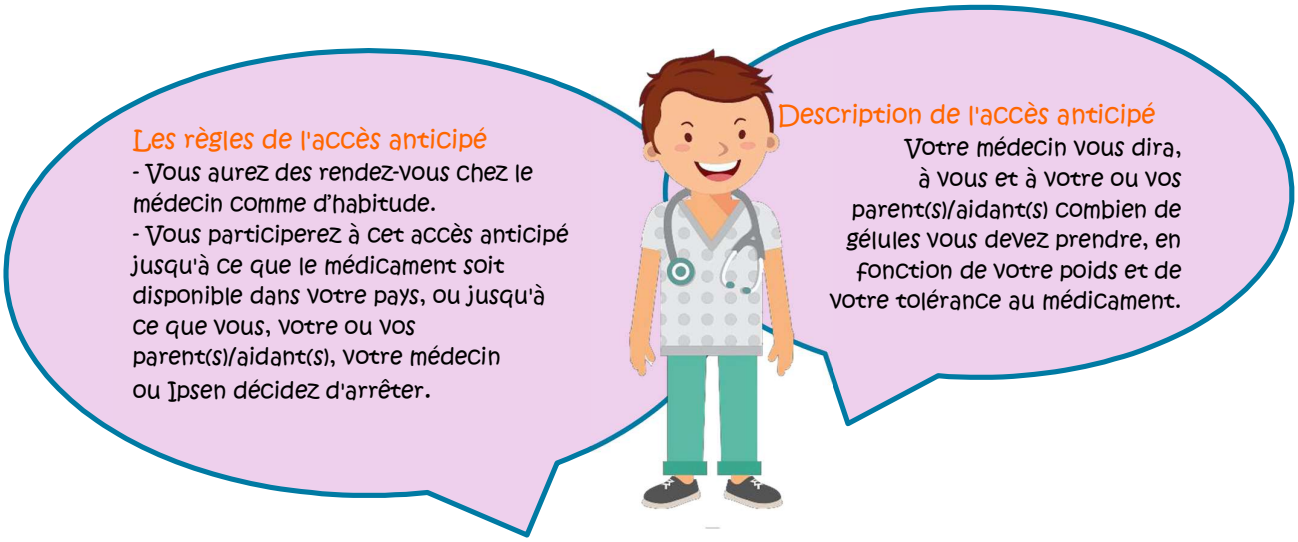
(accès anticipé) Nom de votre médecin :

Nous souhaitons vous parler de l'accès dans des circonstances particulières, également appelé « accès anticipé », organisé par une société appelée Ipsen.

Qu'est-ce que l'accès anticipé ?

L'accès anticipé, c'est lorsque vous avez accès à un médicament qui n'est pas disponible dans votre pays. Cet accès anticipé est fait pour vous donner un traitement pour essayer de vous aider avec votre maladie, le syndrome d'Alagille (SALG).

Ce document contient des informations sur cet accès anticipé. Une fois que vous l'aurez lu ou écouté, vous pourrez poser à votre médecin autant de questions que vous le souhaitez. Vous et votre famille pouvez alors décider si vous devez avoir accès à l'odevixibat.



Lors de votre consultation médicale, votre médecin vous examinera comme d'habitude. Lors des consultations, votre/vos parent(s)/aidant(s) sera/seront présent(s).

Si vous acceptez de rejoindre cet accès anticipé, voici ce qui se passera :

Que peut-il se passer si vous rejoignez cet accès anticipé ?

- Vous aurez votre rendez-vous chez le médecin comme d'habitude.
- Vous prendrez l'odevixibat selon les instructions de votre médecin.
- Votre médecin examinera votre corps, mesurera votre taille, votre poids, votre température et votre respiration.
- Il vérifiera si votre cœur fonctionne correctement.
- Votre médecin peut également effectuer certains examens d'imagerie sur vous, ce qui signifie qu'il peut prendre des photos de votre corps sans vous causer de douleur.
- Votre médecin pourrait vous demander de faire des analyses de sang et d'urine. Le médecin ou l'infirmière utilisera une aiguille pour prélever du sang sur votre bras. Cela peut faire un peu mal, mais cela ne dure pas longtemps. Si vous n'aimez pas qu'on vous prenne du sang, une crème peut être utilisée pour engourdir votre peau avant que le sang ne soit prélevé.

De mauvaises choses pourraient-elles arriver ?

- Vous pouvez vous sentir mal lorsque vous prenez de l'odevixibat.
- Vous devrez informer votre/vos parent(s)/aidant(s) et votre médecin si vous vous sentez malade ou ressentez une gêne.
- De nombreux adultes et enfants ont pris de l'odevixibat. L'odevixibat peut provoquer des selles liquides ou des douleurs à l'estomac. Cela peut également entraîner des modifications dans vos analyses sanguines, ce qui pourrait signifier un problème au niveau de votre foie.
- Une liste complète des effets indésirables possibles peut être trouvée auprès du médecin de l'étude et dans la note d'information remise à vos parents ou votre/vos tuteur(s).
- Si vous sentez que quelque chose d'inhabituel se produit, dites-le à votre/vos parent(s)/aidant(s) et informez-en immédiatement votre médecin. Votre médecin fera son le mieux pour que vous vous sentiez mieux.

Ma participation est-elle obligatoire ?

Décidez avec votre/vos parent(s)/aidant(s) si vous voulez participer.

- Vous pouvez dire « Non » ou « Oui ».
- Personne ne sera en colère contre vous si vous dites « non ».
- Si vous dites « Oui » maintenant, vous pourrez toujours dire « Non » plus tard.
- Vous pouvez dire « Non » à tout moment.
- Votre médecin continuera à prendre bien soin de vous, quelle que soit votre décision.

Avant de dire « Oui » ou « Non » à votre participation à cet accès anticipé, votre médecin répondra à toutes vos questions. Votre médecin et son équipe parlera également à votre/vos parent(s)/aidant(s) à propos de cet accès anticipé.

Prenez du temps avec votre/vos parent(s)/aidant(s) et demandez à votre médecin d'y réfléchir avant de prendre une décision. Si vous rejoignez cet accès anticipé, vous pouvez poser des questions à tout moment. Dites simplement au médecin que vous avez une question.

Si vous avez des questions sur cet accès anticipé maintenant, n'hésitez pas à demander à votre/vos parent(s)/aidant(s) et votre médecin.

Souhaitez-vous participer à cet accès anticipé ?

☐ Oui, je veux participer à cet accès anticipé.

☐ Non, je ne veux pas participer à cet accès anticipé.

Nom du patient	Signature du patient	Date
Nom du parent 1 / Nom du tuteur légal*	Signature du parent 1 / Signature du tuteur légal*	Date
Nom du parent 2 / Nom du tuteur légal*	Signature du parent 2 / Nom du tuteur légal*	Date
Nom du médecin	Signature du médecin	Date

**Selon la législation locale ou la décision du tribunal, plusieurs signatures peuvent être requises.*

NOUS VOUS REMERCIONS D'AVOIR LU CE DOCUMENT

Avis de confidentialité des données :
Qu'est-ce que les informations personnelles et comment les miennes seront-elles utilisées ?

Dans cet accès anticipé, nous utiliserons des informations vous concernant, mais votre nom ne sera pas utilisé et vous recevrez un code spécial d'identification. Avec ce code spécial, votre identité restera privée.

Nous utilisons les informations vous concernant pour réaliser l'accès anticipé décrit dans ce document.

Si vous n'êtes pas satisfait(e) de la façon dont Ipsen et son groupe et/ou ses sous-traitants utilisent vos informations, vous pouvez en parler à votre/vos parent(s)/aidant(s) ou parlez-en à votre médecin. Vous et votre/vos parent(s)/aidant(s) pouvez également contacter Ipsen si vous avez des questions ou souhaitez exercer vos droits.

Accès dans des circonstances particulières pour l'odevixibat

Note d'information et consentement pour les jeunes adolescents (12 à 14 ans)

VOTRE MÉDECIN	
NUMÉRO DE TÉLÉPHONE DE L'HÔPITAL en cas d'urgence	

Veuillez lire attentivement cette note d'information et ce formulaire de consentement et parlez-en à votre/vos parent(s)/aidant(s), un médecin, une infirmière ou une personne de confiance si vous le souhaitez. Prenez le temps de poser autant de questions que vous le souhaitez lors de votre lecture de ce document. Le médecin ou son équipe vous expliquera tout mot ou information que vous ne comprenez pas clairement.

Votre médecin vous offre la possibilité de participer à cet accès dans des circonstances particulières, également appelé « accès anticipé », qui permettra de vous fournir un produit appelé odevixibat pour votre maladie, le syndrome d'Alagille (SALG).

Qu'est-ce que l'accès anticipé ?

L'accès anticipé est un moyen de se faire traiter par l'odevixibat, qui n'est pas disponible dans votre pays de résidence pour les enfants comme vous qui sont atteints de SALG.

Souhaitez-vous recevoir l'odevixibat en accès anticipé ?

Votre médecin vous offre cette opportunité mais n'oubliez pas que c'est VOUS qui décidez en fin de compte.

Si vous avez peur et n'avez pas envie de participer, dites-le simplement. Personne ne sera en colère contre vous et le médecin continuera à prendre soin de vous. Si vous souhaitez participer, consultez ce document et posez toutes vos questions à votre médecin !

Si votre/vos parent(s)/aidant(s) j'accepte de vous permettre de participer, mais vous décidez de ne pas participer, vous ne ferez pas partie de cet accès anticipé.

Pourquoi cet accès anticipé est-il proposé ?

L'odevixibat n'est pas disponible dans votre pays de résidence pour les enfants comme vous qui sont atteints de SALG. Le but de cet accès anticipé est de mettre l'odevixibat à votre disposition. C'est pour cette raison que votre médecin souhaite vous donner la possibilité de l'essayer.
Gardez à l'esprit qu'il n'y a aucune garantie que l'odevixibat vous fera définitivement vous sentir mieux. Vous pourriez constater des améliorations, aucune différence, ou vous sentir mal. Il est important d'être conscient de toutes les possibilités.

Quelles sont les règles de cet accès anticipé ?

Vous ferez partie de cet accès anticipé pour votre état de santé jusqu'à ce que vous, votre/vos parent(s)/aidant(s), votre médecin ou Ipsen (la société fournissant le médicament et organisant cet accès anticipé) décide d'arrêter, ou jusqu'à ce qu'un autre médicament soit mis à disposition.

Votre médecin vous informera, vous et votre/vos parent(s)/aidant(s) en temps opportun si de nouvelles informations deviennent disponibles au cours de cet accès anticipé qui pourraient vous faire changer d'avis quant à la poursuite de la réception de l'odevixibat.

L'odevixibat est un médicament disponible sous forme de gélules (200 mcg, 400 mcg, 600 mcg et 1 200 mcg) prises par voie orale une fois par jour le matin, avec ou sans nourriture. Votre médecin vous dira, à vous et à votre ou vos parent(s)/aidant(s) combien de gélules vous devez prendre, en fonction de votre poids et de votre tolérance au médicament.

Cet accès anticipé a-t-il reçu une approbation médicale ou éthique ?

Cet accès anticipé a été approuvé médicalement, ce qui signifie qu'il peut être proposé aux jeunes adolescents comme vous.

Que se passera-t-il dans cet accès anticipé ?

Durant cet accès anticipé, vous aurez vos rendez-vous habituels avec votre médecin. Vous prendrez l'odevixibat selon les instructions de votre médecin.

- Votre médecin vous demandera comment vous vous sentez.
- Votre médecin vous posera des questions sur les autres médicaments que vous prenez.
- Votre médecin écoutera votre cœur et vos poumons, prendra votre tension artérielle et votre température, et vérifiera également votre rythme cardiaque et respiratoire. Vous serez pesé(e) et votre taille sera mesurée.
- Votre médecin prélèvera des échantillons de sang pour vérifier votre santé.
- Votre médecin pourrait vous demander de fournir des échantillons d'urine.
- Si vous êtes une fille et que vous avez commencé à avoir vos règles, des tests de grossesse peuvent être effectués sur votre sang ou votre urine.
- Votre médecin peut également effectuer des examens d'imagerie, ce qui signifie qu'il peut prendre des photos de l'intérieur de votre corps sans vous causer de douleur.

Informez votre médecin si vous prenez, avez récemment pris ou pourriez prendre tout autre médicament.

De mauvaises choses pourraient-elles arriver ?

Vous pourriez vous sentir mal lorsque vous prenez de l'odevixibat pendant cet accès anticipé.

Si vous ressentez quelque chose d'inhabituel, dites-le à votre/vos parent(s)/aidant(s) immédiatement et prévenez le médecin. Il vous dira quoi faire.

Il existe des risques associés à l'odevixibat comme mentionné dans la notice d'information sur l'odevixibat que votre médecin vous a remise, à vous et à votre/vos parent(s)/aidant(s), et demandez plus de détails à votre médecin.

Vous pourriez souffrir de diarrhée (selles liquides), ce qui pourrait entraîner une déshydratation (soif) et des douleurs à l'estomac. Cela peut également entraîner des modifications dans vos analyses sanguines, ce qui pourrait signifier un problème au niveau de votre foie.

En plus :

- Vous pouvez vous sentir fatigué(e).
- Vous pourriez vous sentir gêné(e) par les questions que le médecin ou l'infirmière vous pose.

Une liste complète des effets indésirables possibles peut être trouvée dans le formulaire de consentement qui vous est remis, à vous ou à votre/vos parent(s)/aidant(s).

Il pourrait y avoir d'autres effets de l'odevixibat dont nous ne sommes pas encore conscients. Si vous ressentez quelque chose d'inhabituel pendant cet accès anticipé, assurez-vous d'en informer votre/vos parent(s)/aidant(s) et l'équipe du médecin. Ils feront de leur mieux pour que vous vous sentiez mieux.

Notez que l'odevixibat pourrait causer des dommages importants à un enfant à naître.

Si vous êtes une fille et que vous avez commencé à avoir vos règles ou que vous pourriez commencer à avoir vos règles pendant cet accès anticipé avec l'odevixibat, vous devrez utiliser une méthode de contraception, à moins que votre médecin décide que cela n'est pas nécessaire. Votre médecin vous aidera à trouver la méthode la plus adaptée à vos besoins.

- Parfois, même si vous utilisez un moyen de contraception, les filles peuvent quand même débuter une grossesse. C'est pourquoi votre médecin ou son équipe pourrait décider d'effectuer des tests de grossesse avant et pendant cet accès anticipé. Ils vous informeront des résultats de tout test qu'ils effectueront.

- S'agissant des discussions avec votre médecin concernant la grossesse et la contraception, votre vie privée est importante. Votre médecin ne partagera ces informations avec votre/vos parent(s)/aidant(s) que si vous êtes d'accord.

Si vous pensez être enceinte à tout moment au cours de cet accès anticipé, il est très important d'en informer immédiatement votre/vos parent(s)/aidant(s) et votre médecin. Toute femme enceinte doit arrêter son traitement par l'odevixibat.

Si vous êtes un garçon ayant des partenaires sexuelles :

- Vous devez utiliser une contraception efficace pour éviter une grossesse chez votre partenaire, si celle-ci est en capacité de procréer.

Il est très important que les partenaires des garçons participant à cet accès anticipé ne débutent pas de grossesse pendant que le participant participe à cet accès anticipé. Si vous avez des rapports sexuels avec une partenaire en capacité de procréer, vous devez utiliser une méthode de contraception efficace pour éviter une grossesse chez votre partenaire. Votre médecin peut vous parler de méthodes efficaces de contraception. Vous devrez informer immédiatement votre/vos parent(s)/tuteur(s) légal(aux) et/ou votre médecin si vous pensez que votre partenaire pourrait être enceinte pendant cet accès anticipé

Quels autres choix existe-t-il ?

Vous n'êtes pas obligé(e) de participer à cet accès anticipé si vous ne le souhaitez pas. Si vous ne participez pas, cela n'affectera pas les soins médicaux que vous recevrez. Votre médecin se fera un plaisir de discuter d'un traitement alternatif, le cas échéant.

Et si vous changiez d'avis ?

Si vous ne souhaitez pas participer à cet accès anticipé, ce n'est pas un problème. Vous avez le droit de décider de ce qui est le mieux pour vous. Et si vous dites « oui » maintenant mais que vous changez d'avis plus tard, ce n'est pas grave non plus. Votre médecin ne sera pas en colère contre vous et il fera toujours de son mieux pour vous aider.

Avez-vous des questions ?

