

## INFORMED CONSENT TO PARTICIPATE IN THE KARYOPHARM COMPASSIONATE USE PROGRAM

*05 May 2021 – v2.0*

**Program Title:** Compassionate Use Program with *Selinexor* in combination with dexamethasone for the treatment of multiple myeloma in adult patients who have received at least four prior therapies and whose disease is refractory to at least two proteasome inhibitors, two immunomodulatory agents and an anti-CD38 monoclonal antibody, and who have demonstrated disease progression on the last therapy.

**Patient #:** <<Caligor tracking number>>

**Drug Provider:** Karyopharm Therapeutics, Inc.

**Doctor:** <<Doctor Name>>

<<Address>>

**Telephone Number:**

**After Office Hours:**

### INTRODUCTION

Your doctor has told you that you have a cancer of the bone marrow, known as Multiple Myeloma. Your doctor thinks that it would be best to treat this disorder with selinexor (KPT-330).

This drug is being provided under the Karyopharm Compassionate Use Program. "Compassionate use" is the use of an investigational drug outside of a clinical trial to treat a patient with a serious or immediately life-threatening disease or condition who has no comparable or satisfactory alternative treatment options.

Selinexor is considered investigational, which means it has not been approved for use in your country by the Health Authority but is being provided via the Karyopharm Compassionate Use Program. Your doctor is required to comply with relevant rules and regulations in providing selinexor to you before Health Authority approval for its use in your country is obtained.

Cancer is the uncontrolled growth of human cells. The growth of normal human cells is controlled by multiple mechanisms. Cancer cells can escape one or more of these control mechanisms leading to uncontrollable growth. One specific way cancer cells continue to grow is by transporting tumor suppressor proteins, the guardians of the cell that prevent uncontrolled growth, out of the nucleus.

This drug, selinexor, works by trapping tumor suppressor proteins within the cell nucleus and thus causing the cancer cells to die or stop growing.

Selinexor has previously been tested in humans to define a safe dose to be administered. Early clinical studies have shown efficacy in the treatment of Multiple Myeloma. Selinexor is currently being tested in clinical trials in patients with different cancers.

This consent form is written to help you decide if you want to take an investigational medicine for your condition. Please read this form carefully. To receive this unlicensed medicine, you must give your informed consent, which includes:

- Reading this consent form
- Having your doctor's staff explain the investigational treatment to you, and
- Asking your doctor's staff about anything that is not clear

In addition:

- You may take home an unsigned copy of this consent form
- You can think about it or talk to family or friends before you decide

Participation in this program is voluntary. You should not sign this consent form until all your questions have been answered and you are satisfied with the answers. Your consent to participate may be withdrawn at any time.

## **TREATMENT PLAN PROCEDURES**

*<<Explain procedures, even if standard of care, in lay language in chronological order.>>*

## **HOW LONG WILL I PARTICIPATE IN THIS TREATMENT PLAN?**

You will remain on selinexor treatment as long as clinical benefit is maintained in the opinion of your doctor, your consent is given and treatment with selinexor is well tolerated. You may be required to discontinue selinexor treatment if you become pregnant, an intolerable unresolved side effect occurs, or at the discretion of your doctor, the medicine provider, Regulatory Authorities, or Independent Ethics Committees (IECs).

## **WHAT IS THE BENEFIT TO ME?**

Your doctor has requested that selinexor be made available through the Karyopharm Compassionate Use Program so that they may provide treatment to you with selinexor under their care and supervision. Your doctor has done so because they believe that treatment may benefit you. However, no one can guarantee that you will receive benefit from treatment with selinexor. It is possible that you will receive no benefit at all.

## **WHAT WILL HAPPEN DURING THIS PROGRAM?**

During the course of the treatment, you might be asked to provide blood and urine for laboratory testing to assess the disease status. The physician will also ask you how you are feeling. Please tell your physician or site staff if you have any unusual symptoms. The results from the testing may be used to analyze and make conclusion about the treatment and might be used for future publications. Records identifying you as a patient will be kept confidential and any published results will not reveal your identity. Your personal data will be coded, and program records will identify you only by a unique number, not by name. The physician is responsible for keeping the code list which makes it possible to link your assigned unique number to your name.

Research information that identifies you may be shared with the following:

- Other physicians participating in the Compassionate Use Program
- The medicine provider (Karyopharm) and/or its representatives and third parties working for or providing services for the medicine provider.

## **PATIENT CONFIDENTIALITY AND COMPLIANCE TO THE GENERAL DATA PROTECTION REGULATION (GDPR)**

**1. Identity and contact information of the person in charge of the treatment**

The person responsible for processing any data collected such as laboratory testing results is \_\_\_\_\_, whom you can contact by:

Email:

Phone:

Mail:

**2. Identity and contact information of the data protection delegate**

In order to comply with the requirements of GDPR, the [hospital name] has appointed:

**Name:** Ghislaine Dumont

**Phone:** 04/3667829

**Email:** [Ghislaine.Dumont@chuliege.be](mailto:Ghislaine.Dumont@chuliege.be)

**Mail:** Delegate for Data Protection

Internal Audit Service

CHU Sart-Tilman B35, 4000 Liège

**3. Use of personal data**

If you agree to participate in the Karyopharm Compassionate Use Program, your physician will collect and retain personal information relating to your health and treatment. This may include information that could be used to identify you, such as your name, address, phone number, year of birth, new and existing medical records, or the types, dates and results of various examinations and procedures, as well as information in your medical file and information generated or collected during the program. This is medical data only, and not any other type of sensitive information.

Until the program is completed or after the program is withdrawn before completion, your physician may try to determine your long-term health by looking at your hospital records or publicly available sources, such as national registries, newspaper obituaries and social networks on the Internet. You may also be contacted by your loved ones to certify this information. If you do not want this information about you to be collected, you can let your physician know at any time.

The data collected during this program will be analyzed by your physician. They may also be shared with other sites in Belgium and other countries. Your physician is committed to responsibly sharing data to advance medical science and improve patient care. Independent medical researchers may be allowed to use coded patient data during the program to conduct further scientific research that may not be directly related to the current program.

To verify the quality of the program, your medical file may be reviewed under the supervision of your physician by third parties (ethics committee, representatives of Karyopharm Therapeutics, external auditors, national and international health authorities). The purpose of these inspections is to ensure that the program is being conducted properly.

In order to protect your privacy, your information will be identified by a code number and will not have your name and/or address or any other information identifying you. Your year of birth may also be registered. Only your physician will be able to link this code to your name.

#### 4. Your rights as a patient

You have the right to ask your physician what data is being collected and for what purpose. You have the right to review this data and the right to make corrections to it in case it is incorrect.

In certain circumstances, you may challenge the way your information is handled, request the deletion of your data, request that certain aspects of the processing of your information be limited, or to request that a copy of your data, in digital format, be provided to you or to a third party. You also have the right to have this data transmitted directly from one processing manager to another (without the former being able to object).

You have the right to file a complaint about how your information is handled with a data protection enforcement regulator. In Belgium, the supervisory authority is the Privacy Commission (e-mail: [commission@privacycommission.be](mailto:commission@privacycommission.be), website: <http://www.privacycommission.be>)

You can revoke this consent at any time by sending a written notification to your physician at the address provided on the front page and earlier in this section. If you revoke this consent, your physician will no longer use your information or share it according to the terms of that consent to the program. No new information about you will be added to any database. Karyopharm will still be able to use all the information he has received before your consent is revoked.

There is currently no computerized procedure that will analyze your data and influence the management of your disease. All decisions about your treatment are made by human interventions (and mandatory, after consultation with other health professionals during a multidisciplinary oncology consultation (COM)).

All records related to your treatment will be placed in your medical record as usual. If there is a problem with your treatment (such as a side effect), your doctor may be required to report the problem to the Independent Ethics Committee (IEC) at <<enter institution>>, Karyopharm Therapeutics, and the Food and Drug Administration (FDA). They may review and copy the parts of your medical record related to your treatment with this drug. No one else will be allowed to see your medical records without your permission, per Article 9 (2)(a) of the GDPR. You are free to give, to not give, or to withdraw your consent at any time.

#### WHAT SIDE EFFECTS COULD SELINEXOR CAUSE?

The side effects listed below may be caused by selinexor. Also, because selinexor is unlicensed/investigational, there may be unknown or unforeseeable safety risks and side effects. You should discuss any concerns you have with your doctor. Your doctor may request

that you take other medications to make potential side effects less serious, or to make you feel more comfortable.

