

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

Programme title: The use of odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older, through a medical need programme (MNP).

Responsible for the programme:

Albireo, an Ipsen company,, represented in Belgium by Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Ireland.

Committee for Medical Ethics: Cliniques Universitaires St.-Luc

Address: Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 – 1200 Bruxelles

e-mail: commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TEL: 02/ 764 55 14

Contact details of the mediator for the Saint-Luc clinics:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Treating physician: *Please complete the following information before providing it to the patient*

Name:

Hospital address:

.....

Contact number:

Emergency number:

Contact number in case of questions related to this programme:

.....

Contact details of the hospital's data protection officer:

.....

Contact details of the mediator of the centre:

.....

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

I. Information necessary for your decision to participate

Introduction

Your doctor is proposing treatment with odevixibat for your child's condition, because your doctor feels that he/she cannot continue to be treated optimally with one or more medicines currently available on the Belgian market. Your doctor therefore is proposing to ask Albireo, an Ipsen company, to allow your child to receive the drug odevixibat in the context of this medical need programme. Albireo, an Ipsen company, will make the drug available free of charge in connection with this application. Your doctor has full responsibility for this treatment with odevixibat.

Before you decide on your child's participation in this medical need programme, we would like to inform you about what this means in organisational terms and what the possible benefits and risks are for him/her. This will allow you to decide based on the correct information. This is called 'informed consent'.

Please read the following pages of information carefully. If you have any questions, please contact your doctor or his/her representative. This document consists of 2 parts: essential information you need to make your decision and your written consent.

If you are participating in this programme, you should know the following:

- Your child's participation is voluntary; there can be no question of coercion in any way. Your signed consent is required for your child to participate. Even after you have signed, you can let the doctor know that you want to discontinue your child's participation. The decision whether or not to participate (further) will not have any negative impact on the quality of care or on your relationship with the doctor.
- This programme is launched after evaluation by an ethics committee.
- The data collected as part of your child's participation will be treated in the strictest confidence by your doctor. Under no circumstances will Albireo, an Ipsen company, receive any data which would make it possible to identify your child.
- If you need additional information, you can always contact the doctor or a member of his/her team.

Information on the medicinal product

Odevixibat is a drug that has already been approved by the European Medicines Agency (EMA) on Juli 16th, 2021 for the treatment of progressive familial intrahepatic cholestasis (PFIC). The EMA approval was granted based on the results of the phase 3 clinical studies PEDFIC1 (A4250-005) and PEDFIC2 (A4250-008), which showed that odevixibat is effective and safe for the treatment of PFIC patients. Odevixibat has currently been submitted for reimbursement in Belgium for this indication.

The marketing authorisation in the Alagille indication has been submitted to EMA, and EMA approval is expected in the upcoming months. The efficacy of odevixibat in patients with ALGS was demonstrated in the phase 2 Study A4250-003, and in two phase 3 studies: ASSERT and ASSERT-EXT. Through this medical need programme, doctors can decide to treat patients with Alagille Syndrome with odevixibat, without having to wait until the EMA approval and reimbursement in Belgium.

Odevixibat belongs to the pharmacotherapeutic group called bile and liver therapy, other drugs for bile therapy. The brand name of odevixibat is Bylvay[®].

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

Bylvay contains the active substance odevixibat. Odevixibat is a medicine which increases the removal of substances called bile acids from the body. Bile acids are components of the digestive fluid called bile, which is produced by the liver and secreted into the intestines. Odevixibat blocks the mechanism that normally reabsorbs them from the intestines after they have done their job. This allows them to pass out of the body in the stool.

By reducing the elevations in systemic bile acids, odevixibat has the potential to decrease pruritus, improve liver function and modify the progression of liver damage in patients with ALGS. Odevixibat has minimal systemic exposure at the predicted therapeutic dose ranges.

Odevixibat is made available as hard capsules to be taken orally in the morning at the dose recommended dose of 1240 micrograms odevixibat per kilogram body weight once daily (1240 mcg/kg/day). If the medicine is not working well enough after 3 months, your doctor may increase the dose to 120 micrograms odevixibat per kilogram body weight (120 mcg/kg/day).

There are four types of capsules, with different dosage: 200 mcg, 400 mcg, 600 mcg and 1200 mcg. The 200 mcg and 600 mcg capsules are intended to be opened and sprinkled on food but may be swallowed whole. The 400 mcg and 1200 mcg capsules are intended to be swallowed whole but may be opened and sprinkled on food. Odevixibat can be taken with or without food.

Progress of the programme

To be able to participate in this programme, your child will have to fulfil several criteria that his/her treating physician will check. If your child meets all the criteria and you have signed the informed consent form, the drug odevixibat will be provided by Albireo, an Ipsen company,.

Your child will receive odevixibat as part of this medical need programme for as long as your treating physician believes your child will benefit from it, or until odevixibat is reimbursed in Belgium.

Risks and inconveniences

All information on the combination of odevixibat with other medicines and on the possible side effects is provided in the protocol and in the information for publication of this programme. Please review these with your doctor.

Some specific points that should be taken into account during the treatment are listed here:

This program involves using an investigational medicine. Any investigational medicine has some risks, which may include things that could make your child feel unwell, uncomfortable, or harm your child. Your child might have adverse health effects related to the medicine while taking part in the program. Everyone taking part in the program will be watched for any adverse health effects; however, the doctor and nurses do not know all the effects that this new medicine may have on your child. These effects may be mild, moderate or severe. While we do not anticipate this to be the case, there is a possibility that any particular adverse health effect could be long lasting, permanent, or even life-threatening.

As of 03 July 2022, approximately 457 subjects (people) have been dosed with odevixibat as participants of Phase 1, 2, and 3 Albireo sponsored studies, including 113 patients with PFIC. Studies in patients with ALGS and Biliary Atresia (BA) are ongoing but based on the safety profile in the ongoing studies no new safety signals have been identified.

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

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

imbalance (chemicals in your blood). Patients should be monitored regularly to ensure adequate hydration (e.g., drinking fluids) during episodes of diarrhoea.

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 doctor's usual practice of care). For patients with liver function test elevations, more frequent monitoring should be considered.

Treatment with odevixibat may impact the absorption (how your body absorbs) of fat-soluble medicinal products, including lipophilic (fat soluble) oral contraceptives and vitamins. Treatment with odevixibat may affect the absorption (how your body absorbs) of fat-soluble vitamins such as Vitamin A, D and E, and some medicines, including oral contraceptives (birth control pills). Assessment of fat-soluble vitamin levels (Vitamins A, D, E) and INR (test to see how well your blood clots) are recommended for all patients prior to initiating (starting) odevixibat, with monitoring per standard clinical practice (your doctor's usual practice of care).

The most common treatment emergent adverse events (TEAEs, which are adverse events that occur after odevixibat dosing and were not necessarily related to odevixibat) were pyrexia (fever) (27%); upper respiratory tract infection (24%); diarrhoea (20%); blood bilirubin increased (substance produced by the liver that can be measured with a blood test) (18%); ALT increased (substance produced by the liver that can be measured with a blood test) and cough (16% each); vomiting and abdominal (stomach) pain (13% each); and nasopharyngitis (common cold), pruritus (itchiness), and INR increased (blood clotting measure) (11%).

The adverse reactions considered related to odevixibat seen in children with PFIC are listed below. In this section, the following terms are used:

Very common: affects more than 1 user in 10

Common: affects 1 to 10 users in 100

Uncommon: affects 1 to 10 users in 1,000

Rare: affects 1 to 10 users in 10,000

Very rare: affects less than 1 in 10,000

Very Common: None

Common:

Diarrhoea (loose or frequent stools) – 7%

Abdominal (stomach) pain – 4%

Diarrhoea hemorrhagic (loose or frequent stools with bleeding) 1%

Faeces soft- 1%

Hepatomegaly (enlarged liver size) – 2%

Uncommon: None

Rare: None

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

Very rare: None

It is important that you tell the doctor about any adverse changes the health of your child as soon as they occur, whether or not you think they are caused by the study drug.

Risks from procedures: Risks and discomforts that your child may experience from the program procedures include the following:

- **Blood draws:** A blood draw may cause faintness, inflammation of the vein, pain, bruising, swelling, or bleeding at the site of puncture. There is also a slight risk of infection. In very rare cases, there is a risk of blood clot or nerve injury after blood draw. If your child experiences discomfort from having blood tests, local anesthetic cream can be used at the injection site before doing the test.
- **Fasting:** Fasting could cause dizziness, headache, stomach discomfort, or fainting.

Other risks: Because odevixibat is an investigational medicine for the treatment of ALGS, there may be other risks that are unknown. 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 your child has 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 the program doctor of any allergies your child has or prior allergic reactions to drugs or food.

Pregnancy and breastfeeding related risks

The effects of odevixibat on an unborn baby are unknown. Since the risks relating to pregnancy are unforeseeable, it is important that where appropriate your child uses the birth control methods that are recommended by the program doctor throughout the program.

You must tell the program doctor immediately, if your child becomes pregnant or his partner becomes pregnant while your child is participating in the program.

If your child becomes pregnant, treatment with the program medicine will be stopped immediately. You will be asked to provide information on your child's general health and the outcome of the pregnancy and the clinical course of the infant up to 2 years after delivery.

If your child is male and his partner becomes pregnant during the course of the program, we will ask that information be provided on the outcome of the pregnancy and the clinical course of the infant up to two years after delivery.

It is not known if odevixibat can pass into breast milk and affect the baby. Your doctor will help you to decide whether your child should stop breast-feeding or avoid odevixibat treatment, considering the benefit of breast-feeding to the baby and odevixibat to the mother.

Your doctor will collect the adverse reactions you report for safety reasons. You can also report adverse reactions directly to the Federal Agency for Medicines and Health Products, Vigilance Department, Eurostation II, Victor Horta Square 40/40, B-1060 Brussels (www.fagg.be or patientinfo@fagg-afmps.be).

Notification of new information

Important new information on the medicine concerned may become available during your child's participation in this programme. Your doctor will inform you of any new important information that may influence your decision to continue participating in this programme.

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

Discontinuation of participation

Your child's participation is voluntary. You have the right to stop participating in this programme for any reason and without giving a reason. This decision will not affect your child's subsequent medical treatment.

Your child's treating physician, the Medical Ethics Committee or the person in charge of the programme may stop your child's participation in the programme at any time without asking your permission.

This decision may be due to an adverse reaction your child has had to odevixibat or following new data related to the efficacy or tolerance of odevixibat, or after obtaining reimbursement.

It is also possible that the doctor may discontinue your child's participation in this programme, without having to ask your permission, because he/she believes that this is better for your child's health.

Confidentiality guarantee

In order to be able to carry out this programme properly, it is necessary to share your child's medical data with persons other than the doctor treating her/him. This consent form describes how your child's personal health data will be used and to whom it will be shared.

Your child's identity and his/her participation in this programme will be kept strictly confidential. Your child's identity will not be disclosed by name or in any other recognisable manner in the records of this programme. The doctor will encrypt your child's personal data to ensure that it remains confidential to the person in charge of the programme.

You have the right to ask the doctor what data he/she has collected about your child and what they are used for in the context of the programme. You have the right to inspect these data and to have them corrected if they are incorrect. These rights are guaranteed to you by the European General data protection regulation (GDPR) of 27 April 2016 (in force since 25 May 2018) and by the Belgian law of 30 July 2018 on the protection of privacy with regard to the processing of personal data and by the Belgian law of 22 August 2002 on patients' rights. You also have the right to lodge a complaint about the way your data is processed with the Belgian supervisory authority responsible for ensuring compliance with data protection legislation: Data Protection Authority (DPA) - Rue de la Presse 35 - 1000 Brussels - e-mail: contact@apd-gba.be - Website: <https://www.dataprotectionauthority.be>

The doctor and his/her team are obliged to keep the data collected confidential. This means that he/she undertakes never to divulge your child's name to the representatives of the person in charge of the programme (your child's identity will be replaced by an identification code before he/she passes it on to the representatives of the person in charge of the programme). Thus, the information that the doctor sends to the representatives of the person in charge of the programme does not include data that can directly identify your child, such as his/her name, address or other information.

Your child's personal data is stored in databases with limited access. Access to all information is restricted and only allowed as stated in this document. Measures have been taken to reduce the risk of misuse of or access to your child's personal information by unauthorised persons. However, these risks cannot be eliminated.

The administrator of the research data, appointed by the Programme Manager, cannot identify your child on the basis of the data transferred. The Programme Manager is responsible for collecting the data collected by all doctors participating in the Programme and for processing

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

and protecting that data in accordance with the Belgian Data Protection Act and the General Data Protection Regulation (2016/679).

The coded data may be transmitted to Belgian or other regulatory authorities, to the relevant ethics committees, to other doctors and/or institutions and partners working with the person responsible for this programme. These bodies are also bound by professional secrecy, and, in any case, this can only take place under the responsibility of the treating doctor and under the supervision of one of his/her appointed colleagues.

The data may also be submitted in other countries where personal data protection standards may be different or less strict. In that case, the person in charge of the programme undertakes to respect the conditions laid down in the General Data Protection Regulation (AVG) and Belgian legislation on the protection of privacy.

If you have any questions about the processing of your child's personal data or wish to exercise the above rights, please contact the Data Privacy Officer (as listed on the first page of this document). This person can then contact the data controller, if necessary.

In addition to the above rights, you also have the right to lodge a complaint with the competent data protection authority.

If you withdraw your consent to participate in the programme, the coded data already collected before your withdrawal will be used.

No new data may be transmitted to the person in charge of the programme unless this is required to maintain the integrity of the programme.

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

Programme title: The use of odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older, through a medical need programme (MNP).

II Informed consent

Parent or guardian

- I declare that I have been informed about the nature, purpose, duration, possible benefits and risks of the programme. I have taken note of the above information.
- I have had enough time to think and talk to a person of my choice, such as my GP or a family member.
- I was able to ask all the questions that came to mind and I got a clear answer.
- I understand that my child's participation in this programme is voluntary and that I am free to discontinue his/her participation in this programme without prejudice to my relationship with the therapeutic team responsible for his/her health.
- I understand that during my child's participation in this programme, information about him/her will be collected and that the doctor and the person in charge of the programme will ensure the confidentiality of this information in accordance with the relevant Belgian legislation. (This informed consent remains with the doctor in charge in order to guarantee confidentiality and anonymity.)
- I authorise the use and processing of my child's personal health data as described in this informed consent.
- I have received a copy of this informed consent.
- I agree that my GP and/or other specialists responsible for my child's health will be informed of his/her participation in this programme.

Signature of the parents

Name First name Date Signature of the parent (father)

Name First name Date Signature of the parent (mother)

Signature of the guardian

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the parent or guardian

Name	First name	Date	Signature of the guardian
------	------------	------	---------------------------

Doctor

-----	-----	-----	-----
Name	First name	Date	Signature of the doctor

Impartial witness

Signature of an impartial witness is required if the person or the person's legal representative(s) cannot read.

I have been present during the entire process of providing information to the patient and I confirm that the information about the programme has been adequately explained, that the participant (or his/her legal representative) has understood the programme and that the consent to participate in the programme has been freely given.

-----	-----	-----
Name	First name	Qualification of witness
-----	-----	-----
Date	Signature of impartial witness	

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

Titre du programme : L'utilisation de l'odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus, dans le cadre d'un programme médical d'urgence (PMU).

Responsable du programme :

Albireo, an Ipsen company,, représentée en Belgique par Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Irlande.

Comité d'éthique médicale : Cliniques Universitaires St.-Luc

Adresse : Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 - 1200 Bruxelles

e-mail : commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TÉL : 02/ 764 55 14

Coordonnées du médiateur du centre pour les cliniques Saint-Luc:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Médecin traitant : *Veuillez compléter les informations suivantes avant de les fournir au patient*

Nom :

Adresse de l'hôpital :

.....

.....

Numéro de contact :

Numéro d'urgence :

Numéro de contact en cas de questions relatives à ce programme :

.....

Coordonnées du responsable de la protection des données de l'hôpital :

.....

Coordonnées du médiateur du centre:

.....

I. Informations nécessaires à votre décision de participer

Introduction

Votre médecin propose un traitement par l'odevixibat pour l'affection de votre enfant, car il estime qu'il ne peut pas continuer à être traité de manière optimale avec un ou plusieurs médicaments actuellement disponibles sur le marché belge. Votre médecin propose donc de demander à Albireo, an Ipsen company, de permettre à votre enfant de recevoir le médicament odevixibat dans le cadre de ce programme médical d'urgence. Albireo, an Ipsen company,

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

mettra gratuitement le médicament à sa disposition dans le cadre de cette demande. Votre médecin est entièrement responsable de ce traitement par l'odevixibat.

Avant que vous ne décidiez de participer à ce programme médical d'urgence, nous souhaitons vous informer de ce que cela signifie en termes d'organisation et des avantages et risques possibles pour votre enfant. Cela vous permettra de prendre votre décision sur la base d'informations correctes. C'est ce qu'on appelle le "consentement éclairé".

Veillez lire attentivement les pages d'information suivantes. Si vous avez des questions, veuillez contacter votre médecin ou son représentant. Ce document se compose de 2 parties: les informations essentielles dont vous avez besoin pour prendre votre décision et votre consentement écrit.

Si vous participez à ce programme, vous devez savoir ce qui suit :

- La participation de votre enfant est volontaire ; il ne peut être question de coercition d'aucune sorte. Votre consentement signé est nécessaire pour que votre enfant puisse participer. Même après avoir signé, vous pouvez faire savoir au médecin que vous souhaitez mettre fin à la participation de votre enfant. La décision de participer ou non (plus loin) n'aura aucun impact négatif sur la qualité des soins ou sur votre relation avec le médecin.
- Ce programme est lancé après évaluation par un comité d'éthique.
- Les données recueillies dans le cadre de la participation de votre enfant seront traitées dans la plus stricte confidentialité par votre médecin. En aucun cas, Albireo, an Ipsen company, ne recevra de données qui permettraient d'identifier votre enfant.
- Si vous avez besoin d'informations supplémentaires, vous pouvez toujours contacter le médecin ou un membre de son équipe.

Informations sur le médicament

L'odevixibat est un médicament qui a déjà été approuvé par l'Agence européenne des médicaments (EMA) le 16 juillet, 2021 pour le traitement de la cholestase intrahépatique familiale progressive (CIFP). L'autorisation de l'EMA a été accordée sur la base des résultats des études cliniques de phase 3 PEDFIC1 (A4250-005) et PEDFIC2 (A4250-008), qui ont montré que l'odevixibat est efficace et sûr pour le traitement des patients atteints de la CPIF. L'odevixibat fait actuellement l'objet d'une demande de remboursement en Belgique pour cette indication.

L'autorisation de mise sur le marché dans l'indication Alagille a été soumise à l'EMA, et l'approbation de l'EMA est attendue dans les prochains mois. L'efficacité de l'odevixibat chez les patients atteints d'ALGS a été démontrée dans l'étude de phase 2 A4250-003 et dans deux études de phase 3 : ASSERT et ASSERT-EXT. Grâce à ce programme médical d'urgence, les médecins peuvent décider de traiter les patients atteints du syndrome d'Alagille avec l'odevixibat, sans avoir à attendre l'approbation de l'EMA et le remboursement en Belgique.

L'odevixibat appartient au groupe pharmacothérapeutique appelé thérapie de la bile et du foie, autres médicaments pour la thérapie de la bile. Le nom de marque de l'odevixibat est Bylvay®.

Bylvay contient la substance active odevixibat. L'odevixibat est un médicament qui augmente l'élimination de substances appelées acides biliaires dans l'organisme. Les acides biliaires sont des composants du liquide digestif appelé bile, qui est produit par le foie et sécrété dans les intestins. L'odevixibat bloque le mécanisme qui les réabsorbe normalement dans les intestins après qu'ils aient fait leur travail. Cela leur permet d'être éliminés du corps dans les selles.

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

En réduisant les élévations des acides biliaires systémiques, l'odevixibat a le potentiel de diminuer le prurit, d'améliorer la fonction hépatique et de modifier la progression des lésions hépatiques chez les patients atteints d'ALGS. L'odevixibat présente une exposition systémique minimale aux plages de doses thérapeutiques prévues.

L'Odevixibat est disponible sous forme de capsules dures à prendre par voie orale le matin à la dose recommandée de 120 microgrammes d'odevixibat par kilogramme de poids corporel une fois par jour (120 mcg/kg/jour).

Il existe quatre types de capsules, avec des dosages différents : 200 mcg, 400 mcg, 600 mcg et 1200 mcg. Les gélules de 200 mcg et 600 mcg sont destinées à être ouvertes et saupoudrées sur la nourriture mais peuvent être avalées entières. Les gélules de 400 mcg et 1200 mcg sont destinées à être avalées entières mais peuvent être ouvertes et saupoudrées sur de la nourriture. Odevixibat peut être pris avec ou sans nourriture.

L'avancement du programme

Pour pouvoir participer à ce programme, votre enfant devra remplir plusieurs critères que son médecin traitant vérifiera. Si votre enfant répond à tous les critères et que vous avez signé le formulaire de consentement éclairé, le médicament odevixibat vous sera fourni par Albireo, an Ipsen company,.

Votre enfant recevra de l'odevixibat dans le cadre de ce programme médical d'urgence aussi longtemps que votre médecin traitant estime que votre enfant en bénéficiera, ou jusqu'à ce que l'odevixibat soit remboursé en Belgique.

Risques et inconvénients

Toutes les informations sur l'association de l'odevixibat avec d'autres médicaments et sur les effets secondaires possibles sont fournies dans le protocole et dans les informations pour la publication de ce programme. Veuillez les consulter avec votre médecin.

