

## EINWILLIGUNGSERKLÄRUNG

**PROGRAMMTITEL: AVACOPAN ANTI-NEUTROPHILEN  
ZYTOPLASMATISCHE AUTOANTIKÖRPER-ASSOZIIERTEVASKULITIS  
(AAV) MEDIZINISCHES BEDARFSPROGRAMM**

**KURZTITEL: AVACOPAN AAV MEDIZINISCHES BEDARFSPROGRAMM**

**Verantwortliche Person (Sponsor):** Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd.  
Rechenstrasse 37  
9014 St. Gallen, Schweiz

Arzt bzw. Ärztin: *<Name des Arztes einfügen>*

Standort des Krankenhauses / der Klinik: *<Adresse der Einrichtung einfügen>*

Telefonnummer des Krankenhauses / der Klinik: *<Telefonnummer von Arzt/Einrichtung einfügen>*

### EINLEITUNG

Dies ist ein Programm, das es Ihnen ermöglicht, ein Medikament gegen ANCA-assoziierte Vaskulitis zu erhalten. Ihr behandelnder Arzt bzw. Ihre behandelnde Ärztin hat vorgeschlagen, dass dieses Medikament für Sie von Nutzen sein könnte. Sie werden gebeten, die Informationen zu prüfen und sich zu überlegen, ob Sie dieses Medikament «Avacopan» erhalten möchten, das zur Behandlung von Granulomatose mit Polyangiitis (GPA) und mikroskopischer Polyangiitis (MPA), den zwei Hauptformen von anti-neutrophiler zytoplasmatischer Autoantikörper (ANCA)--assoziierter Vaskulitis, entwickelt wurde.

Diese Einwilligungserklärung informiert Sie über die möglichen Risiken und den Nutzen der Teilnahme an diesem Programm.

Nachdem Sie diese Einwilligungserklärung gelesen haben, sollten Sie das Programm und eventuelle Fragen mit Ihrem behandelnden Arzt bzw. Ihrer behandelnden Ärztin besprechen, der bzw. die Ihnen die Einnahme von Avacopan vorschlägt. Sie können auch eine Kopie dieser Einwilligungserklärung mit Ihrer Familie, Ihrem Freund/Ihrer Freundin oder Ihrem Hausarzt bzw. Ihrer Hausärztin besprechen, bevor Sie eine Entscheidung

treffen. Wenn Sie sich für die Teilnahme an diesem Programm entscheiden, werden Sie gebeten, die Einwilligungserklärung persönlich zu unterschreiben und zu datieren. Sie erhalten eine Kopie dieser Einwilligungserklärung zur persönlichen Aufbewahrung. Diese Einwilligungserklärung enthält eine Zusammenfassung der wichtigsten Informationen zum Programm, den möglichen Risiken für Sie und weitere Informationen. Ihr behandelnder Arzt bzw. Ihre behandelnde Ärztin kann Ihnen jederzeit zusätzliche Informationen geben. Die Teilnahme in diesem Programm ist vollkommen freiwillig.

## **WELCHEN ZWECK VERFOLGT DIESES PROGRAMM?**

Avacopan ist ein Medikament, das von dem Unternehmen ChemoCentryx, Inc. und der Firma Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. entwickelt wird. Es wurde für die Behandlung einer bestimmten Art von Vaskulitis untersucht, nämlich der Granulomatose mit Polyangiitis (GPA) und der mikroskopischen Polyangiitis (MPA), den beiden Hauptformen von anti-neutrophiler zytoplasmatischer Autoantikörper (ANCA)--assoziierter Vaskulitis (AAV). Um die Sicherheit und Wirksamkeit von Avacopan bei ANCA-assoziierter Vaskulitis zu untersuchen, wurden eine zulassungsrelevante klinische Phase-III-Studie (CL010\_168) an 331 Patient\*innen mit ANCA-assoziierter Vaskulitis und zwei unterstützende klinische Phase-II-Studien (CL002\_168 und CL003\_168) an insgesamt 109 Patient\*innen mit ANCA-assoziierter Vaskulitis durchgeführt. Außerdem wurden bisher insgesamt sieben Phase-I-Studien mit 264 gesunden erwachsenen Proband\*innen abgeschlossen; 206 von ihnen erhielten mindestens eine Dosis von Avacopan.

Avacopan wurde von der Europäischen Kommission, der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) und dem japanischen Ministerium für Gesundheit, Arbeit und Soziales (MHLW) für die Behandlung von Patient\*innen mit GPA und MPA zugelassen.

Die derzeitige Standardtherapie für AAV zum Erreichen einer Remission der Krankheit umfasst die folgenden Kombinationen:

1. Ein Medikament namens Cyclophosphamid (intravenös [i.v.] oder oral [durch den Mund] verabreicht), gefolgt von einem Medikament namens Azathioprin, plus einem Steroidarzneimittel namens Prednison (oder Varianten von Prednison, wie z. B. Methylprednisolon).

ODER

2. Ein Medikament namens Rituximab (intravenös verabreicht [i.v.]) plus einem Steroid-Medikament namens Prednison (oder Variationen davon wie oben).

Prednison (verabreicht in beiden Kombinationen der Standardtherapie für AAV) ist ein sogenanntes Glukokortikoid oder Kortikosteroid und kann als solches mehrere Nebenwirkungen haben, die Ihnen Ihr behandelnder Arzt bzw. Ihre behandelnde Ärztin erklärt hat. Avacopan wurde in einer großen klinischen Studie getestet, um herauszufinden,

ob es orales Prednison in den oben genannten Standardbehandlungen von Patient\*innen mit AAV weitgehend ersetzen kann.

Dieses Programm ermöglicht es, nach Anfrage bei Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd, dass AAV -Patient\*innen mit medizinischem Bedarf das Medikament Avacopan erhalten können, bevor Avacopan erstattungsfähig und/oder in Ihrem Land im Handel erhältlich ist.

### **WARUM WURDE ICH ZUR TEILNAHME AN EINEM MEDIZINISCHEN BEDARFSPROGRAMM EINGELADEN?**

Sie werden zur Teilnahme an diesem Programm eingeladen, weil Sie eine klinische Diagnose von AAV haben (einschließlich Krankheitsbezeichnungen Granulomatose mit Polyangiitis, auch Wegener-Krankheit genannt, oder mikroskopische Polyangiitis enthält), entweder neu diagnostiziert oder rezidivierend, wobei eine Behandlung mit Cyclophosphamid oder Rituximab indiziert ist.

Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird Ihnen gesagt haben, dass Sie eine Behandlung benötigen, um eine Remission (keine Krankheitssymptome) von AAV zu erreichen, und dass die verfügbaren Behandlungsoptionen nicht ausreichend oder nicht geeignet für Sie sind. Es könnte sein, dass Sie schon einmal ein erhebliches Problem mit Prednison hatten oder dass Sie aus anderen Gründen ein hohes Risiko haben, unter Nebenwirkungen im Zusammenhang mit Glukokortikoiden zu leiden. In diesem Programm kann Patient\*innen Avacopan zur Verfügung gestellt werden, weil Remission erforderlich ist und die verfügbaren Behandlungsoptionen nicht ausreichend oder geeignet sind.

### **MUSS ICH AN DIESEM MEDIZINISCHEN BEDARFSPROGRAMM TEILNEHMEN?**

Nein. Die Entscheidung liegt bei Ihnen, ob Sie an diesem Programm teilnehmen möchten oder nicht. Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird Ihnen das Programm beschreiben, Avacopan erklären und diese Einwilligungserklärung mit Ihnen durchgehen. Wenn Sie sich für eine Teilnahme entscheiden, erhalten Sie eine Kopie dieser Patienteninformation zur Aufbewahrung. Sie werden gebeten, eine Einwilligungserklärung zu unterschreiben und erhalten davon außerdem eine Kopie. Es steht Ihnen weiterhin frei, jederzeit und ohne Angabe von Gründen von diesem Programm zurückzutreten. Eine Entscheidung, zu einem beliebigen Zeitpunkt zurückzutreten oder nicht teilzunehmen, hat keinen Einfluss auf die Versorgung, die Sie erhalten.

Um Ihre Teilnahme an diesem Programm beenden zu können, müssen Sie den Arzt bzw. die Ärztin unter den auf Seite 1 in dieser Patienteninformation aufgeführten Kontaktdaten informieren.

Indem Sie der Teilnahme zustimmen, stimmen Sie auch zu, dass Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin Ihre Teilnahme an diesem Programm ohne Ihre Zustimmung aus beliebigen Gründen beenden kann, einschließlich, aber nicht beschränkt auf:

- a. Seine/ihre Einschätzung, dass eine Bedingung oder ein Umstand Sie verletzen könnte, wie z. B. ein erhöhtes Risiko oder eine Änderung des potenziellen Nutzens.
- b. Wenn Sie die Anweisungen des Arztes bzw. der Ärztin zur Einnahme von Avacopan nicht befolgen.
- c. Wenn das Programm von Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. abgebrochen wird.

## **WIE LANGE WERDE ICH IN DIESEM MEDIZINISCHEN BEDARFSPROGRAMM SEIN?**

Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird mit Ihnen festlegen, wie lange Sie Avacopan einnehmen, und Sie regelmäßig in der Klinikambulanz untersuchen.

Für die Erstbehandlung beträgt die Dosis 30 mg zweimal täglich für einen Monat. Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin hat die Möglichkeit, eine zusätzliche Behandlung von bis zu 3 Monaten anzufordern. Danach kann Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin eine weitere Versorgung mit Avacopan anfordern, wenn er/sie einen klinischen Nutzen sieht.

## **WAS PASSIERT MIT MIR, WENN ICH TEILNEHME UND WELCHE VERFAHREN UND TESTS SIND DAMIT VERBUNDEN?**

Sie werden gebeten, jeweils morgens drei Kapseln zu einer Mahlzeit und abends drei Kapseln zu einer Mahlzeit einzunehmen. Jede Kapsel enthält 10 mg Avacopan.

Bevor Sie an dem Programm teilnehmen, werden Sie gebeten, die Einwilligungserklärung am Ende dieses Dokuments zu lesen und zu unterschreiben.

### *Tests auf Infektionskrankheiten*

Als Teil des Vorauswahlverfahrens werden Sie auf HIV, Hepatitis B, Hepatitis C und Tuberkulose getestet. Sie werden über die Testergebnisse informiert. Ein positiver Test bedeutet, dass Sie dem Hepatitis- oder dem Human-Immundefizienz-Virus oder dem Bakterium, das Tuberkulose verursacht, ausgesetzt waren. Wenn Ihr Test positiv ist, können Sie nicht an dem Programm teilnehmen und Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird mit Ihnen alternative Behandlungsmöglichkeiten besprechen.

### *Regelmäßige Besuche bei Ihrem Arzt bzw. bei Ihrer Ärztin:*

Sie werden Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin regelmäßig zur Überprüfung Ihres Fortschritts und der Funktion Ihrer Leber aufsuchen, da diese durch Avacopan beeinträchtigt werden kann.

Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird Blutuntersuchungen vor und ggf. während der Behandlung durchführen, um Folgendes zu überprüfen:

- Diagnose einer ANCA-assoziierten Vaskulitis

- etwaige Probleme mit Ihrer Leberfunktion (durch Messung der Leberenzyme und des Gesamtbilirubins im Blut)
- Ihr Infektionsrisiko (durch Messung der Anzahl der weißen Blutkörperchen)
- Ihre Nierenfunktion
- der Blutspiegel des Kreatinphosphokinase-Enzyms.

Sprechen Sie vor der Einnahme von Avacopan und während der Behandlung mit Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin, wenn Sie Folgendes hatten oder haben:

- eine Herzerkrankung, wie z. B. Herzinfarkt, Herzinsuffizienz, Entzündung der Blutgefäße des Herzens
- jede Art von Krebserkrankung.

Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin wird Sie auch auf Anzeichen und Symptome einer Infektion namens *Neisseria meningitidis* überwachen. Dies wird für erwachsene Patient\*innen mit GPA oder MPA empfohlen.

Es wird empfohlen, dass Sie sich während der Einnahme von Avacopan einer Behandlung unterziehen, um einer Lungenentzündung durch *Pneumocystis jirovecii*-Pneumonie vorzubeugen.

Sie werden gefragt, wie Sie sich fühlen, ob sich Ihr Gesundheitszustand geändert hat, sie Probleme oder Nebenwirkungen haben und welche Medikamente Sie seit dem letzten Besuch eingenommen haben.

Sie werden alle Impfungen gemäß den nationalen und behördlichen Richtlinien erhalten.

### **WAS WERDE ICH TUN MÜSSEN?**

Es ist sehr wichtig, dass Sie Avacopan einnehmen und

- Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin informieren, bevor Sie neue Arzneimittel einnehmen
- Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin über Krankheiten oder Verletzungen informieren
- Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin über auftretende Nebenwirkungen oder Probleme informieren.

### **WELCHE ANDEREN BEHANDLUNGSMÖGLICHKEITEN GIBT ES?**

Sie müssen nicht am Programm teilnehmen, um eine Behandlung für Ihre AAV zu erhalten. Es gibt alternative Behandlungen für AAV. Wenn Sie sich nicht für die Teilnahme an diesem Programm entscheiden, erhalten Sie möglicherweise eine Standardbehandlung für ANCA-assoziierte Vaskulitis, darunter Kortikosteroide, Cyclophosphamid, Azathioprin, Methotrexat, Mycophenolatmofetil, Rituximab, nichtsteroidale Antirheumatika, Hydroxychloroquin oder, u. a., einen Plasmaaustausch.

Alle diese Behandlungen sind mit potenziellen Risiken verbunden. Sie sollten diese Behandlungsoptionen mit Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin besprechen.

## **WAS SIND DIE MÖGLICHEN RISIKEN BEI DER EINNAHME VON AVACOPAN?**

Medizinische Behandlungen können Nebenwirkungen verursachen. Bekannte oder mögliche Nebenwirkungen von Avacopan werden im Folgenden besprochen, um Ihnen zu helfen, die potenziellen Risiken einer Einnahme von Avacopan im Rahmen dieses medizinischen Bedarfsprogramms zu verstehen.

Avacopan wurde an ~1202 Studienteilnehmer\*innen und mehreren gesunden Freiwilligen und in mehreren Indikationen getestet.

### **Wenden Sie sich sofort an Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin, wenn die folgenden schwerwiegenden Nebenwirkungen auftreten:**

**Sehr häufig** (können in mehr als 1 von 10 Personen auftreten)

- Bluttest, der erhöhte Werte von
  - Leberenzymen zeigt (ein Anzeichen für Leberprobleme)
  - Bilirubin: ein gelber Abbaustoff des Blutfarbstoffs.

**Häufig** (können in bis zu 1 von 10 Personen auftreten)

- Lungenentzündung (Symptome können Keuchen, Atembeschwerden oder Brustschmerzen sein).

**Gelegentlich** (können in bis zu 1 von 100 Personen auftreten)

- Schwerwiegende allergische Reaktion, die Schwellungen unter der Haut, hauptsächlich im Gesicht, und Atembeschwerden verursachen kann (Angioödem).

### **Andere Nebenwirkungen können mit den folgenden Häufigkeiten auftreten:**

**Sehr häufig**

- Infektion der oberen Atemwege
- wunde und entzündete Kehle oder Nase
- Kopfschmerzen
- Gefühl der Übelkeit (Nausea)
- Diarrhö
- Erbrechen
- verringerte Anzahl von weißen Blutkörperchen bei Blutuntersuchungen.