**Very common side effects (≥10%):**

*In 100 people receiving selinexor more than 10 people may have:*

- nausea
- vomiting
- diarrhea
- weight loss
- constipation
- fatigue and asthenia – loss of energy; weakness
- decreased appetite
- dehydration
- abdominal pain
- change in taste
- shortness of breath
- cough
- dizziness
- fever
- blurred vision
- headache
- difficulty falling asleep
- low platelets in the blood (thrombocytopenia), which may increase the risk of bleeding
- decrease in red blood cells (anemia) causing fatigue
- decrease in white blood cells (leukopenia), which may increase the risk of infection
- decrease in neutrophils (a type of white blood cell that helps fight infections)
- pneumonia
- low blood sodium which may increase the risk of seizures
- low potassium which may cause weakness, muscle cramps and spasms
- peripheral edema – swelling in extremities due to accumulation of fluid, usually in legs
- high blood sugar which may cause fatigue, increased thirst/hunger, frequent urination, weight loss, numbness and tingling in hands/feet

**Common side effects (≥1-10%):**

*In 100 people receiving selinexor about 1 to 10 people may have:*

- rash
- eye disorders including cataract (new or worsened), dry eye, visual impairment, seeing flashes of light
- night sweats
- dry mouth
- stomatitis – a condition that causes painful swelling and sores inside the mouth
- dyspepsia – indigestion
- chills
- hypotension – low blood pressure
- hypertension
- tachycardia – fast heart rate
- nosebleed
- contusion (bruise due to body injuries such as fall)
- electrolyte disturbances including:

low phosphate which may cause muscle weakness and fatigue

low magnesium which may cause muscle twitches and cramps

low calcium which may cause numbness and tingling in hands/feet/face, muscle stiffness and cramps

high potassium which may cause muscle weakness, palpitations or irregular heartbeats and chest pain

- low albumin (which may cause swelling especially of the hands/feet, weakness or exhaustion)
- peripheral neuropathy – weakness, numbness, and pain from nerve damage, usually in the hands and feet
- decrease in lymphocytes – a specific type of white blood cell that are part of your immune system
- increase of creatinine in the blood due to a reduction in kidney function, often related to dehydration
- elevated liver enzymes including alanine aminotransferase increased, aspartate aminotransferase increased, blood alkaline phosphatase increased
- elevated pancreatic enzymes including high amylase and high lipase
- muscle weakness
- febrile neutropenia – fever in the absence of a normal white blood cell response that may mean you have an infection
- respiratory tract infection (including upper)
- urinary tract infection
- sepsis (including septic shock)- potentially life-threatening complication of an infection
- pain in joints and muscles
- malaise (a general feeling of being ill or bodily weakness)
- muscle spasms
- gait disturbance
- hair loss
- itching
- depression
- syncope - fainting
- cognitive disorder
- mental status changes including confusion

#### **Uncommon side effects (>0.1-1%):**

*In 1,000 people receiving selinexor about 1 to 10 people may have:*

- tumor lysis syndrome – potentially a life-threatening side effect caused by the rapid breakdown of tumor cells and may cause irregular heartbeat, kidney failure or abnormal blood test results which included elevated uric acid level, elevated serum potassium and phosphorus levels, and a decreased calcium level.
- enterocolitis infectious (inflammation of digestive tract caused by infection)
- gastroenteritis (stomach flu)
- rhinovirus infection (common cold; infection of nose, ear, sinuses; very rarely leading to pneumonia or bronchitis)

#### **Rare side effects (>0.01-0.1%):**

*In 10,000 people receiving selinexor about 1 to 10 people may have:*

- acute cerebellar syndrome – symptoms can include a sudden loss of coordination, balance or slurred speech

**Serious adverse effects (≥3 cases reported as related to selinexor by your physician):**

- cardiac failure
- general physical health deterioration
- multiple organ dysfunction syndrome
- lung infection
- bacteremia – bacterial infection in the blood
- bronchitis – infection of tubes that carry air to and from lungs
- decreased ejection fraction – reduction in amount of blood pumped out of heart
- encephalopathy – brain disease, damage, or malfunction, which can present different symptoms that range from mild, such as some memory loss or subtle personality changes, to severe, such as dementia, seizures, or coma
- delirium – state of acute confusion
- acute kidney injury
- pulmonary embolism– pulmonary embolism occurs when a clump of material, most often a blood clot, gets wedged into an artery in your lungs
- hypoxia – an absence of oxygen supply at tissue level

**Contraception and Pregnancy (Female Patient):**

Selinexor can harm an unborn or nursing baby. Therefore, if you are pregnant or nursing a child, you cannot participate in this compassionate use program. You must confirm, to the best of your knowledge, that you are not now pregnant, and that you do not intend to become pregnant while taking selinexor.

If you are sexually active, or have a chance of becoming pregnant, it is important that you use a highly effective birth control method (contraception) during treatment and for 3 months after your last dose.

Examples of highly effective birth control methods are:

- Total abstinence, when this is in line with your preferred and usual lifestyle. Periodic abstinence like calendar, ovulation, symptom-thermal, post-ovulation methods, and withdrawal are not acceptable methods of contraception.
- Female sterilization, when you have been surgically sterilized by surgical bilateral removal of ovaries (woman's reproductive system that stores and releases eggs for fertilization and produces female sex hormones), or tubal ligation (getting your “tubes tied”) at least six weeks ago.
- Your male partner has already been sterilized. The sterilized male partner should be your sole partner.
- Use of a combination of any two of the following (a+b or a+c or b+c):
  - a. Use of oral, injected or implanted hormonal methods of contraception (in case of oral contraception you should have been using the same pill on a stable dose for a minimum of 3 months before taking treatment),
  - b. Placement of an intrauterine device (IUD) or intrauterine system (IUS),
  - c. Use of an occlusive cap (diaphragm or cervical/vault cap) by you, or a condom by your male partner combined with a spermicidal foam/gel/film/cream/vaginal suppository.

Should you become pregnant while taking selinexor, or suspect that you may be pregnant, you must inform your doctor immediately. You must also inform your doctor if you become pregnant within 3 months after ending treatment.

**Contraception and Pregnancy (Male Patient):**

Men without confirmed vasectomy and their female partners of child-bearing potential should agree and commit to use a highly effective barrier method of contraception (i.e., any of the above methods of hormonal contraception associated with inhibition of ovulation) while receiving selinexor and for 3 months after the last selinexor dose, or consent to total sexual abstinence (abstinence must occur from enrollment and continue for 3 months after the last selinexor dose).

## ALTERNATIVE OPTIONS

You may decide not to take part in the Karyopharm Compassionate Use Program. Other treatments for your condition include forms of immunotherapy, accessible through clinical studies. These treatments are not yet proven and remain experimental.

## COSTS TO YOU

Selinexor will be provided to you at no cost until treatment is discontinued by you or your physician, the investigational medicine is approved for sale by your national regulatory authority, or Karyopharm discontinues its compassionate use program for the investigational medicine in your country. Your mutual health insurance will be responsible for the remaining costs related to this treatment. You will be responsible for any costs your insurance does not cover.

## PAYMENT

You will NOT receive payment for taking part in the Karyopharm Compassionate Use Program.

## COMPLICATIONS AND COMPENSATION

Every effort to prevent a drug related injury will be taken by your doctor and his staff. If you think you have been injured or if you experience a medical problem, you should contact

Dr. <<Name>> at <<Phone>> and appropriate medical treatment will be provided to you and billed as part of your medical expenses. Costs not covered by your health care insurer will be your responsibility. Also, it is your responsibility to determine the extent of your health care coverage. There is no program in place for other monetary compensation for such injuries. However, you are not giving up any legal rights or benefits to which you are otherwise entitled.

## LIABILITY

If you believe you have been injured or harmed while participating in this treatment and require immediate treatment, contact <<treatment team info, if treatment involves physical risks that may be immediate provide a phone number that is available 24 hours a day>>.

You have not waived your legal rights by signing this form. If you are harmed by the drug, you will be treated. <<enter institution>> does not offer to pay for the cost of the treatment. If you have questions on this subject, please call <<enter institution>> at <<enter telephone number>>.

## VOLUNTARY NATURE OF EXPANDED ACCESS PROGRAM PARTICIPIATION

Taking part in the Karyopharm Compassionate Use Program is voluntary. You may choose not to participate. Choosing to not participate will not result in any penalty or loss of benefits to which you are entitled. Your decision whether or not to participate in the Karyopharm Compassionate Use Program will not affect your current or future relations with Dr. <<Name>> or <<Name>> Hospital.



***Patient informed consent***

I have read this document/had its contents explained to me. I understand the purpose of this treatment and what will happen to me. I do freely give my consent to join in the Karyopharm Compassionate Use Program, as described to me in this document. I understand that I will receive a copy of this document as signed below.

By signing this consent form, I authorize the use, access, and sharing of my personal medical information as described in the section “Confidentiality”. This consent is valid unless and until I revoke it.