Voici quelques points spécifiques dont il faut tenir compte pendant le traitement :

Ce programme implique l'utilisation d'un médicament expérimental. Tout médicament expérimental présente des risques, qui peuvent inclure des choses qui pourraient rendre votre enfant malheureux, inconfortable, ou lui nuire. Votre enfant pourrait avoir des effets indésirables liés au médicament pendant qu'il participe au programme. Toutes les personnes participant au programme seront surveillées afin de détecter tout effet indésirable sur la santé ; cependant, le médecin et les infirmières ne connaissent pas tous les effets que ce nouveau médicament peut avoir sur votre enfant. Ces effets peuvent être légers, modérés ou graves. Bien que nous ne nous attendions pas à ce que cela soit le cas, il est possible qu'un effet indésirable particulier puisse durer longtemps, être permanent ou même menacer la vie de l'enfant.

Au 3 juillet 2022, environ 457 sujets (personnes) ont reçu de l'odevixibat dans le cadre d'études de phase 1, 2 et 3 sponsorisées par Albireo, dont 113 patients atteints de PFIC. Des études sont en cours chez des patients atteints d'ALGS et d'atrésie des voies biliaires (BA), mais sur la base du profil de sécurité des études en cours, aucun nouveau signal de sécurité n'a été identifié.

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

La diarrhée (selles molles ou fréquentes) a été rapportée 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 dans le sang). Les patients doivent faire l'objet d'une surveillance régulière afin de s'assurer qu'ils sont suffisamment hydratés (par exemple en buvant des liquides) pendant les épisodes de diarrhée.

Les patients souffrant d'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 en temps) doivent être envisagés pour les patients souffrant d'insuffisance hépatique sévère (problèmes de foie).

Au cours des essais cliniques, une augmentation des résultats des tests de la fonction hépatique a été observée chez certains patients recevant de l'odevixibat. Une évaluation (prise de sang pour analyse) des tests de la fonction hépatique (ALT, AST, GGT, ALP et bilirubine totale, qui sont des substances produites par le foie et qui peuvent être mesurées par un test sanguin) est recommandée pour tous les patients avant d'initier (de commencer) l'odevixibat, avec une surveillance selon la pratique clinique standard (la pratique de soins habituelle de votre médecin). Pour les patients présentant des élévations des tests de la fonction hépatique, une surveillance plus fréquente doit être envisagée.

Le traitement par l'odevixibat peut avoir un impact sur l'absorption (comment votre corps absorbe) des médicaments liposolubles, y compris les contraceptifs oraux lipophiles (liposolubles) et les vitamines. Le traitement par l'odevixibat peut affecter l'absorption (comment votre corps absorbe) des vitamines liposolubles telles que la vitamine A, D et E, et de certains médicaments, y compris les contraceptifs oraux (pilules contraceptives). L'évaluation des taux de vitamines liposolubles (vitamines A, D, E) et de l'INR (test permettant de vérifier la coagulation du sang) est recommandée pour tous les patients avant l'instauration (le début) de l'odevixibat, avec un suivi conforme à la pratique clinique standard (la pratique habituelle de votre médecin).

Les effets indésirables apparus en cours de traitement les plus fréquents (effets indésirables survenus après l'administration de l'odevixibat et qui ne sont pas nécessairement liés à l'odevixibat) étaient les suivants : pyrexie (fièvre) (27 %) ; infection des voies respiratoires supérieures (24 %) ; diarrhée (20 %) ; augmentation de la bilirubine sanguine (substance produite par le foie qui peut être mesurée par une analyse de sang) (18 %) ; augmentation de l'ALT (substance produite par le foie qui peut être mesurée par un test sanguin) et toux (16% chacun) ; vomissements et douleurs abdominales (estomac) (13% chacun) ; et rhinopharyngite (rhume), prurit (démangeaisons), et augmentation de l'INR (mesure de la coagulation sanguine) (11%).

Les effets indésirables considérés comme liés à l'odevixibat observés chez les enfants atteints de PFIC sont énumérés ci-dessous. Dans cette section, les termes suivants sont utilisés :

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

Très fréquent : touche plus d'un utilisateur sur 10

Fréquent : concerne 1 à 10 utilisateurs sur 100

Peu fréquent : concerne 1 à 10 utilisateurs sur 1 000

Rare : concerne 1 à 10 utilisateurs sur 10 000

Très rare : concerne moins de 1 utilisateur sur 10 000

Très fréquent : aucun

Fréquents :

Diarrhée (selles molles ou fréquentes) - 7 %.

Douleurs abdominales (estomac) - 4%.

Diarrhée hémorragique (selles molles ou fréquentes accompagnées de saignements) 1%.

Fèces molles - 1

Hépatomégalie (augmentation de la taille du foie) - 2%.

Peu fréquent : aucun

Rare : aucun

Très rare : aucune

Il est important que vous informiez le médecin de tout changement indésirable dans la santé de votre enfant dès qu'il se produit, que vous pensiez ou non qu'il est causé par le médicament à l'étude.

Risques liés aux procédures : Les risques et les désagréments que votre enfant peut ressentir en raison des procédures du programme sont les suivants :

- Prises de sang : Une prise de sang peut provoquer un malaise, une inflammation de la veine, une douleur, une ecchymose, un gonflement ou un saignement à l'endroit de la ponction. Il existe également un léger risque d'infection. Dans de très rares cas, il existe un risque de caillot sanguin ou de lésion nerveuse après une prise de sang. Si votre enfant est gêné par les prises de sang, une crème anesthésiante locale peut être appliquée au point d'injection avant de procéder à l'examen.

- Jeûne : Le jeûne peut provoquer des étourdissements, des maux de tête, des maux d'estomac ou des évanouissements.

Autres risques : L'odevixibat étant un médicament expérimental pour le traitement de l'ALGS, il peut exister d'autres risques inconnus. 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 que votre enfant présente l'un des symptômes suivants d'une réaction allergique grave : difficultés respiratoires ou gonflement du visage, de la bouche, des lèvres, des gencives, de la langue ou du cou. Les

Consentement éclairé_PMU odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Version 2.0 de 14/06/2023

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

autres symptômes d'une réaction allergique peuvent être une éruption cutanée, de l'urticaire ou des cloques. Vous devez informer le médecin du programme de toute allergie de votre enfant ou de toute réaction allergique antérieure à des médicaments ou à des aliments.

Risques liés à la grossesse et à l'allaitement

Les effets de l'odevixibat sur un enfant à naître ne sont pas connus. Les risques liés à la grossesse étant imprévisibles, il est important que votre enfant utilise, le cas échéant, les méthodes de contraception recommandées par le médecin du programme pendant toute la durée du programme.

Vous devez informer immédiatement le médecin du programme si votre enfant tombe enceinte ou si sa partenaire tombe enceinte pendant que votre enfant participe au programme.

Si votre enfant tombe enceinte, le traitement avec les médicaments du programme sera immédiatement interrompu. Il vous sera demandé de fournir des informations sur l'état de santé général de votre enfant, sur l'issue de la grossesse et sur l'évolution clinique du nourrisson jusqu'à deux ans après l'accouchement.

Si votre enfant est de sexe masculin et que sa partenaire tombe enceinte au cours du programme, nous vous demanderons de nous fournir des informations sur l'issue de la grossesse et l'évolution clinique de l'enfant jusqu'à deux ans après l'accouchement.

On ne sait pas si l'odevixibat peut passer dans le lait maternel et affecter l'enfant. Votre médecin vous aidera à décider si votre enfant doit arrêter l'allaitement ou éviter le traitement par l'odevixibat, en tenant compte des avantages de l'allaitement pour l'enfant et de l'odevixibat pour la mère.

Votre médecin recueillera les effets indésirables que vous signalez pour des raisons de sécurité. Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement à l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé, Département Vigilance, Eurostation II, Place Victor Horta 40/40, B-1060 Bruxelles (www.fagg.be ou patientinfo@fagg-afmps.be).

Notification de nouvelles informations

De nouvelles informations importantes sur le médicament concerné peuvent devenir disponibles pendant la participation de votre enfant à ce programme. Votre médecin vous informera de toute nouvelle information importante qui pourrait influencer votre décision de continuer à participer à ce programme.

Arrêt de la participation

La participation de votre enfant est volontaire. Vous avez le droit d'arrêter de participer à ce programme pour n'importe quelle raison et sans donner de raison. Cette décision n'affectera pas le traitement médical ultérieur de votre enfant.

Le médecin traitant votre enfant, le Comité d'éthique médicale ou le responsable du programme peuvent arrêter sa participation au programme à tout moment sans vous demander votre autorisation. Cette décision peut être due à un effet indésirable que votre enfant a eu avec l'odevixibat ou à la suite de nouvelles données relatives à l'efficacité ou à la tolérance de l'odevixibat, ou encore après obtention du remboursement.

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

Il est également possible que le médecin mette fin à la participation de votre enfant à ce programme, sans avoir à vous demander votre autorisation, parce qu'il estime que c'est mieux pour sa santé.

Garantie de confidentialité

Afin de pouvoir mener à bien ce programme, il est nécessaire de partager les données médicales de votre enfant avec d'autres personnes que le médecin traitant. Ce formulaire de consentement décrit comment ses données médicales personnelles seront utilisées et à qui elles seront partagées.

L'identité de votre enfant et sa participation à ce programme resteront strictement confidentielles. Son identité ne sera pas divulguée par son nom ou de toute autre manière reconnaissable dans les dossiers de ce programme. Le médecin cryptera ses données personnelles afin qu'elles restent confidentielles pour la personne en charge du programme.

Vous avez le droit de demander au médecin quelles sont les données qu'il a recueillies à sujet de votre enfant et à quoi elles servent dans le cadre du programme. Vous avez le droit de consulter ces données et de les faire corriger si elles sont incorrectes. Ces droits vous sont garantis par le règlement général européen sur la protection des données du 27 avril 2016 (en application depuis le 25 mai 2018) et par la loi belge du 30 juillet 2018 relative à la protection de la vie privée à l'égard des traitements de données à caractère personnel et par la loi belge du 22 août 2002 relative aux droits du patient. Vous avez également le droit d'introduire une plainte concernant le mode de traitement de vos données auprès de l'autorité Belge de contrôle chargée de veiller au respect de la législation sur la protection des données : Autorité de protection des données (APD) – Rue de la Presse 35 – 1000 Bruxelles – e-mail : contact@apd-gba.be – Site web : <https://www.autoriteprotectiondonnees.be>.

Le médecin et son équipe sont tenus de respecter la confidentialité des données recueillies. Cela signifie qu'il s'engage à ne jamais divulguer le nom de votre enfant aux représentants du responsable du programme (votre identité sera remplacée par un code d'identification avant qu'il ne la transmette aux représentants du responsable du programme). Ainsi, les informations que le médecin transmet aux représentants du responsable du programme ne comprennent pas de données permettant d'identifier directement votre enfant, telles que son nom, son adresse ou d'autres informations.

Ses données personnelles sont stockées dans des bases de données à accès limité. L'accès à toutes les informations est restreint et n'est autorisé que dans les cas indiqués dans le présent document. Des mesures ont été prises pour réduire le risque de mauvaise utilisation ou d'accès à les informations personnelles de votre enfant par des personnes non autorisées. Toutefois, ces risques ne peuvent être éliminés.

L'administrateur des données de recherche, désigné par le Responsable du programme, ne peut pas identifier votre enfant sur la base des données transférées. Le Gestionnaire du programme est responsable de la collecte des données recueillies par tous les médecins participant au programme et du traitement et de la protection de ces données conformément à la loi belge sur la protection des données et au Règlement général sur la protection des données (2016/679).

Les données codées peuvent être transmises aux autorités réglementaires belges ou autres, aux comités d'éthique compétents, à d'autres médecins et/ou institutions et partenaires travaillant avec le responsable de ce programme. Ces organismes sont également tenus au secret professionnel et, en tout état de cause, cela ne peut se faire que sous la responsabilité du médecin traitant et sous le contrôle d'un de ses confrères désignés.

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

Les données peuvent également être transmises dans d'autres pays où les normes de protection des données personnelles peuvent être différentes ou moins strictes. Dans ce cas, le responsable du programme s'engage à respecter les conditions prévues par le règlement général sur la protection des données (RGPD) et la législation belge sur la protection de la vie privée.

Si vous avez des questions sur le traitement de les données personnelles de votre enfant ou si vous souhaitez exercer les droits susmentionnés, veuillez contacter le délégué à la protection des données (dont la liste figure sur la première page du présent document). Cette personne peut ensuite contacter le responsable du traitement des données, si nécessaire.

Outre les droits susmentionnés, vous avez également le droit de déposer une plainte auprès de l'autorité compétente en matière de protection des données.

Si vous retirez votre consentement à participer au programme, les données codées déjà collectées avant votre retrait seront utilisées.

Aucune nouvelle donnée ne peut être transmise à la personne en charge du programme, sauf si cela est nécessaire pour maintenir l'intégrité du programme.

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

Titre du programme : L'utilisation de l'odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus, dans le cadre d'un programme médical d'urgence (PMU).

II Consentement éclairé

Parent ou tuteur

- Je déclare avoir été informé(e) de la nature, du but, de la durée, des avantages et des risques éventuels du programme. J'ai pris connaissance des informations ci-dessus.
- J'ai eu suffisamment de temps pour réfléchir et parler à une personne de mon choix, comme mon médecin traitant ou un membre de ma famille.
- J'ai pu poser toutes les questions qui me venaient à l'esprit et j'ai obtenu une réponse claire.
- Je comprends que la participation de mon enfant à ce programme est volontaire et que je suis libre de mettre fin à sa participation à ce programme sans préjudice de ma relation avec l'équipe thérapeutique responsable de sa santé.
- Je comprends que pendant la participation de mon enfant à ce programme, des informations lui concernant seront collectées et que le médecin et le responsable du programme assureront la confidentialité de ces informations conformément à la législation belge en vigueur. (Ce consentement éclairé reste entre les mains du médecin responsable afin de garantir la confidentialité et l'anonymat.)
- J'autorise l'utilisation et le traitement de les données de santé personnelles de mon enfant comme décrit dans ce consentement éclairé.
- J'ai reçu une copie de ce consentement éclairé.
- J'accepte que le médecin traitant et/ou d'autres spécialistes responsables de la santé de mon enfant soient informés de sa participation à ce programme.

Signature des parents

Nom

Prénom

Date

Signature du parent (père)

Nom

Prénom

Date

Signature du parent (mère)

Signature du tuteur

Nom

Prénom

Date

Signature du tuteur

Consentement éclairé_PMU odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Version 2.0 de 14/06/2023

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le parent ou le tuteur

Docteur

Nom	Prénom	Date	Signature du médecin

Témoin impartial

La signature d'un témoin impartial est requise si la personne ou son ou ses représentants légaux ne savent pas lire.

J'ai été présent pendant tout le processus d'information du patient et je confirme que les informations sur le programme ont été expliquées de manière adéquate, que le participant (ou son représentant légal) a compris le programme et que le consentement à participer au programme a été donné librement.

-----		-----
Nom	Prénom	Qualification du témoin
-----		-----
Date	Signature du témoin impartial	

**Geïnfomeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Formulier voor geïnfomeerde toestemming van de ouder of voogd

Titel van het programma: Het gebruik van odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Verantwoordelijk voor het programma:

Albireo, an Ipsen company,, in België vertegenwoordigd door Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Ierland.

Commissie voor Medische Ethiek: Cliniques Universitaires St.-Luc

Adres: Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 - 1200 Bruxelles

e-mail: commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TEL: 02/ 764 55 14

Contactgegevens van de ombudsman voor de klinieken van Saint-Luc:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Behandelend arts: *Gelieve de volgende informatie in te vullen alvorens ze aan de patiënt te geven*

Naam:

Adres van het ziekenhuis:

.....
.....

Contactnummer:

Alarmnummer:

Contactnummer in geval van vragen over dit programma:

.....

Contactgegevens van de functionaris voor gegevensbescherming van het ziekenhuis:

.....

Contactgegevens van de ombudsman van het Centrum:

.....

I. Informatie die nodig is voor uw beslissing om deel te nemen

Inleiding

Uw arts stelt een behandeling met odevixibat voor de aandoening van uw kind, omdat uw arts van mening is dat hij/zij niet meer optimaal kan worden behandeld met een of meer geneesmiddelen die momenteel op de Belgische markt beschikbaar zijn. Uw arts stelt daarom voor om Albireo, an Ipsen company, te vragen om aan uw kind het geneesmiddel odevixibat te mogen geven in het kader van dit medische noodzaak programma. Albireo, an Ipsen

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de ouder of voogd

company, zal het geneesmiddel gratis ter beschikking stellen in het kader van deze aanvraag. Uw arts is volledig verantwoordelijk voor deze behandeling met odevixibat.

Voordat u een beslissing neemt over de deelname van uw kind aan dit medische noodzaak programma, willen wij u graag informeren over wat dit in organisatorisch opzicht betekent en wat de mogelijke voordelen en risico's voor uw kind zijn. Zo kunt u op basis van de juiste informatie een beslissing nemen. Dit wordt "geïnformeerde toestemming" genoemd.

Lees de volgende pagina's informatie zorgvuldig door. Als u vragen heeft, neem dan contact op met uw arts of zijn/haar vertegenwoordiger. Dit document bestaat uit 2 delen: essentiële informatie die u nodig hebt om uw beslissing te nemen en uw schriftelijke toestemming.

Als u aan dit programma deelneemt, moet u het volgende weten:

- De deelname van uw kind is vrijwillig; er kan op geen enkele wijze sprake zijn van dwang. Uw ondertekende toestemming is vereist om uw kind te laten deelnemen. Ook nadat u uw handtekening heeft gezet, kunt u de arts laten weten dat u wilt stoppen met de deelname van uw kind. De beslissing om wel of niet (verder) deel te nemen zal geen negatieve gevolgen hebben voor de kwaliteit van de zorg van uw kind of voor uw relatie met de arts.
- Dit programma wordt gelanceerd na evaluatie door een ethisch comité.
- De gegevens die in het kader van uw kind deelname worden verzameld, zullen door uw arts strikt vertrouwelijk worden behandeld. In geen geval zal Albireo, an Ipsen company, gegevens ontvangen die het mogelijk zouden maken uw kind te identificeren.
- Als u aanvullende informatie nodig hebt, kunt u altijd contact opnemen met de arts of een lid van zijn/haar team.

Informatie over het geneesmiddel

Odevixibat is een geneesmiddel dat reeds op 16 juli door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) werd goedgekeurd voor de behandeling van progressieve familiale intrahepatische cholestase (PFIC). De goedkeuring van het EMA werd verleend op basis van de resultaten van de klinische fase 3-studies PEDFIC1 (A4250-005) en PEDFIC2 (A4250-008), die aantoonde dat odevixibat doeltreffend en veilig is voor de behandeling van PFIC-patiënten. Odevixibat is momenteel ingediend voor terugbetaling in België voor deze indicatie.

De vergunning voor het in de handel brengen voor de indicatie Alagille is ingediend bij het EMA en de goedkeuring van het EMA wordt in de komende maanden verwacht. De werkzaamheid van odevixibat bij patiënten met ALGS werd aangetoond in de fase 2-studie A4250-003 en in twee fase 3-studies: ASSERT en ASSERT-EXT. Via dit medische noodzaak programma kunnen artsen beslissen om patiënten met het syndroom van Alagille te behandelen met odevixibat, zonder te moeten wachten op de goedkeuring van het EMA en de terugbetaling in België.

Odevixibat behoort tot de farmacotherapeutische groep die gal- en levertherapie wordt genoemd, andere geneesmiddelen voor galtherapie. De merknaam van odevixibat is Bylvay®.

Bylvay bevat de werkzame stof odevixibat. Odevixibat is een geneesmiddel dat de verwijdering van stoffen die galzuren worden genoemd uit het lichaam verhoogt. Galzuren zijn bestanddelen van de spijsverteringsvloeistof die gal wordt genoemd, die door de lever wordt geproduceerd en in de darmen wordt uitgescheiden. Odevixibat blokkeert het mechanisme dat deze stoffen normaal gesproken weer uit de darmen absorbeert nadat ze hun werk hebben gedaan. Hierdoor kunnen ze via de ontlasting het lichaam verlaten.

Geïnformeerde toestemming _MNP odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Versie 2.0 van 14/06/2023

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de ouder of voogd

Door de verhoging van systemische galzuren te verminderen, kan odevixibat de pruritus verminderen, de leverfunctie verbeteren en de progressie van leverschade bij patiënten met ALGS wijzigen. Odevixibat heeft een minimale systemische blootstelling bij de voorspelde therapeutische dosisbereiken.

Odevixibat wordt beschikbaar gesteld als harde capsules die 's ochtends oraal moeten worden ingenomen in de aanbevolen dosering van 40 microgram odevixibat per kilogram lichaamsgewicht eenmaal daags (40 mcg/kg/dag). Als het geneesmiddel na 3 maanden nog niet goed genoeg werkt, kan uw arts de dosis verhogen tot 120 microgram odevixibat per kilogram lichaamsgewicht (120 mcg/kg/dag).

Er zijn vier soorten capsules, met verschillende doseringen: 200 mcg, 400 mcg, 600 mcg en 1200 mcg. De capsules van 200 mcg en 600 mcg zijn bedoeld om te worden geopend en over voedsel te worden gestrooid, maar mogen in hun geheel worden doorgeslikt. De capsules van 400 mcg en 1200 mcg zijn bedoeld om in hun geheel te worden doorgeslikt, maar mogen worden geopend en over voedsel worden gestrooid. Odevixibat kan met of zonder voedsel worden ingenomen.

Voortgang van het programma

Om aan dit programma te kunnen deelnemen, moet uw kind aan verschillende criteria voldoen die zijn/haar behandelend arts zal controleren. Als uw kind aan alle criteria voldoet en u het geïnformeerde toestemmingsformulier hebt ondertekend, zal het geneesmiddel odevixibat door Albireo, an Ipsen company, worden verstrekt.

