

Erdafitinib
Program d'usage compassionel
Belgique
42756493MAF4001

INFORMATIONS DESTINÉES AUX PATIENTS

Madame, Monsieur,

Votre médecin traitant a suggéré un traitement par l'erdafitinib dans la cadre d'un programme d'usage compassionnel.

Ci-dessous vous trouverez plus d'informations sur un programme d'usage compassionnel et sur l'erdafitinib.

Qu'est-ce qu'un programme d'usage compassionnel?

Un programme d'usage compassionnel permet d'accéder à un médicament avant que celui-ci ne soit approuvé par une agence de santé. Ce type d'accès est envisagé pour les patients souffrant de maladies graves ou potentiellement mortelles, qui ne sont pas éligibles aux essais cliniques et qui ont épuisé toutes les options de traitement disponibles. Comme le produit n'est pas encore autorisé pour votre maladie, l'Agence de santé qui protège la santé publique en supervisant la sécurité et l'efficacité des médicaments n'a pas encore déterminé s'il est sûr ou efficace pour traiter votre maladie.

Qu'est-ce que l'erdafitinib ?

L'erdafitinib est un inhibiteur des récepteurs du facteur de croissance des fibroblastes (FGFR). D'après l'analyse d'un échantillon de votre tissu cancéreux, le FGFR pourrait être à l'origine de votre tumeur. L'erdafitinib pourrait être un traitement pour votre type de cancer. C'est une pilule à prendre une fois par jour, avec ou sans nourriture.

Comment prendre l'erdafitinib ?

L'erdafitinib est un comprimé. Vous le prendrez une fois par jour avec ou sans nourriture.

L'erdafitinib doit être pris selon les directives de votre médecin. La dose habituelle d'erdafitinib est de 8 milligrammes une fois par jour. Cette dose peut être augmentée à 9 milligrammes une fois par jour en fonction des résultats de vos analyses de sang ; votre médecin vous orientera à ce sujet.

Votre médecin peut augmenter ou diminuer votre dose en fonction de la réaction de votre corps au médicament.

Votre médecin peut décider d'interrompre votre traitement par l'erdafitinib si vous ne présentez aucune réponse ou si vous ressentez certains effets secondaires.

Les comprimés doivent être pris une fois par jour par voie orale, avalés entiers avec un verre d'eau (240 ml), avec ou sans nourriture. Si vous avez des difficultés à avaler les comprimés, les comprimés peuvent être dispersés dans du jus de pomme ou de l'eau et administrés via une

seringue orale. Alternativement, les comprimés peuvent être dispersés dans l'eau et administrés via une sonde d'alimentation. Chaque dose doit être prise à peu près à la même heure chaque jour.

Si une dose d'erdafitinib est oubliée, elle peut être prise dès que possible le même jour. Reprenez le schéma posologique quotidien habituel d'erdafitinib le lendemain. Aucun comprimé supplémentaire ne doit être pris pour compenser la dose oubliée.

Si des vomissements surviennent lors de la prise de la dose, aucune dose de remplacement ne doit être prise. Vous ne devez pas manger de pamplemousse ou d'oranges de Séville pendant la période de traitement car cela pourrait interférer avec le métabolisme de l'erdafitinib dans votre corps.

L'erdafitinib doit être conservé entre 15 et 30°C. Si les conditions de conservation ne sont pas respectées, veuillez contacter votre médecin. Gardez l'erdafitinib hors de portée des enfants.

Quels sont les effets secondaires possibles et les risques liés au traitement par l'erdafitinib?

Tous les médicaments ont des effets secondaires connus ou inattendus. Les effets secondaires peuvent être légers ou plus graves. La plupart des effets secondaires disparaîtront après l'arrêt du traitement, mais certains peuvent durer longtemps. Même si des études antérieures ont montré que l'erdafitinib est normalement bien toléré, vous pouvez néanmoins ressentir des effets secondaires.

Depuis le 11 avril 2023, 1436 sujets adultes (151 volontaires sains, 1192 patients sous monothérapie et 93 patients sous thérapie combinée) et 11 patients pédiatriques ont été traités par l'erdafitinib dans le cadre d'études cliniques. Les données de sécurité de ces études sont résumées ci-dessous.

Les risques et les effets secondaires qui pourraient être liés à l'erdafitinib comprennent :

Très fréquent (survenant chez $\geq 10\%$ des patients):

- Taux de phosphate dans le sang supérieurs à la normale
- Sécheresse de la bouche
- Ulcères, ampoules ou douleurs dans la bouche, y compris les joues, la langue ou les lèvres.
- Diarrhée
- Modifications et troubles des ongles, y compris séparation des ongles du lit de l'ongle, changements de couleur ou de texture de vos ongles, infection des ongles.
- Sécheresse de la peau
- Réactions cutanées avec desquamation, rougeur, gonflement, picotements ou douleur dans la paume des mains et la plante des pieds, appelées syndrome main-pied
- Sécheresse des yeux
- Perte de cheveux
- Diminution de l'appétit
- Trouble du goût avec des aliments au goût aigre et amer