\_\_\_\_\_  
(Participant's name – printed)

\_\_\_\_\_  
(Date)

\_\_\_\_\_  
(Signature of Participant)

**CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ POUR PARTICIPER AU PROGRAMME D'USAGE  
COMPASSIONNEL DE KARYOPHARM****05 May 2021– v2.0**

**Titre du programme :** Programme d'usage compassionnel de Karyopharm – Accès élargi au sélinexor (KPT-330) chez les patients atteints de **myélome multiple**

Programme d'usage compassionnel avec sélinexor en association avec la dexaméthasone pour le traitement du myélome multiple chez les patients adultes ayant reçu au moins quatre traitements antérieurs et dont la maladie est réfractaire à au moins deux inhibiteurs du protéasome, deux agents immunomodulateurs et un anti-CD38 anticorps monoclonal, et qui ont démontré une progression de la maladie lors du dernier traitement.

**N° du patient :** <<Numéro de traçage Caligor>>

**Fournisseur du médicament :** Karyopharm Therapeutics, Inc.

**Médecin :** <<Nom du médecin>>

<<Adresse>>

**Numéro de téléphone :**

**En dehors des heures de bureau :**

**INTRODUCTION**

Votre médecin vous a dit que vous avez un cancer de la moelle osseuse, connu sous le nom de myélome multiple. Votre médecin pense qu'il serait préférable de traiter ce trouble avec un nouveau médicament, appelé sélinexor.

Ce médicament est fourni dans le cadre du programme d'usage compassionnel de Karyopharm. L'usage compassionnel est l'utilisation d'un médicament expérimental en dehors d'une étude clinique pour traiter un patient atteint d'une maladie ou d'une affection grave ou mettant immédiatement en jeu le pronostic vital, et qui n'a pas d'alternatives de traitement comparables ou satisfaisantes.

Le sélinexor est considéré comme expérimental, ce qui signifie qu'il n'a pas été approuvé pour une utilisation dans votre pays par les autorités sanitaires, mais qu'il est fourni dans le cadre du Programme d'usage compassionnel de Karyopharm. Votre médecin est tenu de se conformer aux règles et réglementations pertinentes en vous fournissant le sélinexor avant que l'autorité sanitaire n'ait fourni d'approbation pour son utilisation dans votre pays.

Le cancer désigne une croissance incontrôlée des cellules humaines. La croissance de cellules humaines normales est contrôlée par de multiples mécanismes. Les cellules cancéreuses peuvent échapper à un ou plusieurs de ces mécanismes de contrôle, ce qui entraîne une croissance incontrôlable. Ce médicament, le sélinexor, agit en interférant avec les mécanismes d'échappement nucléaire des protéines suppressives de tumeur et finit par entraîner la mort ou l'arrêt de la croissance des cellules cancéreuses.

Le sélinexor a déjà été testé chez l'homme pour définir une dose d'administration sûre. Les premières études cliniques ont montré son efficacité dans le traitement du myélome multiple. Le sélinexor est actuellement testé dans des études cliniques chez des patients atteints de différents types de cancers.

Ce formulaire de consentement est rédigé pour vous aider à décider si vous souhaitez prendre un médicament expérimental pour votre affection. Veuillez lire attentivement ce formulaire. Pour recevoir ce médicament non autorisé, vous devez donner votre consentement éclairé, ce qui inclut de :

- Lire ce formulaire de consentement ;
- Faire en sorte que le personnel de votre médecin vous explique le traitement expérimental, et
- Interroger le personnel de votre médecin sur tout ce qui n'est pas clair.

En outre :

- Vous pouvez emporter un exemplaire non signé de ce formulaire de consentement chez vous ;
- Vous pouvez y réfléchir ou en parler avec votre famille ou vos amis avant de prendre votre décision.

La participation à ce programme est volontaire. Vous ne devez pas signer ce formulaire de consentement tant que vous n'aurez pas obtenu de réponse satisfaisante à toutes vos questions. Votre consentement à participer peut être retiré à tout moment.

## **PROCÉDURES DU PLAN DE TRAITEMENT**

*<<Expliquer le plan de traitement ainsi que les procédures médicales comprises dans ce dernier, même si elles font parties des soins standards de la prise en charge du myélome multiple, dans l'ordre chronologique, dans la langue souhaitée.>>*

## **COMBIEN DE TEMPS VAIS-JE PARTICIPER À CE PLAN DE TRAITEMENT ?**

Vous resterez sous traitement au sélinexor tant que le bénéfice clinique est maintenu selon l'avis de votre médecin, que votre consentement est donné et que le traitement par sélinexor est bien toléré. Vous devrez peut-être interrompre le traitement par sélinexor si vous débutez une grossesse, si un effet secondaire intolérable non résolu survient ou à la discrétion de votre médecin, du fournisseur du médicament, des autorités réglementaires ou des comités d'éthique indépendants (CEI).

## **QUEL EST LE BÉNÉFICE POUR MOI ?**

Votre médecin a demandé à ce que le sélinexor soit mis à disposition par le biais du programme d'usage compassionnel de Karyopharm afin qu'il puisse vous fournir un traitement au sélinexor sous ses soins et sa supervision. Votre médecin l'a fait parce qu'il pense que le traitement pourrait vous être bénéfique. Cependant, personne ne peut garantir que vous tirerez un quelconque bénéfice du traitement par le sélinexor. Il est possible que vous ne retiriez absolument aucun bénéfice.

## **QUE SE PASSERA-T-IL PENDANT CE PROGRAMME ?**

Au cours du traitement, on pourrait vous demander de fournir du sang et de l'urine pour des analyses de laboratoire visant à évaluer la progression de votre maladie. Le médecin vous demandera également comment vous vous sentez. Veuillez informer votre médecin ou le personnel du centre si vous présentez un quelconque symptôme inhabituel. Les résultats des analyses pourront être utilisés pour analyser et tirer des conclusions sur le traitement ; ils

pourront également être utilisés pour de futures publications. Les dossiers vous identifiant en tant que patient resteront confidentiels et les résultats publiés ne dévoileront pas votre identité. Vos données personnelles seront codées et les dossiers du programme ne vous identifieront que par un numéro unique, et non par votre nom. Le médecin est responsable de conserver la liste des codes qui permet d'établir le lien entre le numéro unique qui vous a été attribué et votre nom.

Les informations de recherche qui vous identifient pourront être partagées avec les personnes suivantes :

- D'autres médecins participant au Programme d'usage compassionnel ;
- Le fournisseur du médicament (Karyopharm) et/ou ses représentants et les tiers travaillant pour le fournisseur du médicament ou lui fournissant des services.

## **CONFIDENTIALITÉ DU PATIENT ET CONFORMITÉ AU RÈGLEMENT GÉNÉRAL SUR LA PROTECTION DES DONNÉES (RGPD)**

### **1. Identité et coordonnées de la personne en charge du traitement des données**

La personne responsable du traitement des données recueillies, comme les résultats des analyses de laboratoire, est \_\_\_\_\_, que vous pouvez contacter par :

E-mail :

Téléphone :

Courrier :

### **2. Identité et coordonnées du délégué à la protection des données**

Afin de se conformer aux exigences du RGPD, le **[Nom du centre de l'étude]** a désigné :

Nom : Ghislaine DUMONT

Téléphone : 04/3667829

E-mail : [Ghislaine.Dumont@chuliege.be](mailto:Ghislaine.Dumont@chuliege.be)

Courrier : **Ghislaine Dumont**

Délégué à la protection des données

Service d'audit interne

CHU Sart-Tilman B35, 4000 Liège

### **3. Utilisation des données personnelles**

Si vous acceptez de participer au programme d'usage compassionnel de Karyopharm, votre médecin recueillera et conservera des informations personnelles relatives à votre santé et à votre traitement. Cela peut inclure des informations qui pourraient être utilisées pour vous identifier, comme vos nom, adresse, numéro de téléphone, année de naissance, dossiers médicaux nouveaux et existants, ou les types, dates et résultats de divers examens et procédures, ainsi que des informations dans votre dossier médical et des informations générées ou recueillies pendant le programme. Il s'agit uniquement de données médicales, et non d'un autre type d'informations sensibles.

Tant que le programme n'est pas terminé ou si le programme se voyait annulé avant sa fin, votre médecin pourra essayer de déterminer votre état de santé à long terme en consultant vos dossiers hospitaliers ou des ressources publiques, comme les registres nationaux, les avis de décès dans les journaux et les réseaux sociaux sur Internet. Vos proches pourraient également vous contacter pour certifier ces informations. Si vous ne souhaitez pas que ces informations vous concernant soient recueillies, vous pouvez en informer votre médecin à tout moment.

Les données recueillies au cours de ce programme seront analysées par votre médecin. Elles peuvent également être partagées avec d'autres centres en Belgique et dans d'autres pays. Votre médecin s'engage à partager les données de manière responsable pour faire progresser la science médicale et améliorer les soins aux patients. Des chercheurs médicaux indépendants pourront être autorisés à utiliser les données codées des patients pendant le programme, afin de mener d'autres recherches scientifiques qui ne sont pas directement liées au programme actuel.