Uw kind zult odevixibat ontvangen als onderdeel van dit medische noodzaak programma zolang zijn/haar behandelend arts van mening is dat uw kind er baat bij zult hebben, of totdat odevixibat in België wordt terugbetaald.

Risico's en ongemakken

Alle informatie over de combinatie van odevixibat met andere geneesmiddelen en over de mogelijke bijwerkingen is te vinden in het protocol en in de informatie voor publicatie van dit programma. Gelieve deze met uw arts door te nemen.

Enkele specifieke punten waarmee tijdens de behandeling rekening moet worden gehouden, worden hier opgesomd:

Voor dit programma wordt een experimenteel geneesmiddel gebruikt. Elk geneesmiddel voor onderzoek brengt risico's met zich mee, waaronder dingen waardoor uw kind zich onwel of ongemakkelijk kan voelen of waardoor uw kind schade kan oplopen. Uw kind kan tijdens deelname aan het programma nadelige gezondheidseffecten ondervinden die verband houden met het geneesmiddel. Iedereen die aan het programma deelneemt, wordt gecontroleerd op eventuele nadelige gezondheidseffecten; de arts en verpleegkundigen kennen echter niet alle effecten die dit nieuwe medicijn op uw kind kan hebben. Deze effecten kunnen mild, matig of ernstig zijn. Hoewel we niet verwachten dat dit het geval zal zijn, bestaat de mogelijkheid dat een bepaald nadelig gezondheidseffect langdurig, blijvend of zelfs levensbedreigend is.

Op 03 juli 2022 werden ongeveer 457 proefpersonen (mensen) gedoseerd met odevixibat als deelnemers aan Fase 1, 2 en 3 door Albireo gesponsorde studies, waaronder 113 patiënten met PFIC. Studies bij patiënten met ALGS en Biliary Atresia (BA) zijn aan de gang, maar op

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de ouder of voogd

basis van het veiligheidsprofiel in de lopende studies werden geen nieuwe veiligheidssignalen geïdentificeerd.

Diarree (losse of frequente ontlasting) is gemeld als een veel voorkomende bijwerking bij gebruik van odevixibat. Diarree kan leiden tot uitdroging (dorst) en mogelijk tot een verstoorde elektrolytenbalans (chemische stoffen in uw bloed). Patiënten moeten regelmatig worden gecontroleerd om te zorgen voor voldoende hydratatie (bijv. drinken van vloeistoffen) tijdens episodes van diarree.

Patiënten met ernstige leverfunctiestoornissen (leverproblemen) zijn niet onderzocht. Periodieke leverfunctietests (het van tijd tot tijd testen van de gezondheid van uw lever) moeten worden overwogen voor patiënten met ernstige leverfunctiestoornissen (leverproblemen).

In klinische studies werden verhoogde niveaus in leverfunctietests waargenomen (gezien) bij sommige patiënten die odevixibat kregen. Beoordeling (bloedafname om te analyseren) van leverfunctietests (ALT, AST, GGT, ALP en totaal bilirubine, stoffen die door de lever worden geproduceerd en die met een bloedtest kunnen worden gemeten) wordt aanbevolen voor alle patiënten voorafgaand aan de start van odevixibat, met controle volgens standaard klinische praktijk (de gebruikelijke zorgpraktijk van uw arts). Voor patiënten met verhoogde leverfunctietesten moet frequentere controle worden overwogen.

Behandeling met odevixibat kan invloed hebben op de absorptie (hoe uw lichaam het opneemt) van vetoplosbare geneesmiddelen, waaronder lipofiele (vetoplosbare) orale anticonceptiva en vitaminen. Behandeling met odevixibat kan invloed hebben op de absorptie (hoe uw lichaam absorbeert) van vetoplosbare vitaminen zoals vitamine A, D en E, en sommige geneesmiddelen, waaronder orale anticonceptiva (anticonceptiepillen). Beoordeling van vetoplosbare vitaminespiegels (vitamine A, D, E) en INR (test om te zien hoe goed uw bloed stolt) worden aanbevolen voor alle patiënten voorafgaand aan het starten van odevixibat, met controle volgens standaard klinische praktijk (de gebruikelijke zorgpraktijk van uw arts).

De meest voorkomende 'treatment emergent adverse events' (TEAE's, dit zijn bijwerkingen die optreden na toediening van odevixibat en die niet noodzakelijkerwijs gerelateerd waren aan odevixibat) waren pyrexie (koorts) (27%); infectie van de bovenste luchtwegen (24%); diarree (20%); verhoogd bilirubinegehalte in het bloed (door de lever geproduceerde stof die kan worden gemeten met een bloedtest) (18%); ALT verhoogd (door de lever geproduceerde stof die met een bloedtest kan worden gemeten) en hoest (elk 16%); braken en buikpijn (elk 13%); en nasofaryngitis (verkoudheid), pruritus (jeuk) en INR verhoogd (bloedstollingsmaatstaf) (11%).

De bijwerkingen die geacht worden verband te houden met odevixibat bij kinderen met PFIC staan hieronder vermeld. In deze rubriek worden de volgende termen gebruikt:

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de ouder of voogd

Zeer vaak: komt voor bij meer dan 1 op de 10 gebruikers

Vaak: komt voor bij 1 tot 10 op de 100 gebruikers

Soms: komt voor bij 1 tot 10 op de 1000 gebruikers

Zeldzaam: treft 1 tot 10 op de 10.000 gebruikers

Zeer zelden: treft minder dan 1 op de 10.000

Zeer vaak: geen

Vaak:

Diarree (losse of frequente ontlasting) - 7%

Buikpijn - 4%

Diarree (losse of frequente ontlasting met bloeding) 1%

Zachte ontlasting - 1%

Hepatomegalie (vergroete lever) - 2%

Soms: Geen

Zelden: Geen

Zeer zelden: Geen

Het is belangrijk dat u de arts op de hoogte stelt van eventuele nadelige veranderingen in de gezondheid van uw kind zodra deze zich voordoen, ongeacht of u denkt dat ze worden veroorzaakt door het studiegeneesmiddel of niet.

Risico's van procedures: Risico's en ongemakken die uw kind kan ondervinden van de programmaprocedures zijn onder andere de volgende:

- Bloedafname: Een bloedafname kan flauwte, ontsteking van de ader, pijn, blauwe plekken, zwelling of bloeding op de prikplaats veroorzaken. Er is ook een kleine kans op infectie. In zeer zeldzame gevallen is er een risico op een bloedstolsel of zenuwbeschadiging na de bloedafname. Als je kind ongemak ondervindt van het bloedprikken, kan er voor het onderzoek plaatselijke verdovende crème op de injectieplaats worden gebruikt.

- Vasten: Vasten kan duizeligheid, hoofdpijn, maagklachten of flauwvallen veroorzaken.

Andere risico's: Omdat odevixibat een experimenteel geneesmiddel is voor de behandeling van ALGS, kunnen er andere risico's zijn die onbekend zijn. Alle geneesmiddelen hebben het potentiële risico op een allergische reactie die, indien niet onmiddellijk behandeld, levensbedreigend kan worden. U moet onmiddellijk medische hulp zoeken als u denkt dat uw kind een van de volgende symptomen van een ernstige allergische reactie heeft: ademhalingsmoeilijkheden of zwelling van het gezicht, mond, lippen, tandvlees, tong of nek. Andere symptomen van een allergische reactie zijn huiduitslag, netelroos of blaren. Je moet

Geïnformeerde toestemming _MNP odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Versie 2.0 van 14/06/2023

Geïnfomeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnfomeerde toestemming van de ouder of voogd

de programmadookter op de hoogte stellen van allergieën die je kind heeft of eerdere allergische reacties op medicijnen of voedsel.

Risico's in verband met zwangerschap en borstvoeding

De effecten van odevixibat op een ongeboren baby zijn onbekend. Omdat de risico's met betrekking tot zwangerschap niet te voorspellen zijn, is het belangrijk dat uw kind tijdens het programma de anticonceptiemethoden gebruikt die worden aanbevolen door de arts van het programma.

U moet het de arts van het programma onmiddellijk vertellen als uw kind zwanger wordt of als zijn partner zwanger wordt terwijl uw kind deelneemt aan het programma.

Als uw kind zwanger wordt, wordt de behandeling met het programmageneesmiddel onmiddellijk gestopt. U wordt gevraagd om informatie te geven over de algemene gezondheid van uw kind en de uitkomst van de zwangerschap en het klinische beloop van de zuigeling tot 2 jaar na de bevalling.

Als je kind een man is en zijn partner zwanger wordt tijdens de duur van het programma, vragen we om informatie over de uitkomst van de zwangerschap en het klinische beloop van het kind tot twee jaar na de bevalling.

Het is niet bekend of odevixibat kan overgaan in de moedermelk en invloed kan hebben op de baby. Uw arts zal u helpen beslissen of uw kind moet stoppen met borstvoeding of de behandeling met odevixibat moet vermijden, rekening houdend met het voordeel van borstvoeding voor de baby en odevixibat voor de moeder.

Uw arts zal de bijwerkingen die u meldt om veiligheidsredenen verzamelen. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden aan het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten, Afdeling Vigilantie, Eurostation II, Victor Horta Square 40/40, B-1060 Brussel (www.fagg.be of patientinfo@fagg-afmps.be).

Kennisgeving van nieuwe informatie

Tijdens de deelname van uw kind aan dit programma kan belangrijke nieuwe informatie over het betrokken geneesmiddel beschikbaar komen. Uw arts zal u op de hoogte brengen van alle nieuwe belangrijke informatie die van invloed kan zijn op uw beslissing om verder deel te nemen aan dit programma.

Stopzetting van deelname

De deelname van uw kind is vrijwillig. U hebt het recht om zijn/haar deelname aan dit programma om welke reden dan ook en zonder opgave van redenen te beëindigen. Deze beslissing zal geen invloed hebben op de verdere medische behandeling van uw kind.

De behandelend arts van uw kind, de Medisch Ethische Commissie of de verantwoordelijke van het programma kunnen zijn/haar deelname aan het programma op elk moment stopzetten zonder uw toestemming te vragen. Deze beslissing kan het gevolg zijn van een bijwerking van

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de ouder of voogd

odevixibat bij uw kind of van nieuwe gegevens over de werkzaamheid of de tolerantie van odevixibat, of na het verkrijgen van een vergoeding.

Het is ook mogelijk dat de arts de deelname van uw kind aan dit programma stopzet, zonder uw toestemming te vragen, omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor zijn/haar gezondheid.

Vertrouwelijkheidsgarantie

Om dit programma goed te kunnen uitvoeren, is het nodig dat de medische gegevens van uw kind worden gedeeld met anderen personen dan de behandelend arts. Dit toestemmingsformulier beschrijft hoe de persoonlijke gezondheidsgegevens van uw kind zullen worden gebruikt en aan wie ze zullen worden meegegeed.

De identiteit van uw kind en zijn/haar deelname aan dit programma zullen strikt vertrouwelijk worden behandeld. Zijn/haar identiteit zal niet met naam of op enige andere herkenbare wijze bekend worden gemaakt in de verslagen van dit programma. De arts zal de persoonlijke gegevens van uw kind coderen om ervoor te zorgen dat deze vertrouwelijk blijven voor de persoon die met de leiding van het programma is belast.

U heeft het recht om de arts te vragen welke gegevens hij over uw kind heeft verzameld en waarvoor deze in het kader van het programma worden gebruikt. U hebt het recht deze gegevens in te zien en te laten corrigeren als ze onjuist zijn. Deze rechten worden u gegarandeerd door de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming van 27 april 2016 (van kracht sinds 25 mei 2018) en door de Belgische wet van 30 juli 2018 tot bescherming van de persoonlijke levenssfeer ten opzichte van de verwerking van persoonsgegevens en door de Belgische wet van 22 augustus 2002 betreffende de rechten van patiënten. U hebt ook het recht om een klacht in te dienen over de manier waarop uw gegevens worden verwerkt bij de Belgische toezichthoudende autoriteit die toeziet op de naleving van de wetgeving inzake gegevensbescherming: Gegevensbeschermingsautoriteit (GBA) - Drukpersstraat 35 - 1000 Brussel - e-mail: contact@apd-gba.be Website: <https://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be>.

De arts en zijn team zijn verplicht de verzamelde gegevens vertrouwelijk te behandelen. Dat betekent dat hij zich ertoe verbindt de naam van uw kind nooit bekend te maken aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke voor het programma (de identiteit van uw kind wordt vervangen door een identificatiecode voordat hij ze doorgeeft aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke voor het programma). De informatie die de arts doorgeeft aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke voor het programma bevat dus geen gegevens die uw kind rechtstreeks kunnen identificeren, zoals zijn/haar naam, adres of andere informatie.

De persoonsgegevens van uw kind worden opgeslagen in databanken met beperkte toegang. De toegang tot alle informatie is beperkt en alleen toegestaan zoals vermeld in dit document. Er zijn maatregelen genomen om het risico van misbruik van of toegang tot de persoonsgegevens van uw kind door onbevoegden te beperken. Deze risico's kunnen echter niet worden uitgesloten.

De beheerder van de onderzoeksgegevens, aangesteld door de Programmamanager, kan uw kind niet identificeren op basis van de overgedragen gegevens. De Programmamanager is verantwoordelijk voor het verzamelen van de gegevens die worden verzameld door alle artsen die deelnemen aan het Programma en voor het verwerken en beschermen van die gegevens in overeenstemming met de Belgische Wet Bescherming Persoonsgegevens en de Algemene Verordening Gegevensbescherming (2016/679).

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de ouder of voogd

De gecodeerde gegevens kunnen worden doorgegeven aan de Belgische of andere regelgevende instanties, aan de bevoegde ethische comités, aan andere artsen en/of instellingen en partners die samenwerken met de persoon die verantwoordelijk is voor dit programma. Deze instanties zijn eveneens gebonden door het beroepsgeheim, en in ieder geval kan dit enkel gebeuren onder de verantwoordelijkheid van de behandelende arts en onder toezicht van een van zijn aangestelde collega's.

De gegevens kunnen ook worden verstrekt in andere landen waar de normen voor de bescherming van persoonsgegevens anders of minder streng kunnen zijn. In dat geval verbindt de verantwoordelijke van het programma zich ertoe de voorwaarden van de Algemene verordening gegevensbescherming (AVG) en de Belgische wetgeving inzake de bescherming van de persoonlijke levenssfeer na te leven.

Indien u vragen hebt over de verwerking van de persoonsgegevens van uw kind of de bovengenoemde rechten wenst uit te oefenen, kunt u contact opnemen met de functionaris voor gegevensbescherming (zie de lijst op de eerste bladzijde van dit document). Deze persoon kan vervolgens contact opnemen met de verantwoordelijke voor de verwerking van de gegevens, indien nodig.

Naast de bovengenoemde rechten hebt u ook het recht om een klacht in te dienen bij de bevoegde gegevensbeschermingsautoriteit.

Indien u uw toestemming om aan het programma deel te nemen intrekt, zullen de gecodeerde gegevens die reeds vóór uw intrekking waren verzameld, worden gebruikt.

Aan de voor het programma verantwoordelijke persoon mogen geen nieuwe gegevens worden verstrekt, tenzij dit nodig is om de integriteit van het programma te handhaven.

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de ouder of voogd

Titel van het programma: Het gebruik van odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

II Geïnformeerde toestemming

Ouder of voogd

- Ik verklaar dat ik ben geïnformeerd over de aard, het doel, de duur, de mogelijke voordelen en risico's van het programma. Ik heb nota genomen van de bovenstaande informatie.
- Ik heb genoeg tijd gehad om na te denken en te praten met een persoon van mijn keuze, zoals mijn huisarts of een familielid.
- Ik kon alle vragen stellen die in me opkwamen en ik kreeg een duidelijk antwoord.
- Ik begrijp dat de deelname van mijn kind aan dit programma vrijwillig is en dat het mij vrij staat zijn/haar deelname aan dit programma te beëindigen zonder afbreuk te doen aan mijn relatie met het therapeutisch team dat verantwoordelijk is voor mijn kind gezondheid.
- Ik begrijp dat tijdens de deelname van mijn kind aan dit programma informatie over hem/haar zal worden verzameld en dat de arts en de verantwoordelijke voor het programma de vertrouwelijkheid van deze informatie zullen verzekeren in overeenstemming met de relevante Belgische wetgeving. (Deze geïnformeerde toestemming blijft bij de behandelende arts om de vertrouwelijkheid en anonimiteit te garanderen.)
- Ik geef toestemming voor het gebruik en de verwerking van mijn kind persoonlijke gezondheidsgegevens zoals beschreven in deze geïnformeerde toestemming.
- Ik heb een kopie van deze geïnformeerde toestemming ontvangen.
- Ik ga ermee akkoord dat mijn huisarts en/of andere specialisten die verantwoordelijk zijn voor mijn kind gezondheid op de hoogte worden gebracht van zijn/haar deelname aan dit programma.

Handtekening van de ouders

-----	-----	-----	-----
Naam	Voornaam	Datum	Handtekening van de ouder (vader)
-----	-----	-----	-----
Naam	Voornaam	Datum	Handtekening van de ouder (moeder)

**Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de ouder of voogd

Handtekening van de voogd

-----	-----	-----	-----
Naam	Voornaam	Datum	Handtekening van de voogd

Dokter

-----	-----	-----	-----
Naam	Voornaam	Datum	Handtekening van de dokter

Onpartijdige getuige

De handtekening van een onpartijdige getuige is vereist indien de betrokkene of zijn wettelijke vertegenwoordiger(s) niet kan (kunnen) lezen.

Ik ben aanwezig geweest bij het gehele proces van het verstrekken van informatie aan de patiënt en ik bevestig dat de informatie over het programma naar behoren is uitgelegd, dat de deelnemer (of zijn/haar wettelijke vertegenwoordiger) het programma heeft begrepen en dat de toestemming om aan het programma deel te nemen vrijelijk is gegeven.

-----	-----	-----
Naam	Voornaam	Kwalificatie van de getuige
-----	-----	-----
Datum	Handtekening van de onpartijdige getuige	

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 6-11 years old

Programme title: The use of odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older, through a medical need programme (MNP).

Responsible for the programme:

Albireo, an Ipsen company, represented in Belgium by Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Ireland.

Committee for Medical Ethics: Cliniques Universitaires St.-Luc

Address: Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 – 1200 Bruxelles

e-mail: commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TEL: 02/ 764 55 14

Contact details of the mediator for the Saint-Luc clinics:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Treating physician: *Please complete the following information before providing it to the patient*

Name:

Hospital address:

.....
.....

Contact number:

Emergency number:

Contact number in case of questions related to this programme:

.....

Contact details of the hospital's data protection officer:

.....

Contact details of the mediator of the centre:

.....

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 6-11 years old

You can ask your parent(s)/guardian(s) to read this assent form to you. Please ask someone to explain anything that you do not understand.

Invitation to join the program

Your doctor believes that this new drug called odevixibat (A4250) can help children like you that are feeling sick because of a problem with their liver.

What is the purpose of this program?

This program is for people with ALGS who cannot get access to the drug through a clinical study. Odevixibat has already been tested in some children with ALGS. The doctors and nurses will explain the program to you. They will answer all your questions.

What will happen to me if I take part in the program?

The program starts with a doctor's appointment and some tests, for example blood tests. The program doctor will review your medical records and results from previous tests you had.

Once you and your parent(s)/guardian(s) agree for you to be in the program, you will have additional tests. You will have more blood draws for different tests and if you are a girl you will have a pregnancy test.

Some of the tests that you will have when you come to the doctor's office for program visits are described further below:

- Blood draws to check your health may require fasting: Some blood tests are only accurate if they are done after fasting. Fasting means going without food or drinks other than water for a certain number of hours. Before you come for the program visits you need to fast for at least 4 hours.
- Pregnancy test for girls: If you are a girl and are old enough to have a baby, then you should read this part. If you have started your periods, you will have blood tested to be sure you are not pregnant.

What is the medicine like?

You will be given the new drug called odevixibat. Your program doctor will tell you and your parent(s)/guardian(s) how many capsules you should take, depending on your weight and how well you tolerate the medicine.

What will I have to do?

Please try to do what the program doctor or nurse tells you to do.

Remember to tell your parent(s)/guardian(s) and the doctor how you are feeling, especially if something makes you feel bad, afraid, sick or uncomfortable.

Do I have to take part?

It is your choice if you want to be in this program or not. You can say "no" even if your parent(s)/guardian(s) want you to take part. If you say "yes" now to being in the program, and you change your mind about it later, you can stop being in the program. No one will be angry if you say "no" or decide to stop being in the program. Just tell the doctor or your parent(s)/guardian(s) if you want to stop at any time. You do not have to be in this program to get help from the doctors and nurses for your itching or liver problem.

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 6-11 years old

Will taking part help me?

You may or may not feel better while you are taking part in the program. Taking part in the program may provide information about the new drug, which may mean a better drug can be available in the future.

Will the new drug hurt me?

Program doctors, nurses and other people think that it is safe for children to take the new drug. It is not likely that something will go wrong because you are in the program but no one is sure. Many grown-ups and children have taken odevixibat. Odevixibat could cause runny poo or pain in your stomach. There is a risk that your itching could get worse if the new drug does not work.

Will facts about me be kept private?

Yes, your information will be kept private. Nobody except the doctors and nurses who look after you at the hospital/clinic and some people from the company that makes the new drug or other companies helping with the program will know anything about you.

Who has checked if the program is safe?

The medical need program was notified to the Federal Agency for Medicines and Health Products of Belgium and they have not objected to the implementation of the medical need program.

Who will answer my questions about the program?