- Faibles taux de sodium dans le sang
- Augmentation du taux de la créatinine (produit déchet par vos muscles) dans le sang
- Troubles oculaires liés à une accumulation de liquide sous la rétine (la couche sensible à la lumière à l'arrière de l'œil) qui peut ou non être associée à des symptômes visuels tels qu'une vision floue ou diminuée ou une perte de vision.
- Saignements de nez
- Perte de poids

Fréquent (survenant chez $\geq 1\%$ à $< 10\%$ des patients):

- Démangeaison
- Sécheresse du nez
- Sécheresse de la muqueuse (la paroi interne humide de certains organes et cavités corporelles)
- Autres anomalies des ongles, telles que chute des ongles, saignement des ongles, crêtes sur les ongles, douleur aux ongles et cassure des ongles.
- Modifications cutanées, notamment irritation, sécheresse, épaissement, rougeur des paumes et gerçures. Rougeur et irritation des yeux, pouvant être associées à un larmolement accru, des démangeaisons oculaires, des yeux enflammés.
- Diminution du larmolement des yeux
- Irritation douloureuse d'une certaine partie de votre œil appelée cornée
- Réduction soudaine de la fonction rénale

Moins fréquent (survenant chez $< 1\%$ des patients):

- Une affection causée par des dépôts de calcium dans les vaisseaux sanguins, qui peut entraîner des lésions cutanées rouges douloureuses, pouvant parfois entraîner des plaies ouvertes, et les plaies ouvertes peuvent s'infecter
- Des bosses cutanées qui peuvent être de couleur chair ou blanches, molles ou dures et qui peuvent devenir douloureuses.
- Inconfort général de l'ongle
- Amincissement de la peau
- Plaques circulaires qui démangent sur la peau

La plupart des effets secondaires ressentis par les sujets étaient d'intensité légère à modérée et la plupart d'entre eux étaient réversibles à l'arrêt du traitement. Dans de rares cas, certains sujets ont ressenti des effets secondaires graves. Vous serez suivi de très près par votre médecin et son équipe pour détecter tout effet indésirable pouvant être provoqué par l'erdafitinib, et recevrez les soins appropriés si des effets indésirables surviennent. Si vous ressentez des effets secondaires sur les ongles ou la peau, votre médecin pourra vous demander de prendre une photo afin que votre état puisse être mieux surveillé et évalué.

Il est très important que vous informiez votre médecin si vous présentez l'un des effets secondaires décrits ci-dessus ou tout autre effet secondaire non répertorié, que vous pensiez ou non que cela soit lié au traitement que vous recevez dans le cadre du programme.

L'erdafitinib est éliminé de l'organisme par le foie et peut interagir avec d'autres médicaments éliminés par le foie. Certains médicaments ne doivent pas être pris avec l'erdafitinib. Par conséquent, il est important que vous ne preniez aucun médicament, complément alimentaire ou produit à base de plantes, à moins que cela n'ait été discuté et approuvé au préalable par votre médecin.

Risques non connus.

Tous les effets secondaires et risques possibles liés à l'erdafitinib ne sont pas connus à l'heure actuelle. D'autres effets secondaires actuellement inconnus pourraient apparaître à l'avenir, qui pourraient être légers, modérés ou graves et pourraient ou non être réversibles et pourraient également entraîner la mort. Votre médecin vous informera rapidement de tout nouveau risque lié à la prise d'erdafitinib qui pourrait affecter votre décision de poursuivre ce programme.

Gestion de la contraception et de la grossesse pendant lors de la prise d'erdafitinib.

Les rats gravides traités par l'erdafitinib ont présenté une réduction du gain de poids maternel au cours de la seconde moitié de la grossesse. Certains fœtus de rat présentaient des anomalies des membres et/ou des anomalies de certains vaisseaux sanguins majeurs tels que l'aorte. À des doses plus élevées, la grossesse s'est complètement arrêtée. D'après les résultats obtenus chez le rat, l'erdafitinib peut provoquer des malformations congénitales lorsqu'il est administré à une femme enceinte. Il est très important que vous lisiez attentivement toute cette section et que vous suiviez les instructions.

Si vous êtes une femme, participer au programme pourrait nuire à votre enfant à naître ou à votre bébé allaité. Vous ne pouvez pas participer à ce programme si vous êtes enceinte ou si vous allaitez un enfant. Vous devez accepter de ne pas tomber enceinte pendant que vous participez à ce programme et jusqu'à 3 mois après avoir pris la dernière dose d'erdafitinib. Un test de grossesse sera effectué lors de votre sélection pour le programme et pourra également être effectué à certains moments tout au long du programme ; ce test doit être négatif.

Si vous êtes en mesure d'avoir des enfants [et que vous êtes sexuellement active], vous devez utiliser une méthode contraceptive (contraception) très efficace pendant le programme et jusqu'à 3 mois après avoir pris la dernière dose d'erdafitinib. Si vous êtes une femme, les méthodes contraceptives qui peuvent être utilisées pendant ce programme comprennent les contraceptifs oraux hormonaux sur ordonnance, les injections contraceptives, les patchs contraceptifs, les dispositifs intra-utérins, la stérilité chirurgicale ou la véritable abstinence sexuelle. La véritable abstinence sexuelle est également une méthode acceptable et consiste à s'abstenir de tout rapport hétérosexuel pendant toute la durée du programme, y compris jusqu'à 3 mois après l'administration de la dernière dose du médicament. L'abstinence périodique (calendrier, méthodes symptothermiques, post-ovulation) n'est

cependant pas considérée comme acceptable. Le type de contraception que vous utilisez doit être discuté avec le médecin avant de commencer le programme. Le médecin doit approuver la méthode que vous utilisez avant que vous puissiez participer au programme.