Afin de vérifier la qualité du programme, votre dossier médical pourra être examiné sous la responsabilité de votre médecin par des tiers (comité d'éthique, représentants de Karyopharm Therapeutics, auditeurs externes, autorités sanitaires nationales et internationales). Le but de ces inspections est de s'assurer que le programme est mené correctement.

Afin de protéger votre vie privée, vos informations seront identifiées par un numéro de code et ne comporteront ni votre nom et/ou votre adresse ni aucune autre information permettant de vous identifier. Votre année de naissance peut également être enregistrée. Seul votre médecin sera en mesure de relier ce code à votre nom.

#### **4. Vos droits en tant que participant**

Vous avez le droit de demander à votre médecin quelles données sont recueillies et à quelle fin. Vous avez le droit d'examiner ces données et d'y apporter des corrections au cas où elles seraient incorrectes.

Dans certaines circonstances, vous pouvez contester la façon dont vos informations sont traitées, demander la suppression de vos données, demander que certains aspects du traitement de vos informations soient restreints, ou demander qu'une copie de vos données, au format numérique, vous soit fournie ou soit fournie à un tiers. Vous avez également le droit de faire transférer ces données directement d'un responsable de traitement à un autre (sans que le premier ne puisse s'y opposer).

Vous avez le droit de déposer une plainte concernant la manière dont vos informations sont traitées auprès d'un organisme de réglementation chargé de la protection des données. En Belgique, l'autorité de contrôle est la Commission de protection de la vie privée (e-mail : [commission@privacycommission.be](mailto:commission@privacycommission.be), site Internet : <http://www.privacycommission.be>)

Vous pouvez révoquer ce consentement à tout moment en envoyant une notification écrite à votre médecin à l'adresse indiquée en première page et précédemment dans cette section. Si vous révoquez ce consentement, votre médecin n'utilisera plus vos informations et ne les partagera plus, conformément aux termes de ce consentement au programme. Aucune nouvelle information vous concernant ne sera ajoutée à

aucune base de données. Karyopharm pourra toujours utiliser toutes les informations qu'il a reçues avant la révocation de votre consentement.

Il n'existe actuellement aucune procédure informatisée qui analysera vos données et influencera la prise en charge de votre maladie. Toutes les décisions concernant votre traitement sont prises suite à des interventions humaines (et obligatoires, après consultation d'autres professionnels de santé lors d'une réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP) en oncologie).

Tous les dossiers liés à votre traitement seront placés dans votre dossier médical, comme d'habitude. En cas de problème avec votre traitement (comme un effet secondaire), votre médecin pourrait être tenu de signaler le problème au comité d'éthique indépendant (CEI) au <<insérer l'établissement>>, à Karyopharm Therapeutics et à l'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (Food and Drug Administration, FDA). Ils pourront examiner et copier les parties de votre dossier médical liées à votre traitement avec ce médicament. Personne d'autre ne sera autorisé à consulter vos dossiers médicaux sans votre autorisation, conformément à l'article 9 (2)(a) du RGPD. Vous êtes libre de donner, de ne pas donner ou de retirer votre consentement à tout moment.

## **QUELS EFFETS SECONDAIRES POURRAIENT ÊTRE CAUSÉS PAR LE SÉLINEXOR ?**

Les effets secondaires énumérés ci-dessous peuvent être causés par le sélinexor. De plus, comme le sélinexor n'est pas autorisé/est expérimental, il peut y avoir des risques de sécurité d'emploi et des effets secondaires inconnus ou imprévisibles. Vous devez discuter de vos éventuelles inquiétudes avec votre médecin. Votre médecin pourrait vous demander de prendre d'autres médicaments pour atténuer les effets secondaires potentiels, ou pour vous aider à vous sentir mieux.

### **Effets secondaires très fréquents (≤ 10 %) :**

*Sur 100 personnes recevant le sélinexor, plus de 10 personnes peuvent présenter :*

- des nausées ;
- des vomissements ;
- de la diarrhée ;
- une perte de poids ;
- une constipation ;
- de la fatigue et de l'asthénie – perte d'énergie ; faiblesse ;
- une diminution de l'appétit ;
- une déshydratation ;
- des douleurs abdominales ;
- une altération du goût ;
- un essoufflement ;
- de la toux ;
- des étourdissements ;
- de la fièvre ;
- une vision floue ;
- des maux de tête ;
- des difficultés à s'endormir ;
- un faible taux de plaquettes dans le sang (thrombocytopenie), pouvant augmenter le risque de saignement ;
- une diminution du nombre de globules rouges (anémie) entraînant de la fatigue ;
- une diminution du nombre de globules blancs (leucopénie), pouvant augmenter le risque d'infection ;

- une diminution des neutrophiles (un type de globule blanc qui aide à combattre les infections) ;
- une pneumonie ;
- un faible taux sanguin de sodium, pouvant augmenter le risque de convulsions ;
- un faible taux de potassium, pouvant entraîner une faiblesse, des crampes musculaires et des spasmes ;
- un œdème périphérique – gonflement des extrémités dû à une accumulation de liquide, généralement dans les jambes ;
- une glycémie élevée, pouvant entraîner de la fatigue, une augmentation de la soif ou de la faim, des mictions fréquentes, une perte de poids, un engourdissement et des picotements dans les mains ou les pieds.

### Effets secondaires fréquents (≤ 1 à 10 %) :

*Sur 100 personnes recevant du sélinexor, environ 1 à 10 personnes peuvent présenter :*

- une éruption cutanée ;
- des troubles oculaires, y compris cataracte (nouvelle ou aggravée), une sécheresse oculaire, des troubles visuels, une vision d'éclairs de lumière ;
- des sueurs nocturnes ;
- la bouche sèche ;
- une stomatite – une affection qui provoque un gonflement douloureux et des plaies à l'intérieur de la bouche ;
- une dyspepsie – indigestion ;
- des frissons ;
- de l'hypotension – pression artérielle faible ;
- de l'hypertension ;
- de la tachycardie – rythme cardiaque rapide ;
- de l'épistaxis ;
- une contusion (ecchymose due à des blessures corporelles comme une chute) ;
- des troubles électrolytiques, y compris :

un faible taux de phosphate, pouvant entraîner une faiblesse musculaire et de la fatigue ;

un faible taux de magnésium, pouvant provoquer des contractions musculaires et des crampes ;

un faible taux de calcium, pouvant entraîner un engourdissement et des picotements dans les mains, les pieds ou le visage, une raideur musculaire et des crampes ;

un taux élevé de potassium, pouvant entraîner une faiblesse musculaire, des palpitations ou un pouls irrégulier et des douleurs thoraciques.

- un faible taux d'albumine (pouvant entraîner un gonflement, en particulier des mains et des pieds, de la faiblesse ou un sentiment d'épuisement) ;
- une neuropathie périphérique – faiblesse, engourdissement et douleur dus à des lésions nerveuses, généralement dans les mains et les pieds ;
- une diminution du nombre de lymphocytes – un type spécifique de globules blancs qui font partie de votre système immunitaire ;
- une augmentation de la créatinine dans le sang due à une réduction de la fonction rénale, souvent liée à la déshydratation ;
- des taux élevés d'enzymes hépatiques, y compris une augmentation de l'alanine aminotransférase, de l'aspartate aminotransférase et de la phosphatase alcaline sanguine ;
- des taux élevés d'enzymes pancréatiques, y compris d'amylase et de lipase ;
- une faiblesse musculaire ;
- une neutropénie fébrile – fièvre en l'absence d'une réponse normale des globules

- blancs qui peut signifier que vous avez une infection ;
- une infection des voies respiratoires (y compris supérieures)
  - une infection des voies urinaires ;
  - une septicémie (y compris choc septique) – complication d'une infection mettant potentiellement en jeu le pronostic vital ;
  - des douleurs articulaires et musculaires ;
  - des malaises (sensation générale de se sentir mal ou de faiblesse corporelle) ;
  - des spasmes musculaires ;
  - un trouble de la marche ;
  - des pertes de cheveux ;
  - des démangeaisons ;
  - un état dépressif ;
  - une syncope – évanouissement ;
  - des troubles cognitifs ;
  - une modification de l'état mental, notamment de la confusion.

### **Effets secondaires peu fréquents (> 0,1 à 1 %) :**

*Sur 1 000 personnes recevant du sélinexor, environ 1 à 10 personnes peuvent présenter :*

- un syndrome de lyse tumorale – un effet secondaire mettant potentiellement en jeu le pronostic vital, causé par la dégradation rapide de cellules tumorales et pouvant entraîner un rythme cardiaque irrégulier, une insuffisance rénale ou des résultats d'analyses sanguines anormaux, comme un taux élevé d'acide urique, des taux sériques élevés en potassium et en phosphore, et une diminution du taux de calcium ;
- une entérocolite infectieuse (inflammation du tube digestif causée par une infection) ;
- une gastro-entérite (grippe intestinale) ;
- une infection à rhinovirus (rhume ; infection du nez, des oreilles, des sinus ; entraînant très rarement une pneumonie ou une bronchite).