The program doctor or nurses working on the program at the hospital/clinic will answer all of your questions. You can also ask your parent(s)/guardian(s) and they will talk to the doctors or nurses.

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 6-11 years old

II Informed consent

Participant

You will get a signed and dated copy of this document.

1	I have read about the program or somebody has told me about it.
2	I know that I do not have to take part if I do not want to.
3	I understand what this program is about.
4	I want to take part in this program.
5	All my questions were answered.

If you **do not** want to take part in this program, do not write your name below.

If you **do** want to take part, write your name and today's date here.

If you do not like writing, you could draw a smiley face and someone else can write your name and date for you.

Your name and surname: _____

Today's date: _____

Active assent should be obtained whenever appropriate and possible.

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 6-11 years old

Statement of person conducting assent discussion:

- I have explained all aspects of the program to the patient to the best of his or her ability to understand.
- I have answered all the questions of the patient relating to this program.
- The subject agrees to be in the program.
- I believe the subject's decision to enroll is voluntary.
- The program doctor and program staff agree to respect the subject's physical or emotional dissent at any time during this program when that dissent pertains to anything being done solely for the purpose of this program.

Signature of Physician/person who explained the program

Date (dd/Mmm/yyyy)

Printed name of Physician/person who explained the program

**Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale
odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome
d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.**

Formulaire d'assentiment: 6-11 ans

Titre du programme : L'utilisation de l'odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus, dans le cadre d'un programme médical d'urgence (PMU).

Responsable du programme :

Albireo, an Ipsen company,, représentée en Belgique par Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Irlande.

Comité d'éthique médicale : Cliniques Universitaires St.-Luc

Adresse : Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 - 1200 Bruxelles

e-mail : commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TÉL : 02/ 764 55 14

Coordonnées du médiateur du centre pour les cliniques Saint-Luc:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Médecin traitant : *Veillez compléter les informations suivantes avant de les fournir au patient*

Nom :

Adresse de l'hôpital :

.....

.....

Numéro de contact :

Numéro d'urgence :

Numéro de contact en cas de questions relatives à ce programme :

.....

Coordonnées du responsable de la protection des données de l'hôpital :

.....

Coordonnées du médiateur du centre :

.....

Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire d'assentiment: 6-11 ans

Tu peux demander à tes parents/tuteurs de te lire ce formulaire d'assentiment. Demande à quelqu'un de t'expliquer tout ce que tu ne comprends pas.

Invitation à rejoindre le programme

Ton médecin pense que ce nouveau médicament appelé odevixibat (A4250) peut aider les enfants comme toi qui se sentent malades à cause d'un problème de foie.

Quel est le but de ce programme ?

Ce programme est destiné aux personnes atteintes d'ALGS qui ne peuvent pas avoir accès au médicament dans le cadre d'une étude clinique. L'odevixibat a déjà été testé chez certains enfants atteints d'ALGS. Les médecins et les infirmières t'expliqueront le programme. Ils répondront à toutes tes questions.

Que va-t-il m'arriver si je participe au programme ?

Le programme commence par un rendez-vous chez le médecin et quelques tests, par exemple des analyses de sang. Le médecin du programme examinera ton dossier médical et les résultats des tests précédents que tu avais subis.

Une fois que tes parent(s)/tuteur(s) et toi aurez donné leur accord pour que tu participes au programme, tu passeras des tests supplémentaires. On te fera d'autres prises de sang pour différents tests et si tu es une fille, tu feras un test de grossesse.

Certains des tests que tu passeras lorsque tu viendras au cabinet du médecin pour des visites de programme sont décrits plus loin :

- Les prises de sang pour vérifier ton état de santé peuvent nécessiter un jeûne : Certaines prises de sang ne sont précises que si elles sont effectuées après un jeûne. Jeûner signifie se priver de nourriture ou de boissons autres que l'eau pendant un certain nombre d'heures. Avant de te rendre aux visites du programme, tu dois jeûner pendant au moins 4 heures.
- Test de grossesse pour les filles : Si tu es une fille et que tu es en âge d'avoir un bébé, tu devrais lire cette partie. Si tu as commencé à avoir tes règles, on te fera passer un test sanguin pour s'assurer que tu n'es pas enceinte.

Comment est le médicament ?

On te donnera le nouveau médicament appelé odevixibat. Votre médecin du programme vous indiquera, ainsi qu'à vos parents ou tuteurs, le nombre de gélules à prendre, en fonction de votre poids et de votre tolérance au médicament.

Que vais-je devoir faire ?

Essai de faire ce que le médecin ou l'infirmière du programme te dit de faire.

N'oublie pas de dire à tes parents/tuteurs et au médecin comment tu te sens, surtout si quelque chose te fait sentir mal, si tu as peur, si tu es malade ou si tu es mal à l'aise.

Suis-je obligé de participer ?

C'est à toi de décider si tu veux participer à ce programme ou non. Tu peux dire "non" même si tes parents/tuteurs veulent que tu y participes. Si tu dis "oui" maintenant à ce programme et que tu changes d'avis plus tard, tu peux arrêter de participer au programme. Personne ne sera en colère si tu dis "non" ou si tu décides d'arrêter de participer au programme. Il suffit de le dire au médecin ou à tes parents/tuteurs si tu veux arrêter à tout moment. Tu n'es pas obligé

Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire d'assentiment: 6-11 ans

de participer à ce programme pour obtenir l'aide des médecins et des infirmières pour tes démangeaisons ou ton problème de foie.

Participer me sera-t-il utile ?

Tu peux ou non te sentir mieux pendant que tu participes au programme. La participation au programme peut fournir des informations sur le nouveau médicament, ce qui peut signifier qu'un meilleur médicament sera disponible à l'avenir.

Le nouveau médicament me fera-t-il du mal ?

Les médecins du programme, les infirmières et d'autres personnes pensent qu'il est sans danger pour les enfants de prendre ce nouveau médicament. Il est peu probable que quelque chose se passe mal parce que tu participes au programme, mais personne n'en est sûr. De nombreux adultes et enfants ont pris de l'odevixibat. L'odevixibat peut provoquer des écoulements de caca ou des douleurs d'estomac. Il existe un risque que tes démangeaisons s'aggravent si le nouveau médicament ne fonctionne pas.

Les informations me concernant resteront-elles confidentielles ?

Oui, tes informations resteront privées. Personne, à l'exception des médecins et des infirmières qui s'occupent de toi à l'hôpital ou à la clinique et de certaines personnes de la société qui fabrique le nouveau médicament ou d'autres sociétés participant au programme, ne saura quoi que ce soit à ton sujet.

Qui a vérifié si le programme est sûr ?

Le programme médical d'urgence a été notifié à l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé de Belgique et celle-ci ne s'est pas opposée à la mise en œuvre du programme médical d'urgence.

Qui répondra à mes questions sur le programme ?

Le médecin ou les infirmières qui travaillent sur le programme à l'hôpital/clinique répondront à toutes tes questions. Tu peux également demander à tes parents ou tuteurs de parler aux médecins ou aux infirmières.

**Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale
odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome
d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.**

Formulaire d'assentiment: 6-11 ans

II Consentement éclairé

Participant

Tu recevras une copie signée et datée de ce document.

1	J'ai lu des articles sur le programme ou quelqu'un m'en a parlé.
2	Je sais que je ne suis pas obligé de participer si je ne le veux pas.
3	Je comprends le but de ce programme.
4	Je veux participer à ce programme.
5	Toutes mes questions ont trouvé une réponse.

Si tu **ne** veux **pas** participer à ce programme, n'écris pas ton nom ci-dessous.

Si tu souhaites participer, inscris ton nom et la date du jour ici.

Si tu n'aimes pas écrire, tu peux dessiner un visage souriant et quelqu'un d'autre peut écrire ton nom et la date pour toi.

Ton nom et prénom : _____

Date d'aujourd'hui : _____

L'assentiment actif doit être obtenu chaque fois que cela est approprié et possible.

**Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale
odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome
d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.**

Formulaire d'assentiment: 6-11 ans

Déclaration de la personne qui mène la discussion sur l'assentiment :

- J'ai expliqué tous les aspects du programme au patient au mieux de ses capacités de compréhension.
- J'ai répondu à toutes les questions du patient relatives à ce programme.
- Le sujet accepte de participer au programme.
- Je crois que la décision du sujet de s'inscrire est volontaire.
- Le médecin et le personnel du programme acceptent de respecter le désaccord physique ou émotionnel du sujet à tout moment au cours du programme, lorsque ce désaccord est lié à ce qui est fait uniquement dans le cadre du programme.

Signature du médecin/personne qui a expliqué le programme

Date (jj/Mmm/aaaa)

Nom en caractères d'imprimerie du médecin/personne qui a expliqué le programme

**Goedkeuringsprogramma voor pediatrie noodzaak odevixibat voor de
behandeling van cholestatie pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Toestemmingsformulier: 6-11 jaar

Titel van het programma: Het gebruik van odevixibat voor de behandeling van cholestatie pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Programmaleider :

Albireo, an Ipsen company,, in België vertegenwoordigd door Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Ierland.

Medisch-ethische commissie: Universitaire ziekenhuizen St.-Luc

Adres : Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 - 1200 Brussel

e-mail: commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TEL: 02/ 764 55 14

Contactgegevens van de ombudsman voor de klinieken van Saint-Luc:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Behandelend arts: *Gelieve de volgende informatie in te vullen alvorens ze aan de patiënt te bezorgen*

Naam:

Adres van het ziekenhuis:

.....
.....

Contactnummer:

Alarmnummer:

Contactnummer voor vragen over dit programma:

.....

Contactgegevens van de functionaris voor gegevensbescherming van het ziekenhuis :

.....

Contactgegevens van de ombudsman van het Centrum:

.....

Goedkeuringsprogramma voor pediatrische noodzaak odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Toestemmingsformulier: 6-11 jaar

Je kunt je ouders/voogden vragen om dit toestemmingsformulier aan je voor te lezen. Vraag iemand alles uit te leggen wat je niet begrijpt.

Uitnodiging om aan het programma deel te nemen

Jouw arts denkt dat dit nieuwe medicijn genaamd odevixibat (A4250) kinderen zoals je kunt helpen die zich ziek voelen vanwege een leverprobleem.

Wat is het doel van dit programma?

Dit programma is bedoeld voor mensen met ALGS die geen toegang hebben tot het geneesmiddel in een klinische proef. Odevixibat is reeds getest bij sommige kinderen met ALGS. De artsen en verpleegkundigen zullen het programma aan je uitleggen. Zij zullen al jouw vragen beantwoorden.

Wat gebeurt er met mij als ik aan het programma deelneem?

Het programma begint met een afspraak bij de dokter en enkele tests, zoals bloedonderzoek. De programma-arts zal jouw medische dossier en de resultaten van eventuele eerdere onderzoeken die je hebt ondergaan, bestuderen.

Zodra jij en je ouder(s)/voogd(en) ermee hebben ingestemd om aan het programma deel te nemen, zullen er nog meer tests worden gedaan. Er wordt meer bloed afgenomen voor verschillende tests en als je een meisje bent, wordt er een zwangerschapstest gedaan.

Sommige van de tests die je zult ondergaan wanneer je naar de dokter komt voor een programmabezoek, worden hieronder beschreven:

- Bloedtests: sommige bloedtests zijn alleen nauwkeurig als ze na het vasten worden uitgevoerd. Vasten betekent gedurende een bepaald aantal uren niets anders eten of drinken dan water. Voordat je het programma gaat bezoeken, moet je ten minste 4 uur vasten.
- Zwangerschapstest voor meisjes: Als je een meisje bent en je bent oud genoeg om een baby te krijgen, moet je dit gedeelte lezen. Als je ongesteld bent geworden, wordt er een bloedtest gedaan om te controleren of je niet zwanger bent.

Hoe is het medicijn?

Je krijgt het nieuwe medicijn genaamd odevixibat. Je programma-arts zal jou en je ouder(s)/voogd(en) vertellen hoeveel capsules je moet innemen, afhankelijk van je gewicht en hoe goed je het medicijn verdraagt.

Wat zal ik moeten doen?

Probeer te doen wat de dokter of verpleegster in het programma je zegt te doen.

Vergeet niet je ouders/voogden en de dokter te vertellen hoe je je voelt, vooral als je je door iets slecht, bang, ziek of ongemakkelijk voelt.

Moet ik meedoen?

Het is aan je om te beslissen of je al dan niet aan dit programma wenst deel te nemen. Je kunt "nee" zeggen, zelfs als je ouders/voogden willen dat je meedoet. Als je nu "ja" zegt tegen dit programma en later van gedachten verandert, kunt je stoppen met je deelname aan het programma. Niemand zal boos zijn als je "nee" zegt of als je besluit niet langer aan het programma deel te nemen. Zeg het gewoon tegen de dokter of je ouders/voogden als je op

Goedkeuringsprogramma voor pediatrie noodzaak odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Toestemmingsformulier: 6-11 jaar

een bepaald moment wilt stoppen. Je hoeft niet in het programma te zitten om hulp te krijgen van de artsen en verpleegkundigen voor jouw jeuk- of leverprobleem.

Zal het me helpen om mee te doen?

Je kunt zich wel of niet beter voelen tijdens jouw deelname aan het programma. Deelname aan het programma kan informatie opleveren over het nieuwe geneesmiddel, waardoor in de toekomst een beter geneesmiddel beschikbaar kan komen.

Zal het nieuwe medicijn mij kwaad doen?

De artsen in het programma, de verpleegsters en anderen denken dat het veilig is voor kinderen om dit nieuwe medicijn te nemen. Het is onwaarschijnlijk dat er iets fout zal gaan omdat je in het programma zit, maar niemand weet het zeker.

Veel volwassenen en kinderen hebben odevixibat genomen. Odevixibat kan poep afscheiding of maagpijn veroorzaken. Er bestaat een risico dat jouw jeuk erger wordt als het nieuwe medicijn niet werkt.

Zal mijn informatie vertrouwelijk worden behandeld?

Ja, jouw informatie wordt privé gehouden. Niemand behalve de artsen en verpleegkundigen die in het ziekenhuis of de kliniek voor je zorgen en enkele mensen van het bedrijf dat het nieuwe geneesmiddel maakt of andere bedrijven die bij het programma betrokken zijn, zullen iets over je te weten komen.

Wie heeft gecontroleerd of het programma veilig is?

Het medische noodzaak programma is aangemeld bij het Belgische Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten, dat geen bezwaar heeft gemaakt tegen de uitvoering van het medische noodzaak programma.

Wie beantwoordt mijn vragen over het programma?

De arts of verpleegkundigen die in het ziekenhuis/de kliniek aan het programma werken, zullen al jouw vragen beantwoorden. Je kunt ook je ouders of verzorgers vragen om met de artsen of verpleegkundigen te praten.

**Goedkeuringsprogramma voor pediatische noodzaak odevixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Toestemmingsformulier: 6-11 jaar

II Geïnformeerde toestemming

Deelnemer

Je ontvangt een ondertekend en gedateerd afschrift van dit document.

1	Ik heb over het programma gelezen of iemand heeft me erover verteld.
2	Ik weet dat ik niet hoef mee te doen als ik dat niet wil.
3	Ik begrijp het doel van dit programma.
4	Ik wil aan dit programma deelnemen.
5	Al mijn vragen werden beantwoord.

Als je **niet** aan dit programma wenst deel te nemen, schrijf dan niet jouw naam hieronder.

Als je wilt deelnemen, vul dan hier jouw naam en de datum van de dag in.

Als je niet graag schrijft, k je een smiley tekenen en kan iemand anders jouw naam en de datum voor je schrijven.

Je voor- en achternaam: _____

De datum van vandaag: _____

Waar passend en mogelijk moet actieve toestemming worden verkregen.

**Goedkeuringsprogramma voor pediatrie noodzaak odevixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Toestemmingsformulier: 6-11 jaar

Verklaring van degene die de discussie over instemming leidt :

- Ik heb de patiënt alle aspecten van het programma zo goed mogelijk uitgelegd.
- Ik beantwoordde alle vragen van de patiënt over het programma.
- De proefpersoon stemt in met deelname aan het programma.
- Ik geloof dat de beslissing van de proefpersoon om zich in te schrijven vrijwillig is.
- De arts en het programmapersoneel komen overeen om de fysieke of emotionele onenigheid van de proefpersoon op elk moment tijdens het programma te respecteren, wanneer deze onenigheid uitsluitend betrekking heeft op wat er in het programma wordt gedaan.

_____ Datum (dd/Mmm/yyyy)

Handtekening van de arts/persoon die het programma heeft toegelicht

Gedrukte naam van de arts/persoon die het programma heeft toegelicht

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the Treatment of Cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 12-17 years old

Programme title: The use of odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older, through a medical need programme (MNP).

Responsible for the programme:

Albireo, an Ipsen company, represented in Belgium by Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Ireland.

Committee for Medical Ethics: Cliniques Universitaires St.-Luc

Address: Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 – 1200 Bruxelles

e-mail: commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TEL: 02/ 764 55 14

Contact details of the mediator for the Saint-Luc clinics:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Treating physician: *Please complete the following information before providing it to the patient*

Name:

Hospital address:

.....
.....

Contact number:

Emergency number:

Contact number in case of questions related to this programme:

.....

Contact details of the hospital's data protection officer:

.....

Contact details of the mediator of the centre:

.....

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the Treatment of Cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 12-17 years old

Introduction

The program doctors and nurses will explain the program and answer any questions that you have. You can talk to your parent(s)/guardian(s) and ask to read the information the program doctor gives them. If you are able, we recommend that you read the parent's informed consent form along with your parent(s)/guardian(s). If you agree to be in this program, you will be asked to sign and date this form. Your parent(s)/guardian(s) will sign another informed consent form.

What is the purpose of this program?

A medical need Program provides access to investigational drugs to treat patients with serious diseases or conditions for which there are no comparable or satisfactory therapy options available, including clinical trials. Odevixibat is an investigational medicine, it is not yet approved by the Health Authority that approves drugs in Belgium for the treatment of ALGS. Your doctor has recommended that you take part in this program for people with ALGS who cannot get access to the investigational drug odevixibat through a clinical study. Odevixibat has already been tested in some children with ALGS.

Do I have to take part?

You do not have to be in the program if you don't want to. It is your own choice if you want to be in this program or not. No one will be angry if you choose not to take part. For you to be in this program, both you and your parent(s)/guardian(s) must agree to you being in this program, but it is still up to you to decide.

Your doctors or your parent(s)/guardian(s) cannot make you take part in the program if you don't want to be in it. If you say "yes" now and you change your mind later, you can stop being in the program at any time, just tell the doctor or your parent(s)/guardian(s). If you leave the program, you will be asked to come in for one last visit.

The program doctors and nurses will provide you medical care as they have in the past, regardless of whether you are in the program or not.

What will happen to me if I take part in the program?

The program starts with a doctor's appointment and some tests, for example blood tests. The program doctor will review your medical records and results from previous tests you had.

Once you and your parent(s)/guardian(s) agree for you to be in the program, you will have additional tests. You will have more blood draws for different tests and if you are a girl you will have a pregnancy test.

Some of the tests that you will have when you come to the doctor's office for program visits are described further below:

- Blood draws to check your health that require fasting: Some blood tests are only accurate if they are done after fasting. Fasting means going without food or drinks other than water for a certain number of hours. Before you come for the program visits you need to fast for at least 4 hours.

What treatment will I be given if I take part?

Everyone who takes part in this program will be given the new drug, odevixibat to take.

The program doctor will tell you how many pills (capsules) to take, depending on how much you weigh. Please talk to your doctor if you have problems taking pills.

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the Treatment of Cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 12-17 years old

What will I have to do while I am in the program?

- You should follow the instructions of the program doctor and nurses.
- You should tell the program doctor or your parent(s)/guardian(s) if you feel unwell at any time during the program.
- If you are a girl who is able to become pregnant and sexually active, or if you are a boy who is sexually active, you must use suitable methods of birth control while you are in the program.

Things that could make you feel bad, afraid or uncomfortable

Remember to tell your parent(s)/guardian(s) and the doctor how you are feeling while you are in the program, especially if you feel sick or feel different than usual.

Odevixibat could cause diarrhea (runny stools) and stomach pain. Your condition could get worse if odevixibat doesn't work. Your condition may also stay the same.

Any of the things listed below may happen to you. If so, you should tell your parent(s)/guardian(s) and the doctor.

- You may feel tired.
- You may feel embarrassed by the questions the doctor or nurse asks you.
- You might have diarrhea or stomach pain.

Possible risks from program procedures

- **Blood draws:** A blood draw may cause faintness, inflammation (swelling/redness) of the vein, pain, bruising, or bleeding at the site of puncture. There is also a slight risk of infection. If you don't like the blood drawing, a local anesthetic cream can be used at the injection site before doing the test. This will numb the skin and make the draw less painful.
- **Fasting:** Fasting could cause dizziness, headache, stomach discomfort, or fainting.

You might also feel other things. If you do, you must tell the doctor or your parent(s)/guardian(s) right away; for example, if you feel sick or if you take any new medicines. You or your parent(s)/guardian(s) can call the doctor at the telephone number on the first page of this form.

Pregnancy

Because odevixibat is a new drug, doctors don't know if it might have a bad effect on an unborn baby. If you are a girl and have had your first period, the doctor or nurse will test your blood to make sure you are not pregnant. The doctor or nurse will tell you if the test results show you are pregnant. The program doctor or nurse may also tell your parent(s)/guardian(s) about the results of the pregnancy test. A pregnancy test does not stop you from becoming pregnant.

Birth Control

If you are a girl and have started having your period, are physically able to have children, and are sexually active, or if you are a boy and are sexually active, you must use birth control consistently and correctly during the program. Some types of birth control will not work when you are taking certain medicines. The program doctor will discuss with you the best method of birth control for you.

If you are pregnant, planning to become pregnant during the program, you cannot be in the program.