Si vous êtes un homme, l'effet de l'erdafitinib sur vos spermatozoïdes est inconnu. À partir du moment où vous commencez à prendre de l'erdafitinib jusqu'à 3 mois après votre dernière dose, vous devez utiliser un préservatif contenant un spermicide lors de vos rapports sexuels et vous ne devez pas donner ni conserver de sperme. De plus, votre partenaire doit utiliser une forme de contraception reconnue comme décrite ci-dessus, à moins qu'elle ne soit chirurgicalement stérile. Ceci est fait pour éviter une grossesse. Si vous avez subi une vasectomie (confirmée avec succès), vous n'avez pas besoin d'utiliser de préservatif à des fins de contraception.

Si vous tombez enceinte pendant le programme, vous devez en informer immédiatement votre médecin. Vous devrez arrêter de prendre l'erdafitinib. Votre médecin vous conseillera sur vos soins médicaux et continuera à suivre et à recueillir des informations sur votre grossesse et la santé de votre bébé. Si vous ne souhaitez pas être suivi, vous pouvez retirer votre consentement à tout moment en informant votre médecin.

Si votre partenaire tombe enceinte pendant le programme jusqu'à 3 mois après votre dernière dose, vous devez en informer immédiatement votre médecin. L'autorisation de votre partenaire sera demandée pour permettre à votre médecin de suivre et de recueillir des informations sur sa grossesse et la santé du bébé. C'est entièrement facultatif. Votre partenaire n'est tenu de fournir aucune information.

Quel est le coût de l'erdafitinib ?

L'erdafitinib vous sera fourni à titre gratuit pendant votre participation à ce programme d'usage compassionnelle.

Puis-je être exclu du programme ?

Vous pouvez être exclu du programme pour des raisons qui incluent, sans toutefois s'y limiter :

- Il est dans votre intérêt médical d'arrêter
- Des raisons de sécurité
- Les instructions ne sont pas suivies pour le traitement
- Les conditions d'éligibilité ne sont plus remplies
- Un médicament alternatif est disponible dans votre pays
- L'erdafitinib a été autorisé par les autorités sanitaires de votre pays pour votre maladie et Pharmaceutica NV a informé votre médecin de la fin du programme.
- Des indications que le produit n'est pas efficace

- Janssen Pharmaceutica NV décide d'arrêter le développement de l'erdafitinib
- Les autorités sanitaires de votre pays ou Janssen Pharmaceutica NV décident d'arrêter le programme.
- L'erdafitinib ne peut pas être produit et distribué

Si vous acceptez de participer au programme d'usage compassionnel, le médicament sera mis à votre disposition jusqu'à une date définie.

En général, Janssen Pharmaceutica NV cesse de fournir des médicaments dans le cadre d'un programme d'usage compassionnelle dans un pays dès l'approbation du médicament délivrée par l'agence de santé. En attendant que le médicament soit pris en charge par votre système de santé local, Janssen Pharmaceutica NV peut continuer à le fournir lorsque la loi l'y autorise.

Votre médecin discutera avec vous des raisons invoquées pour vous retirer du programme, des autres options de traitement et des plans de suivi des effets secondaires, si nécessaire.

Puis-je changer d'avis concernant ma participation ?

Oui, vous pouvez accepter de participer au programme maintenant et changer d'avis à tout moment et pour quelque raison que ce soit, sans pénalité ni perte des avantages auxquels vous avez autrement droit. Cela signifie que si vous vous retirez du programme, vous ne perdrez pas l'accès aux soins médicaux que vous recevez en dehors du programme, vous ne recevrez pas de pénalité et vous ne renoncerez pas à vos droits ou avantages existants.

Vous pouvez d'abord en parler à votre médecin avant de prendre cette décision.

Qui dois-je contacter en cas de doute ou de préoccupation ?

Veillez contacter votre médecin :

- si vous avez des doutes ou des inquiétudes concernant votre participation à ce programme
- en cas de questions médicales urgentes
- si vous ressentez des réactions inattendues ou indésirables suite à la prise du médicament
- si vous ou votre partenaire tombez enceinte pendant le programme
- si vous n'avez pas pris le médicament comme indiqué
- si votre médicament n'a pas été conservé de manière appropriée

Nom : **Insérer les coordonnées du médecin**

Adresse : **Insérer les coordonnées du médecin**

Numéro de téléphone : **Insérer les coordonnées du médecin**

Comment ma vie privée est protégée?

Toute information vous concernant fournie à Janssen Pharmaceutica NV dans le cadre du programme ne contiendra aucune information permettant de vous identifier, telle que votre nom ou votre numéro de registre national. Les informations seront utilisées pour mener le programme. Janssen Pharmaceutica NV et l'autorité réglementaire/compétente appropriée seront informées de toute information de sécurité requise par la loi locale, sans violer votre confidentialité.