**Häufig**

- Entzündung der inneren Nasenschleimhaut, die Niesen, Juckreiz, laufende und verstopfte Nase verursacht
- Harnwegsinfektion
- Entzündung der Nasennebenhöhlen oder Bronchien
- Entzündung der Magen- und Darmschleimhaut
- Infektion der unteren Atemwege

- Cellulitis
- Gürtelrose
- Grippe
- Hefepilzinfektion durch Candida oder Herpes im Mund
- Mittelohrentzündung
- verminderte Anzahl von weißen Blutkörperchen, die als Neutrophile bezeichnet werden (Symptome können Infektionen, Fieber oder schmerzhaftes Schlucken sein)
- Obere Abdominalschmerzen
- erhöhte Werte des Enzyms Kreatinphosphokinase im Blut (Symptome können Brustschmerzen, Verwirrtheit, Muskelkater und Muskelschmerzen, plötzliche Schwäche oder Taubheit des Körpers sein).

### **Wichtige mögliche Risiken mit Avacopan**

#### *Überempfindlichkeitsreaktionen*

Alle Medikamente können eine allergische Reaktion hervorrufen, eine sogenannte Überempfindlichkeitsreaktion, die, wenn sie nicht sofort behandelt wird, lebensbedrohlich werden kann.

Überempfindlichkeit (auch Überempfindlichkeitsreaktion oder Unverträglichkeit genannt) bezieht sich auf unerwünschte Reaktionen Ihres Immunsystems, einschließlich Allergien. Anzeichen und Symptome einer Überempfindlichkeit sind Urtikaria (auch Nesselausschlag genannt, der sich als rote, juckende Quaddeln auf der Haut äußert und Angioödeme, wie Schwellungen von Mund, Zunge, Rachen, Lippen, Gliedmaßen oder Magen, die durch Medikamente verursacht werden können). Angioödeme sind eine seltene, aber schwere allergische Reaktion, die lebensbedrohlich sein kann. In klinischen Studien mit Avacopan traten zwei Fälle von Angioödem auf, darunter ein schwerwiegendes Ereignis, das einen Krankenhausaufenthalt erforderlich machte.

Einige Anzeichen für eine schwere allergische Reaktion (z. B. Anaphylaxie) sind Hautausschlag oder Nesselausschlag, Schwierigkeiten beim Atmen, pfeifende Atmung, plötzlicher Blutdruckabfall (Schwindel oder Benommenheit), Schwellungen um den Mund, die Zunge, Rachen, Lippen oder Augen, schneller Puls oder Schwitzen. Schwere allergische Reaktionen sind lebensbedrohlich und können zum Tod führen.

Wenn Sie eine schwere allergische Reaktion haben, suchen Sie bitte dringend einen Arzt auf oder gehen Sie in die nächstgelegene Notaufnahme eines Krankenhauses.

#### *Medikamentös bedingte Leberschäden*

Die Anwendung bestimmter Arzneimittel kann mit einer Nebenwirkung verbunden sein, die als arzneimittelinduzierte Leberschädigung (DILI) bezeichnet wird. DILI ist mit

einem Anstieg der Leberenzyme (Bluttest zur Beurteilung der Leberfunktion) verbunden und kann in einigen Fällen zu Leberversagen und zum Tod führen.

In der zulassungsrelevanten Phase- III-Studie traten bei 13,3 % der mit Avacopan behandelten Patient\*innen im Vergleich zu 11,6 % der mit Prednison behandelten Patient\*innen unerwünschte Ereignisse bei Leberfunktionstests auf. Keiner dieser Fälle führte zu Leberversagen oder zum Tod, und in all diesen Fällen normalisierten sich die Leberenzyme nach Absetzen von Avacopan.

Sie werden Ihren Arzt oder Ihre Ärztin regelmäßig aufsuchen, um Ihren Therapiefortschritt zu überprüfen und die Funktion Ihrer Leber zu überprüfen. Gelegentlich kann es bei schweren Leberveränderungen zu einer Gelbfärbung der Haut oder der Augen kommen, die als Gelbsucht bezeichnet wird. Informieren Sie unverzüglich Ihren Arzt oder Ihre Ärztin, wenn Sie eine Gelbfärbung Ihrer Haut oder Ihrer Augen feststellen. Wenn bei Ihren Leberfunktionstests erhöhte Werte festgestellt wurden, werden Sie möglicherweise aufgefordert, sich einer erneuten Blutabnahme zu unterziehen und die Einnahme des Studienmedikaments zu unterbrechen oder dauerhaft einzustellen.

#### *Schwere Infektionen*

Eine verringerte Anzahl weißer Blutkörperchen kann das Risiko von Infektionen, einschließlich schwerer Infektionen, erhöhen.

Die häufigsten schwerwiegenden Infektionen, die bei Teilnehmer\*innen der klinischen Studie, die Avacopan einnahmen, berichtet wurden, waren Lungenentzündung und Harnwegsinfektionen. Bei Teilnehmer\*innen der klinischen Studien, die Avacopan erhielten, wurde über eine Reaktivierung einer Hepatitis-B-Infektion und tödlich verlaufenden Infektionen berichtet.

Sie sollten sofort Ihren Arzt oder Ihre Ärztin kontaktieren, wenn Sie Anzeichen oder Symptome einer Infektion entwickeln. Die routinemäßige Überwachung im Rahmen des medizinischen Bedarfsprogramms wird während der gesamten Dauer durchgeführt.

Es können andere Nebenwirkungen / andere Risiken auftreten, die der Sponsor nicht vorhersagen kann, wenn Avacopan allein oder in Kombination mit anderen Arzneimitteln eingenommen wird.

Sie werden während des Programms sorgfältig auf Nebenwirkungen überwacht.

#### **EMPFÄNGNISVERHÜTUNG, RISIKEN IM ZUSAMMENHANG MIT SCHWANGERSCHAFT UND STILLEN**

Die Auswirkungen des Studienmedikaments Avacopan auf eine Schwangerschaft, ein ungeborenes Kind oder eine stillende Mutter sind derzeit nicht bekannt. Wenn Sie schwanger sind, eine Schwangerschaft planen oder stillen, sollten Sie daher Avacopan nicht einnehmen. Sie müssen bestätigen, dass Sie nach bestem Wissen nicht schwanger sind und nicht beabsichtigen, schwanger zu werden.

Wenn Sie eine Frau im gebärfähigen Alter sind (d. h. nicht postmenopausal oder chirurgisch sterilisiert), muss Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin dies mit einem



Schwangerschaftstest bestätigen, bevor Sie mit der Einnahme von Avacopan beginnen können.

Wenn Sie oder Ihre Partnerin im gebärfähigen Alter sind, müssen Sie während der Einnahme von Avacopan, und für mindestens 6 Monate nach der letzten Dosis von Cyclophosphamid (wenn Sie Cyclophosphamid erhalten) und mindestens 12 Monate nach der letzten Dosis von Rituximab (wenn Sie Rituximab erhalten) konsequent eine zugelassene Verhütungsmethode anwenden. Wenn Sie oder Ihr Partner nicht bereit sind, zugelassene Methoden der Empfängnisverhütung zu verwenden, können Sie nicht teilnehmen.

Die zugelassenen Formen der Empfängnisverhütung in diesem Programm sind:

- Hormonelle Empfängnisverhütung:
  - Pille zur oralen Empfängnisverhütung (kombinierte orale Kontrazeptiva oder Pille nur mit Progesteron)
  - Verhütungspflaster
  - Intravaginaler Ring
  - Verhütungsspritze
  - Verhütungsimplantat
- Intrauterinsystem (IUS)
- Intrauterinpeppar (IUD)
- Chirurgische Sterilisation (Sie oder Ihr Partner hatten mindestens 6 Monate vor Beginn des Programms entweder eine Tubenligatur, eine chirurgische Sterilisationsmethode für Frauen oder eine Vasektomie, eine chirurgische Sterilisationsmethode für Männer).
- Vollständige (echte) sexuelle Abstinenz, die Ihrem bevorzugten und üblichen Lebensstil entspricht.

Wenn Sie vermuten, dass Sie (oder Ihre Partnerin) schwanger geworden sind, müssen Sie die Einnahme von Avacopan sofort beenden und unverzüglich Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin informieren.

### **WIRD MEINE TEILNAHME IN DIESEM PROGRAMM VERTRAULICH BEHANDELT?**

Ja. Siehe separaten Abschnitt in Bezug auf die Datenschutzerklärung.

### **WAS IST, WENN RELEVANTE NEUE INFORMATIONEN VERFÜGBAR WERDEN?**

Wenn neue Informationen über Avacopan verfügbar werden, die Ihre Entscheidung, an dem Programm teilzunehmen, ändern könnten, werden Sie unverzüglich auf diese Informationen aufmerksam gemacht.

**WAS PASSIERT, WENN ICH MIT DEM MEDIZINISCHEN  
BEDARFSPROGRAMM NICHT WEITERMACHEN MÖCHTE?**

Sie müssen nicht in diesem Programm sein oder bleiben. Ihre Teilnahme in diesem Programm ist vollkommen freiwillig. Wenn Sie sich gegen eine Teilnahme entscheiden, hat dies keinen Einfluss auf eine Behandlung gemäß dem Pflegestandard oder Ihren Gesundheitszustand, wie von Ihrem Arzt bzw. Ihrer Ärztin festgelegt.

Wenn Sie sich für eine Teilnahme entscheiden, können Sie jederzeit und ohne Angabe von Gründen aus dem Programm zurücktreten. Ein Rückzug aus dem Programm hat keinen Einfluss auf Ihre zukünftige medizinische Versorgung in dieser Klinik oder Ihre Möglichkeit, an zukünftigen Studien teilzunehmen. Wenn Sie sich entscheiden, von diesem Programm zurückzutreten, stimmen Sie zu, Ihren Arzt bzw. Ihre Ärztin unverzüglich über diese Entscheidung zu informieren.

Sie müssen alle unbenutzten, teilweise benutzten und/oder gebrauchten Behälter mit Avacopan am Ende des Programms oder zum Zeitpunkt der Beendigung zurückgeben.

**WAS IST, WENN ES EIN PROBLEM GIBT?**

Wenn Sie ein Anliegen oder eine Beschwerde haben, sollten Sie sich an Ihren behandelnden Arzt bzw. Ihre behandelnde Ärztin wenden, der/die sein/ihr Bestes tun wird, um Ihre Fragen zu beantworten.

**WAS IST, WENN EINE KOMPLIKATION AUFTRITT?**

Trotz aller Vorsichtsmaßnahmen können unvorhersehbare medizinische Komplikationen auftreten, die eine Behandlung erforderlich machen können. Wenn eine Komplikation auftritt, wird Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin Ihnen helfen, eine angemessene medizinische Behandlung zu erhalten.

Für den Fall, dass Sie als direkte Folge Ihrer Teilnahme an diesem Programm einen körperlichen Schaden oder eine Krankheit erleiden, wird Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin Sie medizinisch behandeln.

Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin hat Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. um die Lieferung von Avacopan gebeten, um Ihren klinischen Bedarf zu decken. Es gelten die Standardverfahren für die Vergütung innerhalb des Krankenhauses oder der Klinik.

**WIRD MEIN HAUSARZT BZW. MEINE HAUSÄRZTIN BENACHRICHTIGT?**

Wenn Sie Ihre Einwilligung geben, wird Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin Ihren Hausarzt bzw. Ihre Hausärztin und andere Mitglieder des medizinischen Teams, die Sie betreuen, darüber informieren, dass Sie Avacopan erhalten.

**WER ORGANISIERT UND FINANZIERT DAS PROGRAMM?**

Dieses Programm wird von der Firma Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. durchgeführt, die eine Vereinbarung zur Lieferung von Avacopan mit dem Unternehmen

ChemoCentryx, Inc. getroffen hat, das die Entwicklung und die klinischen Studien durchgeführt hat.

### **WER HAT DAS PROGRAMM ÜBERPRÜFT?**

Das Programm wurde von *<Name des Arztes einfügen>* überprüft und genehmigt.

### **WEITERE INFORMATIONEN UND KONTAKTDATEN**

Sie haben das Recht, jederzeit Fragen zu Avacopan zu stellen.

- Wenn Sie Fragen haben oder das Gefühl, eine Krankheit oder einen Schaden erlitten zu haben, müssen Sie folgende Person informieren: *[Name und Telefonnummer des Arztes einfügen.]*

**PROGRAMMTITEL: AVACOPAN ANTI-NEUTROPHILEN  
ZITOPLASMATISCHE AUTOANTIKÖRPER-ASSOZIIERTE VASKULITIS  
(AAV) MEDIZINISCHES BEDARFSPROGRAMM**

**KURZTITEL: AVACOPAN AAV MEDIZINISCHES BEDARFSPROGRAMM**

**Verantwortliche Person (Sponsor):** Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd.,  
Rechenstrasse 37, 9014 St. Gallen, Schweiz

**Arzt bzw. Ärztin:** *<Name des Arztes einfügen>*

**Standort des Krankenhauses / der Klinik:** *<Adresse der Einrichtung einfügen>*

**Telefonnummer des Krankenhauses / der Klinik:** *<Telefonnummer von  
Arzt/Einrichtung einfügen>*

- Ich habe die oben angegebenen Informationen zur Anwendung von Avacopan gelesen und verstanden
- Außerdem habe ich die nachfolgende Datenschutzerklärung (unten) gelesen und verstanden.
- Ich hatte Gelegenheit, meinem Arzt bzw. meiner Ärztin Fragen zu Avacopan zu stellen. Meine Fragen wurden zu meiner Zufriedenheit beantwortet. Mir wurde ausreichend Gelegenheit gegeben, zu überlegen, ob ich an diesem Programm teilnehmen möchte. Ich weiß genug über Zweck, Nutzen und Risiken, um der Teilnahme zuzustimmen.
- Meine Teilnahme an diesem Programm ist freiwillig. Ich kann mich jederzeit gegen eine Teilnahme oder für einen Rücktritt vom Programm entscheiden, ohne dass ich Nachteile oder Kürzung von Leistungen oder Behandlungen befürchten muss, auf die ich Anspruch habe.
- Ich bin damit einverstanden, dass mein Hausarzt bzw. meine Hausärztin informiert wird.
- Ich verpflichte mich, die Empfehlungen und Anweisungen meines Arztes bzw. meiner Ärztin strikt zu befolgen und ihn/sie über alle Ereignisse während des Programms zu informieren.
- Mir ist bewusst, dass im Rahmen dieses medizinischen Bedarfsprogramms personenbezogene Daten, insbesondere ärztliche Befunde, über mich erhoben, gespeichert und ausgewertet werden. Die Nutzung dieser personenbezogenen Daten setzt die folgende freiwillig erteilte Einwilligung vor der Teilnahme am medizinischen Bedarfsprogramm voraus, d. h. ohne die nachfolgende Einwilligung kann ich nicht im Rahmen des medizinischen Bedarfsprogramms behandelt werden.
- Ich stimme der Übermittlung meiner verschlüsselten personenbezogenen Daten an den Sponsor oder im Auftrag des Sponsors handelnde Dritte, an in- oder ausländische Zulassungsbehörden und die Europäische Datenbank zu.

- Am Ende des Programms oder wenn ich mich entscheide, das Programm nicht fortzusetzen, werde ich alle nicht verwendeten Medikamente zurückgeben.
- Ich verstehe, dass ich eine unterschriebene und datierte Kopie dieser Einwilligungserklärung erhalten werde.