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the Treatment of Cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 12-17 years old

If you think that you have become pregnant during the program, you must stop taking the medicine and tell the doctor immediately and you will have to leave the program. The program doctor may ask for information about the pregnancy and the birth of the baby.

If you are a boy and your female partner becomes pregnant while you are in this program, please inform the program doctor immediately. The program doctor will ask to speak to your partner. If she provides consent, the doctor will collect information about the pregnancy and the baby.

The doctor may share this information with the sponsor.

Will taking part help me?

You may or may not feel better while you are taking part in the program. Taking part in the program may provide information about the new drug, which may mean a better drug can be made in the future.

Who is organizing and paying for this program?

Albireo, an Ipsen company, is the company developing odevixibat and organising this program. Albireo AB is providing odevixibat free of charge in this program.

Will information about me be kept private?

During the program the doctor will collect personal information (data) about you which they will try to keep private. Before the program doctor sends the information out of the hospital, it will be protected by a code so that no-one will be able to find out that the data is about you. Only the program staff at the hospital and some members of the sponsor company and other businesses helping with the program will see your data. It is also possible that some government authorities may need to see your data.

Who has checked if the program is safe?

The medical need program was notified to the Federal Agency for Medicines and Health Products of Belgium and they have not objected to the implementation of the medical need program.

Contacts and Questions

You can ask questions about the program at any time. You or your parent(s)/guardian(s) can call the program doctor if there is anything you are unsure about. The phone number is on the first page of this document.

Please ask your program doctor to explain anything that you do not understand. If you understand everything and you decide to take part in the program, please sign your name on the following Assent form.

You will be given a copy of your signed and dated assent form to keep.

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the Treatment of Cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 12-17 years old

II Informed consent

Participant

You will get a signed and dated copy of this document.

1	I have read about the program or somebody has told me about it.
2	I know that I do not have to take part if I do not want to.
3	I understand what this program is about.
4	I want to take part in this program.
5	All my questions were answered.

If you **do not** want to take part in this program, do not write your name below.

If you **do** want to take part, write your name and today's date here.

If you do not like writing, you could draw a smiley face and someone else can write your name and date for you.

Your name and surname: _____

Today's date: _____

Active assent should be obtained whenever appropriate and possible.

Paediatric Assent Consent Medical Need Programme Odevixibat for the Treatment of Cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Assent consent: 12-17 years old

Statement of person conducting assent discussion:

- I have explained all aspects of the program to the patient to the best of his or her ability to understand.
- I have answered all the questions of the patient relating to this program.
- The subject agrees to be in the program.
- I believe the subject's decision to enroll is voluntary.
- The program doctor and program staff agree to respect the subject's physical or emotional dissent at any time during this program when that dissent pertains to anything being done solely for the purpose of this program.

Signature of Physician/person who explained the program

Date (dd/Mmm/yyyy)

Printed name of Physician/person who explained the program

**Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale
odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome
d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.**

Formulaire d'assentiment : 12-17 ans

Titre du programme : L'utilisation de l'odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus, dans le cadre d'un programme médical d'urgence (PMU).

Responsable du programme :

Albireo, an Ipsen company, représentée en Belgique par Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Irlande.

Comité d'éthique médicale : Cliniques Universitaires St.-Luc

Adresse : Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 - 1200 Bruxelles

e-mail : commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TÉL : 02/ 764 55 14

Coordonnées du médiateur du centre pour les cliniques Saint-Luc:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Médecin traitant : *Veillez compléter les informations suivantes avant de les fournir au patient*

Nom :

Adresse de l'hôpital :

.....

.....

Numéro de contact :

Numéro d'urgence :

Numéro de contact en cas de questions relatives à ce programme :

.....

Coordonnées du responsable de la protection des données de l'hôpital :

.....

Coordonnées du médiateur du centre :

.....

Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire d'assentiment : 12-17 ans

Introduction

Les médecins et les infirmières du programme t'expliqueront le programme et répondront à toutes tes questions. Tu peux en parler à tes parents/tuteurs et leur demander de lire les informations que le médecin du programme leur donne. Si vous le pouvez, nous te recommandons de lire le formulaire de consentement éclairé avec ton/tes parent(s)/tuteur(s). Si tu acceptes de participer à ce programme, il te sera demandé de signer et de dater ce formulaire. Ton/tes parent(s)/tuteur(s) signera(ont) un autre formulaire de consentement éclairé.

Quel est le but de ce programme ?

Un programme médical d'urgence permet d'accéder à des médicaments expérimentaux pour traiter des patients atteints de maladies ou d'affections graves pour lesquelles il n'existe pas d'options thérapeutiques comparables ou satisfaisantes, y compris des essais cliniques. L'odevixibat est un médicament expérimental, il n'est pas encore approuvé par l'autorité sanitaire qui approuve les médicaments en Belgique pour le traitement de l'ALGS.

Votre médecin a recommandé que tu participes à ce programme destiné aux personnes atteintes d'ALGS qui ne peuvent pas avoir accès au médicament expérimental odevixibat dans le cadre d'une étude clinique. L'odevixibat a déjà été testé chez certains enfants atteints d'ALGS.

Suis-je obligé de participer ?

Tu n'es pas obligé de participer au programme si tu ne le souhaites pas. C'est à toi de décider si tu veux participer à ce programme ou non. Personne ne sera fâché si tu choisis de ne pas y participer. Pour que tu puisses participer à ce programme, toi et tes parents ou tuteurs devez être d'accord, mais c'est à toi de décider.

Tes médecins ou tes parents/tuteurs ne peuvent pas t'obliger à participer au programme si tu ne le souhaites pas. Si tu dis "oui" maintenant et que tu changes d'avis plus tard, tu peux arrêter de participer au programme à tout moment, il suffit de le dire au médecin ou à tes parents/tuteurs. Si tu quittes le programme, il te sera demandé de venir pour une dernière visite.

Les médecins et les infirmières du programme te fourniront des soins médicaux comme par le passé, que tu participes ou non au programme.

Que va-t-il m'arriver si je participe au programme ?

Le programme commence par un rendez-vous chez le médecin et quelques tests, par exemple des analyses de sang. Le médecin du programme examinera ton dossier médical et les résultats des tests précédents que tu avais subis.

Une fois que tes parent(s)/tuteur(s) et toi aurez donné leur accord pour que tu participes au programme, tu passeras des tests supplémentaires. On te fera d'autres prises de sang pour différents tests et si tu es une fille, tu feras un test de grossesse.

Certains des tests que tu passeras lorsque tu viendras au cabinet du médecin pour des visites de programme sont décrits plus loin :

- Les prises de sang pour vérifier ton état de santé qui nécessitent un jeûne : Certaines prises de sang ne sont précises que si elles sont effectuées après un jeûne. Jeûner signifie se priver de nourriture ou de boissons autres que l'eau pendant un certain

Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale d'odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire d'assentiment : 12-17 ans

nombre d'heures. Avant de te rendre aux visites du programme, tu dois jeûner pendant au moins 4 heures.

Quel traitement recevrai-je si je participe ?

Toutes les personnes qui participent à ce programme recevront le nouveau médicament, l'odevixibat, à prendre.

Le médecin du programme t'indiquera le nombre de pilules (capsules) à prendre, en fonction de ton poids, Si tu rencontres des difficultés à prendre des pilules, parle-en à ton médecin.

Que devrai-je faire pendant que je suis dans le programme ?

- Tu dois suivre les instructions du médecin et des infirmières du programme.
- Tu dois prévenir le médecin du programme ou tes parents/tuteurs si tu te sens mal à tout moment pendant le programme.
- Si tu es une fille qui peut tomber enceinte et qui est sexuellement active, ou si tu es un garçon qui est sexuellement actif, tu dois utiliser des méthodes de contraception appropriées pendant votre participation au programme.

Les choses qui pourraient te faire sentir mal, avoir peur ou être mal à l'aise.

N'oublie pas de dire à tes parents/tuteurs et au médecin comment tu te sens pendant le programme, surtout si tu te sens malade ou si tu te sens différent de d'habitude.

L'odevixibat peut provoquer des diarrhées (selles liquides) et des douleurs d'estomac. Ton état pourrait s'aggraver si l'odevixibat ne fonctionne pas. Ton état peut également rester le même. L'une des choses énumérées ci-dessous peut t'arriver. Si c'est le cas, tu dois le dire à tes parents/tuteurs et à ton médecin.

- Tu peux te sentir fatigué.
- Tu peux te sentir gêné par les questions que le médecin ou l'infirmière te pose.
- Tu peux avoir la diarrhée ou des douleurs d'estomac.

Risques éventuels liés aux procédures du programme

- **Les prises de sang** : Une prise de sang peut provoquer un évanouissement, une inflammation (gonflement/rougeur) de la veine, une douleur, une ecchymose ou un saignement à l'endroit de la ponction. Il existe également un léger risque d'infection. Si tu n'aimes pas la prise de sang, une crème anesthésiante locale peut être utilisée au point d'injection avant de faire le test. Cela engourdira la peau et rendra la prise de sang moins douloureuse.
- **Jeûne** : Le jeûne peut causer des étourdissements, des maux de tête, des malaises gastriques ou des évanouissements.

Tu peux aussi ressentir d'autres choses. Si c'est le cas, tu dois le dire immédiatement au médecin ou à tes parents/tuteurs, par exemple si tu te sens malade ou si tu prends de nouveaux médicaments. Toi ou tes parents/tuteurs pouvez appeler le médecin au numéro de téléphone indiqué sur la première page de ce formulaire.

Grossesse

L'odevixibat étant un nouveau médicament, les médecins ne savent pas s'il peut avoir un effet néfaste sur un bébé à naître. Si tu es une fille et que tu as eu tes premières règles, le médecin

Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire d'assentiment : 12-17 ans

ou l'infirmière testera ton sang pour s'assurer que tu n'es pas enceinte. Le médecin ou l'infirmière te dira si les résultats du test montrent que tu es enceinte. Le médecin ou l'infirmière du programme peut également informer tes parents ou ton tuteur des résultats du test de grossesse. Un test de grossesse ne t'empêche pas de tomber enceinte.

Contrôle des naissances

Si tu es une fille et que tu as commencé à avoir tes règles, que tu es physiquement capable d'avoir des enfants et que tu es sexuellement active, ou si tu es un garçon et que tu es sexuellement actif, tu dois utiliser un moyen de contraception de manière cohérente et correcte pendant le programme. Certains types de contraceptifs ne fonctionnent pas lorsque tu prends certains médicaments. Le médecin du programme discutera avec toi de la meilleure méthode de contraception pour toi.

Si tu es enceinte ou prévois de l'être pendant le programme, tu ne peux pas participer au programme.

Si tu penses que tu es tombée enceinte pendant le programme, tu dois arrêter de prendre le médicament et le signaler immédiatement au médecin et tu devras quitter le programme. Le médecin du programme peut te demander des informations sur la grossesse et la naissance du bébé.

Si tu es un garçon et que ta partenaire féminine tombe enceinte pendant ta participation à ce programme, veuillez en informer immédiatement le médecin du programme. Le médecin du programme demandera à parler à ta partenaire. Si elle donne son accord, le médecin recueillera des informations sur la grossesse et le bébé.

Le médecin peut partager ces informations avec le promoteur.

Participer me sera-t-il utile ?

Tu peux te sentir mieux ou pas pendant que tu participes au programme. La participation au programme peut fournir des informations sur le nouveau médicament, ce qui peut permettre de fabriquer un meilleur médicament à l'avenir.

Qui organise et paie ce programme ?

Albireo, an Ipsen company, est la société qui développe odevixibat et qui organise ce programme. Albireo, an Ipsen company, fournit odevixibat gratuitement dans ce programme.

Les informations me concernant resteront-elles privées ?

Au cours du programme, le médecin recueillera des informations personnelles (données) te concernant, qu'il s'efforcera de garder confidentielles. Avant que le médecin du programme n'envoie les informations hors de l'hôpital, celles-ci seront protégées par un code afin que personne ne puisse découvrir que les données te concernent. Seul le personnel du programme à l'hôpital et certains membres de l'entreprise sponsor et d'autres entreprises participant au programme verront tes données. Il est également possible que certaines autorités gouvernementales aient besoin de voir tes données.

Qui a vérifié si le programme est sûr ?

Le programme médical d'urgence a été notifié à l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé de Belgique, qui ne s'est pas opposée à la mise en œuvre du programme médical d'urgence.

**Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale
odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome
d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.**

Formulaire d'assentiment : 12-17 ans

Contacts et questions

Tu peux poser des questions sur le programme à tout moment. Toi ou ton/tes parent(s)/tuteur(s) peuvent appeler le médecin du programme s'il y a quelque chose dont vous n'êtes pas sûr. Le numéro de téléphone figure sur la première page de ce document.

Veuille demander au médecin du programme de t'expliquer tout ce que tu ne comprends pas. Si tu as tout compris et que tu décides de participer au programme, veuillez signer ton nom sur le formulaire d'assentiment suivant.

Il te sera remis une copie de ton formulaire d'assentiment signé et daté à conserver.

**Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale
odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome
d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.**

Formulaire d'assentiment : 12-17 ans

II Consentement éclairé

Participant

Tu recevras une copie signée et datée de ce document.

1	J'ai lu des articles sur le programme ou quelqu'un m'en a parlé.
2	Je sais que je ne suis pas obligé de participer si je ne le veux pas.
3	Je comprends le but de ce programme.
4	Je veux participer à ce programme.
5	Toutes mes questions ont reçu une réponse.

Si tu **ne** veux **pas** participer à ce programme, n'écris pas ton nom ci-dessous.

Si tu souhaites participer, inscris ton nom et la date du jour ici.

Si tu n'aimes pas écrire, tu peux dessiner un visage souriant et quelqu'un d'autre peut écrire ton nom et la date pour toi.

Ton nom et prénom : _____

Date d'aujourd'hui : _____

L'assentiment actif doit être obtenu chaque fois que cela est approprié et possible.

**Programme d'avis conforme pédiatrique sur la nécessité médicale
odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome
d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.**

Formulaire d'assentiment : 12-17 ans

Déclaration de la personne qui mène la discussion sur l'assentiment :

- J'ai expliqué tous les aspects du programme au patient au mieux de ses capacités de compréhension.
- J'ai répondu à toutes les questions du patient relatives à ce programme.
- Le sujet accepte de participer au programme.
- Je crois que la décision du sujet de s'inscrire est volontaire.
- Le médecin et le personnel du programme acceptent de respecter le désaccord physique ou émotionnel du sujet à tout moment au cours du programme, lorsque ce désaccord est lié à ce qui est fait uniquement dans le cadre du programme.

Signature du médecin/personne qui a expliqué le programme

Date (jj/Mmm/aaaa)

Nom en caractères d'imprimerie du médecin/de la personne qui a expliqué le programme

**Goedkeuringsprogramma voor pediatrie noodzaak odevixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Toestemmingsformulier: 12-17 jaar

Titel van het programma: Het gebruik van odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Programmaleider :

Albireo, an Ipsen company,, in België vertegenwoordigd door Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Ierland.

Medisch-ethische commissie: Universitaire ziekenhuizen St.-Luc

Adres : Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 - 1200 Brussel

e-mail: commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TEL: 02/ 764 55 14

Contactgegevens van de ombudsman voor de klinieken van Saint-Luc:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Behandelend arts: *Gelieve de volgende informatie in te vullen alvorens ze aan de patiënt te bezorgen*

Naam:

Adres van het ziekenhuis:

.....
.....

Contactnummer:

Alarmnummer:

Contactnummer voor vragen over dit programma:

.....

Contactgegevens van de functionaris voor gegevensbescherming van het ziekenhuis :

.....

Contactgegevens van de ombudsman van het Centrum:

.....

Goedkeuringsprogramma voor pediatrie noodzaak odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Toestemmingsformulier: 12-17 jaar

Inleiding

De programma-artsen en verpleegkundigen zullen het programma aan je uitleggen en al jouw vragen beantwoorden. Je kunt met je ouders/voogden praten en hen vragen de informatie te lezen die de programma-arts hen geeft. Als je 16 jaar of ouder bent, raden wij je aan het formulier voor geïnformeerde toestemming samen met jouw ouder(s)/voogd(en) te lezen. Indien je aan dit programma wenst deel te nemen, zal je gevraagd worden dit formulier te ondertekenen en te dateren. Je ouder(s)/voogd(en) zullen nog een formulier voor geïnformeerde toestemming ondertekenen.

Wat is het doel van dit programma?

Een medische noodzaak programma biedt toegang tot geneesmiddelen voor onderzoek voor de behandeling van patiënten met ernstige ziekten of aandoeningen waarvoor geen vergelijkbare of bevredigende behandelingsmogelijkheden bestaan, waaronder klinische proeven. Odevixibat is een experimenteel geneesmiddel en is nog niet goedgekeurd door de gezondheidsautoriteit die in België geneesmiddelen goedkeurt voor de behandeling van ALGS.

Jouw arts heeft je aanbevolen om deel te nemen aan dit programma voor mensen met ALGS die geen toegang hebben tot het experimentele geneesmiddel odevixibat in een klinisch onderzoek. Odevixibat is reeds getest bij sommige kinderen met ALGS.

Moet ik meedoen?

Je hoeft niet aan het programma deel te nemen als je dat niet wilt. Het is aan je om te beslissen of je al dan niet aan het programma wenst deel te nemen. Niemand zal boos zijn als je verkiest niet deel te nemen. Om aan dit programma te kunnen deelnemen, moeten jij en je ouders of voogden ermee instemmen, maar het is aan jou.

Jouw arts en ouders/voogden kunnen je niet dwingen aan het programma deel te nemen als je dat niet wilt. Als je nu "ja" zegt en later van gedachten verandert, kun je op elk moment stoppen met deelname aan het programma. Je hoeft het alleen maar aan de arts of je ouders/voogden te vertellen. Als je het programma verlaat, zal je gevraagd worden voor een laatste bezoek.

De arts en verpleegkundigen van het programma zullen je medische zorg verlenen zoals zij dat ook in het verleden hebben gedaan, of je nu aan het programma deelneemt of niet.

Wat gebeurt er met mij als ik aan het programma deelneem?

Het programma begint met een afspraak bij de dokter en enkele tests, zoals een bloedonderzoek. De programma-arts zal jouw medische dossier en de resultaten van eerdere onderzoeken die je hebt laten doen, bestuderen.

Zodra jij en je ouder(s)/voogd(en) ermee hebben ingestemd om aan het programma deel te nemen, zullen er nog meer tests worden gedaan. Er wordt meer bloed afgenomen voor verschillende tests en als je een meisje bent, wordt er een zwangerschapstest gedaan.

Sommige van de tests die je zult ondergaan wanneer je naar de dokter komt voor een programmabezoek, worden hieronder beschreven:

- Bloedonderzoek om jouw gezondheid te controleren waarvoor je moet vasten: sommige bloedonderzoeken zijn alleen nauwkeurig als ze na het vasten worden uitgevoerd. Vasten betekent gedurende een bepaald aantal uren niets anders eten of

Goedkeuringsprogramma voor pediatrische noodzaak odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Toestemmingsformulier: 12-17 jaar

drinken dan water. Voordat je kan komen voor de programma bezoeken, moet je ten minste 4 uur vasten.

Welke behandeling krijg ik als ik deelneem?

Alle mensen die aan dit programma deelnemen, krijgen het nieuwe geneesmiddel, odevixibat, om in te nemen.

De programma-arts zal je vertellen hoeveel pillen (capsules) je moet innemen, afhankelijk van jouw gewicht. Praat met je arts als je problemen hebt met het innemen van pillen.

Wat moet ik doen als ik aan het programma deelneem?

- Je moet de instructies van de arts en de verpleegkundigen in het programma opvolgen.
- Je moet de programma-arts of je ouders/voogden op de hoogte brengen als je je op enig moment tijdens het programma onwel voelt.
- Als je een meisje bent dat zwanger kan worden en seksueel actief is, of als je een jongen bent die seksueel actief is, moet je tijdens je deelname aan het programma passende voorbehoedsmiddelen gebruiken.

Dingen waardoor je je slecht, bang of ongemakkelijk voelt.

Vergeet niet je ouders/voogden en de dokter te vertellen hoe je je tijdens het programma voelt, vooral als je je ziek voelt of anders dan anders.

Odevixibat kan diarree (losse ontlasting) en maagpijn veroorzaken. Jouw toestand kan verergeren als de odevixibat niet werkt. Jouw toestand kan ook hetzelfde blijven.

Een van de onderstaande dingen kan je overkomen. Als dat zo is, moet je het je ouders/voogden en je dokter vertellen.

- Je kunt je moe voelen.
- Je kunt zich in verlegenheid gebracht voelen door de vragen die de arts of verpleegkundige je stelt.
- Je kunt diarree of buikpijn hebben.

Mogelijke risico's in verband met de programmaprocedures

- **Bloedonderzoek:** Een bloedonderzoek kan leiden tot flauwvallen, ontsteking (zwellings/roodheid) van de ader, pijn, blauwe plekken of bloeden op de prikplaats. Er is ook een klein risico op infectie. Als je het niet prettig vindt dat er bloed wordt afgenomen, kan vóór het onderzoek een plaatselijke verdovende crème worden gebruikt op de injectieplaats. Dit zal de huid verdoven en het bloedonderzoek minder pijnlijk maken.
- **Vasten:** Vasten kan duizeligheid, hoofdpijn, maagklachten of flauwvallen veroorzaken.

Je kunt ook andere dingen voelen. Als je dat wel doet, moet je dat onmiddellijk aan de dokter of aan je ouders/voogden vertellen, bijvoorbeeld als je je ziek voelt of als je nieuwe medicijnen gaat gebruiken. Jij of je ouders/voogden kunnen de dokter bellen op het telefoonnummer dat op de eerste bladzijde van dit formulier staat.