### **Effets secondaires rares (> 0,01 à 0,1 %) :**

*Sur 10 000 personnes recevant du sélinexor, environ 1 à 10 personnes peuvent présenter :*

- un syndrome cérébelleux aigu – les symptômes peuvent inclure une perte soudaine de la coordination, de l'équilibre ou une élocution indistincte.

### **Effets indésirables graves ( $\leq$ 3 cas rapportés comme liés au sélinexor par votre médecin) :**

- une insuffisance cardiaque ;
- une détérioration de l'état de santé général ;
- un syndrome de dysfonctionnement multiviscéral ;
- une infection pulmonaire ;
- une bactériémie – infection bactérienne dans le sang ;
- une bronchite – infection des voies qui transportent l'air vers et depuis les poumons ;
- une diminution de la fraction d'éjection – réduction de la quantité de sang pompée hors du cœur ;
- une encéphalopathie – une maladie, une lésion ou un dysfonctionnement du cerveau, qui peut se présenter sous différents symptômes allant de légers, comme une perte de mémoire ou des changements subtils de la personnalité, à grave, comme une démence, des convulsions ou un coma ;
- un délire – syndrome confusionnel aigu ;



- une insuffisance rénale aiguë ;
- une embolie pulmonaire – l'embolie pulmonaire survient lorsqu'un amas de matière, le plus souvent un caillot sanguin, se coince dans une artère pulmonaire ;
- une hypoxie – absence d'apport en oxygène au niveau des tissus.

#### Contraception et grossesse (patientes) :

Le sélinexor peut nuire à un enfant à naître ou à un bébé allaité. Par conséquent, si vous êtes enceinte ou si vous allaitez un enfant, vous ne pouvez pas participer à ce programme d'usage compassionnel. Vous devez confirmer, au mieux de vos connaissances, que vous n'êtes pas enceinte en ce moment et que vous n'avez pas l'intention de devenir enceinte pendant que vous prenez le sélinexor.

Si vous êtes sexuellement active, ou si vous êtes susceptible de devenir enceinte, il est important que vous utilisiez une méthode de contraception hautement efficace pendant le traitement et pendant 3 mois après votre dernière dose.

Voici des exemples de méthodes de contraception hautement efficaces :

- Abstinence totale, lorsque cela correspond à votre mode de vie préféré et habituel. L'abstinence périodique selon les méthodes du calendrier, de l'ovulation, sympto-thermique et post-ovulation, et le retrait ne sont pas des méthodes de contraception acceptables ;
- La stérilisation féminine, lorsque vous avez été stérilisée chirurgicalement par ablation chirurgicale bilatérale des ovaires (système reproducteur féminin qui stocke et libère des ovules pour la fécondation et produit les hormones sexuelles féminines), ou ligature des trompes (avoir les « trompes ligaturées ») il y a au moins six semaines ;
- Votre partenaire de sexe masculin a déjà été stérilisé. Le partenaire de sexe masculin stérilisé doit être votre seul partenaire ;
- Utilisation d'une association de deux des éléments suivants (a+b ou a+c ou b+c) :
  - a. Utilisation de méthodes de contraception hormonales orales, injectées ou implantées (en cas de contraception orale, vous devez avoir utilisé la même pilule à une dose stable pendant au moins 3 mois avant de prendre le traitement) ;
  - b. Mise en place d'un dispositif intra-utérin (DIU) ou d'un système intra-utérin (SIU) ;
  - c. Utilisation d'une cape occlusive (diaphragme ou cape cervicale/dôme) par vous, ou d'un préservatif par votre partenaire de sexe masculin associé à une mousse/un gel/un film/une crème/un suppositoire vaginal spermicide.

Si vous devenez enceinte pendant la prise de sélinexor, ou si vous pensez être enceinte, vous devez immédiatement en informer votre médecin. Vous devez également informer votre médecin si vous devenez enceinte dans les 3 mois suivant la fin du traitement.

#### Contraception et grossesse (patient) :

Les hommes sans vasectomie confirmée et leurs partenaires de sexe féminin en âge de procréer doivent accepter et s'engager à utiliser une méthode de contraception hautement efficace par méthode barrière (c.-à-d. l'une quelconque des méthodes de contraception hormonale ci-dessus associées à l'inhibition de l'ovulation) pendant qu'ils reçoivent le sélinexor et pendant 3 mois après la dernière dose de sélinexor, ou consentir à l'abstinence sexuelle totale (l'abstinence doit survenir à partir de l'inclusion et se poursuivre pendant 3 mois après la dernière dose de sélinexor).

## AUTRES OPTIONS DE TRAITEMENT

Vous pouvez décider de ne pas participer au programme d'usage compassionnel de Karyopharm. D'autres traitements pour votre affection comprennent des formes d'immunothérapie, accessibles par le biais d'études cliniques. Ces traitements ne sont pas encore d'efficacité prouvée et restent expérimentaux.

## EXISTENCE DE FRAIS SUPPLÉMENTAIRES

Le sélinexor vous sera fourni gratuitement jusqu'à ce que le traitement soit interrompu par vous ou par votre médecin, que le médicament expérimental soit approuvé à la vente par votre autorité réglementaire nationale ou que Karyopharm interrompe son programme d'usage compassionnel pour le médicament expérimental dans votre pays. Votre organisme mutualiste sera responsable des coûts restants liés à ce traitement. Vous serez responsable de tous les frais que votre assurance ne couvre pas.

## PAIEMENT

Vous ne recevrez PAS de paiement pour votre participation au programme d'usage compassionnel de Karyopharm.

## COMPLICATIONS ET RÉMUNÉRATION

Votre médecin et son personnel mettront tout en œuvre pour éviter tout préjudice lié au médicament. Si vous pensez avoir subi un préjudice ou si vous présentez un problème médical, vous devez contacter

le Dr <<Nom>> au <<Téléphone>> et le traitement médical approprié vous sera fourni et facturé dans le cadre de vos frais médicaux. Les frais non couverts par votre assurance santé seront à votre charge. Il vous revient également de déterminer l'étendue de votre couverture de soins de santé. Il n'existe pas de programme en place pour d'autres compensations monétaires pour de tels préjudices. Cependant, vous ne renoncez à aucun des droits ou avantages légaux auxquels vous avez autrement droit.

## RESPONSABILITÉ

Si vous pensez avoir subi un préjudice ou une blessure pendant votre participation à ce traitement et que vous avez besoin d'un traitement immédiat, contactez <<contact de l'équipe de traitement, si le traitement implique un risque d'atteinte à la santé qui peut être urgent fournir un numéro de téléphone valable 24 h/24>>.

Vous n'avez pas renoncé à vos droits légaux en signant ce formulaire. Si vous subissez un préjudice causé par le médicament, vous serez traité(e). <<insérer l'établissement>> ne propose pas de payer le coût du traitement. Si vous avez des questions à ce sujet, veuillez appeler <<insérer l'établissement>> au <<insérer le numéro de téléphone>>.

## PARTICIPATION VOLONTAIRE AU PROGRAMME D'ACCÈS ÉLARGI

La participation au programme d'usage compassionnel de Karyopharm est volontaire. Vous pouvez choisir de ne pas participer. Le choix de ne pas participer n'entraînera aucune pénalité ni perte de bénéfices auxquels vous avez droit. Votre décision de participer ou non au programme d'usage compassionnel de Karyopharm n'affectera pas vos relations actuelles ou futures avec le Dr <<Nom>> ou l'hôpital <<Nom>>.

### **Consentement éclairé du patient**

J'ai lu ce document/On m'a expliqué son contenu. Je comprends l'objectif de ce traitement et ce qui m'arrivera. Je donne librement mon consentement à participer au programme d'usage compassionnel de Karyopharm, comme cela m'a été décrit dans ce document. Je comprends que je recevrai un exemplaire de ce document signé ci-dessous.

En signant ce formulaire de consentement, j'autorise l'utilisation, l'accès et le partage de mes renseignements médicaux personnels comme décrit à la section « Confidentialité ». Ce consentement est valable à moins que et jusqu'à ce que je le révoque.