**DATENSCHUTZHINWEIS FÜR DAS MEDIZINISCHE BEDARFSPROGRAMM****Datenverantwortlicher**

Der Datenverantwortliche für die während dieses medizinischen Bedarfsprogramms gesammelten Informationen ist:

Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd,  
Rechenstrasse 37, 9014 St.Gallen, Schweiz

Kontaktdaten des Datenverantwortlichen vom Datenschutzbeauftragten:

[GroupDPO@viforpharma.com](mailto:GroupDPO@viforpharma.com)

**Die Informationen, die gesammelt werden und die Gründe dafür sind:**

Was wir sammeln: Daten im Zusammenhang mit Ihrer Teilnahme am Programm, einschließlich medizinischer Informationen und Laborergebnisse, die mit der Nummer codiert sind, die Ihnen für die Zwecke dieses Programms zugewiesen wurde. Sie werden für dieses Programm und für weitere legitime Zwecke gemäß geltendem Recht in Computerdatenbanken erfasst, verifiziert und analysiert. Bei der Übertragung der Daten in die Programmdatenbank wird Ihr Name nicht bekannt gegeben, und Ihre personenbezogenen Daten werden nur durch die Ihnen zum Zweck des Programms zugewiesene Nummer identifiziert.

Warum wir diese Informationen benötigen: diese Daten ermöglichen es uns, die Aktivitäten innerhalb des Programms und die allgemeine Wirksamkeit der Behandlung zu verstehen. Die Ergebnisse dieses Programms können in einem medizinischen Fachjournal veröffentlicht und auf medizinischen Tagungen gezeigt oder zur Einreichung bei den zuständigen Zulassungsbehörden im Zusammenhang mit Regulierungsverfahren wie Anträgen auf Genehmigung der Vermarktung von Arzneimitteln verwendet werden. Sie werden in keiner dieser Veröffentlichungen oder Einreichungen namentlich identifiziert werden können. Wenn Einreichungen Ihre personenbezogenen Daten enthalten, werden die Daten mit der Nummer codiert, die Sie für die Zwecke der Studie erhalten haben, oder anonymisiert. Wir können Ihre personenbezogenen Daten in Zukunft auch für Forschungszwecke im Gesundheitswesen verwenden.

Mit wem wir die Daten teilen dürfen: Vertreter des Sponsors (einschließlich des vom Sponsor beauftragten Dienstleisters) haben Zugriff auf vertrauliche personenbezogene Daten, die im Zusammenhang mit diesem medizinischen Bedarfsprogramm über Sie gesammelt wurden, um Ihnen das Produkt zu liefern und die ordnungsgemäße Durchführung des medizinischen Bedarfsprogramms zu gewährleisten. Diese Daten

würden pseudonymisiert (verschlüsselt) werden. Die Zulassungsbehörden haben möglicherweise im Zusammenhang mit ihren Aufsichtstätigkeiten Zugriff auf Ihre personenbezogenen Daten. Auf redigierte Versionen Ihrer personenbezogenen Daten können das Arzneimittelsicherheitspersonal und die Leistungserbringer des Sponsors zu gesetzlich vorgeschriebenen Zwecken der Sicherheitsberichterstattung zugreifen und sie können zu diesen Zwecken den Gesundheitsbehörden übermittelt werden. Ihre personenbezogenen Daten können im Rahmen von Zulassungsanträgen an offizielle Behörden übermittelt werden, jedoch nur in schlüsselcodierter Form (d. h. ohne Offenlegung Ihres Namens).

Einige der Empfänger Ihrer personenbezogenen Daten befinden sich außerhalb des Landes, in dem Sie leben und ggf. in Ländern, deren Schutz Ihrer personenbezogenen Daten von den zuständigen Behörden als nicht angemessen angesehen wird. In solchen Fällen stellen wir sicher, dass Ihre personenbezogenen Daten geschützt sind, einschließlich angemessener Absicherungsmaßnahmen wie EU-Standardvertragsklauseln oder dem Privacy Shield Framework ([www.privacyshield.gov](http://www.privacyshield.gov)). Eine Kopie der EU-Standardvertragsklauseln ist beim Datenschutzbeauftragten des Sponsors erhältlich ([GroupDPO@viforpharma.com](mailto:GroupDPO@viforpharma.com)).

### **Weitere Informationen**

Ihre Zustimmung ist die Rechtsgrundlage für die Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten.

Wie lange werden die personenbezogenen Daten gespeichert: In Übereinstimmung mit den gesetzlichen Bestimmungen werden Ihre im Zusammenhang mit dem medizinischen Bedarfsprogramm gesammelten personenbezogenen Daten 10 Jahre lang aufbewahrt.

Datenschutzrechte: Sie haben das Recht, den Zugriff auf Ihre personenbezogenen Daten zu beantragen oder Ihre Daten elektronisch an einen anderen für Sie Verantwortlichen Ihrer Wahl übertragen zu lassen. Sie können verlangen, dass Fehler korrigiert werden oder die Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten eingeschränkt wird. Sie können der Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten auch widersprechen oder deren Löschung beantragen. Sie haben zudem die Möglichkeit, die Kontaktdaten Ihres Arztes bzw. Ihrer Ärztin zu verwenden, wenn Sie Ihr Recht auf Zugriff auf Ihre personenbezogenen Daten ausüben möchten. Ihr Arzt bzw. Ihre Ärztin oder seine/ihre Mitarbeitenden können sich bezüglich Ihrer Anfrage an den Datenschutzbeauftragten des Sponsors wenden, da der Sponsor rechtlich für die Verwaltung und Verarbeitung der für die Studie gesammelten personenbezogenen Daten verantwortlich ist. Bitte beachten Sie, dass geltende Gesetze uns möglicherweise daran hindern, Anfragen zum Löschen von Sicherheitsinformationen oder zur Einschränkung unserer Verarbeitung nachzukommen.

Sie sind berechtigt, bei der zuständigen Datenschutzbehörde eine Beschwerde bezüglich der Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten einzureichen, wenn Sie dies wünschen. Dies kann über [www.dataprotectionauthority.be/citizen/actions/lodge-a-](http://www.dataprotectionauthority.be/citizen/actions/lodge-a-)

complaint erfolgen - senden Sie das ausgefüllte und unterschriebene Formular über die Website oder per Post an die Datenschutzbehörde, Rue de la Presse 35, 1000 Brüssel, zurück.

Wenn Sie Ihre Einwilligung zur Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten widerrufen, werden für dieses Programm keine weiteren Daten über Sie erhoben. Bereits gesammelte Daten werden, wie in dieser Einwilligungserklärung angegeben, gespeichert und verwendet, soweit dies zur Einhaltung der geltenden Gesetze und Vorschriften erforderlich ist.

**Ich stimme hiermit zu, am oben genannten Avacopan AAV Medizinischen Bedarfsprogramm teilzunehmen.**

\_\_\_\_\_  
Vollständiger Name des Patienten/der Patientin (Vor- und Nachname) in  
Druckbuchstaben

\_\_\_\_\_  
Unterschrift des Patienten/der Patientin Datum

Ich habe dem Patienten/der Patientin das Programm erklärt und alle seine/ihre Fragen beantwortet. Ich bin der Ansicht, dass er/sie die in diesem Dokument beschriebenen Informationen versteht und freiwillig der Teilnahme zustimmt.

\_\_\_\_\_  
Vollständiger Name des Arztes/der Ärztin in Druckbuchstaben, der/die das  
Aufklärungsgespräch geführt hat Datum  
(Vor- und Nachname)

\_\_\_\_\_  
Unterschrift des Arztes/der Ärztin





## FORMULAIRE DE CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

**TITRE DU PROGRAMME : PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE DE L'AVACOPAN POUR LA VASCULARITE ASSOCIÉE AUX AUTO-ANTICORPS CYTOPLASMIQUES ANTI-NEUTROPHILES**

**TITRE COURT : PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE DE L'AVACOPAN POUR LA VAA**

**Personne responsable (promoteur) :** Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd.  
Rechenstrasse 37  
9014 Saint-Gall, Suisse

Médecin : *<Renseigner le nom du médecin>*

Hôpital/Clinique : *<Renseigner l'adresse de l'institution>*

Numéro de téléphone de l'hôpital/clinique : *<Renseigner le numéro de téléphone du médecin/de l'institution>*

### INTRODUCTION

Il s'agit d'un programme qui vous permet de recevoir un médicament pour la vascularite associée aux ACAN. Votre médecin a proposé que ce médicament puisse vous être utile. Vous êtes invité(e) à prendre connaissance des informations et à savoir si vous souhaitez recevoir ce médicament, Avacopan, qui a été développé pour traiter la granulomatose avec polyangéite (GPA) et la polyangéite microscopique (PAM), les deux principales formes de vascularite associée aux auto-anticorps cytoplasmiques anti-neutrophiles-(ACAN).

Ce formulaire de consentement éclairé vous informe sur les risques et les avantages possibles de la participation à ce programme.

Après avoir lu ce formulaire de consentement éclairé, vous devriez discuter du programme et de toute question que vous pourriez avoir avec votre médecin qui vous propose de prendre Avacopan. Vous pouvez également prendre une copie du formulaire de consentement éclairé pour en discuter avec votre famille, votre ami ou votre médecin de famille avant de prendre une décision. Si vous décidez de participer à ce programme, il vous sera demandé de signer personnellement et de dater le formulaire de consentement

éclairé. Vous recevrez une copie de ce formulaire de consentement éclairé à conserver dans vos dossiers. Ce formulaire de consentement ne fournit qu'un résumé des informations les plus importantes concernant le programme, les risques éventuels pour vous et d'autres informations. Votre médecin pourra, à tout moment, vous procurer des informations plus détaillées.

Votre participation à ce programme est entièrement volontaire.

## **QUEL EST L'OBJECTIF DE CE PROGRAMME ?**

Avacopan est un médicament développé par ChemoCentryx, Inc. et Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd, et a été étudié pour le traitement de la vascularite d'un certain type, appelé granulomatose avec polyangéite (GPA) et polyangéite microscopique (PAM), les deux principales formes de vascularite associée aux auto-anticorps cytoplasmiques anti-neutrophiles (ACAN)- (VAA). Une étude clinique pivot de phase 3 (CL010\_168) portant sur 331 patients atteints de vascularite associée aux ACAN et deux études cliniques complémentaires de phase 2 (CL002\_168 et CL003\_168) portant sur un total de 109 patients atteints de vascularite associée aux ACAN ont été menées pour évaluer l'innocuité et l'efficacité d'Avacopan pour les vascularites associées aux ACAN. En outre, un total de sept études de phase 1 ont été réalisées jusqu'à présent sur 264 sujets adultes en bonne santé ; 206 d'entre eux ont reçu au moins une dose d'Avacopan.

Avacopan a été approuvé pour le traitement des patients atteints de GPA et de PAM par la Commission européenne, par la Food and Drug Administration (FDA) des États-Unis et par le ministère japonais de la Santé, du Travail et du Bien-être (MHLW).

Le traitement classique de la VAA actuellement utilisé pour aider à la rémission de la maladie comprend les combinaisons suivantes :

1. Un médicament appelé cyclophosphamide (administré par voie intraveineuse [IV] ou par voie orale [par la bouche]), suivi d'un médicament appelé azathioprine, plus un médicament stéroïde appelé prednisone (ou des variantes de la prednisone telles que, par exemple, la méthylprednisolone).

OU,

2. Un médicament appelé rituximab (administré par voie intraveineuse [IV]) plus un médicament stéroïde appelé prednisone (ou des variantes comme ci-dessus).

La prednisone (administrée dans les deux combinaisons de traitement classique de la VAA) est un glucocorticoïde ou corticostéroïde et possède, par conséquent, de nombreux effets secondaires que votre médecin a eu l'occasion de vous décrire. Avacopan a été testé dans une vaste étude clinique pour déterminer s'il peut remplacer la prednisone orale dans les traitements standard mentionnés ci-dessus des patients atteints de VAA.

Ce programme permet aux patients VAA, après demande à Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma SA, ayant des besoins médicaux particuliers, de pouvoir prendre Avacopan

avant qu'Avacopan ne soit remboursable et/ou disponible dans le commerce dans votre pays.

### **POURQUOI AI-JE ÉTÉ INVITÉ(E) À PARTICIPER À UN PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE ?**

Vous êtes invité(e) à participer à ce programme parce que vous avez un diagnostic clinique de VAA (qui comprend les désignations de granulomatose avec polyangéite également appelée polyangéite de Wegener ou polyangéite microscopique), soit nouvellement diagnostiquée, soit en rechute, où un traitement par cyclophosphamide ou rituximab est indiqué.

Votre médecin vous aura dit que vous devez suivre un traitement pour obtenir une rémission de la VAA et que les options de traitement disponibles ne sont pas suffisantes ou ne sont pas adaptées. Il se peut que vous ayez déjà eu un problème majeur avec la prednisone ou que vous ayez un risque élevé d'avoir des effets secondaires liés aux glucocorticoïdes pour d'autres raisons. Dans ce programme, Avacopan peut être mis à la disposition des patients dont le médecin sait qu'une rémission est nécessaire et que les options de traitement disponibles ne sont pas suffisantes ou adaptées.

### **DOIS-JE PARTICIPER À CE PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE ?**

Non. C'est à vous de décider si vous souhaitez participer ou non à ce programme. Votre médecin décrira le programme, vous expliquera ce qu'est Avacopan et parcourra ce formulaire de consentement éclairé avec vous. Si vous décidez de prendre part à ce programme, un exemplaire de cette fiche d'information vous sera donné afin que vous puissiez le conserver. Il vous sera demandé de signer un formulaire de consentement éclairé et également fourni avec une copie. Vous êtes toujours libre de vous retirer à tout moment de ce programme et sans donner de raison. Décider de vous retirer à tout moment ou décider de ne pas participer à ce programme n'affecte en rien les soins que vous recevez.

Pour cesser de participer à ce programme, vous devez contacter le médecin dont les coordonnées figurent à la page 1 de cette fiche d'information.

En consentant à participer, vous acceptez également que votre médecin puisse arrêter votre participation à ce programme sans votre consentement pour quelque raison que ce soit, y compris, mais sans s'y limiter :

- a. Son appréciation selon laquelle une condition ou circonstance peut vous affecter en augmentant les risques encourus ou en changeant les bénéfices potentiels.
- b. Le non-respect des instructions du ou des médecins concernant la prise d'Avacopan.
- c. Si le programme est arrêté par Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma SA.

**PENDANT COMBIEN DE TEMPS SERAIS-JE DANS CE PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE ?**

Votre médecin déterminera avec vous pendant combien de temps vous devrez continuer à prendre Avacopan, en vous évaluant régulièrement en clinique externe.

Le traitement initial sera de 30 mg deux fois par jour pendant un mois. Votre médecin aura la possibilité de demander un traitement supplémentaire jusqu'à 3 mois, puis votre médecin pourra demander une plus grande quantité d'Avacopan s'il constate un bénéfice clinique.

**QUE SE PASSERA-T-IL SI JE PARTICIPE À CE PROGRAMME ET QUELS PROCÉDURES ET TESTS SONT INCLUS ?**

Il vous sera demandé de prendre trois gélules le matin, avec de la nourriture, et trois gélules le soir, avec de la nourriture. Chaque gélule contient 10 mg d'Avacopan.

Avant d'entrer dans le programme, il vous sera demandé de lire et de signer le formulaire de consentement à la fin de ce document.

*Dépistage des maladies infectieuses*

Dans le cadre des procédures de sélection, vous devrez effectuer des tests de dépistage du VIH, de l'hépatite B, hépatite C et de la tuberculose. Vous serez tenu(e) informé(e) des résultats des tests. Un test positif signifie que vous avez été exposé(e) au virus de l'hépatite ou de l'immunodéficience humaine, ou à la bactérie qui cause la tuberculose. Si votre test est positif, vous ne pouvez pas participer au programme et votre médecin discutera des options de traitement.