Les informations seront stockées sur papier et électroniquement. Pour protéger votre vie privée, les informations seront étiquetées de manière à ne pas vous identifier. Votre médecin est le seul à pouvoir vous identifier. Si la réglementation de votre pays autorise l'utilisation ou la publication des résultats de ce programme par votre médecin ou par Janssen Pharmaceutica NV, votre identité restera confidentielle à tout moment. En signant ce formulaire, vous autorisez cette utilisation de vos informations.

Votre médecin conservera vos dossiers médicaux personnels liés au programme, qui comprendront une référence à votre participation à ce programme, dans un endroit sûr et sécurisé aussi longtemps que nécessaire compte tenu des lois en vigueur dans votre pays ou pendant une période de sept (7) ans, selon la période la plus longue.

Vous pouvez prendre rendez-vous avec votre médecin pour consulter les informations recueillies à votre sujet et demander la correction d'éventuelles erreurs.

Les informations collectées peuvent être envoyées à d'autres membres du groupe de sociétés Johnson & Johnson, aux sous-traitants travaillant pour eux et aux autorités réglementaires. Ces parties peuvent être situées en dehors de votre pays de résidence, y compris aux États-Unis, qui peuvent prévoir des règles de protection des données différentes de celles de votre pays de résidence.

Janssen Pharmaceutica NV appliquera des mesures contractuelles et autres appropriées pour protéger les informations au même niveau de protection que dans l'Espace économique européen lorsqu'elles sont transférées à des sociétés affiliées ou à des tiers dans d'autres pays et conservera et supervisera les informations collectées à votre sujet pendant aussi longtemps que nécessaire.

Si vous souhaitez consulter, corriger, mettre à jour, restreindre, vous opposer au traitement ou supprimer des données personnelles, ou si vous souhaitez recevoir une copie électronique des données personnelles que vous avez fournies, vous devez contacter votre médecin. En fonction des lois et réglementations applicables, ces droits peuvent être limités, par exemple, une demande de suppression de vos données personnelles ne peut pas être satisfaite dans le cas où les réglementations et lois applicables à vos informations exigent qu'elles soient conservées. Vous pouvez demander à votre médecin de transmettre toutes vos questions, préoccupations ou plaintes au délégué à la protection des données de Janssen Pharmaceutica NV. Vous avez également le droit de déposer une plainte auprès de l'autorité de protection des données à l'adresse :

Autorité de protection des données

Rue de la Presse 35, 1000 Bruxelles, Belgique

+32 (0)2 274 48 00

+32 (0)2 274 48 35

contact@apd-gba.be

Si vous décidez de quitter le programme à tout moment, Janssen Pharmaceutica NV peut toujours utiliser vos informations collectées jusque-là si la loi le permet.

Merci de cocher la case :

J'accepte de participer à ce programme d'accès d'usage compassionnel et d'être traité par erdafitinib, ainsi que d'autoriser l'utilisation et le transfert de mes informations comme décrit dans le formulaire.

VOTRE ACCORD DE PARTICIPATION

Si vous consentez, veuillez lire, puis signer ci-dessous

- J'ai lu et compris les informations contenues dans ce formulaire de consentement.
- Il a été rédigé dans une langue que je peux lire et comprendre.
- Ce programme m'a été expliqué.
- Toutes mes questions sur le programme, l'erdafitinib et les risques et effets secondaires possibles ont reçu une réponse satisfaisante.
- J'autorise le traitement, l'utilisation et le partage de mes données personnelles aux fins décrites dans ce document.
- J'accepte librement de participer à ce programme tel que décrit et je comprends que je suis libre de me retirer à tout moment pendant le programme.
- Je comprends que je recevrai une copie signée de ce document à conserver.

Nom du patient

Signature du patient

Date (jour/mois/année)

Nom du médecin traitant

Signature du médecin traitant

Date (jour/mois/année)

Signature du témoin ou du représentant légal du patient, si applicable:

Nom du témoin ou du représentant légal du patient

Signature du témoin ou du représentant légal du patient Date (jour/mois/année)

Lien parenté du représentant légal du patient

**Erdafitinib
Compassionate Use Programma
België
42756493MAF4001**

INFORMATIEFORMULIER VOOR DE PATIENT

Geachte heer/mevrouw,

Uw behandelend arts heeft u een behandeling met erdafitinib voorgesteld binnen een compassionate use programma.

Hieronder vindt u meer uitleg over wat een compassionate use programma juist is en krijgt u ook informatie over erdafitinib.

Wat is een compassionate use programma?

Een compassionate use programma biedt de mogelijkheid om een onderzoeksgeneesmiddel toegankelijk te maken alvorens het is goedgekeurd voor commercialisatie door de regelgevende autoriteiten in België. Dit soort toegang wordt verleend aan patiënten met een levensbedreigende of ernstige ziekte of aandoening, waarvoor geen klinische studie beschikbaar is en waarvoor de alternatieve behandelingen zijn uitgeput. Omdat het geneesmiddel nog geen vergunning heeft voor uw ziekte, heeft de regelgevende gezondheidsinstantie die de volksgezondheid beschermt door toezicht te houden op de veiligheid en effectiviteit van geneesmiddelen, nog niet vastgesteld dat het veilig of effectief is voor gebruik bij de behandeling van uw ziekte.