---

(Nom du/de la participant(e) – en majuscules) (Date)

---

(Signature du/de la participant(e))

## GEÏNFORMEERDE TOESTEMMING VOOR DEELNAME AAN HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN VAN KARYOPHARM

*05 May 2021 – v2.0*

**Programmatitel:** Programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm – Uitgebreide toegang tot selinexor (KPT-330) bij patiënten met [multipel myeloom](#)

Programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm met Selinexor in combinatie met dexamethason voor de behandeling van de behandeling van multipel myeloom bij volwassen patiënten die ten minste vier eerdere therapieën hebben gekregen en bij wie de ziekte ongevoelig is voor ten minste twee proteasoomremmers, twee immunomodulerende middelen en een monoklonaal anti-CD38-middel. antilichaam, en die bij de laatste therapie ziekteprogressie hebben aangetoond.

**Patiëntnr.:** <<Caligor trackingnummer>>

**Geneesmiddelleverancier:** Karyopharm Therapeutics, Inc.

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

<<Adres>>

**Telefoonnummer:**

**Buiten kantooruren:**

### INLEIDING

Je arts heeft je verteld dat je een soort beenmergkanker hebt, bekend als multipel myeloom. Je arts denkt dat deze aandoening het beste behandeld kan worden met een nieuw geneesmiddel, selinexor genaamd.

Dit geneesmiddel wordt verstrekt onder het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm. Gebruik in schrijnende gevallen is het gebruik van een studiegeneesmiddel buiten een klinische studie om een patiënt te behandelen met een ernstige of direct levensbedreigende ziekte of aandoening die geen vergelijkbare of bevredigende alternatieve behandelingsopties heeft.

Selinexor wordt als een studiegeneesmiddel beschouwd, wat betekent dat het niet is goedgekeurd voor gebruik in je land door de gezondheidsautoriteiten, maar wordt verstrekt via het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm. Je arts is verplicht om te voldoen aan de relevante regels en voorschriften voor het verstrekken van selinexor aan jou voordat goedkeuring van de gezondheidsinstantie voor het gebruik ervan in je land wordt verkregen.

Kanker is de ongecontroleerde groei van menselijke cellen. De groei van normale menselijke cellen wordt door meerdere mechanismen beheerd. Kankercellen kunnen aan een of meer van deze controlemechanismen ontsnappen, wat leidt tot oncontroleerbare groei. Dit

geneesmiddel, selinexor, werkt door de nucleaire vluchtmechanismen van tumoronderdrukkende eiwitten te verstoren en zorgt er uiteindelijk voor dat kankercellen afsterven of stoppen met groeien.

Selinexor is eerder getest bij mensen voor het bepalen van de veilige dosis die toegediend kan worden. Eerdere klinische studies hebben de werkzaamheid aangetoond bij de behandeling van multipel myeloom. Selinexor wordt momenteel getest in klinische studies bij patiënten met verschillende soorten kanker.

Dit toestemmingsformulier is bedoeld om je te helpen beslissen of je een studiegeneesmiddel voor je aandoening wilt gebruiken. Lees dit formulier goed door. Om dit niet-geregistreerde geneesmiddel te ontvangen, moet je je geïnformeerde toestemming geven, wat uit het volgende bestaat:

- dit toestemmingsformulier lezen;
- het personeel van je arts de studiebehandeling aan je laten uitleggen; en
- het personeel van je arts vragen stellen over alles wat niet duidelijk is.

Bovendien:

- Je kan een niet-ondertekende kopie van dit toestemmingsformulier mee naar huis nemen.
- Je kan erover nadenken en het bespreken met familie of vrienden voordat je beslist.

Deelname aan dit programma is vrijwillig. Je mag dit toestemmingsformulier pas ondertekenen als al je vragen zijn beantwoord en je tevreden bent met de antwoorden. Je toestemming voor deelname kan op elk moment worden ingetrokken.

## **PROCEDURES VAN HET BEHANDELINGSPLAN**

*<<Procedures, zelfs indien standaardzorg, in lektaal uitleggen in chronologische volgorde.>>*

## **HOELANG NEEM IK DEEL AAN DIT BEHANDELINGSPLAN?**

Je blijft de behandeling met selinexor krijgen voor zo lang er naar het oordeel van je arts klinisch voordeel is, je toestemming wordt gegeven en de behandeling met selinexor goed wordt verdragen. Het kan zijn dat je moet stoppen met de behandeling met selinexor als je zwanger wordt, als er een onverdraagbare onopgeloste bijwerking optreedt, of volgens het oordeel van je arts, de medicijnleverancier, regelgevende instanties of onafhankelijke Ethische Comit es (Independent Ethics Committees, IEC's).

## **WAT IS HET VOORDEEL VOOR MIJ?**

Je arts heeft verzocht om selinexor beschikbaar te stellen via het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm, zodat hij/zij je onder zijn/haar zorg en toezicht kan behandelen met selinexor. Je arts heeft dit gedaan omdat hij/zij denkt dat je baat kunt hebben bij de behandeling. Niemand kan echter garanderen dat je baat zult hebben bij de behandeling met selinexor. Het is mogelijk dat je helemaal geen voordeel ondervindt.

## **WAT GEBEURT ER TIJDENS DIT PROGRAMMA?**

In de loop van de behandeling kan je worden gevraagd om bloed en urine af te staan voor laboratoriumonderzoek om de ziektestatus te beoordelen. De arts zal je ook vragen hoe je je voelt. Vertel het aan je arts of het centropersoneel als je ongewone symptomen hebt. De resultaten van de tests kunnen worden gebruikt om de behandeling te analyseren en er conclusies uit te trekken, en ze kunnen worden gebruikt voor toekomstige publicaties. Gegevens die je identificeren als pati ent zullen vertrouwelijk worden bewaard en eventuele

gepubliceerde resultaten zullen je identiteit niet onthullen. Je persoonsgegevens worden gecodeerd en programmadocumenten zullen je alleen identificeren via een uniek nummer, niet met je naam. De arts is verantwoordelijk voor het bijhouden van de codelijst, die het mogelijk maakt om het aan jou toegewezen unieke nummer aan je naam te koppelen.

Onderzoeksinformatie waarmee je geïdentificeerd kunt worden, kan gedeeld worden met de volgende personen:

- andere artsen die deelnemen aan het programma voor gebruik in schrijnende gevallen;
- de medicijnleverancier (Karyopharm) en/of zijn vertegenwoordigers en derden die werken voor of diensten verlenen aan de medicijnleverancier.

## **VERTROUWELIJKHEID VOOR DE PATIËNT EN NALEVING VAN DE ALGEMENE VERORDENING GEGEVENSBESCHERMING (AVG)**

### **1. Identiteit en contactgegevens van de persoon die de behandeling leidt**

De persoon die verantwoordelijk is voor het verwerken van alle verzamelde gegevens zoals laboratoriumtestresultaten is \_\_\_\_\_, met wie je contact kunt opnemen via:

E-mail:

Telefoon:

Postadres:

### **2. Identiteit en contactgegevens van de afgevaardigde voor gegevensbescherming**

Om te voldoen aan de vereisten van de AVG, heeft het **[Naam studiecentrum]** de volgende aangesteld:

Naam: **Ghislaine Dumont**

Telefoon: 04/3667829

E-mail: [Ghislaine.Dumont@chuliege.be](mailto:Ghislaine.Dumont@chuliege.be)

Postadres: Afgevaardigde voor gegevensbescherming

Dienst Interne Audit

CHU Sart-Tilman B35, 4000 Liège

### **3. Gebruik van persoonsgegevens**

Als je akkoord gaat met deelname aan het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm, zal je arts persoonlijke informatie over je gezondheid en behandeling verzamelen en bewaren. Dit kan informatie omvatten die kan worden gebruikt om je te identificeren, zoals je naam, adres, telefoonnummer, geboortjaar, nieuwe en bestaande medische dossiers, of de soorten, datums en resultaten van verschillende onderzoeken en procedures, evenals informatie in je medisch dossier en informatie die tijdens het programma wordt aangemaakt of verzameld. Dit zijn alleen medische gegevens en geen andere soorten gevoelige informatie.

Je arts kan tot het einde van het programma of nadat het programma vóór het einde is stopgezet, proberen om je gezondheid op lange termijn te bepalen door je ziekenhuisdossier of publiek beschikbare bronnen te bekijken, zoals nationale registers, overlijdensberichten in kranten en sociale netwerken op het internet. Je naasten kunnen ook contact met je opnemen om deze informatie te bevestigen. Als je niet wilt dat deze informatie over jou wordt verzameld, kan je dit op elk moment aan je arts laten weten.

De gegevens die tijdens dit programma worden verzameld, worden geanalyseerd door je arts. Ze kunnen ook gedeeld worden met andere centra in België en andere landen. Je arts zet zich in voor het op verantwoorde wijze delen van gegevens om de medische wetenschap te bevorderen en de patiëntenzorg te verbeteren. Onafhankelijke medische onderzoekers kunnen toestemming krijgen om de gecodeerde patiëntgegevens te gebruiken tijdens het programma om verder wetenschappelijk onderzoek uit te voeren dat mogelijk geen rechtstreeks verband houdt met het huidige programma.