Vous pouvez poser toutes vos questions à tout moment ! Vous pouvez demander maintenant. Vous pourrez demander plus tard. Vous pouvez parler à votre médecin et/ou son équipe. Vous pouvez également demander à votre/vos parent(s)/aidant(s) de poser des questions à votre place.

Formulaire d'assentiment

1. J'ai lu et compris les informations contenues dans cette note d'information.

2. Le médecin, avec le soutien de mon/mes parent(s)/aidant(s), m'a expliqué cet accès anticipé en détail et j'ai eu l'occasion de poser des questions. Toutes mes questions sur l'odevixibat et ma participation à cet accès anticipé ont reçu une réponse.

3. Je comprends que c'est à moi de décider si je souhaite ou non participer à cet accès anticipé. Je peux arrêter de participer à cet accès anticipé à tout moment, et je n'ai pas besoin de donner de raison. Mon médecin continuera à prendre soin de moi.

4. Un exemplaire signé et daté de ce document me sera remis.

J'accepte de participer à cet accès anticipé.

_____ Nom du patient	_____ Signature du patient	_____ Date
_____ Nom du parent 1 / Nom du tuteur légal*	_____ Signature du parent 1 / Signature du tuteur légal*	_____ Date
_____ Nom du parent 2 / Nom du tuteur légal*	_____ Signature du parent 2 / Nom du tuteur légal*	_____ Date
_____ Nom du médecin	_____ Signature du médecin	_____ Date

**Selon la législation locale ou la décision du tribunal, plusieurs signatures peuvent être requises.*

Avis de confidentialité des données

Les données personnelles sont les informations vous concernant qui vous rendent unique. Dans cet accès anticipé, votre nom ne sera pas utilisé et vous recevrez un code spécial pour vous identifier. Avec ce code spécial, votre identité restera privée.

La finalité du traitement de vos données personnelles est la réalisation de l'accès anticipé décrit dans ce document.

Ipsen, son groupe et/ou ses sous-traitants, ses médecins et son équipe recueillent certaines données personnelles vous concernant, telles que vos initiales, votre sexe, votre date de naissance/âge, et votre pays de résidence. Ils recueillent également votre taille, votre poids, vos données de santé, vos rapports de sécurité d'emploi, des informations sur votre état de santé et vos antécédents médicaux. Seules les personnes de confiance chez Ipsen, son groupe, votre médecin et son équipe peuvent lier ce code à vos informations personnelles.

Si vous n'êtes pas satisfait(e) de la façon dont Ipsen et son groupe et/ou ses sous-traitants utilisent vos informations, vous pouvez en parler à votre/vos parent(s)/aidant(s) ou parlez-en à votre médecin. Vous et votre/vos parent(s)/aidant(s) pouvez également contacter Ipsen si vous avez des questions ou souhaitez exercer vos droits.

Pour exercer ces droits, parlez-en d'abord à votre médecin et/ou son équipe. Ipsen ne connaît pas votre nom complet. Si vous souhaitez contacter le responsable de la confidentialité d'Ipsen, vous devrez fournir votre code spécial, ce qui pourrait affecter votre confidentialité. Si vous souhaitez toujours parler à Ipsen, voici comment vous et votre/vos parent(s)/aidant(s) pouvez les contacter :

- En remplissant le formulaire disponible à l'adresse https://www.ipsen.com/global- politique de confidentialité/
- E-mail : Délégué à la confidentialité des données d'Ipsen : dataprivacy@ipsen.com
- Lettre : Ipsen Pharma, 70 rue Balard, 75015 Paris, France

Accès dans des circonstances particulières pour l'odevixibat

Note d'information et assentiment destinés aux adolescents (de 15 ans à l'âge adulte selon les lois locales)

VOTRE MÉDECIN	
NUMÉRO DE TÉLÉPHONE DE L'HÔPITAL en cas d'urgence	

Veuillez lire attentivement cette note d'information et ce formulaire de consentement et parlez-en à vos parents, à votre famille, à vos amis, à votre médecin ou à votre infirmière si vous le souhaitez. Prenez le temps de poser autant de questions que vous le souhaitez lors de votre lecture de ce document. Le médecin ou son équipe vous expliquera tout mot ou information que vous ne comprenez pas clairement.

Votre médecin vous offre la possibilité de participer à cet accès dans des circonstances particulières, également appelé « accès anticipé », organisé par une société appelée Ipsen qui vous fournira un produit nommé odevixibat pour le syndrome d'Alagille (SALG).

Votre participation est volontaire, ce qui signifie que vous pouvez choisir si vous souhaitez participer. Si vous choisissez de ne pas participer, vos soins médicaux ne changeront pas et vous continuerez à recevoir des soins standard. Votre médecin se fera un plaisir de discuter des options de traitement alternatives, le cas échéant.

Avant de pouvoir prendre votre décision, vous devrez savoir en quoi consiste cet accès anticipé, les risques possibles liés à la réception d'odevixibat et ce que vous devrez faire. Veuillez poser des questions à votre médecin et/ou les infirmières et/ou votre/vos parent(s)/tuteur(s) légal(aux) à propos de cette note d'information s'il y a quelque chose que vous ne comprenez pas.

Si votre/vos parent(s)/tuteur(s) légal(aux) acceptent de vous permettre de participer, mais vous décidez de ne pas participer, vous ne ferez pas partie de cet accès anticipé.

1. Pourquoi cet accès anticipé est-il proposé ?

Le but de cet accès anticipé est, selon la décision de votre médecin, de traiter les jeunes comme vous atteints de SALG avec l'odevixibat avant qu'il ne soit mis à disposition dans votre pays de résidence. Il est possible que votre état s'améliore, reste le même ou se détériore pendant le traitement par odevixibat.

L'odevixibat est un médicament disponible sous forme de gélules (200 mcg, 400 mcg, 600 mcg et 1 200 mcg) prises par voie orale une fois par jour le matin, avec ou sans nourriture. Comme tous les médicaments, l'odevixibat peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

2. Combien de temps resterez-vous dans cet accès anticipé ?

Vous ferez partie de cet accès anticipé pour votre affection médicale, jusqu'à ce que vous, votre/vos parent(s)/tuteur(s) légal(aux)/votre médecin ou Ipsen décidez d'arrêter ou jusqu'à ce qu'un autre médicament soit disponible.

L'accès anticipé est conçu pour durer jusqu'aux conditions ci-dessous, selon la première éventualité :

- L'odevixibat devient disponible commercialement dans le pays de la demande ou
- jusqu'à 24 mois après l'autorisation de mise sur le marché (c'est-à-dire l'approbation réglementaire locale de commercialisation de l'odevixibat pour le SALG) dans le pays de la demande, au cas où le remboursement et les négociations de prix dans le pays concerné ne peuvent être conclues pour aucune raison (par exemple, le produit pour l'indication n'est pas reconnu comme essentiel par les payeurs).

Lorsque le remboursement de l'odevixibat pour le SALG est accordé dans le pays de la demande, la transition de l'odevixibat de cet accès précoce à l'approvisionnement commercial doit être achevée dans les 3 (trois) mois suivant le remboursement. Au cours de cette période de 3 mois, Ipsen évaluera au cas par cas, afin d'assurer une transition complète vers le produit remboursé lorsque cela est possible, et éventuellement arrêter la fourniture de l'odevixibat par la voie d'accès anticipé.

3. Cet accès anticipé a-t-il reçu une approbation médicale ou éthique ?

Cet accès anticipé a été approuvé médicalement, ce qui signifie qu'il peut être proposé aux jeunes comme vous.

4. Que se passera-t-il dans cet accès anticipé ?

Durant cet accès anticipé, vous serez suivi par votre médecin habituel.
Vous recevrez un traitement appelé « odevixibat » que vous devrez prendre comme décrit par votre médecin.

- Votre médecin vous demandera comment vous vous sentez.
- Votre médecin vous posera des questions sur la prise d'autres médicaments.
- Votre médecin écoutera votre cœur et vos poumons, prendra votre tension artérielle et votre température, et vérifiera également votre rythme cardiaque et respiratoire. Votre médecin mesurera votre taille, votre poids, votre température et votre respiration.
- Votre médecin prélèvera des échantillons de sang pour vérifier votre santé.

- Votre médecin pourrait vous demander de fournir des échantillons d'urine.
- Si vous êtes une fille et que vous avez commencé à avoir vos règles, des tests de grossesse peuvent être effectués sur votre sang ou votre urine.
- Votre médecin peut également effectuer des examens d'imagerie, ce qui signifie qu'il peut prendre des photos de l'intérieur de votre corps sans vous causer de douleur.

5. De mauvaises choses pourraient-elles arriver ?

- Vous pourriez vous sentir mal lorsque vous prenez de l'odevixibat à partir de cet accès anticipé.
- Il existe des risques associés à l'odevixibat selon la notice d'information de l'odevixibat (veuillez vous référer à ce document fourni par votre médecin à votre/vos parent(s)/tuteur(s) légal(aux) et demandez plus de détails à votre médecin). Vous pourriez souffrir de diarrhée (selles liquides), ce qui pourrait entraîner une déshydratation (soif) et des douleurs à l'estomac. Cela peut également entraîner des modifications dans vos analyses sanguines qui pourraient indiquer un problème au niveau de votre foie. De plus :
    - Vous pouvez vous sentir fatigué(e).
    - Vous pourriez vous sentir gêné(e) par les questions que le médecin ou l'infirmière vous pose.
- Une liste complète des effets indésirables possibles peut être trouvée dans le formulaire de consentement qui vous est remis, à vous ou à votre/vos parent(s)/tuteur(s) légal(aux).
- Il pourrait également y avoir des effets de l'odevixibat que nous ne connaissons pas encore. Il est important d'informer immédiatement votre médecin si vous présentez un quelconque trouble. Votre médecin et son équipe fera de son mieux pour que vous vous sentiez mieux.
- Veuillez noter que le traitement donné dans cet accès anticipé pourrait causer un préjudice important à un enfant à naître.

Si vous êtes une fille et que vous pourriez commencer à avoir vos règles pendant cet accès anticipé avec l'odevixibat, vous devrez utiliser une méthode de contraception, à moins que votre médecin décide que cela n'est pas nécessaire. Votre médecin vous aidera à trouver la méthode la plus adaptée à vos besoins.

- Le traitement administré dans le cadre de cet accès anticipé pourrait causer un préjudice important à un enfant à naître. Il est donc très important que les filles participant à cet accès anticipé ne commencent pas une grossesse pendant leur participation à cet accès anticipé.
- Les filles peuvent parfois tomber enceintes même en utilisant un moyen de contraception. Pour cette raison, votre médecin ou son équipe peut décider d'effectuer des tests de grossesse. Ils vous communiqueront les résultats de tout test de grossesse, le cas échéant.
- Vous avez droit à la confidentialité lorsque vous parlez de grossesse et de contraception avec un médecin. Ces informations ne seront partagées qu'avec votre/vos parent(s)/tuteur(s) légal(aux) si vous êtes d'accord.
- Vous devrez informer immédiatement votre/vos parent(s)/tuteur(s) légal(aux) et votre médecin si vous pensez que vous pourriez être enceinte pendant cet accès anticipé. Toute femme enceinte doit arrêter son traitement par l'odevixibat.

Si vous êtes un garçon ayant des partenaires sexuelles :

- Vous devez utiliser une contraception efficace pour éviter une grossesse chez votre partenaire, si celle-ci peut débuter une grossesse.
- Il est très important que les partenaires des garçons participant à cet accès anticipé ne débutent pas de grossesse pendant que le participant participe à cet accès anticipé. Si vous avez des rapports sexuels avec une partenaire en capacité de procréer, vous devez utiliser une méthode de contraception efficace pour éviter une grossesse chez votre partenaire. Votre médecin peut vous parler de méthodes efficaces de contraception. Tu devrais dire à ton parent(s)/tuteur(s) légal(aux) et/ou Consultez immédiatement votre médecin si vous pensez que votre partenaire pourrait être enceinte pendant cet accès anticipé.

6. Quelles autres options existe-t-il ?

Si vous décidez de ne pas recevoir d'odevixibat dans le cadre de cet accès anticipé, cela n'affectera pas les soins médicaux que vous recevrez. Votre médecin discutera des options de traitement alternatives, le cas échéant.

7. Que se passera-t-il si de nouvelles informations deviennent disponibles au cours de cet accès anticipé ?

Votre médecin vous informera en temps opportun si de nouvelles informations deviennent disponibles au cours de cet accès anticipé qui pourraient vous faire changer d'avis quant à la poursuite de l'administration d'odevixibat.

8. Qu'adviendra-t-il des résultats de cet accès anticipé ?

Les informations recueillies auprès de vous et de tous les autres participants à l'accès anticipé peuvent être rassemblées et pourraient également être publiées dans une revue médicale, mais aucun patient individuel ne sera identifié. Si vous souhaitez obtenir une copie des résultats de cet accès anticipé qui sont des résultats publiés, veuillez demander à votre médecin.

9. Que se passera-t-il si vous changez d'avis ?

Si vous ne souhaitez pas participer à cet accès anticipé, vous n'êtes pas obligé(e) de le faire.

Il est également acceptable de dire « oui » maintenant et de changer d'avis plus tard. Votre médecin ne sera pas en colère contre vous et il essaiera toujours de vous aider à vous sentir mieux.

CONSENTEMENT À RECEVOIR L'ODEVIXIBAT EN ACCÈS ANTICIPÉ

Je confirme que :

1. J'ai été informé(e) sur l'odevixibat ainsi que sur les détails de l'accès anticipé à l'odevixibat, y compris les effets indésirables et les risques possibles. J'ai eu l'occasion de discuter de l'accès anticipé à l'odevixibat avec le médecin qui a fait la demande et toutes mes questions ont reçu une réponse.
2. J'ai eu suffisamment de temps pour réfléchir à cet accès anticipé.
3. Je comprends que je recevrai un exemplaire de ce document une fois que je l'aurai signé.
4. Je comprends que ma décision de participer à cet accès anticipé est entièrement volontaire et que je suis libre d'arrêter à tout moment mon accès en fonction des circonstances de ma participation. Si je décide de ne pas participer à cet accès anticipé ou d'arrêter ma participation pendant cet accès anticipé, cela n'affectera pas mes soins médicaux standard.

J'accepte de participer à cet accès anticipé.

_____ Nom du patient	_____ Signature du patient	_____ Date
_____ Nom du parent 1 / Nom du tuteur légal*	_____ Signature du parent 1 / Signature du tuteur légal*	_____ Date
_____ Nom du parent 2 / Nom du tuteur légal*	_____ Signature du parent 2 / Nom du tuteur légal*	_____ Date
_____ Nom du médecin	_____ Signature du médecin	_____ Date

**Selon la législation locale ou la décision du tribunal, plusieurs signatures peuvent être requises.*

AVIS DE CONFIDENTIALITÉ DES DONNÉES

1) Qu'est-ce que les informations personnelles et lesquelles sont recueillies pour l'accès anticipé ?

Les médecins, leur équipe, Ipsen et les sous-traitants de données d'Ipsen recueilleront des informations de base vous concernant, telles que vos initiales, votre sexe, votre date de naissance/âge, votre pays de résidence, votre taille, votre poids, vos données de santé, vos rapports de sécurité d'emploi, des informations sur votre état de santé et vos antécédents médicaux. Cela les aide à comprendre comment le traitement peut affecter différentes personnes.

2) Quelle est la finalité du traitement des données ?

La finalité du traitement de vos données personnelles est la réalisation de l'accès anticipé décrit dans ce document.
Ipsen a l'obligation légale de traiter vos données. Ce traitement est nécessaire pour des raisons de santé publique et relève de l'intérêt public.

3) Comment vos données personnelles seront-elles traitées ?

Nous prendrons toutes les précautions pour garantir que seules les personnes qui ont besoin de savoir ont accès à vos informations.
Afin de protéger votre vie privée, votre nom ne sera pas utilisé ; à la place, un numéro spécial vous sera attribué. Seules les personnes de confiance chez Ipsen, les entreprises travaillant avec Ipsen aux fins de cet accès anticipé, votre médecin et son équipe peut lier ce code à vos informations personnelles.

4) Qui est responsable du traitement de vos données personnelles ?

Ipsen est responsable du traitement de vos informations personnelles. Les sociétés travaillant avec Ipsen dans le cadre de cet accès anticipé sont celles qui traitent vos données. Pour cette raison, Ipsen et ces sociétés traitent vos informations personnelles pour s'assurer qu'elles respectent les lois de votre pays de résidence et pour assurer votre sécurité pendant l'accès anticipé.