*Visites médicales régulières chez votre médecin :*

Vous consulterez votre médecin régulièrement pour vérifier vos progrès et vérifier le fonctionnement de votre foie car il peut être affecté par Avacopan.

Votre médecin procédera à des analyses de sang avant et si nécessaire pendant le traitement, pour vérifier :

- diagnostic de vascularite associée aux ACAN
- tout problème de fonction hépatique (en mesurant les enzymes hépatiques et la bilirubine totale dans le sang)
- votre risque de contracter des infections (en mesurant le nombre de globules blancs)
- votre fonction rénale
- le taux sanguin de l'enzyme créatine phosphokinase.

Adressez-vous à votre médecin avant de prendre Avacopan et pendant le traitement si vous avez eu ou avez :

- une maladie cardiaque, par exemple une crise cardiaque, une insuffisance cardiaque, une inflammation des vaisseaux sanguins du cœur
- tout type de cancer.

Votre médecin vous surveillera également pour déceler les signes et les symptômes d'une infection appelée *Neisseria meningitidis*. Ceci est recommandé pour les patients adultes atteints de GPA ou de PAM.

Il est recommandé de suivre un traitement pour prévenir l'infection pulmonaire *Pneumocystis jirovecii* pendant le traitement par Avacopan.

On vous demandera comment vous vous sentez, de signaler tout changement de votre état de santé, tout problème ou effet secondaire que vous pourriez ressentir et tout médicament que vous avez pris depuis la visite précédente.

Vous devez recevoir tous les vaccins conformément aux directives nationales et réglementaires.

### **QUE VAIS-JE DEVOIR FAIRE ?**

Il est primordial que vous preniez Avacopan et

- que vous informiez votre médecin avant de prendre tout nouveau médicament
- que vous signaliez à votre médecin l'apparition de toute maladie ou blessure
- que vous indiquiez à votre médecin si vous souffrez d'effets secondaires ou si vous rencontrez un quelconque problème.

### **QUELLES SONT LES AUTRES OPTIONS DE TRAITEMENT ?**

Vous n'êtes pas obligé(e) de participer à ce programme pour recevoir un traitement pour votre VAA. Il existe des traitements alternatifs de la VAA. Si vous ne choisissez pas de participer à ce programme, vous pouvez recevoir un traitement standard pour la vascularite associée aux ACAN, y compris les corticostéroïdes, le cyclophosphamide, l'azathioprine, le méthotrexate, le mycophénolate mofétil, le rituximab, les anti-inflammatoires non stéroïdiens, l'hydroxychloroquine ou la plasmaphérèse, parmi autres. Tous ces traitements comportent des risques associés. Il vous est conseillé de discuter de ces options de traitement avec votre médecin.

### **QUELS SONT LES RISQUES POTENTIELS ASSOCIÉS À LA PRISE D'AVACOPAN ?**

Les traitements médicaux peuvent entraîner des effets secondaires. Les effets secondaires connus ou possibles d'Avacopan sont discutés ci-dessous pour vous aider à comprendre

les risques potentiels de la prise d'Avacopan dans le cadre de ce programme de nécessité médicale.

Avacopan a été étudié chez ~ 1 202 participants à l'étude parmi de nombreux volontaires sains et de nombreuses maladies.

**Contactez immédiatement votre médecin si les effets secondaires graves suivants surviennent :**

**Très fréquent** (peut affecter plus de 1 personne sur 10)

- test sanguin montrant des taux élevés de
  - enzymes hépatiques (un signe de problèmes de foie)
  - bilirubine : une substance de dégradation jaune du pigment sanguin.

**Fréquent** (peut affecter jusqu'à 1 personne sur 10)

- inflammation pulmonaire (les symptômes peuvent être une respiration sifflante, des difficultés respiratoires ou des douleurs thoraciques).

**Peu fréquent** (peut affecter jusqu'à 1 personne sur 100)

- réaction allergique grave qui provoque un gonflement sous la peau, principalement au niveau du visage, et peut entraîner des difficultés respiratoires (œdème de Quincke).

**D'autres effets indésirables peuvent survenir aux fréquences suivantes :**

**Très fréquent**

- infection des voies respiratoires supérieures
- gorge et nez douloureux et enflammés
- céphalées
- envie de vomir (nausées)
- diarrhée
- vomissement
- diminution du nombre de globules blancs observés dans les tests sanguins.

**Fréquent**

- inflammation de la muqueuse interne du nez qui provoque des éternuements, des démangeaisons, un écoulement nasal et un nez bouché
- infections urinaires
- inflammation des sinus ou des bronches
- inflammation de l'estomac et de la muqueuse intestinale
- infection des voies respiratoires inférieures
- cellulite
- zona
- grippe
- Infection fongique aux levures Candida ou herpès dans la bouche
- infection de l'oreille moyenne
- réduction du nombre de globules blancs appelés neutrophiles (les symptômes peuvent être des infections, de la fièvre ou une déglutition douloureuse)

- douleur abdominale haute
- augmentation du taux sanguin d'enzyme créatine phosphokinase (les symptômes peuvent être des douleurs thoraciques, de la confusion, des douleurs musculaires, une faiblesse soudaine ou un engourdissement du corps).

### **Risques possibles importants avec Avacopan**

#### *Réactions d'hypersensibilité*

Tous les médicaments présentent un risque potentiel de réaction allergique, également appelée réaction d'hypersensibilité, qui, si elle n'est pas traitée rapidement, peut devenir mortelle.

L'hypersensibilité (également appelée réaction d'hypersensibilité ou intolérance) fait référence aux réactions indésirables produites par votre système immunitaire, y compris les allergies. Les signes et symptômes d'hypersensibilité comprennent l'urticaire (également appelée urticaire qui se présente sous la forme de zébrures rouges qui démangent sur la peau et l'œdème de Quincke qui peut se présenter sous la forme d'un gonflement de la bouche, de la langue, de la gorge, des lèvres, des membres ou de l'estomac pouvant être causé par des médicaments). L'œdème de Quincke est un type rare mais grave de réaction allergique qui peut mettre la vie en danger. Deux cas d'œdème de Quincke sont survenus, dont un événement grave nécessitant une hospitalisation dans les études cliniques avec Avacopan.

Certains signes indiquant que vous pourriez avoir une réaction allergique grave (par exemple, anaphylaxie) sont une éruption cutanée ou de l'urticaire, des difficultés respiratoires, une respiration sifflante, une chute soudaine de la tension artérielle (vous donnant des vertiges ou des étourdissements), un gonflement autour de la bouche, de la langue, de la gorge, lèvres ou les yeux, pouls rapide ou transpiration. Les réactions allergiques graves mettent la vie en danger et peuvent entraîner la mort.

Si vous avez une réaction allergique grave, veuillez consulter un médecin d'urgence ou vous rendre au service des urgences de l'hôpital le plus proche.

#### *Lésions hépatiques induites par des médicaments*

L'utilisation de certains médicaments peut être associée à un effet secondaire appelé lésion hépatique induite par un médicament (LHIM). Une LHIM est associée à une augmentation des enzymes hépatiques (test sanguin évaluant la fonction hépatique) et peut dans certains cas entraîner une insuffisance hépatique et la mort.

Il y avait 13,3 % de patients traités par Avacopan contre 11,6 % de patients traités par la prednisone dans l'étude pivot de phase 3 avec tout événement indésirable lié aux tests de la fonction hépatique. Aucun de ces cas n'a entraîné d'insuffisance hépatique ou de décès



et dans tous ces cas, les enzymes hépatiques sont revenues à la normale après l'arrêt d'Avacopan.

Vous consulterez votre médecin régulièrement pour vérifier vos progrès et vérifier le fonctionnement de votre foie. Occasionnellement, lorsqu'il y a des changements graves dans le foie, un jaunissement de la peau ou des yeux peut survenir, appelé jaunisse. Vous devez informer votre médecin immédiatement si vous constatez un jaunissement de votre peau ou de vos yeux. S'il s'avère que les tests de votre fonction hépatique sont élevés, il peut vous être demandé de subir une nouvelle prise de sang et d'interrompre ou d'arrêter définitivement le médicament à l'étude.

### *Infections graves*

Une diminution du nombre de globules blancs peut augmenter le risque d'infections, y compris d'infections graves.

Les infections graves les plus courantes signalées chez les participants aux études cliniques prenant Avacopan étaient la pneumonie et les infections des voies urinaires. Une réactivation de l'hépatite B et des infections entraînant la mort ont été rapportées chez des participants à des études cliniques recevant Avacopan.

Vous devez contacter immédiatement votre médecin si vous développez des signes ou des symptômes d'infection. Un suivi de routine dans le cadre du programme de nécessité médicale sera effectué pendant toute la durée.

Il peut y avoir d'autres effets secondaires ou d'autres risques que le promoteur ne peut pas prédire lorsqu'Avacopan est pris seul ou en association avec d'autres médicaments.

Vous serez surveillé(e) attentivement pendant le programme pour tout effet indésirable.

## **CONTRACEPTION, DANGERS EN CAS DE GROSSESSE ET ALLAITEMENT**

Les effets du médicament à l'étude Avacopan sur la grossesse, un bébé à naître ou une mère qui allaite ne sont pas connus à ce jour. Par conséquent, si vous êtes enceinte, planifiez une grossesse ou allaitez, vous ne devez pas prendre Avacopan. Vous devez confirmer, qu'à votre connaissance, vous n'êtes pas enceinte et que vous ne prévoyez pas de le devenir.

Si vous êtes une femme apte à procréer (c'est-à-dire non ménopausée ou n'ayant pas subi d'intervention de stérilisation chirurgicale), votre médecin doit confirmer que vous n'êtes pas enceinte en effectuant un test de grossesse avant de démarrer la prise d'Avacopan.

Si vous ou votre partenaire êtes/est apte à procréer, vous devez systématiquement utiliser une méthode de contraception approuvée lors de la prise d'Avacopan et pendant au moins 6 mois après la prise de la dernière dose de cyclophosphamide (si vous recevez de la cyclophosphamide) et au moins 12 mois après la prise de la dernière dose de rituximab (si vous recevez du rituximab). Si vous ou votre partenaire ne souhaitez/ne souhaite pas utiliser de méthodes de contraception approuvées, vous ne pourrez pas participer à ce programme.

Les formes de contraception approuvées dans ce programme sont :

- La contraception hormonale :

- Pilule contraceptive orale (pilule contraceptive orale combinée ou pilule à progestérone seule)
- Patch contraceptif
- Anneau intra-vaginal
- Injection contraceptive
- Implant contraceptif
- Système intra-utérin (SIU)
- Dispositif intra-utérin (DIU)
- Stérilisation chirurgicale (vous ou votre partenaire avez subi une ligature des trompes, qui est une méthode de stérilisation chirurgicale pour les femmes, ou une vasectomie, qui est une méthode de stérilisation chirurgicale pour les hommes, au moins 6 mois avant l'entrée au programme).
- Abstinence sexuelle totale, en phase avec le mode de vie que vous avez choisi.

Si vous pensez que vous êtes (ou votre partenaire est) enceinte, vous devez immédiatement arrêter de prendre Avacopan et en informer immédiatement votre médecin.

### **EST-CE QUE MA PARTICIPATION AU PROGRAMME RESTERA CONFIDENTIELLE ?**

Oui. Voir la section séparée relative à l'avis de confidentialité.

### **QUE SE PASSERA-T-IL SI DE NOUVELLES INFORMATIONS IMPORTANTES SONT DISPONIBLES ?**

Si de nouvelles informations sur Avacopan susceptibles de modifier votre décision de participer au programme deviennent disponibles, vous en serez immédiatement informé(e).

### **QUE SE PASSE-T-IL SI JE NE VEUX PAS POURSUIVRE LE PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE ?**

Vous n'êtes pas obligé(e) d'être ou de rester dans ce programme. Votre participation est entièrement volontaire. Si vous décidez de ne pas participer, vous serez toujours habilité(e) à recevoir un traitement suivant les normes de soins ou selon votre état de santé, conformément à la décision prise par votre médecin.

Si vous décidez de participer au programme, vous êtes libre de vous retirer à tout moment et sans avoir à vous justifier. Votre retrait n'affectera ni votre futur traitement médical dans cette clinique, ni votre droit à participer aux études à venir. Si vous décidez de vous retirer de ce programme, vous vous engagez à informer immédiatement votre médecin de cette décision.

Vous devrez retourner tous les contenants inutilisés, partiellement utilisés et/ou utilisés d'Avacopan à la fin du programme ou au moment de l'arrêt.

**QUE SE PASSERA-T-IL EN CAS DE PROBLÈME ?**

Si vous avez une inquiétude ou une plainte, vous devez contacter vos médecins et ils feront de leur mieux pour répondre à vos questions.

**ET SI UNE COMPLICATION SURVIENT ?**

Malgré toutes les précautions, des complications médicales imprévisibles peuvent survenir et nécessiter des soins. Si vous rencontrez des complications, votre médecin vous aidera à obtenir le traitement médical approprié.

Si vous subissez une blessure physique ou une maladie résultant directement de votre participation à ce programme, votre médecin vous fournira un traitement médical.

Votre médecin a demandé à Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma SA de vous fournir Avacopan pour répondre à vos besoins cliniques et les procédures d'indemnisation standard au sein de l'hôpital ou de la clinique s'appliqueront.

**MON MÉDECIN DE PREMIÈRE LIGNE SERA-T-IL INFORMÉ(E) ?**

Si vous donnez votre consentement, votre médecin indiquera à votre médecin de première ligne, et aux autres membres de l'équipe médicale vous prenant en charge, que vous prenez Avacopan.

**QUI ORGANISE ET FINANCE LE PROGRAMME ?**

Ce programme est fourni par Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. qui a conclu un accord de fourniture d'Avacopan avec Chemocentryx Inc qui a réalisé le développement et les études cliniques.

**QUI A EXAMINÉ LE PROGRAMME ?**

Le programme a été examiné et approuvé par *<Insérer le nom du médecin>*.

**INFORMATIONS COMPLÉMENTAIRES ET COORDONNÉES DES PERSONNES À CONTACTER**

Vous avez le droit de poser des questions sur Avacopan à tout moment.

- Si vous avez des questions ou pensez souffrir d'une maladie ou d'un quelconque dommage, vous devez en informer : *[Renseigner le nom et le numéro de téléphone du médecin.]*

**TITRE DU PROGRAMME : PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE DE L'AVACOPAN POUR LA VASCULARITE ASSOCIÉE AUX AUTO-ANTICORPS CYTOPLASMIQUES ANTI-NEUTROPHILES (VAA)****TITRE COURT : PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE DE L'AVACOPAN POUR LA VAA**

**Sous la direction de (Promoteur) :** Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd.,  
Rechenstrasse 37, 9014 Saint-Gall, Suisse

**Médecin :** *<Renseigner le nom du médecin>*

**Hôpital/Clinique :** *<Renseigner l'adresse de l'institution>*

**Numéro de téléphone de l'hôpital/clinique :** *<Renseigner le numéro de téléphone du médecin/de l'institution>*

- J'ai lu et compris les informations fournies ci-dessus concernant la réception d'Avacopan
- Aussi, j'ai lu et compris la politique de confidentialité suivante sur la protection des données (ci-dessous).
- J'ai eu l'opportunité de poser des questions concernant Avacopan à mon médecin. J'ai obtenu des réponses satisfaisantes à mes questions. J'ai eu suffisamment d'occasions d'envisager de participer ou non à ce programme. J'ai obtenu suffisamment d'informations sur les objectifs, bénéfices et risques de ce programme pour accepter de participer.
- Ma participation à ce programme est volontaire. Je peux décider de ne pas participer ou de me retirer du programme à tout moment sans pénalité ni perte des avantages ou des traitements auxquels j'ai droit.
- J'accepte que mon médecin traitant soit informé
- Je m'engage à suivre strictement les recommandations et consignes de mon médecin et à l'informer de tout événement pendant le programme
- Je suis conscient que des données personnelles, en particulier des résultats médicaux, me concernant doivent être collectées, stockées et évaluées dans le cadre de ce programme de nécessité médicale. L'utilisation de ces données personnelles nécessite le consentement volontaire suivant avant de participer au programme de besoins médicaux, c'est-à-dire que sans le consentement suivant, je ne peux pas être traité dans le cadre du programme de besoins médicaux.
- J'autorise le transfert de mes données personnelles codées au Promoteur ou à la tierce partie agissant au nom du Promoteur, aux autorités de régulation nationales ou étrangères et à la base de données européenne.
- Je rendrai tout médicament non utilisé à la fin du programme ou si je décide de ne pas poursuivre le programme.