Om de kwaliteit van het programma te controleren, kan je medisch dossier worden nagezien door derden onder toezicht van je arts (ethisch comité, vertegenwoordigers van Karyopharm Therapeutics, externe auditors, nationale en internationale gezondheidsinstanties). Het doel van deze inspecties is om ervoor te zorgen dat het programma correct wordt uitgevoerd.

Om je privacy te beschermen, zal je informatie worden geïdentificeerd met een codenummer en zal je naam en/of adres of andere informatie waarmee je te identificeren bent, niet worden vermeld. Je geboortjaar kan ook worden geregistreerd. Alleen je arts kan deze code aan je naam koppelen.

#### **4. Je rechten als patiënt**

Je hebt het recht om je arts te vragen welke gegevens worden verzameld en voor welk doel. Je hebt het recht om deze gegevens in te zien en je hebt het recht om correcties aan te brengen in het geval dat deze onjuist zijn.

In bepaalde omstandigheden kan je bezwaar maken tegen de manier waarop je gegevens worden behandeld, verzoeken om je gegevens te laten verwijderen, verzoeken dat bepaalde aspecten van de verwerking van je gegevens beperkt worden, of verzoeken dat een kopie van je gegevens, in digitale vorm, aan jou of aan een derde partij wordt verstrekt. Je hebt ook het recht om deze gegevens rechtstreeks van de ene verwerkingsverantwoordelijke naar de andere te laten verzenden (zonder dat de vorige hiertegen bezwaar kan hebben).

Je hebt het recht om bij een toezichthouder voor gegevensbescherming een klacht in te dienen over hoe je informatie wordt behandeld. In België is de toezichthoudende autoriteit de Gegevensbeschermingsautoriteit (e-mail: [contact@apd-gba.be](mailto:contact@apd-gba.be), website: <http://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be>)

Je kunt deze toestemming op elk moment intrekken door een schriftelijke kennisgeving te sturen naar je arts op het adres dat op de voorpagina en eerder in deze rubriek staat. Als je deze toestemming intrekt, zal je arts je informatie niet langer gebruiken of delen volgens de voorwaarden van die toestemming voor het programma. Er zal geen nieuwe informatie over jou aan een database worden toegevoegd. Karyopharm kan nog steeds alle informatie gebruiken die deze heeft ontvangen voordat je toestemming werd ingetrokken.

Er is momenteel geen geautomatiseerde procedure die je gegevens zal analyseren en het beheer van je ziekte zal beïnvloeden. Alle beslissingen over je behandeling worden

genomen via menselijke interventies (en verplicht, na overleg met andere zorgverleners tijdens een multidisciplinair oncologisch consult (COM)).

Alle dossiers met betrekking tot je behandeling worden zoals gebruikelijk in je medisch dossier opgenomen. Als er een probleem is met je behandeling (zoals een bijwerking), kan je arts verplicht zijn om het probleem te melden aan het onafhankelijk Ethisch Comité (Independent Ethics Committee, IEC) in *<<instelling invoegen>>*, Karyopharm Therapeutics en de Food and Drug Administration (FDA). Zij kunnen de delen van je medisch dossier met betrekking tot je behandeling met dit geneesmiddel inzien en kopiëren. Niemand anders mag volgens artikel 9 (2)(a) van de AVG je medisch dossier zonder je toestemming inzien. Het staat je vrij om op elk moment je toestemming te geven, niet te geven of in te trekken.

## WELKE BIJWERKINGEN KAN SELINEXOR VEROORZAKEN?

De hieronder vermelde bijwerkingen kunnen worden veroorzaakt door selinexor. Omdat selinexor niet-geregistreerd/experimenteel is, kunnen er ook onbekende of onvoorspelbare veiligheidsrisico's en bijwerkingen zijn. Bespreek eventuele zorgen die je hebt met je arts. Je arts kan je vragen om andere geneesmiddelen te gebruiken om mogelijke bijwerkingen minder ernstig te maken of om je comfortabeler te laten voelen.

### Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (≤ 10%):

*Op 100 mensen die selinexor krijgen, kunnen meer dan 10 mensen last hebben van:*

- misselijkheid
- braken
- diarree
- gewichtsverlies
- harde stoelgang
- vermoeidheid en asthenie – verlies van energie; zwakte
- verminderde eetlust
- uitdroging
- buikpijn
- smaakverandering
- kortademigheid
- hoesten
- duizeligheid
- koorts
- wazig zicht
- hoofdpijn
- moeite met in slaap vallen
- laag aantal bloedplaatjes in het bloed (trombocytopenie), wat het risico op bloeding kan verhogen
- daling van het aantal rode bloedcellen (anemie), wat vermoeidheid veroorzaakt
- daling van het aantal witte bloedcellen (leukopenie), wat het risico op infecties kan verhogen
- daling van het aantal neutrofielen (een type witte bloedcel dat helpt bij het bestrijden van infecties)
- longontsteking
- laag bloed natrium, wat het risico op toevallen kan verhogen
- laag kaliumgehalte, wat zwakte, spierkrampen en spasmen kan veroorzaken
- perifere oedeem – zwelling in de ledematen als gevolg van vochtophoping, meestal in de benen
- hoge bloedsuikerspiegel, wat vermoeidheid, verhoogde dorst/honger, vaak plassen, gewichtsverlies, gevoelloosheid en tintelingen in handen/voeten kan



veroorzaken

### Vaak voorkomende bijwerkingen ( $\leq$ 1-10%):

*Op 100 mensen die selinexor krijgen, kunnen ongeveer 1 op de 10 mensen last hebben van:*

- huiduitslag
- oogandoeningen waaronder cataract (nieuw of verergerd), droge ogen, visuele stoornissen, lichtflitsen zien
- nachtelijk zweten
- droge mond
- stomatitis – een aandoening die pijnlijke zwelling en zweren in de mond veroorzaakt
- dyspepsie – indigestie
- Koude rillingen
- hypotensie – lage bloeddruk
- hypertensie
- tachycardie – snelle hartslag
- neusbloeding
- kneuzing (blauwe plek door lichaamsletsels zoals vallen)
- elektrolytstoornissen, waaronder:
  - laag fosfaatgehalte, wat spierzwakte en vermoeidheid kan veroorzaken
  - laag magnesiumgehalte, wat spiertrekkingen en krampen kan veroorzaken
  - laag calciumgehalte, wat gevoelloosheid en tintelingen in handen/voeten/gezicht, spierstijfheid en krampen kan veroorzaken
  - hoog kaliumgehalte, wat spierzwakte, hartkloppingen of onregelmatige hartslag en pijn op de borst kan veroorzaken
- laag albuminegehalte (wat zwelling, met name van de handen/voeten, zwakte of uitputting kan veroorzaken)
- perifere neuropathie – zwakte, gevoelloosheid en pijn door zenuwbeschadiging, meestal in de handen en voeten
- afname van lymfocyten – een specifiek type witte bloedcel dat deel uitmaakt van je immuunsysteem
- toename van creatinine in het bloed als gevolg van een afname in de nierfunctie, vaak gerelateerd aan uitdroging
- verhoogde hoeveelheid leverenzymen, waaronder verhoging van alanineaminotransferase, verhoging van aspartaataminotransferase, verhoging van alkalinefosfatase in het bloed
- verhoogde hoeveelheid pancreasenzymen, waaronder hoge amylase en hoge lipase
- spierzwakte
- febrile neutropenie – koorts door gebrek aan een normale respons van de witte bloedcellen, wat mogelijk betekent dat je een infectie hebt
- infectie van de luchtwegen (inclusief bovenste)
- urineweginfectie
- sepsis (waaronder septische shock) - mogelijk levensbedreigende complicatie van een infectie
- pijn in gewrichten en spieren
- malaise (een algemeen gevoel van ziek zijn of lichamelijke zwakte)
- spierspasmen
- loopstoornis
- haaruitval
- jeuk
- depressie

Programma voor gebruik in schrijvende gevallen van Karyopharm - selinexor - ICF-sjabloon

- syncope - flauwvallen
- cognitieve stoornis
- veranderingen in mentale toestand, waaronder verwardheid

**Soms voorkomende bijwerkingen (> 0,1-1%):**

*Op 1.000 mensen die selinexor krijgen, kunnen ongeveer 1 op de 10 mensen last hebben van:*

- tumorlyssyndroom – mogelijk een levensbedreigende bijwerking die wordt veroorzaakt door de snelle afbraak van tumorcellen en die kan leiden tot onregelmatige hartslag, nierfalen of afwijkende bloedtestresultaten, waaronder verhoogde urinezuurspiegel, verhoogde serumkalium- en fosforspiegels en een verlaagde calciumspiegel.
- enterocolitis infectieus (ontsteking van het spijsverteringskanaal veroorzaakt door infectie)
- gastro-enteritis (buikgriep)
- rhinovirusinfectie (gewone verkoudheid; infectie van neus, oor, sinussen; zeer zelden leidend tot longontsteking of bronchitis)