5) Qui peut accéder à vos données personnelles ?

En dehors de votre médecin et son équipe, seules les personnes autorisées peuvent accéder à vos informations, notamment :

- **Auditeurs d'accès anticipé :** personnes travaillant chez Ipsen qui s'assurent que l'accès anticipé est effectué correctement.
- **Comités d'éthique :** le cas échéant, il existe un groupe de personnes qui s'assurent que cet accès anticipé est juste et sûr pour vous.
- **Autorités réglementaires :** Il existe de grandes organisations dans votre pays et dans le monde entier qui surveillent cet accès anticipé pour s'assurer qu'il respecte toutes les règles et qu'il est sûr pour tout le monde.

- *Si le prestataire de services est à bord* Tiers : s'il existe un portail Web spécial utilisé pour les activités d'accès anticipé, il sera développé par d'autres sociétés de confiance travaillant avec Ipsen. Seules des personnes spécifiques au sein de cette société tierce auront accès à vos informations. De plus, votre médecin et son équipe peuvent également avoir accès à ce portail Web et à vos informations personnelles.

Pour les sociétés pharmaceutiques européennes uniquement ou pour les centres européens :

Parfois, Ipsen travaille et partage des informations avec des tiers qui ont des lois sur la confidentialité des données différentes de celles de votre pays. Ainsi, vos informations personnelles peuvent être transmises à des endroits situés en dehors de l'Union européenne ou du lieu où travaille votre médecin. Soyez rassuré(e), peu importe où dans le monde se trouvent vos informations personnelles, si ces endroits ne protègent pas vos informations personnelles de la même manière qu'en Europe, Ipsen s'assure que vos informations personnelles y sont protégées comme elles le seraient dans votre pays d'origine. Si vous souhaitez en savoir plus sur la destination de vos informations personnelles, vous pouvez demander à votre médecin.

Et n'oubliez pas : Ipsen ne vendra jamais aucune de vos informations personnelles.

6) Combien de temps vos données codées seront-elles conservées ?

Après la fin de cet accès anticipé, Ipsen et les sociétés travaillant avec Ipsen aux fins de cet accès anticipé conserveront vos informations codées pendant deux (2) ans, puis stockées pendant huit (8) ans conformément à la loi applicable. Après cette période, vos informations seront soit supprimées, soit rendues anonymes.

7) Quels sont vos droits en vertu de la loi sur la protection des données ?

Là où vous vivez, il existe des règles qui stipulent que vous pouvez décider de ce qu'il advient de vos informations personnelles. Cela signifie que vous pouvez choisir de le voir, de le modifier ou d'empêcher les autres de l'utiliser. Si vous n'êtes pas satisfait(e) de la manière dont vos données sont traitées, vous pouvez en parler à votre médecin et son équipe qui peut contacter Ipsen. Si vous et/ou votre/vos parent(s)/aidant(s) avez des questions ou souhaitez exercer vos droits, vous pouvez toujours contacter Ipsen.

Pour exercer ces droits, parlez-en d'abord à votre médecin et/ou son équipe. Ipsen ne connaît pas votre nom complet. Si vous souhaitez contacter le responsable de la confidentialité d'Ipsen, vous devrez fournir votre code spécial, ce qui pourrait affecter votre confidentialité. Si vous souhaitez toujours parler à Ipsen, voici comment vous et votre/vos parent(s)/aidant(s) pouvez nous contacter :

- En remplissant le formulaire disponible à l'adresse https://www.ipsen.com/global-privacy-policy/
- E-mail : Délégué à la confidentialité des données d'Ipsen : dataprivacy@ipsen.com
- Lettre : Ipsen Pharma, 70 rue Balard, 75015 Paris, France

Informatieblad en toestemmingsformulier voor volwassenen en/of ouder(s)/wettelijke voogd(en) voor toegang onder bijzondere omstandigheden voor odevixibat

Dit informatieblad en toestemmingsformulier zijn van toepassing op volwassen patiënten en/of ouder(s)/wettelijke voogd(en) wanneer de patiënt minderjarig is.

U/uw kind staat op het punt om odevixibat te verkrijgen onder bijzondere omstandigheden, na een ongevraagd verzoek van uw behandelend arts aan een farmaceutisch bedrijf genaamd Ipsen. Echter, u/uw kind hebben het recht om volledig geïnformeerd te worden over de voordelen en risico's van odevixibat voordat u besluit om wel of niet deel te nemen. U/uw kind kunt altijd van gedachten veranderen over deelname.

Dit document biedt informatie over de toegang tot odevixibat onder speciale omstandigheden, hierna te noemen Early Access, en hoe u uw persoonlijke gegevens/de persoonlijke gegevens van uw kind worden verwerkt. Het is belangrijk dat u alle informatie in dit document leest en alle vragen stelt die u heeft. U kunt er ook met anderen over praten als u dat wilt. Neem de tijd om te beslissen of u geïnteresseerd bent.

- Als u/uw kind odevixibat ontvangt onder Early Access, moet u aan het einde van dit document uw handtekening en datum zetten.
- Als u/uw kind geen odevixibat ontvangt onder Early Access, zal dit geen invloed hebben op de medische zorg die u/uw kind ontvangt. Uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind zal eventuele alternatieve behandelingsopties met u bespreken.

Uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind zal u alle benodigde informatie verstrekken, zodat u een weloverwogen beslissing kunt nemen. Neem contact op met uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind als u vragen heeft over deze Early Access en over odevixibat. Uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind zal u/uw kind tijdig informeren als er tijdens deze Early Access nieuwe informatie beschikbaar komt die uw mening over het blijven ontvangen van odevixibat kan veranderen.

Odevixibat is niet goedgekeurd of op de markt gebracht in uw land van verblijf voor uw medische aandoening/de medische aandoening van uw kind: het Alagille syndroom (ALGS). Uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind zal alle vereiste wettelijke en ethische goedkeuringen verkrijgen voor odevixibat Early Access buiten een goedgekeurde indicatie.
U/uw kind blijft deel uitmaken van deze Early Access voor ALGS totdat u, uw wettelijke voogd(en), indien van toepassing, uw arts of Ipsen besluiten te stoppen, of totdat er andere medicijnen voor ALGS beschikbaar zijn in uw land van verblijf.

De Early Access-periode is bedoeld om te duren totdat aan de onderstaande voorwaarden is voldaan, afhankelijk van wat zich het eerst voordoet:

- Odevixibat wordt commercieel beschikbaar in het land van aanvraag of
- tot 24 maanden na de vergunning voor het in de handel brengen (dat wil zeggen de lokale wettelijke goedkeuring om odevixibat voor ALGS op de markt te brengen) in het land van

aanvraag, in het geval dat de vergoeding en prijsonderhandelingen in het betreffende land om welke reden dan ook niet kunnen worden afgerond (bijvoorbeeld omdat het product voor de indicatie door de betalers niet als essentieel wordt erkend).

Wanneer vergoeding van odevixibat voor ALGS wordt verleend in het land van aanvraag, moet de overgang van odevixibat van deze Early Access naar commerciële levering binnen 3 (drie) maanden na vergoeding worden voltooid. Gedurende deze periode van 3 maanden zal Ipsen per geval beoordelen of er sprake is van een volledige overgang naar vergoede producten, waar mogelijk, en uiteindelijk de verstrekking van odevixibat via de Early Access-route stopzetten.

Odevixibat is een geneesmiddel dat verkrijgbaar is in de vorm van capsules (200 mcg, 400 mcg, 600 mcg en 1200 mcg) die eenmaal daags 's ochtends oraal moeten worden ingenomen, met of zonder voedsel. Zoals alle geneesmiddelen kan odevixibat bijwerkingen veroorzaken, hoewel niet iedereen deze bijwerkingen ervaart.

Behandeling met odevixibat onder Early Access brengt een aantal risico's met zich mee, waaronder bekende, onbekende of onvoorziene risico's. Als u/uw kind op enig moment tijdens deze Early Access-periode een bijwerking ervaart, neem dan onmiddellijk contact op met uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind. Raadpleeg de bijsluiter van odevixibat die is verstrekt door uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind voor meer informatie.

Er zijn enkele speciale waarschuwingen en voorzorgsmaatregelen voor het gebruik van odevixibat, zoals vermeld in de odevixibat Referentieveiligheidsinformatie (Samenvatting van de productkenmerken) die aan uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind is verstrekt:

- Overgevoeligheid voor de werkzame stof of voor één van de hulpstoffen (niet-medicinale bestanddelen).
- Patiënten met ernstige leverfunctiestoornissen (leverproblemen) zijn niet onderzocht. Bij patiënten met ernstige leverfunctiestoornissen (leverproblemen) dienen periodieke leverfunctietesten (het testen van de gezondheid van uw lever) te worden overwogen.
- In klinische onderzoeken werden bij sommige patiënten die odevixibat kregen, verhoogde waarden in leverfunctietesten waargenomen. Het beoordelen (afnemen van bloed voor analyse) van leverfunctietesten (ALT, AST, GGT, ALP en totaal bilirubine, de stoffen die door de lever worden geproduceerd en die kunnen worden gemeten met een bloedtest) wordt aanbevolen voor alle patiënten voordat ze beginnen met het gebruik van odevixibat, met controle volgens de standaard klinische praktijk (de gebruikelijke zorgpraktijk van uw arts). Bij patiënten met verhoogde leverfunctiewaarden moet frequentere controle worden overwogen.
- Het wordt aanbevolen om bij alle patiënten de waarden van in vet oplosbare vitamines (FSV) (vitamines A, D, E) en de internationale genormaliseerde ratio (INR) te bepalen voordat met de behandeling met odevixibat wordt begonnen, met monitoring conform de standaard klinische praktijk. Indien FSV-deficiëntie wordt vastgesteld, dient aanvullende therapie te worden voorgeschreven.
- Diarree (dunne of frequente ontlasting) is gemeld als een vaak voorkomende bijwerking bij het gebruik van odevixibat. Diarree kan leiden tot uitdroging (dorst) en mogelijk ook tot een verstoring van de elektrolytenbalans (chemische stoffen in uw bloed). Patiënten moeten regelmatig worden gecontroleerd om te zorgen voor voldoende hydratatie (bijvoorbeeld door voldoende te drinken) tijdens perioden van diarree.

Bij alle geneesmiddelen bestaat het risico op een allergische reactie, die, indien niet tijdig behandeld, levensbedreigend kan zijn. U dient onmiddellijk medische hulp te zoeken als u denkt dat u een van de volgende symptomen van een ernstige allergische reactie heeft: moeite met ademhalen of zwelling van het gezicht, de mond, de lippen, het tandvlees, de tong of de nek.

Andere symptomen van een allergische reactie kunnen zijn: huiduitslag, netelroos of blaren. U moet uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind laten weten of u allergieën heeft of in het verleden allergisch bent geweest voor medicijnen of voedsel.

Zwangerschapsgerelateerde risico's voor vrouwen op vruchtbare leeftijd

Vrouwen op vruchtbare leeftijd dienen een effectieve anticonceptiemethode te gebruiken wanneer zij met odevixibat worden behandeld. Odevixibat wordt niet aanbevolen tijdens de zwangerschap en bij vrouwen op vruchtbare leeftijd die geen anticonceptie gebruiken.

De effecten van odevixibat op een ongeboren baby zijn onbekend. Omdat de risico's met betrekking tot zwangerschap onvoorspelbaar zijn, is het belangrijk dat u, indien van toepassing, de anticonceptiemethoden gebruikt die worden aanbevolen door uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind tijdens deze Early Access.

Als u/uw kind vrouwelijk is, ongesteld is geweest en zwanger kan worden, kan uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind vragen om een bloedtest voor zwangerschap te doen om er zeker van te zijn u/uw kind niet zwanger bent/is. U moet het uw behandelend arts/behandelend arts van uw kind onmiddellijk vertellen, indien u/uw kind zwanger wordt. Als u/uw kind zwanger wordt, wordt de behandeling met odevixibat onmiddellijk stopgezet.

Als u/uw kind mannelijk is, moet u het uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind onmiddellijk vertellen als de betreffende partner zwanger wordt tijdens uw deelname/de deelname van uw kind aan deze Early Access.

U/uw kind zal worden gevraagd om informatie te verstrekken over uw/hun algemene gezondheid, de uitkomst van de zwangerschap en het klinische beloop van het kind tot 2 (twee) jaar na de bevalling.

TOESTEMMING OM ODEVIXIBAT TE ONTVANGEN ONDER EARLY ACCESS

1. Ik bevestig dat mijn behandelend arts/de behandelend arts van mijn kind mij heeft geïnformeerd over odevixibat en de details van odevixibat Early Access, inclusief mogelijke bijwerkingen en risico's. Ik heb de bijsluiter van odevixibat ontvangen van mijn behandelend arts/de behandelend arts van mijn kind Ik heb voldoende tijd gehad om odevixibat Early Access te overwegen en heb de gelegenheid gehad om vragen te stellen.
2. Ik begrijp dat er risico's verbonden zijn aan het gebruik van odevixibat, zoals hierboven in dit document vermeld.
3. Ik begrijp dat odevixibat niet is goedgekeurd of op de markt is gebracht in mijn land van verblijf voor mijn medische aandoening/de medische aandoening van mijn kind.
4. Ik ga ermee akkoord om vrijwillig deel te nemen/dat mijn kind vrijwillig deelneemt aan de Early Access. Ik begrijp dat ik mijn toestemming op elk moment en zonder opgaaf van reden kan intrekken.
5. Ik begrijp dat ik gevraagd zal worden om ongebruikte voorraad odevixibat te retourneren als ik/mijn kind of de behandelend arts of Ipsen besluit de Early Access te stoppen.
6. Ik bevestig dat ik begrijp dat delen van mijn medische dossiers/de medische dossiers van mijn kind kunnen worden ingezien door geautoriseerde personen van Ipsen, haar groep en/of onderaannemers en/of van lokale en eventueel buitenlandse toezichthoudende instanties en/of ethische commissies, indien van toepassing.
7. Ik ontvang een ondertekend en gedateerd exemplaar van dit formulier.

Voor- en achternaam behandelend arts	
Behandelend arts professioneel telefoonnummer	

Wanneer een volwassen patiënt geen wettelijke voogd(en) heeft:

Naam van de patiënt	**Handtekening van de patiënt**	**Datum**

Wanneer de patiënt volwassen is en wettelijke voogden heeft, moet(en) de wettelijke voogd(en) tekenen OF wanneer de patiënt een kind is, moet(en) de voogd(en) tekenen.

Naam van de ouder(s) of wettelijke voogd van de patiënt	**Handtekening van de ouder(s) of wettelijke voogd van de patiënt ***	**Datum**
Naam van de ouder(s) of wettelijke voogd van de	**Handtekening van de ouder(s) of wettelijke voogd van de patiënt ***	**Datum**

*****_Volgens de plaatselijke wetgeving of een uitspraak van de rechtbank kan er meer dan één handtekening vereist zijn._

GEGEVENSBESCHERMINGSVERKLARING

Als u/uw kind besluit odevixibat te ontvangen onder deze Early Access, kunnen uw persoonsgegevens/ de persoonsgegevens van uw kind worden verwerkt in het kader van de Early Access.

Bestaat er een wet die uw gegevens/die van uw kind beschermt?

- Uw gegevens/de gegevens van uw kind kunnen worden verwerkt in overeenstemming met de [(EU) 2016/679 Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG) en andere lokale regelgeving(en), indien van toepassing.

Wat is het doel van de gegevensverwerking?

- Het doel van de verwerking van uw gegevens/de persoonsgegevens van uw kind worden gebruikt om de in dit document beschreven Early Access uit te voeren.
- De resultaten van deze Early Access kunnen worden ingediend bij regelgevende instanties, gepubliceerd of gepresenteerd op wetenschappelijke bijeenkomsten. In deze context blijft uw identiteit/de identiteit van uw kind vertrouwelijk.

Wie is verantwoordelijk voor de verwerking van Persoonsgegevens?