Wat is erdafitinib?

Erdafitinib is een geneesmiddel dat zich richt op een groep eiwitten, de zogeheten fibroblastgroeifactorreceptoren of FGFRs. Analyse van uw tumorweefsel heeft aangetoond dat uw kanker aangestuurd kan worden door FGFR. Daarom zou uw kanker kunnen reageren op een behandeling met erdafitinib. Het is een tablet dat 1 keer per dag moet ingenomen worden, met of zonder voeding.

Hoe neem ik erdafitinib?

Erdafitinib is een tablet dat 1 keer per dag moet ingenomen worden, met of zonder voeding.

Erdafitinib moet worden ingenomen zoals voorgeschreven door uw arts. De gebruikelijke dosering van erdafitinib is 8 milligram eenmaal daags. Dit kan worden verhoogd tot 9 milligram eenmaal daags op basis van de resultaten van uw bloedonderzoek; uw arts zal u hierover instructies geven.

Uw arts kan uw dosis verhogen of verlagen afhankelijk van hoe uw lichaam op het geneesmiddel reageert.

Uw arts kan ook beslissen om uw behandeling met erdafitinib stop te zetten indien u geen respons vertoont of indien u bepaalde bijwerkingen ondervindt.

De tabletten moeten eenmaal per dag via de mond worden ingenomen, in hun geheel doorgeslikt worden met een glas water (240 ml), met of zonder voedsel. Als u problemen heeft met het doorslikken van de tabletten, kunnen de tabletten worden opgelost in appelsap of water en worden toegediend via een orale spuit. Als alternatief kunnen de tabletten in water worden opgelost en via een voedingssonde worden toegediend. Elke dosis moet elke dag op ongeveer hetzelfde tijdstip worden ingenomen.

Als een dosis erdafitinib wordt gemist, moet deze zo snel mogelijk op dezelfde dag worden ingenomen. Hervat de volgende dag het normale dagelijkse doseringsschema voor erdafitinib. Er mogen geen extra tabletten worden ingenomen om de gemiste dosis in te halen.

Indien u moet braken nadat u de dosis hebt ingenomen, mag u geen vervangende dosis innemen. U mag geen pompelmoes of Sevilla sinaasappelen (bittere sinaasappelen) eten tijdens de behandelingsperiode, omdat dit het metabolisme van erdafitinib in uw lichaam kan verstoren.

Erdafitinib moet worden bewaard tussen 15-30°C. Als niet aan de bewaarcondities is voldaan, neem dan contact op met uw arts. Houd erdafitinib buiten het bereik van kinderen.

Wat zijn de mogelijke bijwerkingen van erdafitinib?

Alle geneesmiddelen hebben zowel bekende als onverwachte bijwerkingen. Eventuele bijwerkingen kunnen mild of ernstiger zijn. De meeste bijwerkingen verdwijnen weer als u stopt met de behandeling, maar sommige kunnen langdurig zijn. Zelfs al is in eerdere studies gebleken dat erdafitinib gewoonlijk goed wordt verdragen, kunt u toch nog bijwerkingen ervaren.

Sinds 11 april 2023 werden 1436 volwassen proefpersonen (151 gezonde vrijwilligers, 1192 patiënten met monotherapie en 93 patiënten met combinatie therapie) en 11 pediatrische patiënten behandeld met erdafitinib in klinische studies. De veiligheidsgegevens uit deze studies staat samengevat hieronder.

Risico's en bijwerkingen die in verband kunnen worden gebracht met erdafitinib zijn onder andere:

Zeer vaak: (treden op bij $\geq 10\%$ van de proefpersonen):

- hoger dan normaal fosfaatgehalte in het bloed
- droge mond
- zweren, blaren of pijn in de mond, inclusief wangen, tong of lippen
- diarree
- veranderingen en aandoeningen van de nagels, inclusief loslating van de nagel van het nagelbed, veranderen van kleur of textuur van de nagels, ontsteking van de nagel
- droge huid

- huidreacties met vervelling, roodheid, zwelling, tintelingen of pijn in de handpalmen en voetzolen (ook hand-voet syndroom genoemd)
- droge ogen
- haarverlies
- verminderde eetlust
- veranderde smaak, waardoor voeding zuur en/of bitter kan smaken
- lage hoeveelheden natrium in het bloed
- verhoogd creatininegehalte (afvalproduct dat aangemaakt wordt door de spieren) in het bloed
- Oogaandoeningen die verband houden met vochtophoping onder het netvlies (de lichtgevoelige laag aan de achterkant van het oog) die al dan niet gepaard kan gaan met visuele symptomen zoals wazig of verminderd zicht of verlies van gezichtsvermogen
- Neusbloedingen
- Gewichtsverlies

Vaak: (treden op bij $\geq 1\%$ tot $\leq 10\%$ van de proefpersonen)