Goedkeuringsprogramma voor pediatrie noodzaak odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Toestemmingsformulier: 12-17 jaar

Zwangerschap

Omdat odevixibat een nieuw geneesmiddel is, weten artsen niet of het een schadelijk effect kan hebben op een ongeborn baby. Als je een meisje bent en je eerste menstruatie hebt gehad, zal de arts of verpleegkundige je bloed testen om er zeker van te zijn dat je niet zwanger bent. De arts of verpleegkundige zal je vertellen of uit de testresultaten blijkt dat je zwanger bent. De arts of verpleegkundige kan ook je ouders of voogd inlichten over de uitslag van de zwangerschapstest. Een zwangerschapstest voorkomt niet dat je zwanger wordt.

Geboortebeperving

Als je een meisje bent en begonnen bent met menstrueren, lichamelijk in staat bent om kinderen te krijgen en seksueel actief bent, of als je een jongen bent en seksueel actief bent, moet je tijdens het programma consequent en correct anticonceptie gebruiken. Sommige soorten voorbehoedsmiddelen werken niet als je bepaalde medicijnen gebruikt. De programma-arts zal met je bespreken wat voor je de beste anticonceptiemethode is.

Als je zwanger bent of van plan bent zwanger te worden tijdens het programma, kunt je niet aan het programma deelnemen.

Als je denkt dat je tijdens het programma zwanger bent geworden, moet je stoppen met het innemen van het medicijn en dit onmiddellijk aan de arts melden en moet je het programma verlaten. De programma-arts kan je vragen stellen over de zwangerschap en de geboorte van de baby.

Indien je een jongen bent en jouw vrouwelijke partner wordt zwanger terwijl je aan dit programma deelneemt, gelieve dan onmiddellijk de programma-arts te verwittigen. De programma-arts zal vragen om met jouw partner te spreken. Als zij ermee instemt, zal de arts informatie verzamelen over de zwangerschap en de baby.

De arts kan deze informatie delen met de promotor.

Zal het me helpen om mee te doen?

Je kunt zich wel of niet beter voelen tijdens jouw deelname aan het programma. Deelname aan het programma kan informatie over het nieuwe geneesmiddel opleveren, die kan helpen om in de toekomst een beter geneesmiddel te maken.

Wie organiseert en betaalt dit programma?

Albireo, an Ipsen company, is het bedrijf dat odevixibat ontwikkelt en dit programma organiseert. Albireo, an Ipsen company, verstrekt odevixibat gratis in dit programma.

Blijven mijn gegevens privé?

Tijdens het programma zal de arts persoonlijke informatie (gegevens) over je verzamelen, die hij of zij vertrouwelijk zal proberen te houden. Voordat de programma-arts de informatie het ziekenhuis uitstuurt, wordt deze beveiligd met een code, zodat niemand te weten kan komen dat de gegevens over je gaan. Alleen het programmapersoneel in het ziekenhuis en enkele leden van het sponsorbedrijf en andere bedrijven die bij het programma betrokken zijn, krijgen jouw gegevens te zien. Het is ook mogelijk dat sommige overheidsinstanties jouw gegevens moeten zien.

Wie heeft gecontroleerd of het programma veilig is?

Het medische noodzaak programma is aangemeld bij het Belgische Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten, dat geen bezwaar heeft gemaakt tegen de uitvoering van het medische noodzaak programma.

**Goedkeuringsprogramma voor pediatrische noodzaak odeixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Toestemmingsformulier: 12-17 jaar

Contacten en vragen

Je kunt te allen tijde vragen stellen over het programma. Jij of je ouder(s)/voogd(en) kunnen de programma-arts bellen als er iets is waar je niet zeker over bent. Het telefoonnummer staat op de eerste bladzijde van dit document.

Vraag de programma-arts om uitleg over alles wat je niet begrijpt. Als je alles begrijpt en besluit aan het programma deel te nemen, word je verzocht jouw naam op het onderstaande toestemmingsformulier te zetten.

Je krijgt een kopie van je ondertekende en gedateerde toestemmingsformulier om te bewaren.

**Goedkeuringsprogramma voor pediatische noodzaak odevixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Toestemmingsformulier: 12-17 jaar

II Geïnformeerde toestemming

Deelnemer

Je ontvangt een ondertekend en gedateerd afschrift van dit document.

1	Ik heb over het programma gelezen of iemand heeft me erover verteld.
2	Ik weet dat ik niet hoef mee te doen als ik dat niet wil.
3	Ik begrijp het doel van dit programma.
4	Ik wil aan dit programma deelnemen.
5	Al mijn vragen werden beantwoord.

Als je **niet** aan dit programma wenst deel te nemen, schrijf dan niet jouw naam hieronder.

Als je wilt deelnemen, vul dan hier jouw naam en de datum van de dag in.

Als je niet graag schrijft, k je een smiley tekenen en kan iemand anders jouw naam en de datum voor je schrijven.

Je voor- en achternaam: _____

De datum van vandaag: _____

Waar passend en mogelijk moet actieve toestemming worden verkregen.

**Goedkeuringsprogramma voor pediatrie noodzaak odevixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Toestemmingsformulier: 12-17 jaar

Verklaring van degene die de discussie over instemming leidt :

- Ik heb de patiënt alle aspecten van het programma zo goed mogelijk uitgelegd.
- Ik beantwoordde alle vragen van de patiënt over het programma.
- De proefpersoon stemt in met deelname aan het programma.
- Ik geloof dat de beslissing van de proefpersoon om zich in te schrijven vrijwillig is.
- De arts en het programmapersoneel komen overeen om de fysieke of emotionele onenigheid van de proefpersoon op elk moment tijdens het programma te respecteren, wanneer deze onenigheid uitsluitend betrekking heeft op wat er in het programma wordt gedaan.

_____ Datum (dd/Mmm/yyyy)

Gedrukte naam van de arts/persoon die het programma heeft toegelicht

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

Programme title: The use of odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older, through a medical need programme (MNP).

Responsible for the programme:

Albireo, an Ipsen company, represented in Belgium by Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Ireland.

Committee for Medical Ethics: Cliniques Universitaires St.-Luc

Address: Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 – 1200 Bruxelles

e-mail: commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TEL: 02/ 764 55 14

Contact details of the mediator for the Saint-Luc clinics:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Treating physician: *Please complete the following information before providing it to the patient*

Name:

Hospital address:

.....
.....

Contact number:

Emergency number:

Contact number in case of questions related to this programme:
.....

Contact details of the hospital's data protection officer:

.....

Contact details of the mediator of the centre:

.....

I. Information necessary for your decision to participate

Introduction

Your doctor is proposing treatment with odevixibat for your condition, because your doctor feels that you cannot continue to be treated optimally with one or more medicines currently available on the Belgian market. Your doctor therefore is proposing to ask Albireo, an Ipsen company, to allow you to receive the drug odevixibat in the context of this medical need programme. Albireo, an Ipsen company, will make the drug available free of charge in

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

connection with this application. Your doctor has full responsibility for this treatment with odevixibat.

Before you decide on your participation in this medical need programme, we would like to inform you about what this means in organisational terms and what the possible benefits and risks are for you. This will allow you to decide based on the correct information. This is called 'informed consent'.

Please read the following pages of information carefully. If you have any questions, please contact your doctor or his/her representative. This document consists of 2 parts: essential information you need to make your decision and your written consent.

If you are participating in this programme, you should know the following:

- Your participation is voluntary; there can be no question of coercion in any way. Your signed consent is required to participate. Even after you have signed, you can let the doctor know that you want to discontinue your participation. The decision whether or not to participate (further) will not have any negative impact on the quality of care or on your relationship with the doctor.
- This programme is launched after evaluation by an ethics committee.
- The data collected as part of your participation will be treated in the strictest confidence by your doctor. Under no circumstances will Albireo, an Ipsen company, receive any data which would make it possible to identify you.
- If you need additional information, you can always contact the doctor or a member of his/her team.

Information on the medicinal product

Odevixibat is a drug that has already been approved by the European Medicines Agency (EMA) on July 16th, 2021 for the treatment of progressive familial intrahepatic cholestasis (PFIC). The EMA approval was granted based on the results of the phase 3 clinical studies PEDFIC1 (A4250-005) and PEDFIC2 (A4250-008), which showed that odevixibat is effective and safe for the treatment of PFIC patients. Odevixibat has currently been submitted for reimbursement in Belgium for this indication.

The marketing authorisation in the Alagille indication has been submitted to EMA, and EMA approval is expected in the upcoming months. The efficacy of odevixibat in patients with ALGS was demonstrated in the phase 2 Study A4250-003, and in two phase 3 studies: ASSERT and ASSERT-EXT. Through this medical need programme, doctors can decide to treat patients with Alagille Syndrome with odevixibat, without having to wait until the EMA approval and reimbursement in Belgium.

Odevixibat belongs to the pharmacotherapeutic group called bile and liver therapy, other drugs for bile therapy. The brand name of odevixibat is Bylvay®.

Bylvay contains the active substance odevixibat. Odevixibat is a medicine which increases the removal of substances called bile acids from the body. Bile acids are components of the digestive fluid called bile, which is produced by the liver and secreted into the intestines. Odevixibat blocks the mechanism that normally reabsorbs them from the intestines after they have done their job. This allows them to pass out of the body in the stool.

By reducing the elevations in systemic bile acids, odevixibat has the potential to decrease pruritus, improve liver function and modify the progression of liver damage in patients with ALGS. Odevixibat has minimal systemic exposure at the predicted therapeutic dose ranges.

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

Progress of the programme

To be able to participate in this programme, you will have to fulfil several criteria that your treating physician will check. If you meet all the criteria and you have signed the informed consent form, the drug odevixibat will be provided by Albireo, an Ipsen company,.

You will receive odevixibat as part of this medical need programme for as long as your treating physician believes you will benefit from it, or until odevixibat is reimbursed in Belgium.

Risks and inconveniences

All information on the combination of odevixibat with other medicines and on the possible side effects is provided in the protocol and in the information for publication of this programme. Please review these with your doctor.

Some specific points that should be taken into account during the treatment are listed here:

This program involves using an investigational medicine. Any investigational medicine has some risks, which may include things that could make you feel unwell, uncomfortable, or harm you. You might have adverse health effects related to the medicine while taking part in the program. Everyone taking part in the program will be watched for any adverse health effects; however, the doctor and nurses do not know all the effects that this new medicine may have on you. These effects may be mild, moderate or severe. While we do not anticipate this to be the case, there is a possibility that any particular adverse health effect could be long lasting, permanent, or even life-threatening.

As of 03 July 2022, approximately 457 subjects (people) have been dosed with odevixibat as participants of Phase 1, 2, and 3 Albireo sponsored studies, including 113 patients with PFIC. Studies in patients with ALGS and Biliary Atresia (BA) are ongoing but based on the safety profile in the ongoing studies no new safety signals have been identified.

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.

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 doctor's usual practice of care). For patients with liver function test elevations, more frequent monitoring should be considered.

Treatment with odevixibat may impact the absorption (how your body absorbs) of fat-soluble medicinal products, including lipophilic (fat soluble) oral contraceptives and vitamins. Treatment with odevixibat may affect the absorption (how your body absorbs) of fat-soluble vitamins such as Vitamin A, D and E, and some medicines, including oral contraceptives (birth control pills). Assessment of fat-soluble vitamin levels (Vitamins A, D, E) and INR (test to see

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

how well your blood clots) are recommended for all patients prior to initiating (starting) odevixibat, with monitoring per standard clinical practice (your doctor's usual practice of care).

The most common treatment emergent adverse events (TEAEs, which are adverse events that occur after odevixibat dosing and were not necessarily related to odevixibat) were pyrexia (fever) (27%); upper respiratory tract infection (24%); diarrhoea (20%); blood bilirubin increased (substance produced by the liver that can be measured with a blood test) (18%); ALT increased (substance produced by the liver that can be measured with a blood test) and cough (16% each); vomiting and abdominal (stomach) pain (13% each); and nasopharyngitis (common cold), pruritus (itchiness), and INR increased (blood clotting measure) (11%).

The adverse reactions considered related to odevixibat seen in children with PFIC are listed below. In this section, the following terms are used:

Very common: affects more than 1 user in 10

Common: affects 1 to 10 users in 100

Uncommon: affects 1 to 10 users in 1,000

Rare: affects 1 to 10 users in 10,000

Very rare: affects less than 1 in 10,000

Very Common: None

Common:

Diarrhoea (loose or frequent stools) – 7%

Abdominal (stomach) pain – 4%

Diarrhoea hemorrhagic (loose or frequent stools with bleeding) 1%

Faeces soft- 1%

Hepatomegaly (enlarged liver size) – 2%

Uncommon: None

Rare: None

Very rare: None

It is important that you tell the doctor about any adverse changes in your health as soon as they occur, whether or not you think they are caused by the study drug.

Risks from procedures: Risks and discomforts that you may experience from the program procedures include the following:

- Blood draws: A blood draw may cause faintness, inflammation of the vein, pain, bruising, swelling, or bleeding at the site of puncture. There is also a slight risk of infection. In very rare cases, there is a risk of blood clot or nerve injury after blood draw. If you experience discomfort from having blood tests, local anesthetic cream can be used at the injection site before doing the test.
- Fasting: Fasting could cause dizziness, headache, stomach discomfort, or fainting.

Other risks: Because odevixibat is an investigational medicine for the treatment of ALGS, there may be other risks that are unknown. 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

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

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 the program doctor of any allergies you have or prior allergic reactions to drugs or food.

Pregnancy and breastfeeding related risks

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 the program doctor throughout the program.

You must tell the program doctor immediately, if you become pregnant or if your partner becomes pregnant while you are participating in the program.

If you become pregnant, treatment with the program medicine will be stopped immediately. You will be asked to provide information on your general health and the outcome of the pregnancy and the clinical course of the infant up to 2 years after delivery.

If you are male and your partner becomes pregnant during the course of the program, we will ask that information be provided on the outcome of the pregnancy and the clinical course of the infant up to two years after delivery.

It is not known if odevixibat can pass into breast milk and affect the baby. Your doctor will help you to decide whether to stop breast-feeding or avoid odevixibat treatment, considering the benefit of breast-feeding to the baby and odevixibat to the mother.

Your doctor will collect the adverse reactions you report for safety reasons. You can also report adverse reactions directly to the Federal Agency for Medicines and Health Products, Vigilance Department, Eurostation II, Victor Horta Square 40/40, B-1060 Brussels (www.fagg.be or patientinfo@fagg-afmps.be).

Notification of new information

Sometimes during the course of a program, new information becomes available that may affect your decision to participate in this program. If this happens, the program doctor will tell you about it in a timely manner and discuss with you whether you want to continue in the program. If you decide to continue in the program after reading the new information, or if new procedures need to be performed during the program, you may be asked to sign an updated consent form.

Discontinuation of participation

Your participation is voluntary. You have the right to stop participating in this programme for any reason and without giving a reason. This decision will not affect your subsequent medical treatment.

Your treating physician, the Medical Ethics Committee or the person in charge of the programme may stop your participation in the programme at any time without asking your permission. This decision may be due to an adverse reaction you have had to odevixibat or following new data related to the efficacy or tolerance of odevixibat, or after obtaining reimbursement.

It is also possible that the doctor may discontinue your participation in this programme, without having to ask your permission, because he/she believes that this is better for your health.

Confidentiality guarantee

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

In order to be able to carry out this programme properly, it is necessary to share your medical data with persons other than the doctor treating you. This consent form describes how your personal health data will be used and to whom it will be shared.

Your identity and your participation in this programme will be kept strictly confidential. Your identity will not be disclosed by name or in any other recognisable manner in the records of this programme. The doctor will encrypt your personal data to ensure that it remains confidential to the person in charge of the programme.

You have the right to ask the doctor what data he/she has collected about you and what they are used for in the context of the programme. You have the right to inspect these data and to have them corrected if they are incorrect. These rights are guaranteed to you by the European General data protection regulation (GDPR) of 27 April 2016 (in force since 25 May 2018) and by the Belgian law of 30 July 2018 on the protection of privacy with regard to the processing of personal data and by the Belgian law of 22 August 2002 on patients' rights. You also have the right to lodge a complaint about the way your data is processed with the Belgian supervisory authority responsible for ensuring compliance with data protection legislation: Data Protection Authority (DPA) - Rue de la Presse 35 - 1000 Brussels - e-mail: contact@apd-gba.be - Website: <https://www.dataprotectionauthority.be>

The doctor and his/her team are obliged to keep the data collected confidential. This means that he/she undertakes never to divulge your name to the representatives of the person in charge of the programme (your identity will be replaced by an identification code before he/she passes it on to the representatives of the person in charge of the programme). Thus, the information that the doctor sends to the representatives of the person in charge of the programme does not include data that can directly identify you, such as your name, address or other information.

Your personal data is stored in databases with limited access. Access to all information is restricted and only allowed as stated in this document. Measures have been taken to reduce the risk of misuse of or access to your personal information by unauthorised persons. However, these risks cannot be eliminated.

The administrator of the research data, appointed by the Programme Manager, cannot identify you on the basis of the data transferred. The Programme Manager is responsible for collecting the data collected by all doctors participating in the Programme and for processing and protecting that data in accordance with the Belgian Data Protection Act and the General Data Protection Regulation (2016/679).

The coded data may be transmitted to Belgian or other regulatory authorities, to the relevant ethics committees, to other doctors and/or institutions and partners working with the person responsible for this programme. These bodies are also bound by professional secrecy, and, in any case, this can only take place under the responsibility of the treating doctor and under the supervision of one of his/her appointed colleagues.

The data may also be submitted in other countries where personal data protection standards may be different or less strict. In that case, the person in charge of the programme undertakes to respect the conditions laid down in the General Data Protection Regulation (AVG) and Belgian legislation on the protection of privacy.

If you have any questions about the processing of your personal data or wish to exercise the above rights, please contact the Data Privacy Officer (as listed on the first page of this document). This person can then contact the data controller, if necessary.

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

In addition to the above rights, you also have the right to lodge a complaint with the competent data protection authority.

If you withdraw your consent to participate in the programme, the coded data already collected before your withdrawal will be used.

No new data may be transmitted to the person in charge of the programme unless this is required to maintain the integrity of the programme.

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

Programme title: The use of odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older, through a medical need programme (MNP).

II Informed consent

Participant

- I declare that I have been informed about the nature, purpose, duration, possible benefits and risks of the programme. I have taken note of the above information.
- I have had enough time to think and talk to a person of my choice, such as my GP or a family member.
- I was able to ask all the questions that came to mind and I got a clear answer.
- I understand that my participation in this programme is voluntary and that I am free to discontinue my participation in this programme without prejudice to my relationship with the therapeutic team responsible for my health.
- I understand that during my participation in this programme, information about me will be collected and that the doctor and the person in charge of the programme will ensure the confidentiality of this information in accordance with the relevant Belgian legislation. (This informed consent remains with the doctor in charge in order to guarantee confidentiality and anonymity)
- I authorise the use and processing of my personal health data as described in this informed consent.
- I have received a copy of this informed consent.
- I agree that my GP and/or other specialists responsible for my health will be informed of my participation in this programme.

-----	-----	-----	-----
Name	First name	Date	Signature of participant

Doctor

-----	-----	-----	-----
Name	First name	Date	Signature of the doctor

Informed Consent Medical Need Programme Odevixibat for the treatment of cholestatic pruritus in Alagille syndrome (ALGS) in patients aged 6 months or older.

Informed consent form for the participant

Impartial witness

Signature of an impartial witness is required if the person or the person's legal representative(s) cannot read.

I have been present during the entire process of providing information to the patient and I confirm that the information about the programme has been adequately explained, that the participant (or his/her legal representative) has understood the programme and that the consent to participate in the programme has been freely given.

-----	-----	-----
Name	First name	Qualification of witness
-----	-----	-----
Date		Signature of impartial witness

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

Titre du programme : L'utilisation de l'odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus, dans le cadre d'un programme médical d'urgence (PMU).

Responsable du programme :

Albireo, an Ipsen company,, représentée en Belgique par Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Irlande.

Comité d'éthique médicale : Cliniques Universitaires St.-Luc

Adresse : Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 - 1200 Bruxelles

e-mail : commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TÉL : 02/ 764 55 14

Coordonnées du médiateur du centre pour les cliniques Saint-Luc:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Médecin traitant : *Veuillez compléter les informations suivantes avant de les fournir au patient*

Nom :

Adresse de l'hôpital :

.....

.....

Numéro de contact :

Numéro d'urgence :

Numéro de contact en cas de questions relatives à ce programme :

.....

Coordonnées du responsable de la protection des données de l'hôpital :

.....

Coordonnées du médiateur du centre:

.....

I. Informations nécessaires à votre décision de participer

Introduction

Votre médecin propose un traitement par l'odevixibat pour votre affection, car il estime que vous ne pouvez pas continuer à être traité de manière optimale avec un ou plusieurs médicaments actuellement disponibles sur le marché belge. Votre médecin propose donc de demander à Albireo, an Ipsen company, de vous permettre de recevoir le médicament odevixibat dans le cadre de ce programme médical d'urgence. Albireo, an Ipsen company,

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

mettra gratuitement le médicament à votre disposition dans le cadre de cette demande. Votre médecin est entièrement responsable de ce traitement par l'odevixibat.

Avant de décider de votre participation à ce programme médical d'urgence, nous souhaitons vous informer de ce que cela signifie en termes d'organisation et des avantages et risques possibles pour vous. Cela vous permettra de prendre votre décision sur la base d'informations correctes. C'est ce qu'on appelle le "consentement éclairé".

Veuillez lire attentivement les pages d'information suivantes. Si vous avez des questions, veuillez contacter votre médecin ou son représentant. Ce document se compose de 2 parties: les informations essentielles dont vous avez besoin pour prendre votre décision et votre consentement écrit.