- Ipsen is de verwerkingsverantwoordelijke voor de verwerking van uw persoonsgegevens/de persoonsgegevens van uw kind
- De gelieerde ondernemingen van Ipsen, haar partners en haar derde partijen (inclusief onderaannemers van derde partijen) zijn de gegevensverwerkers van Early Access.
- Ipsen zal uw persoonsgegevens/de persoonsgegevens van uw kind verwerken om aan zijn wettelijke verplichtingen te voldoen. Een dergelijke verwerking is noodzakelijk in het algemeen belang op het gebied van de volksgezondheid. Ipsen zal uw persoonsgegevens/de persoonsgegevens van uw kind verwerken in het kader van deze Early Access omdat er behoefte is aan evaluatie van de patiëntresultaten en de veiligheid.
- Om uw veiligheid/de veiligheid van uw kind te verzekeren, hebben Ipsen, haar gelieerde ondernemingen, haar partners, haar derde partijen (inclusief onderaannemers van derde partijen), haar verwerkers, indien van toepassing een wettelijke verplichting om uw gegevens/de gegevens van uw kind te verwerken. Een dergelijke verwerking is noodzakelijk in het algemeen belang op het gebied van de volksgezondheid.

Welke persoonsgegevens worden verzameld?

- Uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind en het team ter plaatse zullen de basis persoonsgegevens over uw/uw kind registreren, inclusief initialen, geslacht, geboortedatum/leeftijd, land van verblijf, lengte, gewicht en gezondheidsgegevens.
- Ipsen, haar gelieerde ondernemingen, haar partners, haar derde partijen (inclusief onderaannemers van derde partijen), haar verwerkers, indien van toepassing, zullen basis persoonsgegevens over u/uw kind registreren, inclusief initialen, geslacht, geboortedatum/leeftijd, land van verblijf, lengte, gewicht, veiligheidsrapportage en gezondheidsgegevens.
- Ze zullen ook informatie verzamelen over uw medische geschiedenis/de medische geschiedenis van uw kind en de medische toestand die verband houdt met uw deelname/de deelname van uw kind.

Hoe worden uw persoonsgegevens verwerkt?

- Om de privacy te waarborgen, worden alle persoonsgegevens die over u/uw kind worden verzameld, geïdentificeerd aan de hand van een unieke patiëntidentificatiecode.

Alleen de volgende entiteiten kunnen deze code verbinden met uw initialen/de initialen van uw kind en/of geboortedatum:

- De behandelend arts voor Early Access en zijn/haar team, gebonden aan het beroepsgeheim, door middel van een lijst die veilig door het team op de locatie wordt bewaard.
- Clinigen, de door Ipsen goedgekeurde en gekwalificeerde dienstverlener, en haar derde partijen die moeten voldoen aan de wettelijke verplichting om elke patiënt te valideren, controles op importvergunningen uit te voeren en te voldoen aan haar wettelijke verantwoordelijkheden; en
- Ipsen op incidentele, ad-hocbasis indien vereist door wettelijke of reglementaire vereisten, bijvoorbeeld als er een wijziging is in de Early Access Service Provider, om consistente behandeling voor Early Access-patiënten te waarborgen.

Wie heeft toegang tot uw persoonsgegevens?

Naast uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind en zijn/haar team, hebben de volgende personen ook toegang tot de onderstaande gegevens op de site:

- Early Access-auditors, die voor Ipsen, haar gelieerde ondernemingen, haar partners, haar derde partijen (inclusief subverwerkers van derde partijen), haar verwerkers, indien van toepassing, kunnen werken, die controleren of de Early Access correct wordt uitgevoerd en of de verzamelde informatie over u/uw kind nauwkeurig is;
- De ethische commissie, indien aanwezig, die deze Early Access heeft goedgekeurd en die ervoor zorgt dat uw rechten en welzijn worden gewaarborgd,
- Nationale en internationale regelgevende instanties die betrokken zijn bij deze Early Access.
- Ipsen zal ook uw gecodeerde gegevens/de gecodeerde gegevens van uw kind delen met haar gelieerde ondernemingen, haar partners, haar derden (inclusief subverwerkers van derden), haar verwerkers, indien van toepassing, voor de doeleinden van de Early Access. Een lijst van bedrijven waaraan uw gecodeerde persoonlijke gegevens worden doorgegeven, is beschikbaar bij Ipsen via uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind.
- Andere gebruikers van Clinigen Direct, namelijk beroepsbeoefenaars uit de gezondheidszorg of beheerders van dezelfde instelling die voor diezelfde instelling toegang hebben tot het Clinigen Direct-platform, om het bestellen en leveren van odevixibat te vergemakkelijken.
- Andere medische medewerkers en/of beheerders (die toegang hebben tot Clinigen Direct) van diezelfde of een andere instelling, als de patiënt toestemming geeft voor een overdracht van de zorg naar een andere arts of apotheker.
- Ontvangers van uw gecodeerde gegevens/de gecodeerde gegevens van uw kind kunnen zich buiten het land waar u/uw kind verblijft en, indien dit afwijkt, buiten het land van de beroepspraktijk van de behandelende arts bevinden. Indien deze andere landen geen gelijkwaardige normen voor de bescherming van persoonsgegevens hebben, zal Ipsen ervoor zorgen dat er gelijkwaardige garanties met betrekking tot de bescherming van persoonsgegevens zijn voordat de gecodeerde gegevens worden overgedragen naar landen buiten de Europese Unie. U kunt altijd contact opnemen uw behandelend arts/de behandelend arts van uw kind voor meer informatie over dergelijke overdrachten.

Hoelang worden uw gecodeerde gegevens bewaard?

- Na het einde van deze Early Access, zullen uw gecodeerde gegevens/de gecodeerde gegevens van uw kind voor twee (2) jaar beschikbaar zijn
  bij Ipsen, en daarna worden ze nog eens 8 acht (jaren) gearchiveerd in overeenstemming met de toepasselijke regelgeving. Uw gegevens/de gegevens van uw kind worden vervolgens verwijderd of geanonimiseerd.

Wat zijn uw rechten/de rechten van uw kind volgens de wet op de gegevensbescherming?

Afhankelijk van de toepasselijke wetgeving en de omstandigheden, hebt u mogelijk het recht op:

- Verzoek om toegang en wijziging van uw informatie/de informatie van uw kind.
- Verzoek om beperking van het gebruik van informatie met betrekking tot u/uw kind.
- Als u niet tevreden bent met de manier waarop Ipsen de informatie gebruikt, kunt u een klacht indienen bij een gegevensbeschermingsautoriteit.

- Om deze rechten uit te oefenen, kunt u in eerste instantie contact opnemen met bij voorkeur uw behandelend arts of die van uw kind en met de Functionaris Gegevensbescherming van de site, aangezien Ipsen geen toegang heeft tot uw volledige identiteit.
- Als u toch nog contact wilt opnemen met de Functionaris Gegevensbescherming van Ipsen, houd er dan rekening mee dat uw naam/de naam van uw kind daar niet bekend is. U zou uw identiteit moeten koppelen aan Early Access-deelnemersnummer van u/uw kind, wat uw privacy in gevaar kan brengen. Als u een van deze rechten wilt uitoefenen, neem dan contact op met Ipsen:
  - Vul het formulier in dat beschikbaar is op: https://www.ipsen.com/global-privacy-policy/
  - E-mail: Ipsen Data Privacy Officer op dataprivacy@ipsen.com
  - Brief: Ipsen Pharma, 70 rue Balard, 75015 Parijs, Frankrijk

Toegang onder speciale omstandigheden voor odevixibat

Informatieblad en toestemming voor het jongere kind
(7-11 jaar)

Toegang tot Odevixibat onder speciale omstandigheden (Early Access)

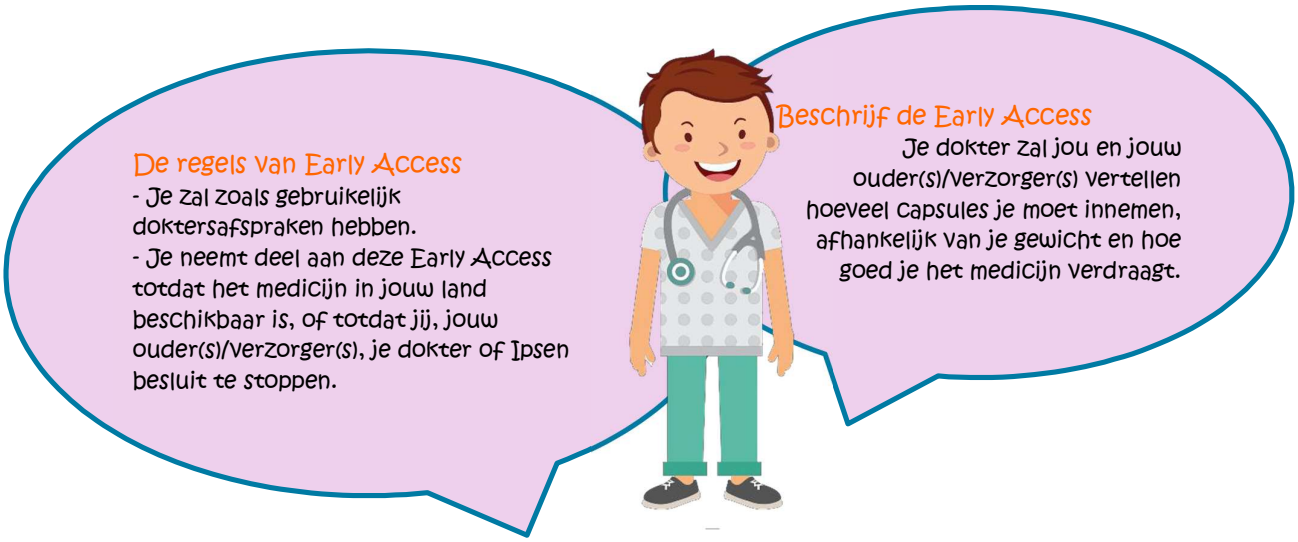
De naam van je dokter:

We willen je graag informeren over toegang onder speciale omstandigheden, ook wel Early Access genoemd, georganiseerd door een bedrijf genaamd Ipsen.

Wat is Early Access?

Er is sprake van Early Access als je toegang hebt tot een medicijn dat in jouw land niet verkrijgbaar is. Deze Early Access is bedoeld om je een behandeling te geven die je kan helpen bij je ziekte: Alagille-syndroom (ALGS).

Dit document bevat informatie over deze Early Access. Nadat je de brochure hebt gelezen of hebt beluisterd, kan je je dokter zoveel vragen stellen als je wilt. Jij en je familie kunnen dan beslissen of je toegang wil hebben tot odevixibat



Tijdens je doktersconsult zal je dokter je zoals gebruikelijk onderzoeken. Tijdens de consultaties zal/zullen jouw ouder(s)/verzorger(s) aanwezig zijn.

Als je akkoord gaat met deelname aan Early Access, gebeurt het volgende:

Wat kan er gebeuren als je deelneemt aan deze Early Access?

- Je zal zoals gebruikelijk een afspraak bij je dokter hebben.
- Je neemt odevixibat in zoals voorgeschreven door je dokter.
- Je dokter zal je lichaam onderzoeken, je lengte en gewicht meten, je temperatuur meten en je ademhaling meten.
- Controleren of je hart goed werkt.
- Je dokter kan ook scans bij je uitvoeren, wat betekent dat hij/zij foto's van je lichaam kan maken zonder dat dit je pijn doet.
- Je arts kan je vragen om een aantal bloed- en urinetests te ondergaan. De dokter of verpleegkundige neemt met een naald bloed af uit je arm. Dit kan een beetje pijn doen, maar het duurt niet lang. Als je het niet prettig vindt dat er bloed wordt afgenomen, kan er een crème op je huid worden aangebracht om je arm te verdoven voordat er bloed wordt afgenomen.

Kunnen er slechte dingen gebeuren?

- Je kunt je onwel voelen wanneer je odevixibat gebruikt.
- Je moet het je ouder(s)/verzorger(s) vertellen en contact opnemen met je dokter als je je ziek voelt of ongemak ervaart.
- Veel volwassenen en kinderen hebben odevixibat gebruikt. Odevixibat kan dunne ontlasting of maagpijn veroorzaken. Het kan ook veranderingen in je bloedonderzoek veroorzaken, wat kan duiden op een probleem met je lever.
- Een volledige lijst met mogelijke bijwerkingen kan je opvragen bij de onderzoeksarts en in het informatieblad dat je aan je ouders of voogd(en) geeft.
- Als je iets ongewoons voelt gebeuren, vertel dit dan aan je ouder(s)/verzorger(s) en laat het je dokter onmiddellijk weten. Je dokter zal zijn/haar uiterste best doen om je beter te laten voelen.

Moet ik deelnemen?

Beslis samen met je ouder(s)/verzorger(s) of je mee wilt doen.

- Je kunt 'Nee' zeggen of je kunt 'Ja' zeggen.
- Niemand zal boos op je zijn als je 'Nee' zegt.
- Als je nu 'Ja' zegt, kun je later altijd nog 'Nee' zeggen.
- Je kunt op elk moment 'Nee' zeggen.
- Ongeacht je beslissing zal je dokter goed voor je zorgen.

Voordat je 'Ja' of 'Nee' zegt tegen deelname aan deze Early Access, zal je dokter eventuele vragen beantwoorden. Je dokter en zijn/haar team zal ook met je ouder(s)/verzorger(s) over deze Early Access praten.

Neem de tijd met je ouder(s)/verzorger(s) en vraag je dokter om erover na te denken voordat je een beslissing neemt. Als je deelneemt aan deze Early Access, kan je op elk moment vragen stellen. Vertel de dokter gewoon dat je een vraag hebt.

Als je nu vragen hebt over deze Early Access, stel ze dan aan je ouder(s)/verzorger(s) en je dokter.

Wil je meedoen aan deze Early Access?

☐ Ja, ik wil meedoen aan deze Early Access.

☐ Nee, ik wil niet aan deze Early Access meedoen.

Naam van de patiënt	Handtekening van de patiënt	Datum
Naam van de ouder 1 / Naam van de wettelijke voogd*	Handtekening van de ouder 1 / Handtekening van de wettelijke voogd*	Datum
Naam van de ouder 2 / Naam van de wettelijke voogd*	Handtekening van de ouder 2 / Naam van de wettelijke voogd*	Datum
Naam van de dokter	Handtekening van de dokter	Datum

**Volgens de plaatselijke wetgeving of een uitspraak van de rechtbank kan er meer dan één handtekening vereist zijn.*

BEDANKT VOOR HET LEZEN

Kennisgeving inzake gegevensbescherming: Wat zijn persoonlijke gegevens en hoe worden deze gebruikt?

In deze Early Access gebruiken we informatie over jou, maar je naam wordt niet gebruikt. Je krijgt een speciale code ter identificatie. Met deze speciale code blijft jouw identiteit geheim.

Wij gebruiken je gegevens om de Early Access uit te voeren die in dit document wordt beschreven.

Als je niet tevreden bent met de manier waarop Ipsen en haar groep en/of onderaannemers jouw informatie gebruiken, kan je met je ouder(s)/verzorger(s) of met je dokter hierover praten. Jij en je ouder(s)/verzorger(s) kan/kunnen ook contact opnemen met Ipsen als je vragen hebt of gebruik wilt maken van je rechten.

Toegang onder speciale omstandigheden voor odevixibat

Informatieblad en toestemming voor jongere adolescenten (12-14 jaar)

JE DOKTER	
TELEFOONNUMMER VAN HET ZIEKENHUIS in geval van nood	

Lees dit informatieblad en het toestemmingsformulier zorgvuldig door en bespreek dit met jouw ouder(s)/verzorger(s), een dokter, verpleegkundige of iemand die je vertrouwt, als je dat wenst. Neem de tijd om zoveel vragen te stellen als je wilt tijdens het doornemen van dit document. De dokter of zijn/haar team zal alle woorden of informatie die je niet goed begrijpt, uitleggen.

Je dokter biedt je de mogelijkheid om onder speciale omstandigheden deel te nemen aan deze toegang, ook wel Early Access genoemd, waarbij je een product met de naam odevixibat krijgt voor je ziekte: het syndroom van Alagille (ALGS).

Wat is Early Access?

Early Access is een manier om behandeld te worden met odevixibat dat in jouw land van verblijf niet beschikbaar is voor kinderen zoals jij die ALGS hebben.

Wil je odevixibat via Early Access ontvangen?

Je dokter bied je deze mogelijkheid, maar vergeet niet dat **jij** degene bent die uiteindelijk beslist.

Als je bang bent en niet mee wilt doen, zeg dat dan gewoon. Niemand zal boos op je zijn en de dokter zal voor je blijven zorgen. Als je wilt deelnemen, lees dan dit document en stel al **jevragen** aan **je dokter!**

Als je ouder(s)/verzorger(s) akkoord gaan met je deelname, maar jij besluit niet deel te nemen, dan maak je geen deel uit van deze Early Access.

Waarom wordt deze Early Access voorgesteld?