- Jeuk
- Droge neus
- Droogte van het slijmvlies (de vochtige binnenwand van sommige organen en lichaamsholten)
- Andere bevindingen aan de nagels zoals nagelverlies, nagelbloeding, ribbels op de nagels, pijn aan de nagels en breken van de nagels
- Veranderingen ter hoogte van de huid, waaronder irritatie, droge huid, verdikking, roodheid van de handpalmen en gebarsten huid
- Roodheid en irritatie van het oog, dat mogelijks gepaard gaat met meer tranen in de ogen, jeukende ogen, ontstoken ogen
- Verminderd tranen van de ogen
- Pijnlijke irritatie van het hoornvlies in uw oog
- Plotselinge vermindering van de nierfunctie

Minder vaak: (treden op bij $< 1\%$ van de proefpersonen)

- een aandoening, die veroorzaakt wordt door calciumafzetting in bloedvaten. Hierdoor kunnen pijnlijke rode huidletsels ontstaan, die soms tot open wonden kunnen leiden. Deze open wonden kunnen geïnfecteerd geraken.
- Huidknobbels die huidskleurig of wit, zacht of hard kunnen zijn en pijnlijk kunnen worden.
- Algemeen ongemak aan de nagel
- Dunner worden van de huid
- Ronde jeukende plekken op de huid

De meeste bijwerkingen die door proefpersonen werden ervaren, waren mild tot matig van ernst en de meeste bijwerkingen waren omkeerbaar wanneer werd gestopt met erdafitinib. In zeldzame gevallen traden ernstige bijwerkingen op bij proefpersonen. U zult door uw arts en zijn/haar team

nauwlettend worden gecontroleerd op eventuele bijwerkingen die door erdafitinib kunnen worden veroorzaakt, en u zult passende zorg krijgen als er bijwerkingen optreden. Als u bijwerkingen op uw nagels of huid ervaart, kan uw arts vragen om hier een foto van te maken, zodat uw toestand beter kan worden gecontroleerd en beoordeeld.

Het is heel erg belangrijk om uw arts te informeren als u één van bovenstaande bijwerkingen of bijwerkingen die niet in deze lijst voorkomen, ervaart, ongeacht of u denkt dat deze bijwerkingen verband houden met het geneesmiddel in dit programma.

Erdafitinib wordt door de lever uit het lichaam verwijderd en kan interageren met andere geneesmiddelen die in de lever worden verwijderd. Er zijn bepaalde medicijnen die niet samen met erdafitinib mogen worden gebruikt. Daarom is het belangrijk dat u geen medicijnen, voedingssupplementen of kruidenproducten gebruikt, tenzij dit eerst besproken met en goedgekeurd is door uw arts.

Onbekende risico's.

Op dit moment zijn niet alle mogelijke bijwerkingen en risico's van erdafitinib bekend. Andere, momenteel onbekende bijwerkingen kunnen optreden in de toekomst, die mild, matig of ernstig kunnen zijn, al dan niet omkeerbaar zijn en die eventueel de dood tot gevolg kunnen hebben. Uw arts zal u zo snel mogelijk informeren indien er nieuwe risico's met erdafitinib bekend zijn, die uw beslissing om deel te nemen aan het programma kan beïnvloeden.

Anticonceptie en zwangerschap bij gebruik van erdafitinib.

Zwangere ratten, die behandeld werden met erdafitinib, hadden een verminderde gewichtstoename van de moeder in het tweede deel van de zwangerschap. Sommige ratfoetussen hadden afwijkingen aan armen of benen en/of afwijkingen in de grote bloedvaten, bijvoorbeeld de aorta. Bij hogere dosissen kan de zwangerschap eindigen. Op basis van de bevindingen bij ratten, kan erdafitinib afwijkingen bij de geboorte veroorzaken indien het toegediend wordt aan zwangere vrouwen. Het is erg belangrijk dat u dit gedeelte volledig en aandachtig leest en de instructies opvolgt.

Als u een vrouw bent: deelname aan dit programma kan schadelijk zijn voor uw ongeboren kind of baby die borstvoeding krijgt. U kunt niet deelnemen aan dit programma als u zwanger bent of als u borstvoeding geeft. U moet ermee instemmen niet zwanger te worden terwijl u deelneemt aan dit programma, tot 3 maanden na de inname van de laatste dosis erdafitinib. Een zwangerschapstest zal worden afgenomen voor start van de behandeling met erdafitinib en kan ook nog, op verscheidende momenten, worden afgenomen tijdens het programma; deze testen moeten negatief zijn.

Als u vruchtbaar bent (en u seksueel actief bent), moet u zeer efficiënte voorbehoedsmiddelen (anticonceptie) gebruiken tijdens het programma en tot 3 maanden na inname van de laatste dosis erdafitinib. Als u een vrouw bent: voorbehoedsmiddelen (anticonceptie) die toegestaan zijn tijdens het programma zijn: de anticonceptiepil (orale hormonale anticonceptie), de prikpil, anticonceptiepleister, het spiraaltje, sterilisatie, of totale seksuele onthouding. Totale seksuele onthouding is een aanvaarde methode en wordt gedefinieerd als onthouding van heteroseksuele gemeenschap met penetratie gedurende het volledige programma en tot 3 maanden na inname van de laatste dosis. Periodieke onthouding (kalender methode, sympto-thermale methode, post-ovulatie methode) zijn echter niet toegestaan. Het type voorbehoedsmiddel dat u gebruikt, moet met de arts worden besproken voordat u met het programma begint. Uw arts moet de methode die u gebruikt goedkeuren voordat u met het programma kunt beginnen.