**Zeldzame bijwerkingen (> 0,01-0,1%):**

*Op 10.000 mensen die selinexor krijgen, kunnen ongeveer 1 op de 10 mensen last hebben van:*

- acuut cerebellair syndroom – symptomen kunnen onder meer bestaan uit een plots verlies van coördinatie, evenwicht of onduidelijke spraak

**Ernstige bijwerkingen (≤ 3 gevallen gemeld als gerelateerd aan selinexor door je arts):**

- hartfalen
- verslechtering algemene lichamelijke gezondheid
- meervoudige orgaanfunctie
- longinfectie
- bacteriëmie – bacteriële infectie in het bloed
- bronchitis – infectie van de buisjes die lucht van en naar de longen vervoeren
- verminderde ejectiefractie – afname van de hoeveelheid bloed die uit het hart wordt gepompt
- encefalopathie – hersenziekte, schade aan of slecht functioneren van de hersenen, wat gepaard kan gaan met verschillende symptomen die variëren van licht, zoals geheugenverlies of subtiele persoonlijkheidsveranderingen, tot ernstig, zoals dementie, toevallen of coma
- delirium – toestand van acute verwardheid
- acute nierschade
- longembolie – longembolie treedt op wanneer een klont materiaal, meestal een bloedstolsel, vast komt te zitten in een slagader in je longen
- hypoxie – gebrek aan zuurstoftoevoer op weefselniveau

Anticonceptie en zwangerschap (vrouwelijke patiënt):

Selinexor kan schadelijk zijn voor een ongeboren baby of een baby die borstvoeding krijgt. Daarom kan je, als je zwanger bent of borstvoeding geeft, niet deelnemen aan dit programma

voor gebruik in schrijnende gevallen. Je moet naar je beste weten bevestigen dat je nu niet zwanger bent en dat je niet van plan bent zwanger te worden terwijl je selinexor gebruikt.

Als je seksueel actief bent of de kans bestaat dat je zwanger kan worden, is het belangrijk dat je een zeer doeltreffende anticonceptiemethode (anticonceptie) gebruikt tijdens de behandeling en gedurende 3 maanden na je laatste dosis.

Voorbeelden van zeer doeltreffende anticonceptiemethoden zijn:

- Totale onthouding, wanneer dit overeenkomt met je geprefereerde en gebruikelijke levensstijl. Periodieke onthouding zoals kalender-, ovulatie-, symptothermale of postovulatiemethoden, en coïtus interruptus zijn in deze studie geen aanvaardbare anticonceptiemethoden.
- Sterilisatie bij vrouwen, wanneer je chirurgisch gesteriliseerd bent door chirurgische bilaterale verwijdering van de eierstokken (voortplantingssysteem van de vrouwen dat eicellen opslaat en vrijgeeft voor bevruchting en vrouwelijke geslachtshormonen produceert), of tubaligatie (afbinden van eileiders) ten minste zes weken geleden.
- Je mannelijke partner is al gesteriliseerd. De gesteriliseerde mannelijke partner moet je enige partner zijn.
- Gebruik van een combinatie van twee van de volgende (a+b of a+c of b+c):
  - a. Gebruik van orale, geïnjecteerde of geïmplanteerde hormonale anticonceptiemethoden (in geval van orale anticonceptie moet je gedurende minimaal 3 maanden vóór het innemen van de behandeling dezelfde pil met een stabiele dosis hebben gebruikt);
  - b. Plaatsing van een spiraaltje (IUD) of intra-uterien systeem (IUS);
  - c. Gebruik van een occlusief kapje (pessarium of cervixkapje) door jou, of een condoom door je mannelijke partner in combinatie met een zaaddodende schuim/gel/film/crème/vaginale zetpil.

Als je zwanger wordt terwijl je selinexor gebruikt, of vermoedt dat je zwanger bent, moet je je arts onmiddellijk op de hoogte stellen. Je moet je arts ook informeren als je zwanger wordt in de 3 maanden na het einde van de behandeling.

Anticonceptie en zwangerschap (mannelijke patiënt):

Mannen zonder bevestigde vasectomie en hun vruchtbare vrouwelijke partners dienen akkoord te gaan met en zich te verbinden tot het gebruik van een zeer doeltreffende barrièremethode voor anticonceptie (d.w.z. een van de bovenstaande methoden van hormonale anticonceptie gepaard met remming van de eisprong) terwijl ze selinexor krijgen en gedurende 3 maanden na de laatste dosis selinexor, of instemmen met totale seksuele onthouding (onthouding moet plaatsvinden vanaf inschrijving en doorgaan gedurende 3 maanden na de laatste dosis selinexor).

## ALTERNATIEVE OPTIES

Je kan besluiten om niet deel te nemen aan het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm. Andere behandelingen voor je aandoening zijn vormen van immunotherapie, toegankelijk via klinische studies. Deze behandelingen zijn nog niet bewezen en blijven experimenteel.

## KOSTEN VOOR JOU

Selinexor wordt kosteloos aan jou verstrekt tot de behandeling door jou of je arts wordt stopgezet, het studiegeneesmiddel door je nationale regelgevende autoriteit is goedgekeurd voor verkoop, of Karyopharm het Programma voor gebruik in schrijnende gevallen van het studiegeneesmiddel in je land stopzet. Je mutualiteitbent/is verantwoordelijk voor de overige kosten in verband met deze behandeling. Je bent verantwoordelijk voor alle kosten die je verzekering niet dekt.

## BETALING

Je ontvangt GEEN betaling voor deelname aan het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm.

## COMPLICATIES EN COMPENSATIE

Je arts en zijn/haar personeel zullen alles in het werk stellen om schade gerelateerd aan het geneesmiddel te voorkomen. Als je denkt dat je een letsel hebt opgelopen of als je een medisch probleem hebt, moet je contact opnemen met

dr. <<Naam>> op <<Telefoon>> en de juiste medische behandeling zal aan jou worden verstrekt en in rekening worden gebracht als onderdeel van je medische kosten. Kosten die niet worden gedekt door je zorgverzekeraar zijn jouw verantwoordelijkheid. Het is ook jouw verantwoordelijkheid om na te gaan hoeveel dekking je ziektekostenverzekering biedt. Er is geen programma voorzien voor andere financiële vergoedingen voor dergelijke letsels. Je doet echter geen afstand van wettelijke rechten of voordelen waarop je anders recht zou hebben.

## AANSPRAKELIJKHEID

Als je denkt dat je letsel of schade hebt opgelopen tijdens je deelname aan deze behandeling en onmiddellijke behandeling nodig hebt, neem dan contact op met <<info van behandelingsteam, als behandeling lichamelijke risico's inhoudt die mogelijk acuut zijn, geef een telefoonnummer op dat 24 uur per dag beschikbaar is>>.

Je hebt geen afstand gedaan van je wettelijke rechten door dit formulier te ondertekenen. Als je een letsel oploopt door het geneesmiddel, word je behandeld. <<instelling invoegen>> biedt geen vergoeding voor de kosten van de behandeling. Als je hierover vragen hebt, bel dan <<instelling invullen>> op <<telefoonnummer invullen>>.

## VRIJWILLIGE AARD VAN DEELNAME AAN UITGEBREID TOEGANGSPROGRAMMA

Deelname aan het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm is vrijwillig. Je kan ervoor kiezen om niet deel te nemen. Als je ervoor kiest om niet deel te nemen, zal dit niet leiden tot sancties of verlies van voordelen waarop je anders recht hebt. Je beslissing om al dan niet deel te nemen aan het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm heeft geen invloed op je huidige of toekomstige relaties met dr. <<Naam>> of <<Naam>> Ziekenhuis.

## ***Geïnformeerde toestemming van de patiënt***

Ik heb dit document gelezen/de inhoud ervan is aan mij uitgelegd. Ik begrijp het doel van deze behandeling en wat er met mij zal gebeuren. Ik geef vrijwillig toestemming om deel te nemen aan het programma voor gebruik in schrijnende gevallen van Karyopharm, zoals mij in dit document is uitgelegd. Ik begrijp dat ik een kopie van dit document zal ontvangen zoals hieronder ondertekend.

Door dit toestemmingsformulier te ondertekenen, geef ik toestemming voor het gebruik, de toegang en het delen van mijn persoonlijke medische informatie zoals beschreven in de rubriek "Vertrouwelijkheid". Deze toestemming is geldig tenzij en totdat ik deze intrek.

\_\_\_\_\_  
(Naam deelnemer – in drukletters)

\_\_\_\_\_  
(datum)

\_\_\_\_\_  
(Handtekening van deelnemer)