Odevixibat is in jouw land van verblijf niet verkrijgbaar voor kinderen zoals jij die ALGS hebben. Het doel van deze Early Access is om odevixibat voor jou beschikbaar te maken. Daarom wil je dokter je de kans geven om het uit te proberen.
Houd er rekening mee dat er geen garantie is dat odevixibat ervoor zorgt dat je je beter voelt. Het kan zijn dat je verbeteringen ziet, dat je toestand hetzelfde blijft of dat je je onwel voelt. Het is belangrijk om op de hoogte te zijn van alle mogelijkheden.

Wat zijn de regels van deze Early Access?

Je maakt deel uit van deze Early Access voor je medische aandoening totdat jij, jouw ouder(s)/verzorger(s), je dokter of Ipsen (het bedrijf dat het medicijn levert en deze Early Access organiseert) besluit om te stoppen, of totdat er andere medicijnen beschikbaar zijn.

Je dokter zal jou en jouw ouder(s)/verzorger(s) tijdig op de hoogte stellen als er tijdens deze Early Access nieuwe informatie beschikbaar komt die je mening over het blijven ontvangen van odevixibat zou kunnen veranderen.

Odevixibat is een geneesmiddel dat verkrijgbaar is in de vorm van capsules (200 mcg, 400 mcg, 600 mcg en 1200 mcg) die eenmaal daags 's ochtends oraal moeten worden ingenomen, met of zonder voedsel. Je dokter zal jou en jouw ouder(s)/verzorger(s) vertellen hoeveel capsules je moet innemen, afhankelijk van je gewicht en hoe goed je het medicijn verdraagt.

Heeft deze Early Access medische of ethische goedkeuring gekregen?

Deze Early Access is medisch goedgekeurd, wat betekent dat het ook aan jongere adolescenten zoals jij kan worden aangeboden.

Wat gaat er gebeuren in deze Early Access?

Tijdens deze Early Access heb je je gebruikelijke afspraken met je dokter. Je neemt odevixibat in zoals voorgeschreven door je arts.

- Je dokter zal je vragen hoe jij je voelt.
- Je dokter zal je vragen stellen over andere medicijnen die je gebruikt.
- Je dokter zal naar je hart en longen luisteren, je bloeddruk en temperatuur meten en ook je hartslag en ademhalingsfrequentie controleren. Je wordt gewogen en je lengte wordt gemeten.
- Je dokter zal bloed afnemen om je gezondheid te controleren.
- Het kan zijn dat je dokter je vraagt om urinemonsters af te staan.
- Als je een meisje bent en je bent ongesteld geworden, kan het zijn dat er een zwangerschapstest op je bloed of urine wordt uitgevoerd.
- Je dokter kan ook scans bij je uitvoeren, wat betekent dat hij/zij foto's van je lichaam kan maken zonder dat dit je pijn doet.

Vertel het je dokter als je andere geneesmiddelen gebruikt, kort geleden hebt gebruikt of in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken.

Kunnen er slechte dingen gebeuren?

Het kan zijn dat je je onwel voelt wanneer je odevixibat gebruikt tijdens deze Early Access.
Als je iets ongewoons voelt gebeuren, vertel dit dan aan je ouder(s)/verzorger(s) en laat het je dokter onmiddellijk weten. Hij/zij zal je vertellen wat je moet doen.

Er zijn risico's verbonden aan odevixibat, zoals vermeld in de bijsluiter van odevixibat die je dokter aan je ouder(s)/verzorger(s) heeft gegeven. Vraag je dokter om meer informatie.

Je kan last krijgen van diarree (dunne ontlasting), wat kan leiden tot uitdroging (dorst) en maagpijn. Het kan ook veranderingen in je bloedonderzoek veroorzaken, wat kan duiden op een probleem met je lever.

Verder:

- Het kan zijn dat je je moe voelt.
- Het kan zijn dat je je schaamt voor de vragen die de dokter of verpleegkundige je stelt.

Een volledige lijst met mogelijke bijwerkingen vind je in het toestemmingsformulier dat je aan je ouder(s)/verzorger(s) is verstrekt.

Er kunnen nog andere effecten van odevixibat zijn waar we nog niet van op de hoogte zijn. Als je tijdens deze Early Access iets ongewoons opmerkt, zorg er dan voor dat je dit aan je ouder(s)/verzorger(s) en het team van de dokter vertelt. Zij zullen hun best doen om ervoor te zorgen dat je je beter voelt.

Houd er rekening mee dat odevixibat aanzienlijke schade kan toebrengen aan een ongeboren kind.

Als je een meisje bent en tijdens deze Early Access met odevixibat ongesteld bent geworden of mogelijk wordt, moet je anticonceptie gebruiken, tenzij je dokter beslist dat dit niet nodig is. Je dokter zal je helpen de meest geschikte methode te vinden, afhankelijk van je behoeften.

- Soms kunnen meisjes toch zwanger worden, zelfs als ze anticonceptie gebruiken. Daarom kan je dokter of zijn/haar team besluiten om zwangerschapstesten uit te voeren vóór en tijdens deze Early Access. Zij laten je de resultaten van de tests weten.
- Wanneer je met je dokter over zwangerschap en anticonceptie praat, is jouw privacy belangrijk. Je dokter zal deze informatie alleen met je ouder(s)/verzorger(s) delen als je het daarmee eens bent.

Als je op enig moment tijdens deze Early Access denkt dat je zwanger bent, is het erg belangrijk om dit meteen aan je ouder(s)/verzorger(s) en je dokter te vertellen. Als je zwanger bent, moet je stoppen met de behandeling met odevixibat.

Als je een jongen bent en seksuele partners hebt:

- Je moet effectieve anticonceptie gebruiken om zwangerschap van je partner te voorkomen, als je partner zwanger kan worden.

Het is van groot belang dat de partners van jongens die deelnemen aan deze Early Access niet zwanger worden terwijl de deelnemer deelneemt aan deze Early Access. Als je seks hebt met een partner die zwanger kan worden, moet je effectieve anticonceptie gebruiken om zwangerschap bij je partner te voorkomen. Je dokter kan je vertellen welke anticonceptiemethoden effectief zijn. Je moet het je ouder(s)/wettelijke voogd(en) en/of je dokter meteen vertellen als je vermoedt dat je partner zwanger is tijdens deze Early Access.

Welke andere keuzes zijn er?

Als je dat niet wilt, hoeft je niet deel te nemen aan deze Early Access. Als je niet meedoet, heeft dat geen gevolgen voor de medische zorg die je ontvangt. Je dokter bespreekt graag met jou welke alternatieve behandelmethoden er zijn.

Wat als je van gedachten verandert?

Als je niet wilt deelnemen aan deze Early Access, is dat helemaal oké. Je hebt het recht om te beslissen wat het beste voor je is. En als je nu 'Ja' zegt, maar later van gedachten verandert, is dat ook oké. Je dokter zal niet boos op je zijn, en hij/zij zal nog steeds zijn/haar best doen om je te helpen je beter te voelen.

Heb je nog vragen?

Je kan altijd vragen stellen! Je kan het nu vragen. Je kan het ook later vragen. Je kan met je dokter en/of met zijn/haar team. Je kan ook je ouder(s)/verzorger(s) vragen om vragen voor jou te stellen.

Toestemmingsformulier

1. Ik heb de informatie in dit informatieblad gelezen en begrepen.

2. De arts heeft, met ondersteuning van mijn ouder(s)/verzorger(s), deze Early Access uitgebreid uitgelegd en ik heb de gelegenheid gehad om vragen te stellen. Al mijn vragen over odevixibat en mijn deelname aan deze Early Access zijn beantwoord.

3. Ik begrijp dat het aan mij is of ik wel of niet wil deelnemen aan deze Early Access. Ik kan op elk moment stoppen met deelname aan deze Early Access, zonder dat ik daarvoor een reden hoef op te geven. Mijn dokter zal nog steeds voor mij zorgen.

4. Ik ontvang een ondertekend en gedateerd exemplaar van dit document.

Ik ga akkoord met deelname aan deze Early Access.

_____ Naam van de patiënt	_____ Handtekening van de patiënt	_____ Datum
_____ Naam van de ouder 1 / Naam wettelijke voogd*	_____ Handtekening van de ouder 1 / Handtekening van de wettelijke voogd*	_____ Datum
_____ Naam van de ouder 2 / Naam wettelijke voogd*	_____ Handtekening van de ouder 2 / Naam wettelijke voogd*	_____ Datum
_____ Naam van de dokter	_____ Handtekening van de dokter	_____ Datum

**Volgens de plaatselijke wetgeving of een uitspraak van de rechtbank kan er meer dan één handtekening vereist zijn.*

Kennisgeving inzake gegevensbescherming

Persoonsgegevens zijn de gegevens over jou die jou uniek maken. In deze Early Access wordt jouw naam niet gebruikt en krijgt je een speciale identificatiecode. Met deze speciale code blijft jouw identiteit geheim.

Het doel van de verwerking van je persoonsgegevens is het uitvoeren van de in dit document beschreven Early Access.

Ipsen, haar groep en/of onderaannemers, dokter en zijn/haar team verzamelt een aantal persoonlijke gegevens over jou, zoals je initialen, geslacht, geboortedatum/leeftijd en het land waar je woont. Ze verzamelen ook je lengte, gewicht, gezondheidsgegevens, veiligheidsrapporten en informatie over je medische toestand en geschiedenis. Alleen vertrouwde mensen bij Ipsen, haar groep, je dokter en zijn/haar team kan deze code koppelen aan jouw persoonlijke gegevens.

Als je niet tevreden bent met de manier waarop Ipsen en haar groep en/of onderaannemers jouw informatie gebruiken, kan je met je ouder(s)/verzorger(s) of met je dokter hierover praten. Jij en je ouder(s)/verzorger(s) kunnen ook contact opnemen met Ipsen als je vragen hebt of gebruik wilt maken van je rechten.

Om van deze rechten gebruik te maken, moet je eerst met je dokter en/of zijn/haar team praten. Ipsen kent je volledige naam niet. Als je contact wilt opnemen met de functionaris voor gegevensbescherming van Ipsen, moet je jouw speciale code opgeven. Dit kan gevolgen hebben voor je privacy. Als je nog steeds met Ipsen wilt praten, kunnen jij en je ouder(s)/verzorger(s) het volgende doen:

- Het formulier invullen dat beschikbaar is ophttps://www.ipsen.com/global- privacybeleid/
- E-mail: Ipsen-functionaris voor gegevensbescherming: dataprivacy@ipsen.com
- Brief: Ipsen Pharma, 70 rue Balard, 75015 Parijs, Frankrijk

Toegang onder speciale omstandigheden voor odevixibat

Informatieblad en toestemming voor adolescenten (15-jarige leeftijd volgens de lokale wetgeving)

JOUW DOKTER	
TELEFOONNUMMER VAN HET ZIEKENHUIS in geval van nood	

Lees dit informatieblad en het toestemmingsformulier zorgvuldig door en praat er eventueel over met je ouder(s), familie, vrienden, dokter of verpleegkundige. Neem de tijd om zoveel vragen te stellen als je wilt tijdens het doornemen van dit document. De dokter of zijn/haar team zal alle woorden of informatie die je niet goed begrijpt, uitleggen

Je dokter biedt je de mogelijkheid om onder speciale omstandigheden deel te nemen aan deze toegang, ook wel Early Access genoemd, georganiseerd door een bedrijf genaamd Ipsen dat jou een product met de naam odevixibat zal verstrekken voor het syndroom van Alagille (ALGS).

Je deelname is vrijwillig. Dat betekent dat je zelf kunt kiezen of je wilt deelnemen. Als je besluit niet deel te nemen, verandert er niets aan je medische zorg en blijft je de standaardzorg ontvangen. Je dokter bespreekt graag eventuele alternatieve behandelingsmogelijkheden met jou.

Voordat je een beslissing kunt nemen, moet je weten wat Early Access inhoudt, wat de mogelijke risico's zijn van het ontvangen van odevixibat en wat je moet doen. Vraag je arts en/of de verpleegkundigen en/of je ouder(s)/wettelijke voogd(en) over dit informatieblad als er iets is dat je niet begrijpt.

Als je ouder(s)/wettelijke voogd(en) akkoord gaat/gaan met je deelname, maar jij besluit om niet deel te nemen, dan maak je geen deel uit van deze Early Access.

1. Waarom wordt deze Early Access aangeboden?

Het doel van deze Early Access is om, in overeenstemming met het besluit van je dokter, jongeren zoals jij met ALGS te behandelen met odevixibat voordat het middel in je land van verblijf beschikbaar wordt gesteld. Het is mogelijk dat je beter wordt, hetzelfde blijft of juist slechter wordt door het gebruik van odevixibat.

Odevixibat is een geneesmiddel dat verkrijgbaar is in de vorm van capsules (200 mcg, 400 mcg, 600 mcg en 1200 mcg) die eenmaal daags 's ochtends oraal moeten worden ingenomen, met of zonder voedsel. Zoals alle geneesmiddelen kan odevixibat bijwerkingen veroorzaken, hoewel niet iedereen deze bijwerkingen ervaart.

2. Hoelang blijf je in deze Early Access?

Je neemt deel aan deze Early Access voor je medische toestand totdat jij, jouw ouder(s)/verzorger(s), je dokter of Ipsen besluit om te stoppen, of totdat er andere medicijnen beschikbaar zijn.

De Early Access-periode is bedoeld om te duren totdat aan de onderstaande voorwaarden is voldaan, afhankelijk van wat zich het eerst voordoet:

- Odevixibat wordt commercieel beschikbaar in het land van aanvraag of
- tot 24 maanden na de vergunning voor het in de handel brengen (dat wil zeggen de lokale wettelijke goedkeuring om odevixibat voor ALGS op de markt te brengen) in het land van aanvraag, in het geval dat de terugbetalingen prijsonderhandelingen in het betreffende land om welke reden dan ook niet kunnen worden afgerond (bijvoorbeeld omdat het product voor de indicatie door de verzekeraars niet als essentieel wordt erkend).

Wanneer vergoeding van odevixibat voor ALGS wordt verleend in het land van aanvraag, moet de overgang van odevixibat van deze Early Access naar commerciële levering binnen 3 (drie) maanden na vergoeding worden voltooid. Gedurende deze periode van 3 maanden zal Ipsen per geval beoordelen of er sprake is van een volledige overgang naar vergoede producten, waar mogelijk, en uiteindelijk de verstrekking van odevixibat via de Early Access-route stopzetten.

3. Heeft deze Early Access medische of ethische goedkeuring gekregen?

Deze Early Access is medisch goedgekeurd, wat betekent dat het ook aan jongeren zoals jij kan worden aangeboden.

4. Wat gaat er gebeuren in deze Early Access?

Tijdens deze Early Access word je gecontroleerd door je vaste dokter.
Je krijgt een behandeling met de naam odevixibat. Je dient deze behandeling te volgen zoals je dokter jou heeft voorgeschreven.

- Je dokter zal je vragen hoe jij je voelt.
- Je dokter zal je vragen stellen over andere medicijnen die je gebruikt.
- Je dokter zal naar je hart en longen luisteren, je bloeddruk en temperatuur meten en ook je hartslag en ademhalingsfrequentie controleren. Je dokter zal je lengte en gewicht meten, je temperatuur meten en je ademhaling meten.
- Je dokter zal bloed afnemen om je gezondheid te controleren.

- Het kan zijn dat je dokter je vraagt om urinemonsters af te staan.
- Als je een meisje bent en je bent ongesteld geworden, kan het zijn dat er een zwangerschapstest op je bloed of urine wordt uitgevoerd.
- Je dokter kan ook scans bij je uitvoeren, wat betekent dat hij/zij foto's van je lichaam kan maken zonder dat dit pijn doet.

5. Kunnen er slechte dingen gebeuren?

- Het kan zijn dat je je onwel voelt wanneer je odevixibat gebruikt tijdens deze Early Access.
- Er zijn risico's verbonden aan odevixibat volgens de bijsluiter van odevixibat (raadpleeg dit document dat je dokter heeft verstrekt aan je ouder(s)/wettelijke voogd(en) en vraag je dokter om meer informatie). Je kan last krijgen van diarree (dunne ontlasting), wat kan leiden tot uitdroging (dorst) en maagpijn. Het kan ook veranderingen in uw bloedonderzoeken veroorzaken, wat kan duiden op een probleem met je lever. Daarnaast:
    - Het kan zijn dat je je moe voelt.
    - Het kan zijn dat je je schaamt voor de vragen die de dokter of verpleegkundige je stelt.
- Een volledige lijst met mogelijke bijwerkingen vind je in het toestemmingsformulier dat aan je ouder(s)/verzorger(s) is verstrekt.
- Er kunnen ook effecten van odevixibat zijn die we nog niet kennen. Het is belangrijk dat je het onmiddellijk aan je dokter vertelt als je een stoornis ondervindt. Je dokter en zijn/haar team zal/zullen hun uiterste best doen om je beter te laten voelen.
- Houd er rekening mee dat de behandeling die in deze Early Access wordt gegeven, aanzienlijke schade kan toebrengen aan een ongeboren kind.