Als u een man bent, moet u zich realiseren dat de invloed van erdafitinib op uw sperma nog niet bekend is. Vanaf het moment dat u erdafitinib begint in te nemen tot 3 maanden na inname van uw laatste dosis, moet u een condoom met zaaddodend middel gebruiken wanneer u seks hebt en mag u geen sperma doneren of bewaren. Daarnaast moet uw partner een toegestane vorm van anticonceptie (zoals hierboven beschreven) gebruiken, tenzij deze chirurgisch gesteriliseerd is. Dit wordt gedaan om zwangerschap te voorkomen. Als u een vasectomie onderging (met de bevestiging dat u succesvol gesteriliseerd bent), hoeft u geen condoom gebruiken voor geboortebepanking.

Als u tijdens de studie zwanger wordt, moet u dit onmiddellijk aan uw arts vertellen. U zult uw behandeling met erdafitinib moeten stopzetten. De arts zal u adviseren over uw medische verzorging en zal u vragen om hem/haar toe te staan informatie te verzamelen over uw zwangerschap en de gezondheid van uw baby. Indien u geen verdere opvolging wenst, kan u op elk moment uw geïnformeerde toestemming intrekken, door uw arts hiervan op de hoogte te brengen.

Als uw partner zwanger wordt in de periode tussen het moment waarop u erdafitinib begint in te nemen tot 3 maanden na inname van uw laatste dosis, moet u dit onmiddellijk aan de arts vertellen. Aan uw partner zal toestemming gevraagd worden voor verdere opvolging en informatie rond de zwangerschap en de gezondheid van de baby. Dit is volledig vrijblijvend. Uw partner is niet verplicht informatie te geven.

Wat zijn de kosten van erdafitinib?

Erdafitinib zal gratis aan u worden verstrekt zolang u deelneemt aan dit compassionate use programma.

Kan mijn deelname aan het programma geschrapt worden?

Uw deelname aan het programma kan op elk moment gestopt worden, omwille van onder andere volgende redenen:

- het is in uw medisch belang is om te stoppen
- omwille van veiligheidsredenen
- indien u de instructies van uw arts niet opvolgt
- indien u niet langer voldoet aan de criteria om deel te nemen
- indien er een alternatief geneesmiddel in uw land beschikbaar is
- indien erdafitinib goedgekeurd wordt door de regelgevende autoriteit om op de markt gebracht te worden in België en Janssen Pharmaceutica NV uw arts heeft geïnformeerd dat het programma stopt
- indien er aanwijzingen zijn dat het geneesmiddel niet werkt
- indien Janssen Pharmaceutica NV beslist om de ontwikkeling van erdafitinib stop te zetten
- indien de regelgevende autoriteit in België of Janssen Pharmaceutica NV beslist om het programma stop te zetten
- indien erdafitinib niet kan worden geproduceerd en verdeeld

Indien u beslist om mee te doen met het programma voor compassionate use, dan zal het geneesmiddel voor u beschikbaar zijn tot een bepaald tijdpunt.

In het algemeen stopt Janssen Pharmaceutica NV met de levering van geneesmiddelen in een compassionate use programma in een land nadat het geneesmiddel is goedgekeurd door de gezondheidsinstantie. Totdat het geneesmiddel beschikbaar is via uw lokale gezondheidszorgsysteem, kan Janssen Pharmaceutica NV het geneesmiddel blijven leveren waar dit wettelijk is toegestaan.

Van zodra uw behandeling stopt zal uw arts met u andere behandelingsopties bespreken. Uw arts zal u vertellen waarom u uit het programma bent gehaald. Hij/zij bespreekt met u welke andere behandelingen mogelijk zijn en hoe u wordt opgevolgd in geval van eventuele bijwerkingen.

Kan ik van gedachten veranderen over mijn deelname aan het programma?

Ja, u kunt ermee instemmen om nu deel te nemen aan het programma en op elk moment en om welke reden dan ook van gedachten te veranderen, zonder boete of verlies van voordelen waar u anders recht op heeft. Dit betekent dat als u zich terugtrekt uit het programma, u de toegang tot de medische zorg die u buiten het programma ontvangt, niet verliest, geen boete krijgt of uw bestaande rechten of voordelen opgeeft.

Met wie moet ik contact opnemen in geval van twijfel of bezorgdheid?

Neem contact op met uw arts:

- als u twijfels of zorgen heeft over uw deelname aan dit programma

- bij dringende medische vragen
- als u onverwachte of ongewenste reacties ervaart als u het geneesmiddel gebruikt
- als u of uw partner zwanger wordt tijdens het programma
- als u het geneesmiddel niet volgens de instructies heeft ingenomen
- als uw geneesmiddel niet op de juiste manier is bewaard

Naam: **Vul contactgegevens arts in**

Adres: **Vul contactgegevens arts in**

Telefoonnummer: **Vul contactgegevens arts in**

Hoe wordt mijn privacy beschermd?