- Je comprends que je recevrai un exemplaire signé et daté de ce formulaire de consentement.

**AVIS DE CONFIDENTIALITÉ POUR LE PROGRAMME DE NÉCESSITÉ MÉDICALE****Responsable du traitement des données**

Le responsable du traitement des informations collectées dans le cadre de ce programme de nécessité médicale est :

Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd,  
Rechenstrasse 37, 9014 Saint-Gall, Suisse

Coordonnées du délégué à la protection des données du responsable du traitement des données : [GroupDPO@viforpharma.com](mailto:GroupDPO@viforpharma.com)

**Les informations que nous recueillerons et les raisons de cette collecte sont :**

Ce que nous recueillons : les données relatives à votre participation au programme, y compris les informations médicales et les résultats de laboratoire qui sont codés avec le numéro qui vous a été attribué dans le cadre du programme. Elles seront collectées dans des bases de données informatiques, vérifiées et analysées pour ce programme et à d'autres fins légitimes conformément à la loi applicable. Lors du transfert des données dans la base de données du programme, votre nom ne sera pas divulgué et vos données personnelles seront identifiées uniquement par le numéro qui vous a été attribué dans le cadre du programme.

Pourquoi nous avons besoin de ces informations : ces données nous permettront de comprendre les activités et l'efficacité globale de ce traitement. Les résultats de ce programme pourront être publiés dans une revue médicale et diffusés lors de congrès médicaux ou pourront être utilisés pour des soumissions aux autorités réglementaires compétentes dans le cadre de procédures réglementaires telles que les demandes d'autorisation de mise sur le marché de produits pharmaceutiques. Votre nom ne sera pas divulgué dans ces revues ou demandes. Si une demande comprend vos données personnelles, ces données seront codées et accessibles uniquement via le numéro qui vous a été attribué pour les besoins de ce programme ou seront rendues anonymes. Vos données personnelles seront aussi susceptibles d'être utilisées dans le cadre de futures recherches dans le domaine de la santé.

Personnes avec qui pouvons-nous les partager : les représentants du commanditaire (y compris le fournisseur de services engagé par le commanditaire) auront accès aux données personnelles confidentielles recueillies à votre sujet dans le cadre de ce programme de besoins médicaux, pour vous fournir le produit et vérifier la bonne

conduite du programme de besoins médicaux. Ces données seraient pseudonymisées (cryptées). Les autorités de régulation pourront également accéder à vos données personnelles dans le cadre de leurs activités de contrôle. Des versions expurgées de vos données personnelles pourront être consultées par les fournisseurs de services et le personnel du service de pharmacovigilance du Promoteur, à des fins de présentation légales et requises, et pourront être soumises aux autorités sanitaires pour ces raisons. Vos données personnelles peuvent être soumises aux autorités officielles dans le cadre de soumissions réglementaires, mais uniquement sous forme codée (c'est-à-dire sans divulguer votre nom).

Certains des destinataires de vos données personnelles se trouvent en dehors du pays où vous vivez, dont des pays n'offrant pas une protection des données personnelles appropriée selon les autorités compétentes. Dans de tel cas, nous nous assurerons que vos données personnelles sont protégées, notamment avec des protections appropriées telles que le bouclier de protection des données ou les clauses contractuelles types de l'Union européenne ([www.privacyshield.gov](http://www.privacyshield.gov)). Un exemplaire des clauses contractuelles types de l'Union européenne peut être obtenu auprès du délégué à la protection des données (GroupDPO@viforpharma.com).

### **Informations complémentaires**

Votre consentement représente la base juridique pour le traitement de vos données personnelles.

Durée de conservation des données personnelles : Conformément aux exigences légales, vos données personnelles collectées dans le cadre du programme de nécessité médicale seront conservées pendant 10 ans.

Droits concernant la protection des données : vous avez le droit de demander l'accès à vos données personnelles ou d'obtenir le transfert de vos données par voie électronique au responsable du traitement des données de votre choix. Vous pouvez faire une demande de correction des erreurs et de restriction du traitement de vos données personnelles. Vous pouvez également vous opposer au traitement de vos données personnelles ou demander à ce qu'elles soient supprimées. Vous avez aussi la possibilité d'utiliser les coordonnées de votre médecin pour exercer votre droit d'accès à vos données personnelles. Votre médecin, ou son personnel, peut contacter le délégué à la protection des données du Promoteur concernant votre demande, compte tenu du fait que le Promoteur est légalement responsable de la gestion et du traitement des données personnelles recueillies pour cette étude. Veuillez noter que les lois en vigueur peuvent nous empêcher de répondre aux demandes de suppression des informations relatives à la sécurité ou de restriction de leur traitement.

Si vous le souhaitez, vous pouvez déposer une plainte auprès des autorités de protection des données compétentes concernant le traitement de vos données personnelles. Cela peut être fait via [www.dataprotectionauthority.be/citizen/actions/lodge-a-complaint](http://www.dataprotectionauthority.be/citizen/actions/lodge-a-complaint) - retourner

le formulaire rempli et signé via le site Web ou par courrier à l'attention de l'Autorité de protection des données, Rue de la Presse 35, 1000 Bruxelles.

Si vous retirez votre consentement au traitement de vos données personnelles, aucune autre donnée ne sera collectée à votre sujet pour ce programme. Les données déjà recueillies seront conservées et utilisées, comme spécifié dans ce formulaire, afin de respecter les régulations et lois applicables.

**Je consens par la présente à participer au programme de nécessité médicale de l'Avacopan pour la VAA susmentionné.**

---

Nom complet en caractères d'imprimerie du patient (nom et prénom)

---

Date et signature du (de la) patient(e)

J'ai expliqué le programme au patient et j'ai répondu à toutes ses questions. J'estime qu'il/elle comprend les informations décrites dans ce document et consent librement à prendre part à ce programme.

---

Nom complet en caractères d'imprimerie du médecin menant la discussion sur le consentement  
Date  
(Nom et Prénom)

---

Signature du médecin



## INFORMATIE- EN TOESTEMMINGSFORMULIER

**TITEL PROGRAMMA: AVACOPAN MEDISCH NOODPROGRAMMA VOOR ANTI-NEUTROFIELE CYTOPLASMA ANTILICHAMEN GEASSOCIEERDE VASCULITIS (AAV)**

**KORTE TITEL: AVACOPAN AAV MEDISCH NOODPROGRAMMA**

**Verantwoordelijke persoon (Sponsor):** Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. Rechenstrasse 37  
9014 St Gallen, Zwitserland

Arts: *<Naam arts invullen>*

Locatie ziekenhuis/centrum: *<Adres instelling invullen>*

Telefoonnummer ziekenhuis/kliniek: *<Telefoonnummer van arts/instelling invullen>*

### INLEIDING

Dit is een programma waarmee u toegang kunt krijgen tot een medicijn voor ANCA-geassocieerde vasculitis. Uw eigen arts denkt dat u baat zult hebben bij dit medicijn. U wordt uitgenodigd om na te denken over de informatie en of u dit medicijn, Avacopan, wilt ontvangen dat ontwikkeld is om granulomatose met polyangiitis (GPA) en microscopische polyangiitis (MPA) te behandelen, de twee voornaamste vormen van anti-neutrofiele cytoplasma antilichamen (ANCA)-geassocieerde vasculitis.

In dit informatie- en toestemmingsformulier vindt u informatie over de mogelijke risico's en voordelen van deelname aan dit programma.

Nadat u het informatie- en toestemmingsformulier heeft gelezen, moet u het programma en uw vragen bespreken met uw eigen arts die voorstelt dat u Avacopan gaat gebruiken. U kunt ook een exemplaar van het informatie- en toestemmingsformulier meenemen om met uw familie, vrienden of huisarts te bespreken voordat u tot een besluit komt. Als u besluit om mee te doen aan dit programma, vragen wij u het informatie- en toestemmingsformulier persoonlijk te ondertekenen en te dateren. Als u besluit om deel te nemen, ontvangt u een kopie van dit informatie- en toestemmingsformulier om te ondertekenen en te bewaren. In dit toestemmingsformulier staat slechts een samenvatting van de belangrijkste informatie

over het programma, de mogelijke risico's voor u en andere informatie. Uw arts kan u op elk moment meer gedetailleerde informatie geven.

Uw deelname aan dit programma is vrijwillig.

## **WAT IS HET DOEL VAN DIT PROGRAMMA?**

Avacopan is een medicijn dat wordt ontwikkeld door ChemoCentryx, Inc. en Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd, en wordt onderzocht voor de behandeling van een bepaald soort vasculitis, de zogenaamde granulomatose met polyangiitis (GPA, en microscopische polyangiitis (MPA), de twee voornaamste vormen van anti-neutrofiële cytoplasma antilichamen (ANCA)-geassocieerde vasculitis (AAV). Een centrale, fase 3-klinische studie (CL010\_168) bij 331 patiënten met ANCA-geassocieerde vasculitis, en twee ondersteunende fase 2-klinische studies (CL002\_168 en CL003\_168) bij een totaal van 109 patiënten met ANCA-geassocieerde vasculitis, werden uitgevoerd om de veiligheid en werkzaamheid van Avacopan voor ANCA-geassocieerde vasculitis te evalueren. In totaal werden er tot nu toe ook zeven fase 1-studies voltooid bij 264 gezonde volwassen proefpersonen waarvan 206 ten minste één dosis Avacopan hebben ontvangen.

Avacopan is door de Europese Commissie, de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) en het Japanse Ministerie van Gezondheid, Arbeid en Welzijn (MHLW) goedgekeurd voor de behandeling van patiënten met GPA en MPA.

De huidige standaardbehandeling voor het bereiken van remissie van AAV omvat de volgende combinaties:

1. Een medicijn dat cyclofosfamide heet (intraveneus [IV] of oraal [via de mond] toegediend), gevolgd door een medicijn dat azathioprine heet, plus een steroïde medicijn dat prednison heet (of variaties van prednison zoals bijvoorbeeld methylprednisolon).

OF

2. Een medicijn dat rituximab heet (intraveneus [IV] toegediend) plus een steroïde medicijn dat prednison heet (of variaties zoals hierboven genoemd).

Prednison (toegediend in beide combinaties van de AAV-standaardbehandeling) is een zogenoemde glucocorticoïd of corticosteroïd en heeft als zodanig verschillende bijwerkingen die uw arts aan u heeft uitgelegd. In een groot klinisch onderzoek wordt Avacopan getest om vast te stellen of het orale prednison kan vervangen in de hierboven genoemde standaardbehandelingen voor patiënten met AAV.

Met dit programma kunnen AAV-patiënten met bijzondere medische behoeften, na verzoek aan Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd, Avacopan innemen voordat Avacopan wordt vergoed en/of commercieel beschikbaar is in uw land.

## **WAAROM WORD IK UITGENODIGD OM DEEL TE NEMEN AAN EEN MEDISCH NOODPROGRAMMA?**

U wordt uitgenodigd om mee te doen aan dit programma omdat u een klinische diagnose van AAV-vasculitis heeft (inclusief granulomatose met polyangiitis, ook wel de ziekte van Wegener genoemd, of microscopische polyangiitis), ofwel als nieuwe diagnose of gerecidiveerd, waarvoor behandeling met cyclofosfamide of rituximab geïndiceerd is. Uw arts heeft u wellicht verteld dat u behandeling nodig heeft om een remissie van AAV te bereiken en dat de beschikbare behandelingsopties niet toereikend of geschikt zijn. Het kan zijn dat u voorheen al een groot probleem heeft gehad met prednison of dat u een groot risico loopt op glucocorticoïd-gerelateerde bijwerkingen om andere redenen. In dit programma kan Avacopan beschikbaar kan worden gesteld aan patiënten van wie de arts weet dat een remissie nodig is en de beschikbare behandelingsopties niet toereikend of geschikt zijn.

## **MOET IK DEELNEMEN AAN DIT MEDISCH NOODPROGRAMMA?**

Nee. U beslist zelf of u mee wilt doen aan dit programma of niet. Uw arts zal het programma beschrijven, uitleg geven over Avacopan en dit informatie- en toestemmingsformulier met u doornemen. Als u ervoor kiest om mee te doen, krijgt u een exemplaar van dit informatie- en toestemmingsformulier om mee naar huis te nemen. U wordt gevraagd een informatie- en toestemmingsformulier te ondertekenen en daar krijgt u ook een exemplaar van. U mag zich nog steeds op elk moment terugtrekken zonder hiervoor een reden op te geven. Als u op enig moment besluit om zich terug te trekken of om niet mee te doen, heeft dit geen invloed op de zorg die u krijgt.

Om te stoppen met deelname aan dit programma moet u contact opnemen met de arts op het contactnummer dat op pagina 1 van dit informatieblad staat.

Door toestemming te geven voor deelname, gaat u er ook mee akkoord dat uw arts uw deelname aan dit programma zonder uw toestemming om welke reden dan ook kan stopzetten, waaronder maar niet beperkt tot:

- a. Zijn/haar oordeel dat enige aandoening of omstandigheid u kan schaden, zoals een verhoogd risico of een verandering van mogelijk voordeel.
- b. Het niet naleven door u van de instructies van de arts(en) over het gebruik van Avacopan.
- c. Als het programma door Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. wordt stopgezet.

## **HOELANG ZAL IK MEEDOEN AAN DIT MEDISCH NOODPROGRAMMA?**

Uw arts zal samen met u bepalen hoelang u Avacopan blijft gebruiken en zal u regelmatig beoordelen in de polikliniek.

De initiële behandeling bestaat uit 30 mg tweemaal daags gedurende één maand. Uw arts zal nadien de optie hebben om een aanvullende behandeling van maximaal 3 maanden te verzoeken en uw arts kan verzoeken om nog langer Avacopan te verstrekken indien hij/zij klinisch voordeel kan zien.

### **WAT GEBEURT ER MET MIJ ALS IK MEEDOE EN WELKE PROCEDURES EN TESTEN ZIJN ERBIJ BETROKKEN?**

U wordt gevraagd om 's ochtends drie capsules in te nemen, met voedsel, en drie capsules 's avonds, met voedsel. Elke capsule bevat 10 mg Avacopan.

Voordat u begint met het programma, wordt u gevraagd om het toestemmingsformulier aan het einde van dit document te lezen en te ondertekenen.