Als je een meisje bent en tijdens deze Early Access met odevixibat ongesteld bent geworden of mogelijk wordt, moet je anticonceptie gebruiken, tenzij je dokter beslist dat dit niet nodig is. Je dokter zal je helpen de meest geschikte methode te vinden, afhankelijk van je behoeften.

- De behandeling die in deze Early Access wordt gegeven, kan aanzienlijke schade toebrengen aan een ongeboren kind. Daarom is het van groot belang dat meisjes die deelnemen aan deze Early Access, geen zwangerschap krijgen tijdens hun deelname aan deze Early Access.
- Meisjes kunnen soms zwanger worden, zelfs als ze anticonceptie gebruiken. Om deze reden, kan je dokter of zijn/haar team kan besluiten om zwangerschapstesten uit te voeren. Zij zullen je de resultaten van een eventuele zwangerschapstest vertellen.
- Je hebt recht op vertrouwelijkheid wanneer je met een dokter over zwangerschap en anticonceptie praat. Je dokter zal deze informatie alleen met je ouder(s)/verzorger(s) delen als je het daarmee eens bent.
- Je moet je ouder(s)/wettelijke voogd(en) en je arts onmiddellijk op de hoogte stellen als je denkt dat je zwanger bent tijdens deze Early Access. Als je zwanger bent, moet je stoppen met de behandeling met odevixibat.

Als je een jongen bent en seksuele partners hebt:

- Je moet effectieve anticonceptie gebruiken om zwangerschap van je partner te voorkomen, als je partner zwanger kan worden.
- Het is van groot belang dat de partners van jongens die deelnemen aan deze Early Access niet zwanger worden terwijl de deelnemer deelneemt aan deze Early Access. Als je seks hebt met een partner die zwanger kan worden, moet je effectieve anticonceptie gebruiken om zwangerschap bij je partner te voorkomen. Je dokter kan je vertellen welke anticonceptiemethoden effectief zijn. Je moet het je ouder(s)/wettelijke voogd(en) en/of je dokter meteen vertellen als je vermoedt dat je partner zwanger is tijdens deze Early Access.

6. Welke andere opties zijn er?

Als je besluit om geen odevixibat te ontvangen in het kader van deze Early Access, heeft dit geen invloed op de medische zorg die je ontvangt. Je dokter bespreekt graag eventuele alternatieve behandelingsmogelijkheden met jou.

7. Wat gebeurt er als er tijdens deze Early Access nieuwe informatie beschikbaar komt?

Je dokter zal je tijdig op de hoogte stellen als er tijdens deze Early Access nieuwe informatie beschikbaar komt die je mening over het blijven ontvangen van odevixibat zou kunnen veranderen.

8. Wat gebeurt er met de resultaten van deze Early Access?

De informatie die van jou en alle andere Early Access-deelnemers wordt verzameld, kan worden samengevoegd en eventueel worden gepubliceerd in een medisch tijdschrift. Er worden echter geen individuele patiënten geïdentificeerd. Als je een kopie wilt ontvangen van de gepubliceerde resultaten van deze Early Access-studie, vraag dit dan aan je dokter.

9. Wat gebeurt er als je van gedachten verandert?

Als je niet wilt deelnemen aan deze Early Access, hoef je dat niet te doen.

Het is ook prima om nu 'Ja' te zeggen en later van gedachten te veranderen. Je dokter zal niet boos op je zijn, en hij/zij zal nog steeds zijn/haar best doen om je te helpen je beter te voelen.

TOESTEMMING OM ODEVIXIBAT TE ONTVANGEN ONDER EARLY ACCESS

Ik bevestig dat:

1. Ik ben geïnformeerd over odevixibat en de details van odevixibat Early Access, inclusief mogelijke bijwerkingen en risico's. Ik heb de gelegenheid gehad om odevixibat Early Access te bespreken met de dokter die het verzoek heeft ingediend en al mijn vragen zijn beantwoord.
2. Ik heb voldoende tijd gehad om over deze Early Access na te denken.
3. Ik begrijp dat ik een kopie van dit document ontvang zodra ik het heb ondertekend.
4. Ik begrijp dat mijn beslissing om deel te nemen aan deze Early Access geheel vrijwillig is en dat ik op elk moment kan stoppen met deelnemen onder bepaalde omstandigheden. Als ik besluit om niet deel te nemen aan deze Early Access of om mijn deelname tijdens deze Early Access te beëindigen, heeft dit geen gevolgen voor mijn standaard medische zorg.

Ik ga akkoord met deelname aan deze Early Access.

_____ Naam van de patiënt	_____ Handtekening van de patiënt	_____ Datum
_____ Naam van de ouder 1 / Naam wettelijke voogd*	_____ Handtekening van de ouder 1 / Handtekening van de wettelijke voogd*	_____ Datum
_____ Naam van de ouder 2 / Naam van de wettelijke voogd*	_____ Handtekening van de ouder 2 / Naam van de wettelijke voogd*	_____ Datum
_____ Naam van de dokter	_____ Handtekening van de dokter	_____ Datum

**Volgens de plaatselijke wetgeving of een uitspraak van de rechtbank kan er meer dan één handtekening vereist zijn.*

GEGEVENSBESCHERMINGSVERKLARING

1) Wat zijn persoonlijke gegevens en welke worden verzameld voor Early Access?

Dokters, hun team, Ipsen en de gegevensverwerkers van Ipsen verzamelen basisinformatie over jou, zoals je initialen, geslacht, geboortedatum/leeftijd, land waar je woont, lengte, gewicht, gezondheidsgegevens, veiligheidsrapporten, informatie over je medische toestand en geschiedenis. Hierdoor kunnen ze beter begrijpen hoe de behandeling verschillende mensen beïnvloedt.

2) Wat is het doel van de gegevensverwerking?

Het doel van de verwerking van je persoonsgegevens is het uitvoeren van de in dit document beschreven Early Access.
Ipsen heeft een wettelijke verplichting om je gegevens te verwerken. Deze verwerking is noodzakelijk om redenen van volksgezondheid en in het algemeen belang.

3) Hoe worden jouw persoonsgegevens verwerkt?

Wij nemen alle voorzorgsmaatregelen om ervoor te zorgen dat alleen de personen die het nodig hebben, toegang hebben tot jouw gegevens.
Om jouw privacy te beschermen, wordt je naam niet gebruikt. In plaats daarvan krijg je een speciaal nummer. Alleen vertrouwde personen bij Ipsen, bedrijven die met Ipsen samenwerken voor het doel van deze Early Access, je dokter en zijn/haar team kunnen deze code koppelen aan je persoonlijke gegevens.

4) Wie is verantwoordelijk voor de verwerking van persoonsgegevens?

Ipsen is verantwoordelijk voor de verwerking van je persoonsgegevens. De bedrijven die met Ipsen samenwerken ten behoeve van deze Early Access, zijn ook de bedrijven die jouw gegevens verwerken. Om deze reden verwerken Ipsen en deze bedrijven jouw persoonsgegevens om ervoor te zorgen dat zij voldoen aan de wetten van het land waar je woont en om je veiligheid te waarborgen tijdens de Early Access.

5) Wie heeft toegang tot jouw persoonsgegevens?

Naast je dokter en zijn/haar team, hebben alleen geautoriseerde personen toegang tot jouw informatie, waaronder:

- **Early Access Auditors:** Mensen die bij Ipsen werken en ervoor zorgen dat Early Access correct wordt uitgevoerd.
- **Ethische commissies:** Indien van toepassing, is er een groep mensen die ervoor zorgt dat deze Early Access eerlijk en veilig voor je is.
- **Toezichthoudende instanties:** Er zijn grote organisaties in jouw land en over de hele wereld die toezicht houden op deze Early Access om ervoor te zorgen dat deze aan alle regels voldoet en veilig is voor iedereen.
- *Indien de serviceprovider ingeschakeld is* **Derden**: Indien er een speciale webportal wordt gebruikt voor de Early Access-activiteiten, zal deze worden ontwikkeld door andere vertrouwde bedrijven die met Ipsen samenwerken. Alleen specifieke personen binnen dit externe bedrijf hebben toegang tot jouw gegevens. Daarnaast hebben je dokter en zijn/haar team mogelijk ook toegang tot dit webportaal en jouw persoonlijke gegevens.

Alleen voor Europese farmaceutische bedrijven of voor Europese locaties:

Soms werkt Ipsen samen met derden die andere wetten op het gebied van gegevensbescherming hanteren dan jouw land, en deelt deze informatie met hen. Het kan dus voorkomen dat jouw persoonlijke gegevens terechtkomen buiten de Europese Unie of de werkplek van je dokter. Je kan erop vertrouwen dat, ongeacht waar ter wereld jouw persoonlijke gegevens zich bevinden, als die plekken jouw persoonlijke gegevens niet op dezelfde manier beschermen als in Europa, Ipsen ervoor zorgt dat jouw persoonlijke gegevens daar worden beschermd zoals dat in je eigen land het geval zou zijn. Als je meer wilt weten over waar jouw persoonlijke gegevens naartoe gaan, kan je je dokter om advies vragen.

En vergeet niet: Ipsen zal jouw persoonlijke gegevens nooit verkopen.

6) Hoelang worden jouw gecodeerde gegevens bewaard?

Na afloop van deze Early Access bewaren Ipsen en de bedrijven die met Ipsen samenwerken ten behoeve van deze Early Access jouw gecodeerde informatie gedurende twee (2) jaar en daarna gedurende acht (8) jaar, in overeenstemming met de toepasselijke wetgeving. Na deze periode worden jouw gegevens verwijderd of geanonimiseerd.

7) Wat zijn jouw rechten volgens de wet op gegevensbescherming?

In de regio waar je woont, gelden regels die bepalen wat er met jouw persoonlijke gegevens gebeurt. Dit betekent dat je ervoor kunt kiezen om jouw gegevens te bekijken, te wijzigen of te voorkomen dat anderen deze gebruiken. Als je niet tevreden bent met de manier waarop jouw gegevens worden behandeld, kun je dit bespreken met je dokter en zijn/haar team die contact kunnen opnemen met Ipsen. Als jij en/of je ouder(s)/verzorger(s) vragen hebt/hebben of gebruik wilt/willen maken van je rechten, dan kan je altijd contact opnemen met Ipsen.

Om van deze rechten gebruik te maken, moet je eerst met je dokter en zijn/haar team praten. Ipsen kent je volledige naam niet. Als je contact wilt opnemen met de functionaris voor gegevensbescherming van Ipsen, moet je jouw speciale code opgeven. Dit kan gevolgen hebben voor je privacy. Als je nog steeds met Ipsen wilt praten, kunnen jij en je ouder(s)/verzorger(s) contact met ons opnemen:

- Vul het formulier in dat beschikbaar is op: https://www.ipsen.com/global-privacy-policy/
- E-mail: Ipsen-functionaris voor gegevensbescherming: dataprivacy@ipsen.com
- Brief: Ipsen Pharma, 70 rue Balard, 75015 Parijs, Frankrijk

Adult and/or Parent(s)/Legal Guardian(s) Information Sheet and Consent Form for Access Under Special Circumstances for odevixibat

This Information Sheet and Consent Form is applicable for adult patients or parent(s)/legal guardian(s) when the patient is minor.

You/your child are about to access odevixibat under special circumstances following an unsolicited request from your treating physician to a drug company named Ipsen. However, you/your child have the right to be fully informed about the benefits and risks of odevixibat before making the decision to participate or not. You/your child always remain free to change your mind(s) about participating.

This document provides information about odevixibat access under special circumstances, hereinafter referred to as Early Access, and how your personal/your child's data are processed. It is important that you read all the information contained in this document and ask all the questions you may have. You can also discuss with others if you wish. Take time to decide whether you are interested.

- If you/your child will receive odevixibat under Early Access, you will have to sign and date at the end of this document.
- If you/your child will not receive odevixibat under Early Access, it will not affect the medical care you/your child will receive. Your/your child's treating physician will discuss alternative treatment options, if any.

Your/your child's treating physician will provide all the necessary information for you to make an informed decision. Please speak to your/your child's treating physician should you have any queries on this Early Access and on odevixibat. Your/your child's treating physician will inform you/your child in a timely manner if new information becomes available during this Early Access that could change your mind about continuing to receive odevixibat.

Odevixibat is not approved or commercialised in your country of residence for your/your child's medical condition: Alagille syndrome (ALGS). Your/your child's treating physician will obtain all required regulatory and ethical approvals for odevixibat Early Access outside of an approved indication.
You/your child will be part of this Early Access for ALGS until you, your legal guardian(s), if applicable, your doctor or Ipsen decide to stop, or until other medicine is made available for ALGS in your country of residence.

The Early Access is designed to last until the conditions below, whichever occurs first:

- Odevixibat becomes commercially available in the country of request or
- until 24 months after marketing authorization (meaning the local regulatory approval to market odevixibat for ALGS) in the country of request, in case the reimbursement & pricing negotiations in the given country cannot be concluded for any reasons (e.g., the product for the indication is not recognized as essential by payers).

When reimbursement of odevixibat for ALGS is granted in the country of request, the transition of odevixibat from this Early Access to commercial supply should be completed within 3 (three) months post reimbursement. Over this 3-month period, Ipsen will assess on a case-by-case basis, to ensure complete transition to reimbursed product where possible, and eventually stop the provision of odevixibat through the Early Access route.

Odevixibat is a medicine available in the form of capsules (200 mcg, 400 mcg, 600 mcg, and 1200 mcg) taken orally once daily in the morning, with or without food. Like all medicines, odevixibat can cause side effects, although not everybody experiences these.

Treatment with odevixibat under Early Access involves some risks, including known, unknown, or unforeseeable risks. If you/your child experience any side effect at any point during this Early Access, please inform your/your child's treating physician immediately. Please refer to the odevixibat information leaflet provided by your/your child's treating physician and ask the physician for more details.

There are some special warnings and precautions for the use of odevixibat, as listed in the odevixibat Reference Safety Information (Summary of Product Characteristics) provided to your/your child's treating physician:

- Hypersensitivity to the active substance or to any of the excipients (non-medicinal ingredients).
- Patients with severe hepatic impairment (liver problems) have not been studied. Periodic liver function tests (testing the health of your liver from time to time) should be considered for patients with severe hepatic impairment (liver problems).
- In clinical trials, increased levels in liver function tests were observed (seen) in some patients receiving odevixibat. Assessment (taking of blood to analyze) of liver function tests (ALT, AST, GGT, ALP, and total bilirubin, which are substance produced by the liver that can be measured with a blood test) is recommended for all patients prior to initiating (starting) odevixibat, with monitoring per standard clinical practice (your physician's usual practice of care). For patients with liver function test elevations, more frequent monitoring should be considered.
- Assessment of fat-soluble vitamin (FSV) levels (Vitamins A, D, E) and international normalised ratio (INR) are recommended for all patients prior to initiating odevixibat, with monitoring per standard clinical practice. If FSV deficiency is diagnosed, supplemental therapy should be prescribed.
- Diarrhoea (loose or frequent stools) has been reported as a common adverse reaction when taking odevixibat. Diarrhoea may lead to dehydration (thirst) and potentially electrolyte imbalance (chemicals in your blood). Patients should be monitored regularly to ensure adequate hydration (e.g., drinking fluids) during episodes of diarrhoea.

All medicines have the potential risk of an allergic reaction, which, if not treated promptly, could become life threatening. You should seek medical help right away if you think you have any of the following symptoms of a serious allergic reaction: trouble breathing or swelling of the face, mouth, lips, gums, tongue, or neck.

Other symptoms of an allergic reaction may include rash, hives, or blisters. You must tell your/your child's treating physician of any allergies you have or prior allergic reactions to drugs or food.

Pregnancy related risks for females with childbearing potential

Women of childbearing potential should use an effective method of contraception when treated with

odevixibat. Odevixibat) is not recommended during pregnancy and in women of childbearing potential not using contraception.