Si vous participez à ce programme, vous devez savoir ce qui suit :

- Votre participation est volontaire ; il ne peut être question de coercition d'aucune sorte. Votre consentement signé est nécessaire pour participer. Même après avoir signé, vous pouvez faire savoir au médecin que vous souhaitez mettre fin à votre participation. La décision de participer ou non (plus loin) n'aura aucun impact négatif sur la qualité des soins ou sur votre relation avec le médecin.
- Ce programme est lancé après évaluation par un comité d'éthique.
- Les données recueillies dans le cadre de votre participation seront traitées dans la plus stricte confidentialité par votre médecin. En aucun cas, Albireo, an Ipsen company, ne recevra de données qui permettraient de vous identifier.
- Si vous avez besoin d'informations supplémentaires, vous pouvez toujours contacter le médecin ou un membre de son équipe.

Informations sur le médicament

L'odevixibat est un médicament qui a déjà été approuvé par l'Agence européenne des médicaments (EMA) le 16 juillet, 2021 pour le traitement de la cholestase intrahépatique familiale progressive (CIFP). L'autorisation de l'EMA a été accordée sur la base des résultats des études cliniques de phase 3 PEDFIC1 (A4250-005) et PEDFIC2 (A4250-008), qui ont montré que l'odevixibat est efficace et sûr pour le traitement des patients atteints de la CPIF. L'odevixibat fait actuellement l'objet d'une demande de remboursement en Belgique pour cette indication.

L'autorisation de mise sur le marché dans l'indication Alagille a été soumise à l'EMA, et l'approbation de l'EMA est attendue dans les prochains mois. L'efficacité de l'odevixibat chez les patients atteints d'ALGS a été démontrée dans l'étude de phase 2 A4250-003 et dans deux études de phase 3 : ASSERT et ASSERT-EXT. Grâce à ce programme médical d'urgence, les médecins peuvent décider de traiter les patients atteints du syndrome d'Alagille avec l'odevixibat, sans avoir à attendre l'approbation de l'EMA et le remboursement en Belgique.

L'odevixibat appartient au groupe pharmacothérapeutique appelé thérapie de la bile et du foie, autres médicaments pour la thérapie de la bile. Le nom de marque de l'odevixibat est Bylvay®.

Bylvay contient la substance active odevixibat. L'odevixibat est un médicament qui augmente l'élimination de substances appelées acides biliaires dans l'organisme. Les acides biliaires sont des composants du liquide digestif appelé bile, qui est produit par le foie et sécrété dans les intestins. L'odevixibat bloque le mécanisme qui les réabsorbe normalement dans les intestins après qu'ils aient fait leur travail. Cela leur permet d'être éliminés du corps dans les selles.

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

En réduisant les élévations des acides biliaires systémiques, l'odevixibat a le potentiel de diminuer le prurit, d'améliorer la fonction hépatique et de modifier la progression des lésions hépatiques chez les patients atteints d'ALGS. L'odevixibat présente une exposition systémique minimale aux plages de doses thérapeutiques prévues.

L'avancement du programme

Pour pouvoir participer à ce programme, vous devrez remplir plusieurs critères que votre médecin traitant vérifiera. Si vous remplissez tous les critères et que vous avez signé le formulaire de consentement éclairé, le médicament odevixibat vous sera fourni par Albireo, an Ipsen company,.

Vous recevrez de l'odevixibat dans le cadre de ce programme médical d'urgence aussi longtemps que votre médecin traitant estime que vous en bénéficierez, ou jusqu'à ce que l'odevixibat soit remboursé en Belgique.

Risques et inconvénients

Toutes les informations sur l'association de l'odevixibat avec d'autres médicaments et sur les effets secondaires possibles sont fournies dans le protocole et dans les informations pour la publication de ce programme. Veuillez les consulter avec votre médecin.

Voici quelques points spécifiques dont il faut tenir compte pendant le traitement :

Ce programme implique l'utilisation d'un médicament expérimental. Tout médicament expérimental comporte des risques, qui peuvent inclure des choses qui pourraient vous faire sentir mal, vous mettre mal à l'aise ou vous nuire. Il se peut que vous ayez des effets indésirables liés au médicament pendant que vous participez au programme. Toutes les personnes participant au programme seront surveillées afin de détecter tout effet indésirable sur la santé ; cependant, le médecin et les infirmières ne connaissent pas tous les effets que ce nouveau médicament peut avoir sur vous. Ces effets peuvent être légers, modérés ou graves. Bien que nous ne nous attendions pas à ce que ce soit le cas, il est possible qu'un effet indésirable particulier puisse durer longtemps, être permanent ou même mettre la vie en danger.

Au 3 juillet 2022, environ 457 sujets (personnes) ont reçu de l'odevixibat dans le cadre d'études de phase 1, 2 et 3 sponsorisées par Albireo, dont 113 patients atteints de PFIC. Des études sont en cours chez des patients atteints d'ALGS et d'atrésie des voies biliaires (BA), mais sur la base du profil de sécurité des études en cours, aucun nouveau signal de sécurité n'a été identifié.

La diarrhée (selles molles ou fréquentes) a été rapportée 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 dans le sang). Les patients doivent faire l'objet d'une surveillance régulière afin de s'assurer qu'ils sont suffisamment hydratés (par exemple en buvant des liquides) pendant les épisodes de diarrhée.

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

Les patients souffrant d'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 en temps) doivent être envisagés pour les patients souffrant d'insuffisance hépatique sévère (problèmes de foie).

Au cours des essais cliniques, une augmentation des résultats des tests de la fonction hépatique a été observée chez certains patients recevant de l'odevixibat. Une évaluation (prise de sang pour analyse) des tests de la fonction hépatique (ALT, AST, GGT, ALP et bilirubine totale, qui sont des substances produites par le foie et qui peuvent être mesurées par un test sanguin) est recommandée pour tous les patients avant d'initier (de commencer) l'odevixibat, avec une surveillance selon la pratique clinique standard (la pratique de soins habituelle de votre médecin). Pour les patients présentant des élévations des tests de la fonction hépatique, une surveillance plus fréquente doit être envisagée.

Le traitement par l'odevixibat peut avoir un impact sur l'absorption (comment votre corps absorbe) des médicaments liposolubles, y compris les contraceptifs oraux lipophiles (liposolubles) et les vitamines. Le traitement par l'odevixibat peut affecter l'absorption (comment votre corps absorbe) des vitamines liposolubles telles que la vitamine A, D et E, et de certains médicaments, y compris les contraceptifs oraux (pilules contraceptives). L'évaluation des taux de vitamines liposolubles (vitamines A, D, E) et de l'INR (test permettant de vérifier la coagulation du sang) est recommandée pour tous les patients avant l'instauration (le début) de l'odevixibat, avec un suivi conforme à la pratique clinique standard (la pratique habituelle de votre médecin).

Les effets indésirables apparus en cours de traitement les plus fréquents (effets indésirables survenus après l'administration de l'odevixibat et qui ne sont pas nécessairement liés à l'odevixibat) étaient les suivants : pyrexie (fièvre) (27 %) ; infection des voies respiratoires supérieures (24 %) ; diarrhée (20 %) ; augmentation de la bilirubine sanguine (substance produite par le foie qui peut être mesurée par une analyse de sang) (18 %) ; augmentation de l'ALT (substance produite par le foie qui peut être mesurée par un test sanguin) et toux (16% chacun) ; vomissements et douleurs abdominales (estomac) (13% chacun) ; et rhinopharyngite (rhume), prurit (démangeaisons), et augmentation de l'INR (mesure de la coagulation sanguine) (11%).

Les effets indésirables considérés comme liés à l'odevixibat observés chez les enfants atteints de PFIC sont énumérés ci-dessous. Dans cette section, les termes suivants sont utilisés :

Très fréquent : touche plus d'un utilisateur sur 10

Fréquent : concerne 1 à 10 utilisateurs sur 100

Peu fréquent : concerne 1 à 10 utilisateurs sur 1 000

Rare : concerne 1 à 10 utilisateurs sur 10 000

Très rare : concerne moins de 1 utilisateur sur 10 000

Consentement éclairé_PMU odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Version 3.0 de 14/06/2023

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

Très fréquent : aucun

Fréquents :

Diarrhée (selles molles ou fréquentes) - 7 %.

Douleurs abdominales (estomac) - 4%.

Diarrhée hémorragique (selles molles ou fréquentes accompagnées de saignements) 1%.

Fèces molles - 1

Hépatomégalie (augmentation de la taille du foie) - 2%.

Peu fréquent : aucun

Rare : aucun

Très rare : aucune

Il est important que vous informiez le médecin de tout changement indésirable dans votre état de santé dès qu'il se produit, que vous pensiez ou non qu'il est causé par le médicament à l'étude.

Risques liés aux procédures : Les risques et les désagréments que vous pourriez ressentir en raison des procédures du programme sont les suivants :

- Prises de sang : Une prise de sang peut provoquer un malaise, une inflammation de la veine, une douleur, une ecchymose, un gonflement ou un saignement à l'endroit de la ponction. Il existe également un léger risque d'infection. Dans de très rares cas, il existe un risque de caillot sanguin ou de lésion nerveuse après une prise de sang. Si vous ressentez une gêne lors d'une prise de sang, une crème anesthésiante locale peut être appliquée au point d'injection avant de procéder à l'examen.

- Jeûne : Le jeûne peut provoquer des étourdissements, des maux de tête, des maux d'estomac ou des évanouissements.

Autres risques : L'odevixibat étant un médicament expérimental pour le traitement de l'ALGS, il peut exister d'autres risques inconnus. 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 : difficultés respiratoires ou gonflement du visage, de la bouche, des lèvres, des gencives, de la langue ou du cou. Les autres symptômes d'une réaction allergique peuvent être une éruption cutanée, de l'urticaire ou des cloques. Vous devez informer le médecin du programme de toute allergie dont vous souffrez ou de toute réaction allergique antérieure à des médicaments ou à des aliments.

Risques liés à la grossesse et à l'allaitement

Les effets de l'odevixibat sur un enfant à naître ne sont pas connus. Les risques liés à la grossesse étant imprévisibles, il est important que vous utilisiez, le cas échéant, les méthodes

Consentement éclairé_PMU odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Version 3.0 de 14/06/2023

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

de contraception recommandées par le médecin du programme pendant toute la durée du programme.

Vous devez informer immédiatement le médecin du programme si vous tombez enceinte ou si votre partenaire tombe enceinte pendant que vous participez au programme.

Si vous tombez enceinte, le traitement avec les médicaments du programme sera immédiatement interrompu. On vous demandera de fournir des informations sur votre état de santé général, sur l'issue de la grossesse et sur l'évolution clinique du nourrisson jusqu'à deux ans après l'accouchement.

Si vous êtes un homme et que votre partenaire tombe enceinte pendant le programme, nous vous demanderons de fournir des informations sur l'issue de la grossesse et l'évolution clinique de l'enfant jusqu'à deux ans après l'accouchement.

On ne sait pas si l'odevixibat peut passer dans le lait maternel et affecter le bébé. Votre médecin vous aidera à décider si vous devez arrêter l'allaitement ou éviter le traitement par l'odevixibat, en tenant compte du bénéfice de l'allaitement pour l'enfant et de l'odevixibat pour la mère.

Votre médecin recueillera les effets indésirables que vous signalez pour des raisons de sécurité. Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement à l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé, Département Vigilance, Eurostation II, Place Victor Horta 40/40, B-1060 Bruxelles (www.fagg.be ou patientinfo@fagg-afmps.be).

Notification de nouvelles informations

Parfois, au cours d'un programme, de nouvelles informations sont disponibles et peuvent affecter votre décision de participer à ce programme. Dans ce cas, le médecin du programme vous en informera en temps utile et discutera avec vous de votre souhait de poursuivre le programme. Si vous décidez de poursuivre le programme après avoir lu les nouvelles informations, ou si de nouvelles procédures doivent être effectuées au cours du programme, il pourra vous être demandé de signer un nouveau formulaire de consentement.

Arrêt de la participation

Votre participation est volontaire. Vous avez le droit d'arrêter de participer à ce programme pour n'importe quelle raison et sans donner de raison. Cette décision n'affectera pas votre traitement médical ultérieur.

Votre médecin traitant, le Comité d'éthique médicale ou le responsable du programme peuvent arrêter votre participation au programme à tout moment sans vous demander votre autorisation. Cette décision peut être due à un effet indésirable que vous avez eu avec l'odevixibat ou à la suite de nouvelles données relatives à l'efficacité ou à la tolérance de l'odevixibat, ou encore après obtention du remboursement.

Il est également possible que le médecin mette fin à votre participation à ce programme, sans avoir à vous demander votre autorisation, parce qu'il estime que c'est mieux pour votre santé.

Garantie de confidentialité

Afin de pouvoir mener à bien ce programme, il est nécessaire de partager vos données médicales avec d'autres personnes que le médecin traitant. Ce formulaire de consentement

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

décrit comment vos données médicales personnelles seront utilisées et à qui elles seront partagées.

Votre identité et votre participation à ce programme resteront strictement confidentielles. Votre identité ne sera pas divulguée par votre nom ou de toute autre manière reconnaissable dans les dossiers de ce programme. Le médecin cryptera vos données personnelles afin qu'elles restent confidentielles pour la personne en charge du programme.

Vous avez le droit de demander au médecin quelles sont les données qu'il a recueillies à votre sujet et à quoi elles servent dans le cadre du programme. Vous avez le droit de consulter ces données et de les faire corriger si elles sont incorrectes. Ces droits vous sont garantis par le règlement général européen sur la protection des données du 27 avril 2016 (en application depuis le 25 mai 2018) et par la loi belge du 30 juillet 2018 relative à la protection de la vie privée à l'égard des traitements de données à caractère personnel et par la loi belge du 22 août 2002 relative aux droits du patient. Vous avez également le droit d'introduire une plainte concernant le mode de traitement de vos données auprès de l'autorité Belge de contrôle chargée de veiller au respect de la législation sur la protection des données : Autorité de protection des données (APD) – Rue de la Presse 35 – 1000 Bruxelles – e-mail : contact@apd-gba.be – Site web : <https://www.autoriteprotectiondonnees.be>.

Le médecin et son équipe sont tenus de respecter la confidentialité des données recueillies. Cela signifie qu'il s'engage à ne jamais divulguer votre nom aux représentants du responsable du programme (votre identité sera remplacée par un code d'identification avant qu'il ne la transmette aux représentants du responsable du programme). Ainsi, les informations que le médecin transmet aux représentants du responsable du programme ne comprennent pas de données permettant de vous identifier directement, telles que votre nom, votre adresse ou d'autres informations.

Vos données personnelles sont stockées dans des bases de données à accès limité. L'accès à toutes les informations est restreint et n'est autorisé que dans les cas indiqués dans le présent document. Des mesures ont été prises pour réduire le risque de mauvaise utilisation ou d'accès à vos informations personnelles par des personnes non autorisées. Toutefois, ces risques ne peuvent être éliminés.

L'administrateur des données de recherche, désigné par le Responsable du programme, ne peut pas vous identifier sur la base des données transférées. Le Gestionnaire du programme est responsable de la collecte des données recueillies par tous les médecins participant au programme et du traitement et de la protection de ces données conformément à la loi belge sur la protection des données et au Règlement général sur la protection des données (2016/679).

Les données codées peuvent être transmises aux autorités réglementaires belges ou autres, aux comités d'éthique compétents, à d'autres médecins et/ou institutions et partenaires travaillant avec le responsable de ce programme. Ces organismes sont également tenus au secret professionnel et, en tout état de cause, cela ne peut se faire que sous la responsabilité du médecin traitant et sous le contrôle d'un de ses confrères désignés.

Les données peuvent également être transmises dans d'autres pays où les normes de protection des données personnelles peuvent être différentes ou moins strictes. Dans ce cas, le responsable du programme s'engage à respecter les conditions prévues par le règlement général sur la protection des données (RGPD) et la législation belge sur la protection de la vie privée.

Si vous avez des questions sur le traitement de vos données personnelles ou si vous souhaitez exercer les droits susmentionnés, veuillez contacter le délégué à la protection des données

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

(dont la liste figure sur la première page du présent document). Cette personne peut ensuite contacter le responsable du traitement des données, si nécessaire.

Outre les droits susmentionnés, vous avez également le droit de déposer une plainte auprès de l'autorité compétente en matière de protection des données.

Si vous retirez votre consentement à participer au programme, les données codées déjà collectées avant votre retrait seront utilisées.

Aucune nouvelle donnée ne peut être transmise à la personne en charge du programme, sauf si cela est nécessaire pour maintenir l'intégrité du programme.

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

Titre du programme : L'utilisation de l'odevixibat pour le traitement de la maladie cholestatique du foie chez les patients atteints du syndrome d'Alagille, par le biais d'un programme médical d'urgence (PMU).

II Consentement éclairé

Participant

- Je déclare avoir été informé(e) de la nature, du but, de la durée, des avantages et des risques éventuels du programme. J'ai pris connaissance des informations ci-dessus.
- J'ai eu suffisamment de temps pour réfléchir et parler à une personne de mon choix, comme mon médecin traitant ou un membre de ma famille.
- J'ai pu poser toutes les questions qui me venaient à l'esprit et j'ai obtenu une réponse claire.
- Je comprends que ma participation à ce programme est volontaire et que je suis libre de mettre fin à ma participation à ce programme sans préjudice de ma relation avec l'équipe thérapeutique responsable de ma santé.
- Je comprends que pendant ma participation à ce programme, des informations me concernant seront collectées et que le médecin et le responsable du programme assureront la confidentialité de ces informations conformément à la législation belge en vigueur. (Ce consentement éclairé reste entre les mains du médecin responsable afin de garantir la confidentialité et l'anonymat.)
- J'autorise l'utilisation et le traitement de mes données de santé personnelles comme décrit dans ce consentement éclairé.
- J'ai reçu une copie de ce consentement éclairé.
- J'accepte que mon médecin traitant et/ou d'autres spécialistes responsables de ma santé soient informés de ma participation à ce programme.

-----	-----	-----	-----
Nom	Prénom	Date	Signature du participant

Docteur

-----	-----	-----	-----
Nom	Prénom	Date	Signature du médecin

Programme de nécessité médicale de consentement éclairé odevixibat pour le traitement du prurit cholestatique dans le syndrome d'Alagille (ALGS) chez les patients âgés de 6 mois ou plus.

Formulaire de consentement éclairé pour le participant

Témoin impartial

La signature d'un témoin impartial est requise si la personne ou son ou ses représentants légaux ne savent pas lire.

J'ai été présent pendant tout le processus d'information du patient et je confirme que les informations sur le programme ont été expliquées de manière adéquate, que le participant (ou son représentant légal) a compris le programme et que le consentement à participer au programme a été donné librement.

-----	-----	-----
Nom	Prénom	Qualification du témoin
-----	-----	-----
Date		Signature du témoin impartial

**Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de
behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS)
bij patiënten van 6 maanden of ouder.**

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de deelnemer

Titel van het programma: Het gebruik van odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Verantwoordelijk voor het programma:

Albireo, an Ipsen company,, in België vertegenwoordigd door Tanner Pharma IE, 11 Bellevue Court, Frankfield, Douglas, Cork, T12 E06D, Ierland.

Commissie voor Medische Ethiek: Cliniques Universitaires St.-Luc

Adres: Promenade de l'Alma 51 bteB1 43.03 - 1200 Bruxelles

e-mail: commission.ethique-saint-luc@uclouvain.be

TEL: 02/ 764 55 14

Contactgegevens van de ombudsman voor de klinieken van Saint-Luc:

mediateur-saintluc@uclouvain.be

Behandelend arts: *Gelieve de volgende informatie in te vullen alvorens ze aan de patiënt te geven*

Naam:

Adres van het ziekenhuis:

.....
.....

Contactnummer:

Alarmnummer:

Contactnummer in geval van vragen over dit programma:

.....

Contactgegevens van de functionaris voor gegevensbescherming van het ziekenhuis:

.....

Contactgegevens van de ombudsman van het Centrum:

.....

I. Informatie die nodig is voor uw beslissing om deel te nemen

Inleiding

Uw arts stelt een behandeling met odevixibat voor uw aandoening voor, omdat uw arts van mening is dat u niet meer optimaal kan worden behandeld met een of meer geneesmiddelen die momenteel op de Belgische markt beschikbaar zijn. Uw arts stelt daarom voor om Albireo, an Ipsen company, te vragen om u het geneesmiddel odevixibat te mogen geven in het kader van dit medische noodzaak programma. Albireo, an Ipsen company, zal het geneesmiddel

Geïnformeerde toestemming _MNP odevixibat voor cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Versie 3.0 van 14/06/2023

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de deelnemer

gratis ter beschikking stellen in het kader van deze aanvraag. Uw arts is volledig verantwoordelijk voor deze behandeling met odevixibat.

Voordat u een beslissing neemt over uw deelname aan dit medische noodzaak programma, willen wij u graag informeren over wat dit in organisatorisch opzicht betekent en wat de mogelijke voordelen en risico's voor u zijn. Zo kunt u op basis van de juiste informatie een beslissing nemen. Dit wordt "geïnformeerde toestemming" genoemd.

Lees de volgende pagina's informatie zorgvuldig door. Als u vragen heeft, neem dan contact op met uw arts of zijn/haar vertegenwoordiger. Dit document bestaat uit 2 delen: essentiële informatie die u nodig hebt om uw beslissing te nemen en uw schriftelijke toestemming.