#### *Test op infectieziekten*

Als onderdeel van de screeningsprocedures worden er testen uitgevoerd om te controleren op hiv, hepatitis B, hepatitis C en tuberculose. U krijgt de resultaten van deze testen te horen. Een positieve test betekent dat u bent blootgesteld aan het hepatitis of humaan immunodeficiëntievirus, of de bacterie die tuberculose veroorzaakt. Als u positief test kunt u niet deelnemen aan het programma en uw arts zal behandelingsopties met u bespreken.

#### *Routinebezoeken aan uw arts:*

U gaat regelmatig naar uw arts om uw voortgang te controleren en uw leverfunctie wordt gecontroleerd omdat deze door Avacopan beïnvloed kan worden.

Uw arts zal ook bloedtesten doen vóór en, indien nodig, tijdens de behandeling ter controle van:

- de diagnose van ANCA-geassocieerde vasculitis
- eventuele problemen met uw leverfunctie (door leverenzymen en totaal bilirubine in het bloed te meten)
- uw risico op infecties (door het aantal witte bloedcellen te tellen)
- uw nierfunctie
- het gehalte van het creatinefosfokinase-enzym in het bloed.

Praat met uw arts voordat u avacopan neemt en tijdens de behandeling als u lijdt of leed aan:

- een hartaandoening zoals een hartaanval, hartfalen, ontsteking van de bloedvaten die bloed naar het hart voeren
- een soort kanker.

Uw arts zal u ook opvolgen voor tekenen en symptomen van een infectie, de zogenoemde *Neisseria meningitidis*. Dit wordt aanbevolen voor volwassen patiënten met GPA of MPA.

Het wordt aanbevolen dat u een behandeling krijgt om de longinfectie, Pneumocystis jirovecii pneumonia te voorkomen tijdens de behandeling met avacopan.

U zult vragen krijgen over hoe u zich voelt, en of er veranderingen zijn in medische aandoeningen, eventuele problemen of bijwerkingen die u kunt ervaren en eventuele medicatie die u heeft gebruikt sinds uw laatste bezoek.

U moet alle vaccinaties krijgen in overeenstemming met nationale en wettelijke richtlijnen.

### **WAT MOET IK DOEN?**

Het is heel belangrijk dat u Avacopan gebruikt en

- Uw arts informeert voordat u nieuwe medicijnen gaat gebruiken
- Uw arts informeert over alle ziektes en letsels
- Uw arts informeert over alle bijwerkingen of problemen die voorkomen.

### **WELKE ANDERE BEHANDELINGSOPTIES ZIJN ER?**

U moet niet deelnemen aan dit programma om behandeld te worden voor uw AAV. Er zijn alternatieve behandelingen voor AAV. Als u besluit om niet deel te nemen aan dit programma, kunt u de standaardbehandeling voor ANCA-geassocieerde vasculitis krijgen, zoals onder andere corticosteroiden, cyclofosfamide, azathioprine, methotrexaat, mycofenolaat-mofetil, rituximab, non-steroidale anti-inflammatoire middelen, hydroxychloroquine of plasma-uitwisseling. Al deze behandelingen hebben geassocieerde potentiële risico's. U moet deze behandelingsopties met uw arts bespreken.

### **WAT ZIJN DE MOGELIJKE RISICO'S VAN AVACOPAN?**

Medische behandelingen kunnen bijwerkingen veroorzaken. Bekende of mogelijke bijwerkingen van Avacopan worden hieronder besproken om u te helpen de mogelijke risico's te begrijpen van het innemen van Avacopan als onderdeel van dit medisch noodprogramma.

Avacopan is onderzocht bij ~ 1202 deelnemers waaronder meerdere gezonde vrijwilligers en ziektegebieden.

**Contacteer meteen uw arts als een van de volgende ernstige bijwerkingen zich voordoet:**

**Zeer vaak** (kan bij meer dan 1 op 10 personen voorkomen)

- bloedtest met verhoogde waarden van
  - leverenzymen (een teken van leverproblemen)
  - bilirubine: een gele afbraaksubstantie van bloedkleurstof.

**Vaak** (kan bij maximaal bij 1 op 10 personen voorkomen)

- longontsteking (symptomen kunnen zijn: piepende ademhaling, ademhalingsmoeilijkheden, of pijn op de borst).

**Soms** (bij maximaal 1 op 100 personen)

- ernstige allergische reactie die zwelling onder de huid veroorzaakt, vooral in het gezicht, en ademhalingsmoeilijkheden kan veroorzaken (angio-oedeem).

**Andere bijwerkingen kunnen met de volgende frequenties voorkomen:****Zeer vaak**

- infectie van de bovenste luchtwegen
- pijnlijke en ontstoken keel en neus
- hoofdpijn
- zich ziek voelen (misselijkheid)
- diarree
- braken
- afname van witte bloedcellen zoals vastgesteld in bloedtests.

**Vaak**

- ontsteking van het neusslijmvlies die zorgt voor niezen, jeuk, een loopneus of verstopte neus
- urineweginfecties
- ontsteking van de sinussen of bronchiën
- ontsteking van het slijmvlies in de maag en darmen
- infectie van de onderste luchtwegen
- cellulitis
- gordelroos
- griep
- Candida gistachtige schimmelinfectie of herpes in de mond
- middenoorontsteking
- verlaagd aantal witte bloedcellen, de zogenoemde neutrofielen (met mogelijke symptomen zoals infecties, koorts en pijnlijke zwelling)
- pijn in de bovenbuik
- verhoogde waarde van het creatinefosfokinase-enzym in het bloed (met mogelijke symptomen van pijn op de borst, verwardheid, spierpijn en pijn, een plotselinge zwakte of gevoelloosheid van het lichaam).

**Belangrijke mogelijke risico's met Avacopan***Overgevoeligheidsreacties*

Alle medicijnen hebben een mogelijk risico op een allergische reactie, ook wel overgevoeligheidsreactie genoemd, die levensbedreigend kan worden als ze niet meteen wordt behandeld.

Overgevoeligheid (ook wel overgevoeligheidsreactie of intolerantie genoemd), verwijst naar ongewenste reacties die worden geproduceerd door uw immuunsysteem, inclusief allergieën. Tekenen en symptomen van overgevoeligheid zijn urticaria (ook wel netelroos genoemd die zich presenteert als rode, jeukende bultjes op de huid en angio-oedeem dat zich kan presenteren als het opzwellen van de mond, tong, keel, lippen, ledematen of maag als gevolg van het medicijn). Angio-oedeem is zeldzaam maar een ernstige vorm van allergische reactie die levensbedreigend kan zijn. Tijdens de klinische studies met Avacopan deden zich twee gevallen van angio-oedeem voor waarvan één ernstig voorval waarvoor een hospitalisatie noodzakelijk was.

Enkele tekenen die erop kunnen wijzen dat u mogelijk een ernstige allergische reactie vertoont (bijvoorbeeld anafylaxie) zijn huiduitslag of netelroos, ademhalingsmoeilijkheden, piepende ademhaling, plotselinge daling van de bloeddruk (waardoor u zich duizelig of licht in het hoofd voelt), zwelling rond de mond, tong, keel, lippen of ogen, snelle pols of zweten. Ernstige allergische reacties zijn levensbedreigend en kunnen de dood tot gevolg hebben.

Als u een ernstige allergische reactie heeft, zoek dan dringend medische hulp of ga naar de dichtstbijzijnde spoedafdeling van een ziekenhuis.

### *Medicijn gerelateerd leverletsel*

Het gebruik van medicijnen kan geassocieerd zijn met een bijwerking, de zogenoemde leverbeschadiging door medicatiegebruik (Drug Induced Liver Injury, DILI). DILI gaat gepaard met een stijging van de leverenzymen (bloedtest die de leverfunctie evalueert) en kan in sommige gevallen leiden tot leverfalen en de dood.

In de centrale fase 3-studie vertoonden 13,3% patiënten die werden behandeld met Avacopan een bijwerking in de leverfunctietest ten opzichte van 11,6% patiënten die werden behandeld met prednison. Geen van deze gevallen had leverfalen of de dood tot gevolg en in al deze gevallen werden de leverenzymen weer normaal na het stopzetten van Avacopan.

U gaat regelmatig naar uw arts om uw voortgang te controleren en uw leverfunctie te controleren. Af en toe, wanneer er ernstige veranderingen zijn in de lever, kunnen uw huid of ogen geel worden, wat geelzucht wordt genoemd. U moet meteen uw arts informeren als u ziet dat uw huid of ogen geel worden. Als uw leverfunctietests verhoogde waarden vertonen, kan u gevraagd worden een nieuwe bloedtest te ondergaan en de inname van het studiemedicijn tijdelijk te onderbreken of definitief stop te zetten.

### *Ernstige infecties*

Een afname van witte bloedcellen kan het risico op infecties verhogen waaronder ernstige infecties.

De vaakst voorkomende ernstige infecties die werden gemeld bij deelnemers die in klinische studies Avacopan namen, waren longontsteking en urineweginfecties. Reactivering van hepatitis B-infectie en infecties die tot de dood leiden, zijn gemeld bij deelnemers die in klinische onderzoeken Avacopan kregen.

U moet meteen uw arts contacteren als u tekenen of symptomen van een infectie ontwikkelt. In de loop van het medisch noodprogramma maken routinecontroles deel uit van het programma.

Er kunnen zich andere bijwerkingen / andere risico's voordoen die de sponsor niet kan voorspellen wanneer Avacopan alleen wordt gebruikt of in combinatie met andere medicijnen.

U wordt tijdens het onderzoek zorgvuldig gecontroleerd op eventuele bijwerkingen.

## **GEBOORTECONTROLE, GEVAREN BIJ ZWANGERSCHAP EN BORSTVOEDING**

De effecten van het onderzoeksmedicijn Avacopan op zwangerschap, een ongeboren baby of een kind dat borstvoeding krijgt, zijn op dit moment niet bekend. Daarom mag u, als u zwanger bent, van plan bent zwanger te worden of een kind borstvoeding geeft, geen Avacopan gebruiken. U moet bevestigen dat u, voor zover u weet, niet zwanger bent en dat u niet van plan bent om zwanger te worden.

Als u een vruchtbare vrouw bent (d.w.z. niet postmenopauzaal of operatief gesteriliseerd), moet uw arts bevestigen dat u niet zwanger bent door middel van een zwangerschapstest, voordat u mag starten met Avacopan.

Als u of uw partner een vruchtbare vrouw bent/is moet u consequent een goedgekeurde anticonceptiemethode gebruiken terwijl u Avacopan neemt en gedurende ten minste 6 maanden na de laatste dosis cyclofosfamide (als u cyclofosfamide krijgt) en ten minste 12 maanden na de laatste dosis rituximab (als u rituximab krijgt). Als u of uw partner niet bereid bent/is om goedgekeurde anticonceptiemethoden te gebruiken, kunt u niet meedoen.

De goedgekeurde anticonceptiemethoden voor dit programma zijn:

- Hormonale anticonceptie:
  - Orale anticonceptiepil (gecombineerde orale anticonceptiepil of pil met alleen progesteron)
  - Anticonceptiepleister
  - Intravaginale ring
  - Anticonceptie-injectie
  - Anticonceptie-implantaat
- Hormoonspiraaltje (IUS)
- Koperspiraaltje (IUD)
- Operatieve sterilisatie (u of uw partner heeft ofwel een tubaligatie (beide eileiders zijn afgebonden) ondergaan, wat een operatieve sterilisatiemethode voor vrouwen is, of een vasectomie, wat een operatieve sterilisatiemethode voor mannen is, ten minste 6 maanden voor aanvang met het programma).



- Volledige (daadwerkelijke) seksuele onthouding wat in lijn is met uw voorkeurs- en gebruikelijke levensstijl.

Als u vermoedt dat u (of uw partner) zwanger is geworden, moet u meteen stoppen met Avacopan en meteen de arts op de hoogte brengen.

### **BLIJFT MIJN DEELNAME AAN HET PROGRAMMA VERTROUWELIJK?**

Ja. Zie apart deel betreffende de privacyverklaring.

### **WAT GEBEURT ER ALS ER RELEVANTE NIEUWE INFORMATIE BESCHIKBAAR WORDT?**

Als er nieuwe informatie over Avacopan beschikbaar wordt die uw besluit om mee te doen aan het programma kan veranderen, wordt u hiervan meteen op de hoogte gebracht.

### **WAT GEBEURT ER ALS U NIET VERDER WILT DOEN MET HET MEDISCH NOODPROGRAMMA?**

U bent niet verplicht om deel te nemen aan dit programma of er in te blijven. Uw deelname is volkomen vrijwillig. Als u besluit dat u niet mee wilt doen, heeft dit geen invloed op uw mogelijkheid om behandeld te worden volgens de standaardzorg voor uw medische aandoening zoals beslist door uw arts.

Als u besluit mee te doen, mag u zich nog steeds op elk moment terugtrekken zonder hiervoor een reden te geven. Terugtrekking heeft geen invloed op uw toekomstige medische zorg in deze kliniek noch op de mogelijkheid om mee te doen aan toekomstige onderzoeken. Als u besluit zich uit dit programma terug te trekken, gaat u ermee akkoord dat u uw arts meteen over dit besluit informeert.

U dient alle ongebruikte, gedeeltelijk gebruikte en/of gebruikte verpakkingen van Avacopan terug te brengen aan het einde van het programma of op het moment van stopzetting.

### **WAT ALS ER EEN PROBLEEM IS?**

Als u zich zorgen maakt of een klacht heeft, moet u contact opnemen met uw arts die zijn of haar best zal doen om uw vragen te beantwoorden.

### **WAT ALS ER ZICH EEN COMPLICATIE VOORDOET?**

Ondanks alle voorzorgsmaatregelen kunnen er zich onvoorziene medische complicaties voordoen waarvoor zorg nodig is. Als zich een complicatie voordoet, zal uw arts u helpen de juiste medische zorg te krijgen.

In het geval dat u fysiek letsel of ziekte oploopt als een direct gevolg van uw deelname aan dit programma, zal uw arts u medisch behandelen.

Uw arts heeft Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. gevraagd Avacopan te leveren om te voldoen aan uw klinische behoeften en standaard compensatieprocedures binnen het ziekenhuis of de kliniek zullen van toepassing zijn.

### **WORDT MIJN HUISARTS GEÏNFORMEERD?**

Als u toestemming geeft, zal uw arts uw huisarts en andere leden van het medische team dat voor u zorgt informeren dat u Avacopan krijgt.

### **WIE ORGANISEERT EN FINANCIERT HET PROGRAMMA?**

Dit programma wordt aangeboden door Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. dat een overeenkomst heeft om Avacopan te leveren met ChemoCentryx Inc dat de ontwikkeling en klinische onderzoeken heeft uitgevoerd.

### **WIE HEEFT HET PROGRAMMA BEOORDEELD?**

Het programma is beoordeeld en goedgekeurd door *<Naam arts invullen>*.

### **NADERE INFORMATIE EN CONTACTGEGEVENS**

U heeft het recht om op elk moment vragen te stellen over Avacopan.