The effects of odevixibat on an unborn baby are unknown. Since the risks relating to pregnancy are unforeseeable, it is important that where appropriate you use the birth control methods that are recommended by your/your child's treating physician throughout this Early Access.

If you/your child are female, have gotten your period and are able to become pregnant, your/your child's treating physician may ask to do a blood pregnancy test to make sure you/your child are not pregnant. You must tell your/your child's treating physician immediately, if you/your child become pregnant. If you/your child become pregnant, treatment with the odevixibat will be stopped immediately.

If you/your child are male, you must tell your/your child's treating physician immediately if the respective partner becomes pregnant while you/your child are participating in this Early Access.

You/your child will be asked to provide information on your/your child general health, the outcome of the pregnancy and the clinical course of the infant up to 2 (two) years after delivery.

CONSENT TO RECEIVE ODEVIXIBAT UNDER EARLY ACCESS

1. I confirm that my/my child's treating physician has informed me on odevixibat as well as the details of the odevixibat Early Access, including possible side effects and risks. I have received odevixibat information leaflet from my/my child's treating physician. I have had enough time to consider the odevixibat Early Access and have had the opportunity to ask questions.
2. I understand that there are risks associated with the use of odevixibat, listed above in this document.
3. I understand that odevixibat is not approved or commercialised in my country of residence for my/my child's medical condition.
4. I agree to voluntarily take part/for my child to voluntary take part in the Early Access. I understand that I am free to withdraw my consent at any time without any reason.
5. I understand that I will be asked to return any unused odevixibat supplies if I/my child or the treating physician or Ipsen decides to stop the Early Access.
6. I confirm that I understand that sections of my/my child's medical notes may be looked at by authorized individuals from Ipsen, its group and/or subcontractors and/or from local and possibly foreign regulatory authorities and/or ethics committees, if any.
7. I will receive a signed and dated copy of this form.

Treating physician first and last name	
Treating physician professional phone number	

When adult patient with no legal guardian(s):

Patient's Name **Patient's Signature** **Date**

When the patient is an adult and has legal guardian(s), the legal guardian(s) has (have) to sign
OR when the patient is a child, the parent(s)/child legal guardian(s) has (have) to sign:

_____	_____	_____
Patient's Parent(s) or Legal Guardian's Name	**Patient's Parent(s) or Legal Guardian's Signature***	**Date**
_____	_____	_____
Patient's Parent(s) or Legal Guardian's Name	**Patient's Parent(s) or Legal Guardian's Signature***	**Date**

*****_According to local law or decision of the court of justice, more than one signature could be required._

DATA PRIVACY NOTICE

Should you/your child decide to receive odevixibat under this Early Access, your/your child's personal data may be processed as part of the Early Access.

Is there a law that protects your/ your child's data?

- Your/ your child's data will be processed in accordance with the [(EU) 2016/679 General Data Protection Regulation (GDPR)] and other local regulation(s), as applicable.

What is the purpose of processing the data?

- The purpose of processing your/your child's personal data is to carry out the Early Access described in this document.
- The results of this Early Access may be submitted to regulatory authorities, published, or presented at scientific meetings. In this context your/your child's identity will remain confidential.

Who is responsible for processing your and your child's personal data?

- Ipsen is the data controller responsible for the processing of your/your child's personal data.
- Ipsen's affiliates, its partners and its third parties (including third parties' sub-processors) are the data processors of the Early Access.
- Ipsen will process your/your child's personal data to meet its legal obligations. Such processing is necessary in the public interest in the field of the public health. Ipsen will process your/your child's personal data as part of this Early Access because there is a need to evaluate patient outcomes and safety.
- In order to ensure your/your child's safety, Ipsen, its affiliates, its partners, its third parties (including third parties' sub-processors), its processors, when applicable, have a legal obligation to process your/your child's data. Such processing is necessary in the public interest in the field of public health.

Which personal data are collected?

- Your/your child's treating physician and site team will record basic personal details about you/your child, including initials, gender, date of birth/age, country of residence, height, weight, and health data.
- Ipsen, its affiliates, its partners, its third parties (including third parties' sub-processors), its processors, when applicable, will record basic personal details about you/your child, including initials, gender, date of birth/age, country of residence, height, weight, safety reporting, and health data.
- They will also collect information on your/your child's medical history, and medical condition related to your/your child participation in the Early Access.

How your personal data will be treated?

- To ensure privacy, all personal data which is collected about you/your child will be identified by a unique patient identification code.

Only the following entities will be able to connect this code to your/your child's initials, and/or date of birth:

- Early Access treating physician and his/her team, bound by professional secrecy, by a list that will be kept securely by the site team.

- Clinigen, the service provider approved and qualified by Ipsen, and its third parties which need to comply with its legal obligation to validate each patient, to carry out import licence checks and to comply with its regulatory responsibilities; and
- Ipsen on an occasional, ad hoc basis where required by legal, or regulatory requirements, for example if there is a change to the Early Access Service Provider, to ensure consistency of treatment for Early Access patients.

Who can access your personal data?

In addition to your/your child's treating physician and his/her team, the following people may also access the below records at site:

- Early Access auditors, who may work for Ipsen, its affiliates, its partners, its third parties (including third parties' sub-processors), its processors, when applicable, who check that the Early Access is being performed correctly and that the information collected about you/your child is accurate,
- The ethics committee, if any, that approved this Early Access and that ensures that your rights and well-being are safeguarded,
- National and international regulatory authorities involved in this Early Access.
- Ipsen will also share your/your child's coded data with its affiliates, its partners, its third parties (including third parties' sub-processors), its processors, when applicable, for the purposes of the Early Access. A list of companies to whom your coded personal data is transferred is available from Ipsen via your /your child's treating physician.
- Other Clinigen Direct users, being health care professionals or administrators from the same institute who have authorised access to the Early Access to odevixibat in Clinigen Direct platform in respect of that same institute, in order to facilitate the ordering and supply of odevixibat.
- Other physicians and/or administrators (who have access to Clinigen Direct) from the same or a different institute if a patient consents to a transfer into the care of a different physician or pharmacist.
- Recipients of your/your child's coded data may be located outside your/your child's country of residence and, if different, outside the treating physician professional practice's country. If these other countries do not have equivalent personal data protection standards, Ipsen will ensure equivalent guarantees regarding personal data protection standards are in place before transferring the encoded data to countries outside the European Union. You can always contact you/your child's treating physician to obtain more information about any such transfers.

How long will your coded data be kept?

- After the end of this Early Access, your/your child's coded data will be available by Ipsen for two (2) years, and then it will be archived for an additional 8 eight (years) in compliance with applicable regulation. You/your child's data will then be deleted or anonymised.

What are your/your child's rights under data protection law?

Depending upon the applicable legislation and the circumstances, you may have the right to:

- Request access and modification of your/your child's information.
- Request restriction of the use of information relating to you/your child.
- Lodge a complaint with a data protection authority if you are not satisfied with the way Ipsen uses the information.

- To exercise these rights, in the first instance, please contact preferably your/ your child's treating physician and the Data Privacy Officer of the site as Ipsen does not have access to your full identity.
- If you still wish also to contact Ipsen Data Privacy Officer, please be aware that your/your child's name is not known there. You would need to link your identity to your/your child's Early Access participant number, which may compromise your privacy. If you would like to exercise any of these rights, please contact Ipsen:
  - Completing the form available at: https://www.ipsen.com/global-privacy-policy/
  - E-mail: Ipsen Data Privacy Officer at dataprivacy@ipsen.com
  - Letter: Ipsen Pharma, 70 rue Balard, 75015 Paris, France

Access Under Special Circumstances for odevixibat

Information Sheet and Assent for Younger Child
(7-11 years old)

Odevixibat Access Under Special Circumstances (Early Access)

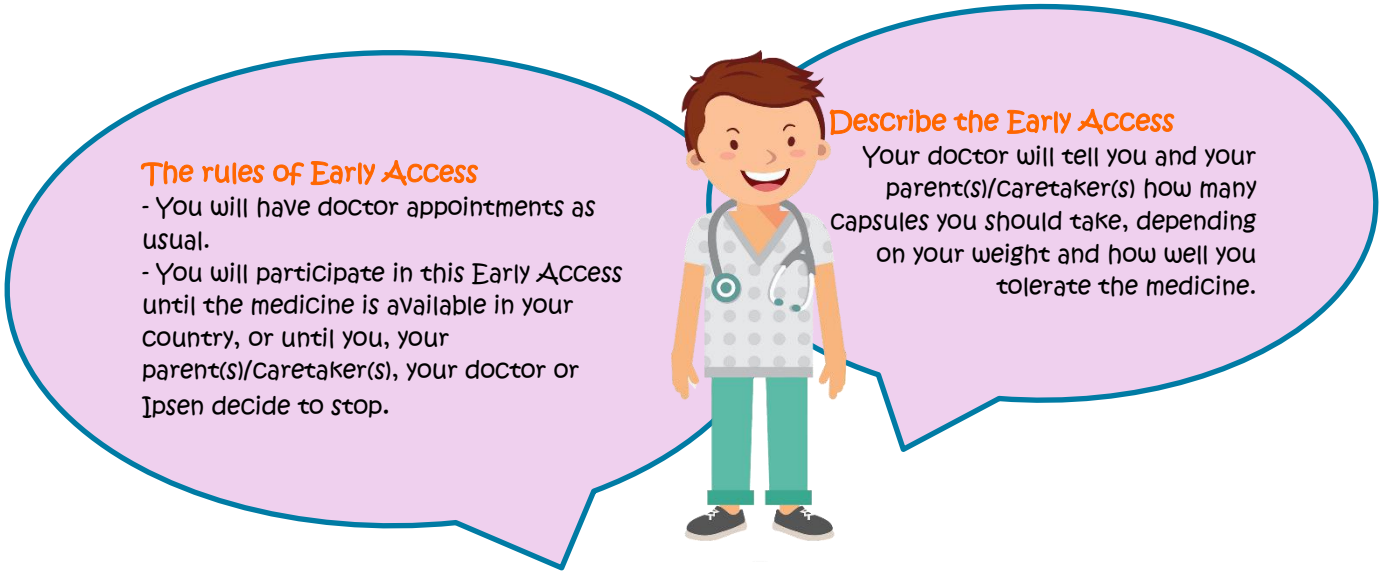
Your Doctor's name:

We want to tell you about access under special circumstances, also called Early Access, organized by a company called Ipsen.

What is Early Access?

Early Access is when you have access to a medicine that is not available in your country. This Early Access is done to give you a treatment to try to help with your disease: Alagille syndrome (ALGS).

This document has information about this Early Access. When you have read it, or listened to it being read to you, you can ask your doctor as many questions as you like. You and your family can then decide whether you should have access to odevixibat.



During your doctor consultation, your doctor will examine you as usual. During the consultations, your parent(s)/caretaker(s) will be present.

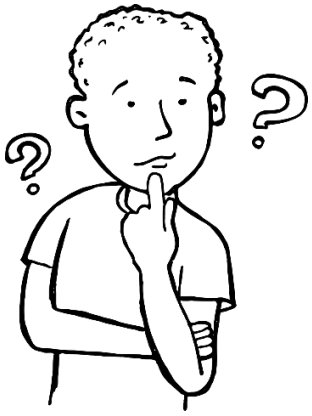
If you agree to join this Early Access, here is what will happen:

What may happen if you join this Early Access?

- You will have your doctor's appointment as usual.
- You will take odevixibat as instructed by your doctor.
- Your doctor will examine your body, measure how tall you are, how much you weigh, your temperature and breathing.
- Check if your heart is working properly.
- Your doctor may also perform some scan exams on you, which means that your doctor can take pictures of your body without causing you pain.
- Your doctor might ask you to have some blood and urine tests. The doctor or nurse will use a needle to take blood from your arm. This might hurt a little, but it does not last long. If you do not like having blood taken, a cream can be used to numb your skin before the blood is collected from you.

Could bad things happen?

- You may feel unwell when you take odevixibat.
- You should tell your parent(s)/caretaker(s) and your doctor if you feel sick or have any discomfort.
- Many grown-ups and children have taken odevixibat. Odevixibat could cause runny poo or pain in your stomach. It may also cause changes in your blood tests that could mean a problem with your liver.
- A full list of possible side effects can be found with the study doctor and in the information sheet that is given to your parents or guardian(s).
- If you feel anything unusual happening, tell your parent(s)/caretaker(s) and let your doctor know straight away. Your doctor will do his/her best to make you feel better.



Do I have to take part?

Decide together with your parent(s)/caretaker(s) if you want to take part.

- You can say ‘No’ or you can say ‘Yes’.
- No one will be upset with you if you say ‘No’.
- If you say ‘Yes’ now, you can always say ‘No’ later.
- You can say ‘No’ at any time.
- Your doctor will still take good care of you no matter what you decide.

Before you say ‘Yes’ or ‘No’ to being in this Early Access, your doctor will answer any questions you have. Your doctor and his/her team will also talk to your parent(s)/caretaker(s) about this Early Access.

Take time with your parent(s)/caretaker(s) and your doctor to think about it before you decide. If you join this Early Access, you can ask questions at any time. Just tell the doctor that you have a question.

If you have any questions about this Early Access now, please ask your parent(s)/caretaker(s) and your doctor.

Would you like to be in this Early Access?

☐ Yes, I want to be in this Early Access.

☐ No, I do not want to be in this Early Access.

_____ Patient's name	_____ Patient's Signature	_____ Date
_____ Parent's Name 1 / Legal Guardian's Name*	_____ Parent's Signature 1 / Legal Guardian's Signature*	_____ Date
_____ Parent's Name 2 / Legal Guardian's Name*	_____ Parent's Signature 2 / Legal Guardian's Name*	_____ Date
_____ Doctor's Name	_____ Doctor's Signature	_____ Date

**According to local law or decision of the court of justice, more than one signature could be required.*

THANK YOU FOR READING THIS

Data Privacy Notice:
What is personal information and how will mine be used?

In this Early Access, we will use information about you, but your name will not be used, and you will be given a special code for identification. With this special code, your identity will be kept private.

We use information about you to carry out the Early Access described in this document.

If you are not happy with how Ipsen and its group and/or subcontractors use your information, you can talk to your parent(s)/caretaker(s) or your doctor about it. You and your parent(s)/caretaker(s) can also contact Ipsen if you have questions or want to use your rights.

Access Under Special Circumstances for odevixibat

Information Sheet and Assent for Younger Adolescent
(12-14 years old)

YOUR DOCTOR:	
HOSPITAL PHONE NUMBER in case of emergency:	

Please read this information sheet and assent form carefully and talk to your parent(s)/caretaker(s), doctor, nurse, or someone you trust if you wish. Take the time to ask as many questions as you want during your review of this document. The doctor or his/her team will explain any word(s) or information you do not clearly understand.

Your doctor is offering you the opportunity to participate in this access under special circumstances, also called Early Access, which will provide you with a product called odevixibat for your disease: Alagille syndrome (ALGS).

What is Early Access?

Early Access is a way of getting treated with odevixibat, which is not available in your country of residence for children like you who have ALGS.

Do you want to receive odevixibat via Early Access?

Your doctor is offering this opportunity to you but remember that the person who decides in the end is **YOU**.

If you are frightened and do not feel like taking part, then just say so. No-one will be angry with you, and the doctor will carry on taking care of you. If you do want to take part, take a look at this document, and **ask your doctor all your questions!**

If your parent(s)/caretaker(s) agree to allow you to participate, but you decide not to participate, you will not be part of this Early Access.

Why is this Early Access being proposed?

Odevixibat is not available in your country of residence for children like you who have ALGS. The purpose of this Early Access is to make odevixibat available for you. For this reason, your doctor wants to give you the chance to try it out.
Keep in mind, there is no guarantee that odevixibat will definitely make you feel better. You might see improvements, stay the same, or feel unwell. It is important to be aware of all possibilities.

What are the rules of this Early Access?

You will be part of this Early Access for your medical condition until you, your parent(s)/caretaker(s), your doctor or Ipsen (the company providing the medicine and organizing this Early Access) decide to stop, or until other medicine is made available.

Your doctor will inform you and your parent(s)/caretaker(s) in a timely manner if new information becomes available during this Early Access that could change your mind about continuing to receive odevixibat.

Odevixibat is a medicine available in the form of capsules (200 mcg, 400 mcg, 600 mcg, and 1200 mcg) taken orally once daily in the morning, with or without

food. Your doctor will tell you and your parent(s)/caretaker(s) how many capsules you should take, depending on your weight and how well you tolerate the medicine.

Has this Early Access received medical or ethical approval?