Als u aan dit programma deelneemt, moet u het volgende weten:

- Uw deelname is vrijwillig; er kan op geen enkele wijze sprake zijn van dwang. Uw ondertekende toestemming is vereist om deel te nemen. Ook nadat u uw handtekening heeft gezet, kunt u de arts laten weten dat u wilt stoppen met uw deelname. De beslissing om wel of niet (verder) deel te nemen zal geen negatieve gevolgen hebben voor de kwaliteit van de zorg of voor uw relatie met de arts.
- Dit programma wordt gelanceerd na evaluatie door een ethisch comité.
- De gegevens die in het kader van uw deelname worden verzameld, zullen door uw arts strikt vertrouwelijk worden behandeld. In geen geval zal Albireo, an Ipsen company, gegevens ontvangen die het mogelijk zouden maken u te identificeren.
- Als u aanvullende informatie nodig hebt, kunt u altijd contact opnemen met de arts of een lid van zijn/haar team.

Informatie over het geneesmiddel

Odevixibat is een geneesmiddel dat reeds op 16 juli door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) werd goedgekeurd voor de behandeling van progressieve familiale intrahepatische cholestase (PFIC). De goedkeuring van het EMA werd verleend op basis van de resultaten van de klinische fase 3-studies PEDFIC1 (A4250-005) en PEDFIC2 (A4250-008), die aantoonde dat odevixibat doeltreffend en veilig is voor de behandeling van PFIC-patiënten. Odevixibat is momenteel ingediend voor terugbetaling in België voor deze indicatie.

Odevixibat wordt momenteel onderzocht bij patiënten met het syndroom van Alagille in twee fase 3-studies, maar het is nog niet goedgekeurd voor deze indicatie. De indiening bij het EMA van een aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen voor het Alagille-syndroom is gepland na de succesvolle voltooiing van de studies. Via dit medische noodzaak programma kunnen artsen beslissen om patiënten met het syndroom van Alagille te behandelen met odevixibat, zonder te moeten wachten op de goedkeuring van het EMA en de terugbetaling in België.

Odevixibat behoort tot de farmacotherapeutische groep die gal- en levertherapie wordt genoemd, andere geneesmiddelen voor galtherapie. De merknaam van odevixibat is Bylvay®.

Bylvay bevat de werkzame stof odevixibat. Odevixibat is een geneesmiddel dat de verwijdering van stoffen die galzuren worden genoemd uit het lichaam verhoogt. Galzuren zijn bestanddelen van de spijsverteringsvloeistof die gal wordt genoemd, die door de lever wordt geproduceerd en in de darmen wordt uitgescheiden. Odevixibat blokkeert het mechanisme dat deze stoffen normaal gesproken weer uit de darmen absorbeert nadat ze hun werk hebben gedaan. Hierdoor kunnen ze via de ontlasting het lichaam verlaten.

Geïnformeerde toestemming _MNP odevixibat voor cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Versie 3.0 van 14/06/2023

Geïnfomeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnfomeerde toestemming van de deelnemer

Door de verhoging van systemische galzuren te verminderen, kan odevixibat de pruritus verminderen, de leverfunctie verbeteren en de progressie van leverschade bij patiënten met ALGS wijzigen. Odevixibat heeft een minimale systemische blootstelling bij de voorspelde therapeutische dosisbereiken.

Voortgang van het programma

Om aan dit programma te kunnen deelnemen, moet u aan verschillende criteria voldoen die uw behandelend arts zal controleren. Als u aan alle criteria voldoet en u het geïnfomeerde toestemmingsformulier hebt ondertekend, zal het geneesmiddel odevixibat door Albireo, an Ipsen company, worden verstrekt.

U zult odevixibat ontvangen als onderdeel van dit medische noodzaak programma zolang uw behandelend arts van mening is dat u er baat bij zult hebben, of totdat odevixibat in België wordt terugbetaald.

Risico's en ongemakken

Alle informatie over de combinatie van odevixibat met andere geneesmiddelen en over de mogelijke bijwerkingen is te vinden in het protocol en in de informatie voor publicatie van dit programma. Gelieve deze met uw arts door te nemen.

Enkele specifieke punten waarmee tijdens de behandeling rekening moet worden gehouden, worden hier opgesomd:

Voor dit programma wordt een experimenteel geneesmiddel gebruikt. Aan elk onderzoeksgeneesmiddel zijn risico's verbonden, waaronder dingen waardoor u zich onwel of ongemakkelijk kunt voelen of waardoor u schade kunt oplopen. U kunt nadelige gezondheidseffecten ondervinden die verband houden met het geneesmiddel terwijl u deelneemt aan het programma. Iedereen die deelneemt aan het programma wordt gecontroleerd op eventuele nadelige gezondheidseffecten; de arts en verpleegkundigen kennen echter niet alle effecten die dit nieuwe geneesmiddel op u kan hebben. Deze effecten kunnen mild, matig of ernstig zijn. Hoewel we niet verwachten dat dit het geval zal zijn, bestaat de mogelijkheid dat een bepaald schadelijk gezondheidseffect langdurig, blijvend of zelfs levensbedreigend is.

Op 03 juli 2022 werden ongeveer 457 proefpersonen (mensen) gedoseerd met odevixibat als deelnemers aan Fase 1, 2 en 3 door Albireo gesponsorde studies, waaronder 113 patiënten met PFIC. Studies bij patiënten met ALGS en Biliary Atresia (BA) zijn aan de gang, maar op basis van het veiligheidsprofiel in de lopende studies werden geen nieuwe veiligheidssignalen geïdentificeerd.

Diarree (losse of frequente ontlasting) is gemeld als een veel voorkomende bijwerking bij gebruik van odevixibat. Diarree kan leiden tot uitdroging (dorst) en mogelijk tot een verstoorde elektrolytenbalans (chemische stoffen in uw bloed). Patiënten moeten regelmatig worden gecontroleerd om te zorgen voor voldoende hydratatie (bijv. drinken van vloeistoffen) tijdens episodes van diarree.

Geïnfomeerde toestemming _MNP odevixibat voor cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Versie 3.0 van 14/06/2023

Geïnfomeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnfomeerde toestemming van de deelnemer

Patiënten met ernstige leverfunctiestoornissen (leverproblemen) zijn niet onderzocht. Periodieke leverfunctietests (het van tijd tot tijd testen van de gezondheid van uw lever) moeten worden overwogen voor patiënten met ernstige leverfunctiestoornissen (leverproblemen).

In klinische studies werden verhoogde niveaus in leverfunctietests waargenomen (gezien) bij sommige patiënten die odevixibat kregen. Beoordeling (bloedafname om te analyseren) van leverfunctietests (ALT, AST, GGT, ALP en totaal bilirubine, stoffen die door de lever worden geproduceerd en die met een bloedtest kunnen worden gemeten) wordt aanbevolen voor alle patiënten voorafgaand aan de start van odevixibat, met controle volgens standaard klinische praktijk (de gebruikelijke zorgpraktijk van uw arts). Voor patiënten met verhoogde leverfunctietesten moet frequentere controle worden overwogen.

Behandeling met odevixibat kan invloed hebben op de absorptie (hoe uw lichaam het opneemt) van vetoplosbare geneesmiddelen, waaronder lipofiele (vetoplosbare) orale anticonceptiva en vitaminen. Behandeling met odevixibat kan invloed hebben op de absorptie (hoe uw lichaam absorbeert) van vetoplosbare vitaminen zoals vitamine A, D en E, en sommige geneesmiddelen, waaronder orale anticonceptiva (anticonceptiepillen). Beoordeling van vetoplosbare vitaminespiegels (vitamine A, D, E) en INR (test om te zien hoe goed uw bloed stolt) worden aanbevolen voor alle patiënten voorafgaand aan het starten van odevixibat, met controle volgens standaard klinische praktijk (de gebruikelijke zorgpraktijk van uw arts).

De meest voorkomende 'treatment emergent adverse events' (TEAE's, dit zijn bijwerkingen die optreden na toediening van odevixibat en die niet noodzakelijkerwijs gerelateerd waren aan odevixibat) waren pyrexie (koorts) (27%); infectie van de bovenste luchtwegen (24%); diarree (20%); verhoogd bilirubinegehalte in het bloed (door de lever geproduceerde stof die kan worden gemeten met een bloedtest) (18%); ALT verhoogd (door de lever geproduceerde stof die met een bloedtest kan worden gemeten) en hoest (elk 16%); braken en buikpijn (elk 13%); en nasofaryngitis (verkoudheid), pruritus (jeuk) en INR verhoogd (bloedstollingsmaatstaf) (11%).

De bijwerkingen die geacht worden verband te houden met odevixibat bij kinderen met PFIC staan hieronder vermeld. In deze rubriek worden de volgende termen gebruikt:

Zeer vaak: komt voor bij meer dan 1 op de 10 gebruikers

Vaak: komt voor bij 1 tot 10 op de 100 gebruikers

Soms: komt voor bij 1 tot 10 op de 1000 gebruikers

Zeldzaam: treft 1 tot 10 op de 10.000 gebruikers

Zeer zelden: treft minder dan 1 op de 10.000

Zeer vaak: geen

Geïnfomeerde toestemming _MNP odevixibat voor cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Versie 3.0 van 14/06/2023

Geïnfomeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnfomeerde toestemming van de deelnemer

Vaak:

Diarree (losse of frequente ontlasting) - 7%

Buikpijn - 4%

Diarree (losse of frequente ontlasting met bloeding) 1%

Zachte ontlasting - 1%

Hepatomegalie (vergroete lever) - 2%

Soms: Geen

Zelden: Geen

Zeer zelden: Geen

Het is belangrijk dat u de arts op de hoogte stelt van eventuele nadelige veranderingen in uw gezondheid zodra deze zich voordoen, ongeacht of u denkt dat ze worden veroorzaakt door het studiegeneesmiddel of niet.

Risico's van procedures: Risico's en ongemakken die u kunt ervaren van de programmaprocedures zijn onder andere de volgende:

- Bloedafname: Een bloedafname kan flauwte, ontsteking van de ader, pijn, blauwe plekken, zwelling of bloeding op de prikplaats veroorzaken. Er is ook een kleine kans op infectie. In zeer zeldzame gevallen bestaat er een risico op een bloedstolsel of zenuwbeschadiging na een bloedafname. Als je ongemak ondervindt van het bloedprikken, kun je een plaatselijke verdovende crème op de injectieplaats gebruiken voordat je het onderzoek uitvoert.

- Vasten: Vasten kan duizeligheid, hoofdpijn, maagklachten of flauwvallen veroorzaken.

Andere risico's: Omdat odevixibat een experimenteel geneesmiddel is voor de behandeling van ALGS, kunnen er andere risico's zijn die onbekend zijn. Alle geneesmiddelen hebben het potentiële risico op een allergische reactie die, indien niet onmiddellijk behandeld, levensbedreigend kan worden. U moet onmiddellijk medische hulp zoeken als u denkt dat u een van de volgende symptomen van een ernstige allergische reactie heeft: moeite met ademen of zwelling van het gezicht, mond, lippen, tandvlees, tong of nek. Andere symptomen van een allergische reactie zijn huiduitslag, netelroos of blaren. Je moet de arts van het programma op de hoogte stellen van allergieën die je hebt of eerdere allergische reacties op geneesmiddelen of voedsel.

Risico's in verband met zwangerschap en borstvoeding

De effecten van odevixibat op een ongeboren baby zijn onbekend. Aangezien de risico's met betrekking tot zwangerschap niet te voorspellen zijn, is het belangrijk dat u, indien van toepassing, de anticonceptiemethoden gebruikt die door de arts tijdens het programma worden aanbevolen.

Geïnfomeerde toestemming _MNP odevixibat voor cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Versie 3.0 van 14/06/2023

Geïnfomeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnfomeerde toestemming van de deelnemer

Je moet het de arts van het programma onmiddellijk vertellen als je zwanger wordt of als je partner zwanger wordt terwijl je deelneemt aan het programma.

Als u zwanger wordt, zal de behandeling met het programmageneesmiddel onmiddellijk worden gestopt. U wordt gevraagd om informatie te geven over uw algemene gezondheid en de uitkomst van de zwangerschap en het klinische beloop van het kind tot 2 jaar na de bevalling.

Als je een man bent en je partner zwanger wordt tijdens het programma, vragen we om informatie over de uitkomst van de zwangerschap en het klinische beloop van het kind tot twee jaar na de bevalling.

Het is niet bekend of odevixibat kan overgaan in de moedermelk en invloed kan hebben op de baby. Uw arts zal u helpen om te beslissen of u moet stoppen met borstvoeding of de behandeling met odevixibat moet vermijden, rekening houdend met het voordeel van borstvoeding voor de baby en odevixibat voor de moeder.

Uw arts zal de bijwerkingen die u meldt om veiligheidsredenen verzamelen. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden aan het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten, Afdeling Vigilantie, Eurostation II, Victor Horta Square 40/40, B-1060 Brussel (www.fagg.be of patientinfo@fagg-afmps.be).

Kennisgeving van nieuwe informatie

Soms komt er in de loop van een programma nieuwe informatie beschikbaar die van invloed kan zijn op je beslissing om deel te nemen aan dit programma. Als dit gebeurt, zal de arts van het programma u hier tijdig over informeren en met u bespreken of u wilt doorgaan met het programma. Als u besluit om door te gaan met het programma na het lezen van de nieuwe informatie, of als er nieuwe procedures moeten worden uitgevoerd tijdens het programma, kan u worden gevraagd om een bijgewerkt toestemmingsformulier te ondertekenen.**Stopzetting van deelname**

Uw deelname is vrijwillig. U hebt het recht om uw deelname aan dit programma om welke reden dan ook en zonder opgave van redenen te beëindigen. Deze beslissing zal geen invloed hebben op uw verdere medische behandeling.

Uw behandelend arts, de Medisch Ethische Commissie of de verantwoordelijke van het programma kunnen uw deelname aan het programma op elk moment stopzetten zonder uw toestemming te vragen. Deze beslissing kan het gevolg zijn van een bijwerking van odevixibat bij u of van nieuwe gegevens over de werkzaamheid of de tolerantie van odevixibat, of na het verkrijgen van een vergoeding.

Het is ook mogelijk dat de arts uw deelname aan dit programma stopzet, zonder uw toestemming te vragen, omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor uw gezondheid.

Vertrouwelijkheidsgarantie

Om dit programma goed te kunnen uitvoeren, is het nodig uw medische gegevens te delen met anderen dan de behandelend arts. Dit toestemmingsformulier beschrijft hoe uw persoonlijke gezondheidsgegevens zullen worden gebruikt en aan wie ze zullen worden meegedeeld.

Geïnfomeerde toestemming _MNP odevixibat voor cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Versie 3.0 van 14/06/2023

Geïnfomeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnfomeerde toestemming van de deelnemer

Uw identiteit en uw deelname aan dit programma zullen strikt vertrouwelijk worden behandeld. Uw identiteit zal niet met naam of op enige andere herkenbare wijze bekend worden gemaakt in de verslagen van dit programma. De arts zal uw persoonlijke gegevens coderen om ervoor te zorgen dat deze vertrouwelijk blijven voor de persoon die met de leiding van het programma is belast.

U heeft het recht om de arts te vragen welke gegevens hij over u heeft verzameld en waarvoor deze in het kader van het programma worden gebruikt. U hebt het recht deze gegevens in te zien en te laten corrigeren als ze onjuist zijn. Deze rechten worden u gegarandeerd door de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming van 27 april 2016 (van kracht sinds 25 mei 2018) en door de Belgische wet van 30 juli 2018 tot bescherming van de persoonlijke levenssfeer ten opzichte van de verwerking van persoonsgegevens en door de Belgische wet van 22 augustus 2002 betreffende de rechten van patiënten. U hebt ook het recht om een klacht in te dienen over de manier waarop uw gegevens worden verwerkt bij de Belgische toezichthoudende autoriteit die toeziet op de naleving van de wetgeving inzake gegevensbescherming: Gegevensbeschermingsautoriteit (GBA) - Drukpersstraat 35 - 1000 Brussel - e-mail: contact@apd-gba.be Website: <https://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be>.

De arts en zijn team zijn verplicht de verzamelde gegevens vertrouwelijk te behandelen. Dat betekent dat hij zich ertoe verbindt uw naam nooit bekend te maken aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke voor het programma (uw identiteit wordt vervangen door een identificatiecode voordat hij ze doorgeeft aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke voor het programma). De informatie die de arts doorgeeft aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke voor het programma bevat dus geen gegevens die u rechtstreeks kunnen identificeren, zoals uw naam, adres of andere informatie.

Uw persoonsgegevens worden opgeslagen in databanken met beperkte toegang. De toegang tot alle informatie is beperkt en alleen toegestaan zoals vermeld in dit document. Er zijn maatregelen genomen om het risico van misbruik van of toegang tot uw persoonsgegevens door onbevoegden te beperken. Deze risico's kunnen echter niet worden uitgesloten.

De beheerder van de onderzoeksgegevens, aangesteld door de Programmamanager, kan u niet identificeren op basis van de overgedragen gegevens. De Programmamanager is verantwoordelijk voor het verzamelen van de gegevens die worden verzameld door alle artsen die deelnemen aan het Programma en voor het verwerken en beschermen van die gegevens in overeenstemming met de Belgische Wet Bescherming Persoonsgegevens en de Algemene Verordening Gegevensbescherming (2016/679).

De gecodeerde gegevens kunnen worden doorgegeven aan de Belgische of andere regelgevende instanties, aan de bevoegde ethische comités, aan andere artsen en/of instellingen en partners die samenwerken met de persoon die verantwoordelijk is voor dit programma. Deze instanties zijn eveneens gebonden door het beroepsgeheim, en in ieder geval kan dit enkel gebeuren onder de verantwoordelijkheid van de behandelende arts en onder toezicht van een van zijn aangestelde collega's.

De gegevens kunnen ook worden verstrekt in andere landen waar de normen voor de bescherming van persoonsgegevens anders of minder streng kunnen zijn. In dat geval verbindt de verantwoordelijke van het programma zich ertoe de voorwaarden van de Algemene verordening gegevensbescherming (AVG) en de Belgische wetgeving inzake de bescherming van de persoonlijke levenssfeer na te leven.

Indien u vragen hebt over de verwerking van uw persoonsgegevens of de bovengenoemde rechten wenst uit te oefenen, kunt u contact opnemen met de functionaris voor

Geïnfomeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnfomeerde toestemming van de deelnemer

gegevensbescherming (zie de lijst op de eerste bladzijde van dit document). Deze persoon kan vervolgens contact opnemen met de verantwoordelijke voor de verwerking van de gegevens, indien nodig.

Naast de bovengenoemde rechten hebt u ook het recht om een klacht in te dienen bij de bevoegde gegevensbeschermingsautoriteit.

Indien u uw toestemming om aan het programma deel te nemen intrekt, zullen de gecodeerde gegevens die reeds vóór uw intrekking waren verzameld, worden gebruikt.

Aan de voor het programma verantwoordelijke persoon mogen geen nieuwe gegevens worden verstrekt, tenzij dit nodig is om de integriteit van het programma te handhaven.

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de deelnemer

Titel van het programma: Het gebruik van odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

II Geïnformeerde toestemming

Deelnemer

- Ik verklaar dat ik ben geïnformeerd over de aard, het doel, de duur, de mogelijke voordelen en risico's van het programma. Ik heb nota genomen van de bovenstaande informatie.
- Ik heb genoeg tijd gehad om na te denken en te praten met een persoon van mijn keuze, zoals mijn huisarts of een familielid.
- Ik kon alle vragen stellen die in me opkwamen en ik kreeg een duidelijk antwoord.
- Ik begrijp dat mijn deelname aan dit programma vrijwillig is en dat het mij vrij staat mijn deelname aan dit programma te beëindigen zonder afbreuk te doen aan mijn relatie met het therapeutisch team dat verantwoordelijk is voor mijn gezondheid.
- Ik begrijp dat tijdens mijn deelname aan dit programma informatie over mij zal worden verzameld en dat de arts en de verantwoordelijke voor het programma de vertrouwelijkheid van deze informatie zullen verzekeren in overeenstemming met de relevante Belgische wetgeving. (Deze geïnformeerde toestemming blijft bij de behandelende arts om de vertrouwelijkheid en anonimiteit te garanderen.)
- Ik geef toestemming voor het gebruik en de verwerking van mijn persoonlijke gezondheidsgegevens zoals beschreven in deze geïnformeerde toestemming.
- Ik heb een kopie van deze geïnformeerde toestemming ontvangen.
- Ik ga ermee akkoord dat mijn huisarts en/of andere specialisten die verantwoordelijk zijn voor mijn gezondheid op de hoogte worden gebracht van mijn deelname aan dit programma.

-----	-----	-----	-----
Naam	Voornaam	Datum	Handtekening van de deelnemer

Dokter

-----	-----	-----	-----
Naam	Voornaam	Datum	Handtekening van de dokter

Geïnformeerde toestemming _MNP odevixibat voor cholestatische pruritus bij het syndroom van Alagille (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder, via een programma inzake medische noodzaak (MNP).

Versie 3.0 van 14/06/2023

Geïnformeerde toestemming medisch noodprogramma odevixibat voor de behandeling van cholestatische pruritus bij het Alagille-syndroom (ALGS) bij patiënten van 6 maanden of ouder.

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de deelnemer

Onpartijdige getuige

De handtekening van een onpartijdige getuige is vereist indien de betrokkene of zijn wettelijke vertegenwoordiger(s) niet kan (kunnen) lezen.

Ik ben aanwezig geweest bij het gehele proces van het verstrekken van informatie aan de patiënt en ik bevestig dat de informatie over het programma naar behoren is uitgelegd, dat de deelnemer (of zijn/haar wettelijke vertegenwoordiger) het programma heeft begrepen en dat de toestemming om aan het programma deel te nemen vrijelijk is gegeven.

-----	-----	-----
Naam	Voornaam	Kwalificatie van de getuige
-----	-----	-----
Datum		Handtekening van de onpartijdige getuige