- Als u vragen heeft of denkt dat u een ziekte of letsel heeft ervaren, moet u dit melden bij: *[naam en telefoonnummer arts invullen.]*

**TITEL PROGRAMMA: AVACOPAN MEDISCH NOODPROGRAMMA VOOR ANTI-NEUTROFIELE CYTOPLASMA ANTILICHAMEN GEASSOCIEERDE VASCULITIS (AAV)****KORTE TITEL: AVACOPAN AAV MEDISCH NOODPROGRAMMA**

**Verantwoordelijke persoon (Sponsor):** Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd., Rechenstrasse 37, 9014 St Gallen, Zwitserland

**Arts:** *<Naam arts invullen>*

**Ziekenhuis/klinische locatie:** *<Adres instelling invullen>*

**Telefoon ziekenhuis/kliniek:** *<telefoonnummer arts/instelling invullen>*

- Ik heb de informatie hierboven over het krijgen van een onderzoeksmedicijn, Avacopan, gelezen en begrepen
- Daarnaast heb ik het volgende privacybeleid over gegevensbescherming (hieronder) gelezen en begrepen.
- Ik heb de kans gekregen om mijn arts vragen te stellen over Avacopan. Mijn vragen zijn naar tevredenheid beantwoord. Ik heb voldoende tijd gehad om te overwegen of ik wil meedoen aan dit programma. Ik weet genoeg over de doelstelling, de voordelen en de risico's om akkoord te gaan met deelname.
- Mijn deelname aan dit programma is vrijwillig. Ik kan ervoor kiezen om niet mee te doen of om mij op welk moment dan ook uit het programma terug te trekken zonder boete of verlies van voordelen of behandeling waar ik recht op heb.
- Ik ga ermee akkoord dat mijn huisarts op de hoogte gebracht kan worden
- Ik ga ermee akkoord strikt de aanbevelingen en instructies van mijn arts op te volgen en hem/haar te informeren van eventuele voorvallen tijdens het programma
- Ik ben mij ervan bewust dat persoonsgegevens, in het bijzonder medische bevindingen, over mij worden verzameld, bewaard en beoordeeld als onderdeel van dit medisch noodprogramma. Voor het gebruik van deze persoonsgegevens is de volgende vrijwillig gegeven toestemming nodig voorafgaand aan deelname aan dit medisch noodprogramma, d.w.z. dat ik zonder de volgende toestemming niet behandeld kan worden in het medisch noodprogramma.
- Ik geef toestemming voor het versturen van mijn gecodeerde persoonsgegevens naar de sponsor of derde partijen die werken namens de sponsor, nationale of buitenlandse regelgevende autoriteiten en de Europese Database.
- Aan het einde van het programma of wanneer ik besluit niet verder te gaan met dit programma, breng ik alle ongebruikte medicatie terug.
- Ik begrijp dat ik een getekende en gedateerde kopie van dit toestemmingsformulier zal ontvangen.

**PRIVACYVERKLARING VOOR MEDISCH NOODPROGRAMMA****Gegevensbeheerder**

De gegevensbeheerder van de informatie verzameld tijdens dit Medisch Noodprogramma is:

Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd,  
Rechenstrasse 37, 9014 St Gallen, Zwitserland

Contactgegevens van de functionaris voor gegevensbescherming van de gegevensbeheerder: [GroupDPO@viforpharma.com](mailto:GroupDPO@viforpharma.com)

**De informatie die wij zullen verzamelen en de redenen om dit te doen zijn:**

Wat wij verzamelen: gegevens gerelateerd aan uw deelname aan het programma waaronder medische informatie en laboratoriumresultaten die gecodeerd zijn met het nummer dat voor het doel van dit programma aan u is toegewezen. Ze worden verzameld in computerdatabases, geverifieerd en geanalyseerd voor dit programma en voor verdere legitieme doeleinden in overeenstemming met de van toepassing zijnde wetten. Bij het overzetten van de gegevens in de programmadatabase, wordt uw naam niet bekendgemaakt en uw persoonsgegevens zullen enkel te identificeren zijn met het nummer dat voor het doel van dit programma aan u is toegewezen.

Waarom wij deze informatie nodig hebben: deze gegevens maken het mogelijk om activiteiten binnen het programma en de algemene werkzaamheid van de behandeling te begrijpen. De resultaten van dit programma kunnen gepubliceerd worden in een medisch vakblad en getoond worden tijdens medische bijeenkomsten of kunnen gebruikt worden om naar de bevoegde regelgevende autoriteiten te sturen in verband met wettelijke procedures zoals aanvragen voor autorisatie voor het op de markt brengen van farmaceutische producten. Uw naam wordt in geen van deze publicaties of indieningen genoemd. Als indieningen uw persoonsgegevens bevatten, zullen deze gegevens gecodeerd zijn met het nummer dat voor het doel van dit onderzoek aan u is toegewezen, of worden geanonimiseerd. We kunnen uw persoonsgegevens ook gebruiken voor toekomstige onderzoeksdoeleinden op het gebied van gezondheidszorg.

Met wie wij ze kunnen delen: Vertegenwoordigers van de sponsor (inclusief de dienstverlener ingehuurd door de sponsor) zullen toegang hebben tot vertrouwelijke persoonsgegevens die over u zijn verzameld in verband met dit medisch noodprogramma, om het product aan u te verstrekken en om de correcte uitvoer van het medisch noodprogramma te verifiëren. Deze gegevens zouden gepseudonimiseerd (versleuteld)

worden. Regelgevende autoriteiten kunnen toegang hebben tot uw persoonsgegevens in verband met hun toezichtactiviteiten. Geredigeerde versies van uw persoonsgegevens kunnen toegankelijk zijn voor geneesmiddelveiligheidsmedewerkers van de sponsor en dienstverleners voor doeleinden van wettelijk verplichte veiligheidsrapportage en kunnen voor dergelijke doeleinden worden ingediend bij gezondheidsinstanties. Uw persoonsgegevens kunnen worden ingediend bij officiële instanties als onderdeel van wettelijke indieningen, echter enkel in gecodeerde vorm (d.w.z. zonder uw naam te onthullen).

Sommige ontvangers van uw persoonsgegevens bevinden zich buiten het land waar u woont, waaronder landen die volgens de bevoegde regelgevende autoriteiten persoonsgegevens onvoldoende beschermen. In dergelijke gevallen zullen wij ervoor zorgen dat uw persoonsgegevens beschermd zijn met gepaste voorzorgsmaatregelen zoals de Europese modelcontractclausules of Privacy Shield Framework-certificering ([www.privacyshield.gov](http://www.privacyshield.gov)). Een kopie van de Europese standaard modelcontractclausules is verkrijgbaar bij de functionaris voor gegevensbescherming van de sponsor (GroupDPO@viforpharma.com).

### **Nadere informatie**

De wettelijke basis voor het verwerken van uw persoonsgegevens is uw toestemming. Hoelang de persoonsgegevens worden bewaard: In overeenstemming met de wettelijke vereisten worden uw persoonsgegevens die zijn verzameld in verband met het medisch noodprogramma gedurende 10 jaar bewaard.

Rechten inzake privacy van gegevens: U heeft het recht om toegang te vragen tot uw persoonsgegevens, of om uw gegevens elektronisch over te laten dragen aan een andere door u gekozen gegevensbeheerder. U kunt vragen om fouten te laten corrigeren of om het verwerken van uw persoonsgegevens te beperken. U kunt ook bezwaar maken tegen het verwerken van uw persoonsgegevens of vragen ze te laten verwijderen. U kunt ook gebruikmaken van de contactgegevens van uw arts als u gebruik wilt maken van uw rechten op toegang tot uw persoonsgegevens. Uw arts of zijn/haar medewerkers kunnen contact opnemen met de functionaris voor gegevensbescherming van de sponsor betreffende uw verzoek, in overweging nemend dat de sponsor wettelijk verantwoordelijk is voor het beheer en het verwerken van de persoonsgegevens die worden verzameld voor het onderzoek. Van toepassing zijnde wetten kunnen ons ervan weerhouden om verzoeken in te willigen om veiligheidsinformatie te verwijderen of onze verwerking daarvan te beperken.

U heeft het recht om een klacht in te dienen bij de bevoegde autoriteit inzake gegevensbescherming betreffende de verwerking van uw persoonsgegevens, als u dat wilt. Dit kan via [www.dataprotectionauthority.be/citizen/actions/lodge-a-complaint](http://www.dataprotectionauthority.be/citizen/actions/lodge-a-complaint) - stuur het ingevulde en ondertekende formulier terug via de website of per post ter attentie van de Gegevensbeschermingsautoriteit, Drukpersstraat 35, 1000 Brussel.

Als u uw toestemming voor het verwerken van uw persoonsgegevens intrekt, zullen er voor dit programma geen verdere gegevens over u worden verzameld. Gegevens die al verzameld zijn zullen worden bewaard en gebruikt zoals uiteengezet in dit formulier voor zover dit nodig is om van toepassing zijnde wetten en regels na te leven.

**Ik geef hierbij toestemming voor deelname aan het voorgenoemde Avacopan AAV-medisch noodprogramma.**

\_\_\_\_\_  
Volledige naam van de patiënt in drukletters (voor- en achternaam)

\_\_\_\_\_  
Datum en handtekening van de patiënt

Ik heb het programma aan de patiënt uitgelegd en al zijn/haar vragen beantwoord. Ik geloof dat hij/zij de informatie beschreven in dit document begrijpt en vrijwillig instemt met deelname.

\_\_\_\_\_  
Volledige naam van de arts die het toestemmingsgesprek voert in drukletters Datum (Voor- en achternaam)

\_\_\_\_\_  
Handtekening arts

**INFORMED CONSENT FORM**

**PROGRAMME TITLE: AVACOPAN ANTI-NEUTROPHIL CYTOPLASMIC AUTOANTIBODY ASSOCIATED VASCULITIS (AAV) MEDICAL NEED PROGRAMME**

**SHORT TITLE: AVACOPAN AAV MEDICAL NEED PROGRAMME**

**Responsible Person (Sponsor):** Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd.  
Rechenstrasse 37  
9014 St Gallen, Switzerland

Doctor: *<Insert Doctor name>*

Hospital/Clinic Site: *<Insert institution address>*

Hospital/Clinic Telephone: *<Insert Doctor/institution telephone number>*

**INTRODUCTION**

This is a programme which allows you to receive a medicine for vasculitis. Your own doctor has proposed that this medicine may be useful for you. You are invited to consider the information and whether you wish to receive this medicine, Avacopan, which has been developed to treat granulomatosis with polyangiitis (GPA) and microscopic polyangiitis (MPA), the two main forms of anti-neutrophil cytoplasmic autoantibody (ANCA)-associated vasculitis.

This Informed Consent Form is informing you about the possible risks and benefits of participating in this programme.

After reading this Informed Consent Form, you should discuss the programme and any questions you may have with your own doctor who is proposing that you take Avacopan. You may also take a copy of the Informed Consent Form to discuss with your family, friend, or family doctor before making a decision. If you decide to take part in this programme, you will be asked to personally sign and date the Informed Consent Form. You will be given a copy of this Informed Consent Form to keep for your records. This consent form provides only a summary of the most important information regarding the

programme, possible risks to you, and other information. More detailed information can be provided to you at any time by your own doctor.

Your participation in this programme is completely voluntary.

### **WHAT IS THE PURPOSE OF THIS PROGRAMME?**

Avacopan is a medicine being developed by ChemoCentryx, Inc. and Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd, and has been studied for the treatment of vasculitis of a certain type, called granulomatosis with polyangiitis (GPA) and microscopic polyangiitis (MPA), the two main forms of anti-neutrophil cytoplasmic autoantibody (ANCA)-associated vasculitis (AAV). A pivotal Phase 3 clinical study (CL010\_168) in 331 patients with ANCA-associated vasculitis, and two supportive Phase 2 clinical studies (CL002\_168 and CL003\_168) in a total of 109 patients with ANCA-associated vasculitis were conducted evaluating the safety and efficacy of Avacopan for ANCA-associated vasculitis. Also, a total of seven Phase 1 studies have been completed so far in 264 healthy adult subjects; 206 of whom received at least one dose of Avacopan.

Avacopan has been approved for treating patients with GPA and MPA by the European Commission, by the US Food and Drug Administration (FDA) and by the Japanese Ministry of Health, Labour and Welfare (MHLW).

The current AAV standard therapy for getting a remission from the disease includes the following combinations:

1. A medicine called cyclophosphamide (administered intravenously [IV] or orally [by mouth]), followed by a medicine called azathioprine, plus a steroid medicine called prednisone (or variations of prednisone such as, for example, methylprednisolone).

OR,

2. A medicine called rituximab (administered intravenously [IV]) plus a steroid medicine called prednisone (or variations as above).

Prednisone (administered in both combinations of the AAV standard therapy) is a so-called glucocorticoid or corticosteroid and as such has several side effects that your own doctor has explained to you. Avacopan has been tested in a large clinical study to determine if it can replace oral prednisone in the above mentioned standard treatments of patients with AAV.

This programme allows AAV patients, after request to Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd, with particular medical needs to be able to take Avacopan before Avacopan is reimbursable and/or commercially available in your country.



**WHY HAVE I BEEN INVITED TO TAKE PART IN A MEDICAL NEED PROGRAMME?**

You are being invited to participate in this programme because you have a clinical diagnosis of AAV (which includes the designations of either granulomatosis with polyangiitis also called Wegener's or microscopic polyangiitis), either newly diagnosed or relapsing, where treatment with cyclophosphamide or rituximab is indicated.

Your doctor will have told you that you need to have treatment to get a remission from AAV and available treatment options are not sufficient or not suitable. It could be that you have had a major problem with prednisone before or that you have a high risk of getting glucocorticoids-related side effects for other reasons. In this programme, Avacopan can be made available to patients whose doctor knows that getting a remission is needed and available treatment options are not sufficient or suitable.

**DO I HAVE TO TAKE PART IN THIS MEDICAL NEED PROGRAMME?**

No. It is up to you to decide whether or not you want to take part in this programme. Your doctor will describe the programme, explain about Avacopan and go through this Informed Consent Form with you. If you do choose to take part, you will be given a copy of this information sheet to keep. You will be asked to sign an Informed Consent Form and also provided with a copy. You are still free to withdraw at any time from this programme and without giving a reason. A decision to withdraw at any time, or a decision not to take part, will not affect the care you receive.

To stop taking part in this programme, you must contact the doctor at the contact information listed on page 1 of this information sheet.

By consenting to take part you are also agreeing that your doctor can stop your participation in this programme without your consent for any reason, including, but not limited to:

- a. His/her judgment that any condition or circumstance may cause injury to you such as increased risk or change in potential benefit.
- b. Your failure to follow the instructions of the doctor(s) about taking Avacopan.
- c. If the programme is stopped by Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd.

**HOW LONG WILL I BE IN THIS MEDICAL NEED PROGRAMME?**

Your doctor will determine with you how long to keep taking Avacopan, assessing you regularly in the outpatient clinic.

The initial treatment will be 30 mg twice daily for one month. Your doctor will have the option to request additional treatment up to 3 months and then your doctor can request for more supply of Avacopan if he/she can see clinical benefit.

**WHAT WILL HAPPEN TO ME IF I TAKE PART AND WHAT PROCEDURES AND TESTS WILL BE INVOLVED?**

You will be asked to take three capsules in the morning, with food, and three capsules in the evening with food. Each capsule contain 10 mg of Avacopan.

Before entering the programme, you will be asked to read and sign the consent form at the end of this document.

*Infectious Disease Testing*

As part of the screening procedures, you will have tests to check for HIV, hepatitis B, hepatitis C, and tuberculosis. You will be informed of the test results. A positive test means that you have been exposed to the hepatitis or human immunodeficiency virus, or the bacterium that causes tuberculosis. If you test positive, you cannot participate in the programme and your doctor will discuss treatment options.

*Routine Visits to your doctor:*

You will see your doctor regularly to check on your progress and to check the function of your liver as it can be affected by Avacopan.

Your doctor will carry out blood tests before and when necessary during treatment, to check:

- diagnosis of ANCA-associated vasculitis
- any problems with your liver function (by measuring liver enzymes and total bilirubin in the blood)
- your risk of getting infections (by measuring the white blood cell count)
- your kidney function
- the blood level of creatine phosphokinase enzyme.