This Early Access has been medically approved, meaning that it can be provided to younger adolescents like you.

What will happen in this Early Access?

During this Early Access, you will have your usual appointments with your doctor. You will take odevixibat as instructed by your doctor.

- Your doctor will ask you how you are feeling.
- Your doctor will ask you about other medicines you are taking.
- Your doctor will listen to your heart and lungs, take a blood pressure and temperature reading, and also check your heart and breathing rate. You will be weighed, and your height will be measured to.
- Your doctor will take a blood samples to check your health.
- Your doctor might ask you to give urine samples.
- If you are a girl and have started having periods, pregnancy tests might be done on your blood or urine.
- Your doctor may also perform some scans, which means that your doctor can take pictures of your body without causing you pain.

Tell your doctor if you are taking, have recently taken or might take any other medicines.

Could bad things happen?

You may feel unwell when taking the odevixibat during this Early Access.
If you feel anything unusual, tell your parent(s)/caretaker(s) straight away and let the doctor know. He/she will tell you what to do.

There are risks associated with odevixibat as mentioned in the odevixibat information leaflet your doctor gave to your parent(s)/caretaker(s), you and ask your doctor for more details.

You may experience diarrhea (runny stools), which could lead to dehydration (thirst) and stomach pain. It may also cause changes in your blood tests that could mean a problem with your liver.

Additionally:

- You may feel tired.
- You may feel embarrassed by the questions the doctor or nurse asks you.

A full list of possible side effects can be found in the consent form that is given to your parent(s)/caretaker(s)

There could be other effects of odevixibat that we are not aware of yet. If you feel anything unusual during this Early Access, make sure to tell your parent(s)/caretaker(s) and the doctor's team. They will do their best to make you feel better.

Note that odevixibat could cause significant harm to an unborn child.

If you are a girl and started having your periods or might begin having your periods during this Early Access with odevixibat, you will need to use contraception, unless your doctor decides this is not necessary. Your doctor will help you to find the most suitable method depending on your needs.

- Sometimes, even if you are using birth control, girls can still become pregnant. That is why your doctor or his/her team might decide to do pregnancy tests before and during this Early Access. They will let you know the results of any test they do.
- When it comes to talking about pregnancy and birth control with your doctor, your privacy is important. Your doctor will only share this information with your parent(s)/caretaker(s) if you agree.

If you think you might be pregnant at any point during this Early Access, it is really important to tell your parent(s)/caretaker(s) and your doctor right away. Anyone who is pregnant must stop their treatment with odevixibat.

If you are a boy having sexual partners:

- You must use effective contraception to prevent pregnancy of your partner, if your partner has a childbearing potential.

It is very important that the partners of boys participating in this Early Access do not become pregnant while the participant is taking part in this Early Access. If

you are having sex with a partner of childbearing potential, you should use effective birth control to prevent pregnancy in your partner. Your doctor may talk to you about effective methods of birth control. You should tell your parent(s)/legal guardian(s) and/or your doctor immediately if you think that your partner might be pregnant during this Early Access

What other choices are there?

You do not have to take part in this Early Access if you do not want to. If you do not participate, it will not affect the medical care you will receive. Your doctor will be happy to discuss alternative treatment, if any.

What if you change your mind?

If you do not want take part in this Early Access, this is totally okay. You have the right to decide what is best for you. And if you say 'Yes' now but change your mind later, that is okay too. Your doctor will not be upset with you, and he/she will still do his/her best to help you feel better.

Do you have any questions?

You can ask any questions anytime! You can ask now. You can ask later. You can talk to your doctor and/or his/her team. You can also ask your parent(s)/caretaker(s) to ask questions for you.

Assent form

1. I have read and understood the information in this information sheet.

2. The doctor, with the support of my parent(s)/caretaker(s), has explained this Early Access in detail to me and I have had the opportunity to ask questions. All my questions about odevixibat and my participation in this Early Access have been answered.

3. I understand that it is up to me if I do or do not want to participate in this Early Access. I can stop participating in this Early Access at any time, and I do not need to give a reason. My doctor will still take care of me.

4. I will be given a signed and dated copy of this document.

I agree to take part in this Early Access.

_____ Patient's name	_____ Patient's Signature	_____ Date
_____ Parent's Name 1 / Legal Guardian's Name*	_____ Parent's Signature 1 / Legal Guardian's Signature*	_____ Date
_____ Parent's Name 2 / Legal Guardian's Name*	_____ Parent's Signature 2 / Legal Guardian's Name*	_____ Date
_____ Doctor's Name	_____ Doctor's Signature	_____ Date

**According to local law or decision of the court of justice, more than one signature could be required.*

Data Privacy Notice

Personal data is the information about you that makes you unique. In this Early Access, your name will not be used, and you will be given a special code for identification. With this special code, your identity will be kept private.

The purpose of processing your personal data is to carry out the Early Access described in this document.

Ipsen, its group and/or subcontractors, doctors and his/her team collect some personal data about you, like your initials, gender, date of birth/age, and the country where you live. They also collect your height, weight, health data, safety reporting, information about your medical condition and history. Only trusted people at Ipsen, its group, your doctor and his/her team can link this code to your personal information.

If you are not happy with how Ipsen and its group and/or subcontractors use your information, you can talk to your parent(s)/caregiver(s) or your doctor about it. You and your parent(s)/caregiver(s) can also contact Ipsen if you have questions or want to use your rights.

To use these rights, first talk to your doctor and/or his/her team. Ipsen does not know your full name, so if you want to reach out to Ipsen's privacy officer, you will need to give your special code, which might affect your privacy. If you still want to talk to Ipsen, here's how you and your parent(s)/caregiver(s) can contact them:

- Completing the form available at https://www.ipsen.com/global-privacy-policy/
- E-mail: Ipsen Data Privacy Officer: dataprivacy@ipsen.com
- Letter: 70 rue Balard, 75015 Paris, France

Access Under Special Circumstances for odevixibat

Information Sheet and Assent for Adolescent
(15-adult age according to local laws)

YOUR DOCTOR:	
HOSPITAL PHONE NUMBER in case of emergency:	

Please read this information sheet and assent form carefully and talk to your parent(s), family, friends, doctor, or nurse if you wish. Take the time to ask as many questions as you want during your review of this document. The doctor or his/her team will explain any word(s) or information you do not clearly understand.

Your doctor is offering you the opportunity to participate in this access under special circumstances, also called Early Access, organized by a company called Ipsen which will provide you with a product named odevixibat for Alagille syndrome (ALGS)

Your participation is voluntary which means you can choose if you want to participate. If you choose not to participate, your medical care will not change, and you will continue receiving standard care. Your doctor will be happy to discuss alternative treatment options, if any.

Before you can make your decision, you will need to know what this Early Access is about, the possible risks of receiving odevixibat, and what you will have to do. Please ask your doctor and/or the nurses and/or your parent(s)/legal guardian(s) about this information sheet if there is anything you don't understand.

If your parent(s)/legal guardian(s) agree to allow you to participate, but you decide to not participate, you will not be part of this Early Access.

1. Why is this Early Access being offered?

The purpose of this Early Access is, as per your doctor's decision, to treat young people like you with ALGS with odevixibat before it is made available in your country of residence. It is possible that you will get better, stay the same, or get worse by receiving odevixibat.

Odevixibat is a medicine available in the form of capsules (200mcg, 400mcg, 600mcg, and 1200mcg) taken orally once daily in the morning, with or without food. Like all medicines, odevixibat may cause side effects, although not everybody experiences these.

2. How long will you be in this Early Access?

You will be part of this Early Access for your medical condition, until you, your parent(s)/legal guardian(s)/your doctor or Ipsen decides to stop or until other medicine is made available.

The Early Access is designed to last until the conditions below, whichever occurs first:

- Odevixibat becomes commercially available in the country of request or
- until 24 months after marketing authorization (meaning the local regulatory approval to market odevixibat for ALGS) in the country of request, in case the reimbursement & pricing negotiations in the given country cannot be concluded for any reasons (e.g., the product for the indication is not recognized as essential by payers).

When reimbursement of odevixibat for ALGS is granted in the country of request, the transition of odevixibat from this Early Access to commercial supply should be completed within 3 (three) months post reimbursement. Over this 3-month period, Ipsen will assess on a case-by-case basis, to ensure complete transition to reimbursed product where possible, and eventually stop the provision of odevixibat through the Early Access route.

3. Has this Early Access received medical or ethical approval?

This Early Access has been medically approved, meaning that it can be provided to young people like you.

4. What will happen in this Early Access?

During this Early Access, you will be monitored by your usual doctor.
You will receive a treatment named odevixibat that you should take as described by your doctor.

- Your doctor will ask you how you are feeling.
- Your doctor will ask you about other medicines taking.
- Your doctor will listen to your heart and lungs, take a blood pressure and temperature reading, and also check your heart and breathing rate. Your doctor will measure how tall you are, how much you weigh, your temperature and breathing.
- Your doctor will take blood samples to check your health.
- Your doctor will might ask you to give urine samples.
- If you are a girl and have started having periods, pregnancy tests might be done on your blood or urine.

- Your doctor may also perform some scans, which means that your doctor can take pictures of your body without causing you pain.

5. Could bad things happen?

- You may feel unwell when taking odevixibat from this Early Access.
- There are risks associated with odevixibat according to the odevixibat information leaflet (please refer to this document provided by your doctor to your parent(s)/legal guardian(s) and ask your doctor for more details). You may experience diarrhea (runny stools), which could lead to dehydration (thirst) and stomach pain. It may also cause changes in your blood tests that could mean a problem with your liver Additionally:
    - You may feel tired.
    - You may feel embarrassed by the questions the doctor or nurse asks you.
- A full list of possible side effects can be found in the consent form that is given to your parent(s)/legal guardian(s)
- There might also be effects of odevixibat that we don't know yet. It is important that you tell your doctor immediately if you get any disorder. Your doctor and his/her team will do their best to make you feel better.
- Note that the treatment given in this Early Access could cause significant harm to an unborn child.

If you are a girl and started having your periods during this Early Access with odevixibat, you will need to use contraception, unless your doctor decides this is not necessary. Your doctor will help you to find the most suitable method depending on your needs.

- The treatment given in this Early Access could cause significant harm to an unborn child. Therefore, it is very important that girls participating in this Early Access do not start a pregnancy while taking part in this Early Access.
- Girls can sometimes become pregnant even when using birth control. For this reason, your doctor or his/her team may decide to perform pregnancy tests. They will tell you the results of any pregnancy test, if any.
- You have a right to confidentiality when talking about pregnancy and birth control with a doctor. This information will be only shared with your parent(s)/legal guardian(s) if you agree.
- You should tell your parent(s)/legal guardian(s) and your doctor immediately if you think that you might be pregnant during this Early Access. Anyone who is pregnant must stop their treatment with odevixibat.

If you are a boy having sexual partners:

- You must use effective contraception to prevent pregnancy of your partner, if your partner can get pregnant.
- It is very important that the partners of boys participating in this Early Access do not become pregnant while the participant is taking part in this Early Access. If you are having sex with a partner of childbearing potential, you should use effective birth control to prevent

pregnancy in your partner. Your doctor may talk to you about effective methods of birth control. You should tell your parent(s)/legal guardian(s) and/or your doctor immediately if you think that your partner might be pregnant during this Early Access.

6. What other options are there?

If you decide not to receive odevixibat under this Early Access, it will not affect the medical care you will receive. Your doctor will discuss alternative treatment options, if any.

7. What will happen if new information becomes available during this Early Access?

Your doctor will inform you in a timely manner if new information becomes available during this Early Access that could change your mind about continuing to receive odevixibat.

8. What will happen to the results of this Early Access?

Information collected from you and all the other Early Access participants may be put together and could also be published in a medical journal, but no individual patients will be identified. If you would like to obtain a copy of any results from this Early Access that are published results, please ask your doctor.

9. What will happen if you change your mind?

If you don’t want to take part in this Early Access, you don’t have to do so.

It is also OK to say ‘Yes’ now and change your mind later. Your doctor will not be upset with you, and he/she will still try to help you feel better.

CONSENT TO RECEIVE ODEVIXIBAT UNDER EARLY ACCESS

I confirm that:

1. I have been informed about odevixibat as well as the details of odevixibat Early Access, including possible side effects and risks. I have had the opportunity to discuss odevixibat Early Access with the doctor who has made the request and all my questions have been answered.
2. I have had an adequate amount of time to consider this Early Access.
3. I understand that I will receive a copy of this document once I have signed it.
4. I understand that my decision to take part in this Early Access is entirely voluntary and I am free to stop at any time my access under circumstances participation. If I decide not to participate in this Early Access or to stop my participation during this Early Access, this will not affect my standard medical care.

I agree to take part in this Early Access.

_____ Patient's name	_____ Patient's Signature	_____ Date
_____ Parent's Name 1 / Legal Guardian's Name*	_____ Parent's Signature 1 / Legal Guardian's Signature*	_____ Date
_____ Parent's Name 2 / Legal Guardian's Name*	_____ Parent's Signature 2 / Legal Guardian's Name*	_____ Date
_____ Doctor's Name	_____ Doctor's Signature	_____ Date

**According to local law or decision of the court of justice, more than one signature could be required.*

DATA PRIVACY NOTICE

1) What is personal information and which are collected for the Early Access?

Doctors, their team, Ipsen and Ipsen's data processors will collect basic information about you, like your initials, gender, date of birth/age, country where you live, height, weight, health data, safety reporting, information about your medical condition and history. This helps them understand how the treatment might affect different people.

2) What is the purpose of processing the data?

The purpose of processing your personal data is to carry out the Early Access described in this document.
Ipsen has a legal obligation to process your data. This processing is necessary for public health reasons and is in the public interest.

3) How will your personal data be treated?

We will take every precaution to ensure that only people who need to know have access to your information.
To protect your privacy, your name will not be used; instead, you will be given a special number. Only trusted people at Ipsen, companies working with Ipsen for the purpose of this Early Access, your doctor and his/her team can link this code to your personal information.

4) Who is responsible for processing your personal data?

Ipsen is responsible for handling your personal information. The companies working with Ipsen for the purpose of this Early Access, are the ones who process your data. For this reason, Ipsen and these companies process your personal information to make sure they are following the laws of your country of residence, and to ensure your safety during the Early Access.

5) Who can access your personal data?

Apart from your doctor and his/her team, only authorised people can access your information, these include:

- Early Access Auditors: People working at Ipsen making sure that the Early Access is done correctly.
- Ethics Committees: When applicable, there is a group of people who make sure this Early Access is fair and safe for you.
- Regulatory Authorities: There are big organisations both in your country and around the world who keep an eye on this Early Access to make sure it follows all the rules and is safe for everyone.
- *If Service Provider on board* Third Parties: If there is a special web portal used for the Early Access activities, it will be developed by other trusted companies working with Ipsen. Only specific individuals within this third-party company will have access to your information. Additionally, your doctor and their team may also have access to this web portal and your personal information.

For European Pharmaceutical Companies only or for European sites:

Sometimes, Ipsen is working and sharing information with third parties who have different data privacy laws than your country does. So, your personal information might go to places outside the European Union or where your doctor works. Rest assured, no matter where in the world your personal information is, if those places do not protect your personal information the same way Europe does, Ipsen makes sure your personal information is protected there as it would be in your home country. If you want to know more about where your personal information goes, you can ask your doctor.

And remember: Ipsen will never sell any of your personal information.

6) How long will your coded data be kept?

After the end of this Early Access, Ipsen and the companies working with Ipsen for the purpose of this Early Access will keep your coded information for two (2) years, and then stored for eight (8) years in compliance with applicable law. After this period, your information will either be deleted or made anonymous.

7) What are your rights under data protection law?

There are rules where you live, that say you can decide what happens to your personal information. This means you can choose to see it, change it, or stop others from using it. If you are not happy with how your data are being treated, you can raise this with your doctor and his/her team who can contact Ipsen. If you and/or your parent(s)/caregiver(s) have any questions or want to use your rights, you can always contact Ipsen.

To use these rights, first talk to your doctor and/or his/her team. Ipsen does not know your full name, so if you want to reach out to Ipsen's privacy officer, you will need to give your special code, which might affect your privacy. If you still want to talk to Ipsen, here's how you and your parent(s)/caregiver(s) can contact us:

- Completing the form available at https://www.ipsen.com/global-privacy-policy/
- E-mail: Ipsen Data Privacy Officer: dataprivacy@ipsen.com
- Letter: Ipsen Pharma, 70 rue Balard, 75015 Paris, France