Alle informatie over u die in het kader van het programma aan Janssen Pharmaceutica NV wordt verstrekt, zal geen informatie bevatten die u kan identificeren, zoals uw naam of rijksregisternummer. De informatie zal worden gebruikt om het programma uit te voeren. Janssen Pharmaceutica NV en de toepasselijke regelgevende/bevoegde autoriteit zullen op de hoogte worden gesteld van alle veiligheidsinformatie die vereist is door de lokale wetgeving, zonder uw vertrouwelijkheid te schenden.

De informatie wordt zowel op papier als elektronisch opgeslagen. Om uw privacy te beschermen, worden de gegevens zodanig gelabeld dat u niet kunt worden geïdentificeerd. Uw arts is de enige die u kan identificeren. Als de regelgeving van uw land toestaat dat resultaten van dit programma worden gebruikt of gepubliceerd door uw arts of door Janssen Pharmaceutica NV, wordt uw identiteit ten allen tijde vertrouwelijk gehouden. Door dit formulier te ondertekenen, geeft u toestemming voor dit gebruik van uw gegevens.

Uw arts zal uw persoonlijk medisch dossier met betrekking tot het programma, inclusief een verwijzing naar uw deelname aan dit programma, op een veilige locatie bewaren zolang als nodig is gezien de wetten die in uw land van toepassing zijn, of gedurende een periode van zeven (7) jaar, afhankelijk van wat langer is.

U kunt met uw arts afspreken om de over u verzamelde informatie in te kijken en te vragen om eventuele fouten te corrigeren.

De verzamelde informatie kan worden verzonden naar andere leden van de Johnson & Johnson-bedrijvengroep, bedrijven die voor hen werken en regelgevende instanties. Deze partijen kunnen zich buiten uw woonland bevinden, inclusief in de Verenigde Staten, waar andere regels voor gegevensbescherming kunnen gelden dan in uw woonland.

Janssen Pharmaceutica NV zal passende contractuele en andere maatregelen treffen om de informatie te beschermen met hetzelfde beschermingsniveau als in de Europese Economische Ruimte wanneer deze wordt overgedragen aan dochterondernemingen of derde partijen in andere landen, en zal de over u verzamelde informatie zo lang mogelijk bewaren en controleren, zolang als nodig is.

Als u persoonlijke gegevens wilt inkijken, verbeteren, bijwerken, beperken, bezwaar wilt maken tegen de verwerking ervan of verwijderen, of als u een elektronische kopie wilt ontvangen van de door u verstrekte persoonlijke gegevens, dient u contact op te nemen met uw arts. Afhankelijk van de toepasselijke wet- en regelgeving kunnen deze rechten beperkt zijn. Aan een verzoek om uw persoonlijke gegevens te verwijderen kan bijvoorbeeld niet worden voldaan als de regelgeving en wetten die van toepassing zijn op uw gegevens vereisen dat deze worden bewaard. U kunt uw arts verzoeken om eventuele vragen, bezorgdheden of klachten door te geven aan de functionaris voor gegevensbescherming van Janssen Pharmaceutica NV. U heeft ook het recht om een klacht in te dienen bij de gegevensbeschermingsautoriteit via:

Gegevensbeschermingsautoriteit

Drukpersstraat 35, 1000 Brussels, Belgium

+32 (0)2 274 48 00

+32 (0)2 274 48 35

contact@apd-gba.be

Als u op eender welk moment besluit om uit het programma te stappen, kan Janssen Pharmaceutica NV de tot dan toe verzamelde gegevens nog steeds gebruiken als de wet dit toestaat.

Ik ga ermee akkoord om deel te nemen aan het compassionate use programma en behandeld te worden met erdafitinib, evenals het gebruik en de overdracht van mijn gegevens toe te staan zoals beschreven in het formulier.

Uw akkoord om deel te nemen aan het compassionate use programma

Als u hiermee akkoord gaat, lees dan onderstaanden en handteken vervolgens

- Ik heb de informatie in dit toestemmingsformulier gelezen en begrepen.
- Het is geschreven in een taal die ik kan lezen en begrijpen.
- Dit programma werd mij uitgelegd.
- Al mijn vragen over het programma, erdafitinib, mogelijke risico's en bijwerkingen zijn naar tevredenheid beantwoord.

• Ik geef toestemming dat mijn persoonlijke gegevens worden verwerkt, gebruikt en gedeeld voor de doeleinden die in dit document worden beschreven.

• Ik ga er vrijwillig mee akkoord om deel te nemen aan dit programma zoals beschreven en ik begrijp dat ik me op elk moment kan terugtrekken uit het programma.

• Ik begrijp dat ik een ondertekend exemplaar van dit document krijg om te bewaren.

Volledige naam van de patiënt(e)

Handtekening van de patiënt(e)

Datum (dag/maand/jaar)

Naam van de arts

Handtekening van de arts

Datum (dag/maand/jaar)

Handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger, indien van toepassing:

Volledige naam van de wettelijke vertegenwoordiger

Handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger

Datum (dag/maand/jaar)

Verwantschap van de wettelijke vertegenwoordiger met de patiënt(e)