Talk to your doctor before taking avacopan and during treatment if you had or have:

- a heart disease, such as heart attack, heart failure, inflammation of heart blood vessels
- any type of cancer.

Your doctor will also monitor you for signs and symptoms of an infection called *Neisseria meningitidis*. This is recommended for adult patients with GPA or MPA.

It is recommended that you have treatment to prevent the lung infection *Pneumocystis jirovecii* pneumonia during treatment with avacopan.

You will be asked about how you are feeling, to report any change in medical conditions, any problems or side effects that you may experience and any medicines you took since the previous visit.

You should receive all immunizations in accordance with national and regulatory guidelines.

### **WHAT WILL I HAVE TO DO?**

It is very important that you take Avacopan and

- Tell your doctor before taking any new medicines
- Tell the doctor about any illnesses or injuries
- Tell the doctor about any side effects or problems that occur.

### **WHAT OTHER OPTIONS ARE THERE FOR TREATMENT?**

You do not have to take part in this programme in order to receive treatment for your AAV. There are alternative treatments for AAV. If you do not choose to participate in this programme, you may receive standard treatment for ANCA-associated vasculitis including corticosteroids, cyclophosphamide, azathioprine, methotrexate, mycophenolate mofetil, rituximab, non-steroidal anti-inflammatory drugs, hydroxychloroquine, or plasma exchange, among others. All of these treatments have potential risks associated with them. You should discuss these treatment options with your doctor.

### **WHAT ARE THE POSSIBLE RISKS OF TAKING AVACOPAN?**

Medical treatments may cause side effects. Known or possible side effects of Avacopan are discussed below to help you understand potential risks of taking Avacopan as part of this medical need programme.

Avacopan has been studied in ~ 1202 study participants across multiple healthy volunteer and disease areas.

#### **Contact your doctor immediately if the following serious side effects occur:**

**Very common** (may affect more than 1 in 10 people)

- blood test showing increased levels of
  - liver enzymes (a sign of liver problems)
  - bilirubin: a yellow breakdown substance of the blood pigment.

**Common** (may affect up to 1 in 10 people)

- lung inflammation (symptoms can be wheezing, difficulty breathing, or chest pain).

**Uncommon** (may affect up to 1 in 100 people)

- serious allergic reaction which causes swelling under the skin, mainly in the face, and may cause breathing difficulties (angioedema).

#### **Other side effects can occur with the following frequencies:**

**Very common**

- infection of the upper airways

- sore and inflamed throat and nose
- headache
- feeling sick (nausea)
- diarrhoea
- vomiting
- decreased white blood cell count seen in blood tests.

**Common**

- inflammation of the inner lining of the nose which causes sneezing, itching, runny and blocked nose
- urinary tract infections
- inflammation of the sinuses or bronchial tubes
- inflammation of the stomach and bowel lining
- infection of the lower airways
- cellulitis
- shingles
- flu
- Candida yeast fungal infection or herpes in the mouth
- middle ear infection
- reduced number of white blood cells called neutrophils (symptoms can be infections, fever or painful swallowing)
- upper abdominal pain
- increased blood level of creatine phosphokinase enzyme (symptoms can be chest pain, confusion, muscle ache and pain, sudden weakness or numbness of the body).

**Important Possible Risks with Avacopan***Hypersensitivity reactions*

All drugs have a potential risk of an allergic reaction also called a hypersensitivity reaction, which if not treated promptly, could become life threatening.

Hypersensitivity (also called hypersensitivity reaction or intolerance) refers to undesirable reactions produced by your immune system, including allergies. Signs and symptoms of hypersensitivity include urticaria (also called hives which present as red, itchy welts on the skin and angioedema which can present as swelling of the mouth, tongue, throat, lips, limbs, or stomach that may be caused by medicine). Angioedema is a rare but severe type of allergic reaction that may be life-threatening. Two cases of angioedema occurred, including one serious event requiring hospitalization in clinical studies with Avacopan.

Some signs that you may be having a severe allergic reaction (for example, anaphylaxis) are rash or hives, difficulty breathing, wheezing, sudden drop in blood pressure (making you feel dizzy or lightheaded), swelling around the mouth, tongue, throat, lips or eyes, fast pulse, or sweating. Severe allergic reactions are life threatening and may result in death.

If you are having a severe allergic reaction, please seek urgent medical attention or go to the nearest hospital emergency department.

### *Drug Related Liver Injury*

Use of certain medicines can be associated with a side effect called Drug Induced Liver Injury (DILI). DILI is associated with increases in liver enzymes (blood test evaluating liver function) and in some cases can lead to liver failure and death.

There were 13.3% Avacopan treated patients compared to 11.6% prednisone treated patients in the pivotal phase 3 study with any liver function test adverse event. None of these cases resulted in liver failure or death and in all these cases the liver enzymes returned to normal after stopping Avacopan.

You will see your doctor regularly to check on your progress and to check the function of your liver. Occasionally, when there are severe changes in the liver, yellowing of your skin or eyes may occur, which is called jaundice. You should inform your physician immediately if you see any yellowing of your skin or eyes. If your liver function tests were found to be elevated, you may be asked to undergo a repeat blood draw and to pause or permanently discontinue study medicine.

### *Serious infections*

Decreased white blood cell counts may increase the risk of infections including serious infections.

The most common serious infections reported in clinical study participants taking Avacopan were pneumonia and urinary tract infections. Reactivation of hepatitis B infection and infections leading to death, have been reported in clinical study participants receiving Avacopan.

You should contact your doctor immediately if you develop any signs or symptoms of an infection. Routine monitoring as part of the medical need programme will be done throughout the duration.

There may be other side effects / other risks that the Sponsor cannot predict when Avacopan is taken alone or in combination with other medicines.

You will be monitored carefully during the programme for any adverse effects.

## **BIRTH CONTROL, DANGERS OF PREGNANCY, AND BREASTFEEDING**

The effects of the study medicine Avacopan on pregnancy, an unborn baby, or a nursing mother are not known at this time. Therefore, if you are pregnant, planning to become pregnant or are breastfeeding a child, you should not take Avacopan. You must confirm that, to the best of your knowledge, you are not pregnant, and that you do not intend to become pregnant.

If you are a female of childbearing potential (i.e. not post-menopausal or surgically sterilised), your doctor must confirm that you are not pregnant by performing a pregnancy test before you can start Avacopan.

If you or your partner are/is a female of childbearing potential you must consistently use an approved birth control (contraception) method while taking Avacopan and for at least 6 months after the last cyclophosphamide dose (if you receive cyclophosphamide) and at least 12 months after the last rituximab dose (if you receive rituximab). If you or your partner are/is not willing to use approved methods of birth control, you will not be able to participate.

The approved forms of birth control in this programme are:

- Hormonal contraception:
  - Oral birth control pill (combined oral contraceptive pill or progesterone only pill)
  - Contraceptive patch
  - Intravaginal ring
  - Contraceptive injection
  - Contraceptive implant
- Intrauterine system (IUS)
- Intrauterine device (IUD)
- Surgical sterilisation (you or your partner either had a tubal ligation, which is a surgical sterilisation method for women, or a vasectomy, which is a surgical sterilisation method for men, at least 6 months before programme entry).
- Complete (True) sexual abstinence which is in line with your preferred and usual lifestyle.

If you suspect that you (or your partner) have become pregnant, you must stop taking Avacopan immediately and notify the doctor immediately.

#### **WILL MY TAKING PART IN THE PROGRAMME BE KEPT CONFIDENTIAL?**

Yes. See separate section related to the privacy notice.

#### **WHAT IF RELEVANT NEW INFORMATION BECOMES AVAILABLE?**

If any new information about Avacopan that might change your decision to be in the programme become available, you will immediately be made aware of this information.

#### **WHAT HAPPENS IF I DO NOT WANT TO CARRY ON WITH THE MEDICAL NEED PROGRAMME?**

You do not have to be or to remain in this programme. Your participation is completely voluntary. If you decide you do not want to take part, there will be no impact on your ability to receive treatment according to the standard of care or your medical condition as decided by your doctor.

If you do decide to take part, you are still free to withdraw at any time and without giving a reason. Withdrawal will not affect your future medical care at this clinic nor your ability to participate in the future studies. If you decide to withdraw from this programme, you agree to inform your doctor immediately of this decision.

You will be required to return all unused, partially used, and/or used container of Avacopan at the end of the programme or at the time of discontinuation.

### **WHAT IF THERE IS A PROBLEM?**

If you have a concern or complaint, you should contact your own doctors and they will do their best to answer your questions.

### **WHAT IF A COMPLICATION ARISES?**

In spite of all precautions, unforeseeable medical complications may occur and may require care. If a complication arises, your doctor will assist you in obtaining appropriate medical treatment.

In the event that you sustain any physical injury or illness as a direct result of your participation in this programme, your doctor will provide medical treatment to you.

Your doctor has asked Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. for supply of Avacopan to meet your clinical needs and standard compensation procedures within the hospital or clinic will apply.

### **WILL MY PRIMARY CARE DOCTOR BE NOTIFIED?**

If you give consent, then your doctor will inform your Primary Care Doctor and other members of the medical team looking after you that you are receiving Avacopan.

### **WHO IS ORGANISING AND FUNDING THE PROGRAMME?**

This programme is being provided by Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd. who have an agreement to supply Avacopan with Chemocentryx Inc who have performed the development and clinical studies.

### **WHO HAS REVIEWED THE PROGRAMME?**

The programme has been reviewed and approved by *<Insert Doctor name>*.

### **FURTHER INFORMATION AND CONTACT DETAILS**

You have the right to ask any questions about Avacopan at any time.

- If you have questions or feel that you have experienced an illness or injury, you must notify: *[insert Doctor's name and phone number.]*

**PROGRAMME TITLE: AVACOPAN ANTI-NEUTROPHIL CYTOPLASMIC AUTOANTIBODY ASSOCIATED VASCULITIS (AAV) MEDICAL NEED PROGRAMME**

**SHORT TITLE: AVACOPAN AAV MEDICAL NEED PROGRAMME**

**Responsible Person (Sponsor):** Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd.,  
Rechenstrasse 37, 9014 St Gallen, Switzerland

**Doctor:** *<Insert Doctor name>*

**Hospital/Clinic Site:** *<Insert institution address>*

**Hospital/Clinic Telephone:** *<Insert Doctor/institution telephone number>*

- I have read and understand the information provided above about receiving Avacopan
- In addition, I have read and understood the following privacy policy on data protection (below).
- I have had the opportunity to ask my doctor questions about Avacopan. My questions have been satisfactorily answered. I have been given sufficient opportunity to consider whether to participate in this programme. I know enough about the purpose, the benefits and the risks to agree to participate.
- My taking part in this programme is voluntary. I may decide not to take part or to withdraw from the programme at any time without penalty or loss of benefits or treatment to which I am entitled.
- I agree that my primary physician may be informed
- I agree to strictly follow the recommendations and instructions of my doctor and to inform him/her of any events during the programme
- I am aware that personal data, in particular medical findings, about me are to be collected, stored and evaluated as part of this medical need programme. The use of these personal data requires the following voluntarily given consent prior to participation in medical need programme, i.e. without the following consent I cannot be treated as part of the medical need programme.
- I give my permission to the transfer of my coded personal data to the sponsor or third parties acting on behalf of the sponsor, national or foreign Regulatory Authorities and the European Database.
- I will return any unused medicine at the end of the programme or if I decide not to carry on with the programme.
- I understand that I will receive a signed and dated copy of this consent form.



**PRIVACY NOTICE FOR MEDICAL NEED PROGRAMME****Data controller**

The data controller of the information collected during this Medical Need Programme is:

Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd,  
Rechenstrasse 37, 9014 St Gallen, Switzerland

Contact details of the data controller's data protection officer:

[GroupDPO@viforpharma.com](mailto:GroupDPO@viforpharma.com)

**The information that we will collect, and the reasons for doing so are:**

What we collect: data related to your participation in the programme including medical information and laboratory results which are coded with the number assigned to you for the purpose of the programme. It will be collected into computer databases, verified and analysed for this programme and for further legitimate purposes in accordance with applicable law. When transferring the data into the programme database, your name will not be disclosed, and your personal data will be identified only by the number assigned to you for the purpose of the programme.

Why we need this information: these data allow us to understand activities within the program and the overall effectiveness of treatment. The results of this programme may be published in a medical journal and shown at medical meetings or may be used for submissions to competent regulatory authorities in connection with regulatory procedures such as applications to authorize the marketing of pharmaceutical products. You will not be identified by name in any of these publications or submissions. If any submissions include your personal data, the data will be coded with the number assigned to you for the purpose of the study or anonymized. We may also use your personal data for health care research purposes in future.

Who we may share it with: Representatives of the Sponsor (including the service provider engaged by the Sponsor) will have access to confidential personal data collected about you in connection with this Medical Need Programme, to supply the product to you and to verify the proper conduct of the Medical Need Programme. These data would be pseudonymised (encrypted). Regulatory authorities may have access to your personal data in connection with their oversight activities. Redacted versions of your personal data may be accessed by the Sponsor's Drug Safety personnel and service providers for legally required safety reporting purposes and may be submitted to health authorities for such purposes. Your personal data may be submitted to official authorities as part of

regulatory submissions, though only in key-coded form (i.e. without disclosing your name).

Some of the recipients of your personal data are located outside the country where you live, including countries that are not regarded by the competent authorities as providing adequate protection for personal data. In such cases we will ensure that your personal data is protected, including with appropriate safeguards such as EU standard contractual clauses or Privacy Shield Framework certification ([www.privacyshield.gov](http://www.privacyshield.gov)). A copy of the EU standard contractual clauses may be obtained from the Sponsor's Data Protection Officer (GroupDPO@viforpharma.com).

### **Further information**

The legal basis for processing your personal data is your consent.

How long the personal data will be stored: In accordance with legal requirements, your personal data collected in connection with the Medical Need Programme will be retained for 10 years.

Data privacy rights: You are entitled to request access to your personal data, or to have your data transferred electronically to another data controller of your choice. You can request that errors be corrected or that processing of your personal data be restricted. You can also object to the processing of your personal data or request it to be erased. You may also use your doctor's contact details if you wish to exercise your rights to access your personal data. Your doctor or his/her staff may contact the Sponsor's data protection officer about your request, considering that the Sponsor is legally responsible for the management and processing of the personal data collected for the study. Please note that applicable laws may prevent us from complying with requests to erase safety information or to restrict our processing of it.

You are entitled to lodge a complaint with the competent data protection authority in relation to the processing of your personal data if you wish. This can be done via [www.dataprotectionauthority.be/citizen/actions/lodge-a-complaint](http://www.dataprotectionauthority.be/citizen/actions/lodge-a-complaint) - return the completed and signed form via the website or by post to the attention of the Data Protection Authority, Rue de la Presse 35, 1000 Brussels.

If you withdraw your consent for the processing of your personal data, no further data will be collected about you for this programme. Data already collected will be retained and used as specified in this form to the extent this is necessary to comply with applicable laws and regulations.

**I hereby consent to participate in the aforementioned Avacopan AAV Medical Need Programme.**

\_\_\_\_\_  
Patients Printed Name

\_\_\_\_\_  
Patient's Signature

\_\_\_\_\_  
Date

I have explained the programme to the patient and answered all of his/her questions. I believe that he/she understands the information described in this document and freely consents to participate.

\_\_\_\_\_  
Printed Name of the Doctor Conducting the Consent Discussion

\_\_\_\_\_  
Date

\_\_\_\_\_  
Doctor's Signature