

Informed Consent Form

Title of Program:	ELX/TEZ/IVA Managed Access Program for Patients 6 Through 11 Years of Age With Cystic Fibrosis Who are Homozygous for F508del or Heterozygous for F508del and a Minimal Function Mutation
Sponsor of the Program:	Vertex Pharmaceuticals Incorporated 50 Northern Avenue – Boston MA 02210-1862 - USA
Program Number:	VX20 445 906
Drug Name:	Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (ELX/TEZ/IVA). The ELX/TEZ/IVA dosing regimen is two fixed-dose combination tablets of ELX/TEZ/IVA in the morning and a monotablet of IVA in the evening
Research organisation:	PAREXEL Belgium SPRL Avenue Pasteur 2 - 1300 Wavre - Belgium
Central Ethics Committee:	_____
Name of Program Doctor:	_____
Name & Address of Site:	_____ _____ _____
Daytime Phone #:	_____
Emergency Phone #:	_____
Outside consulting hours Phone #:	_____

1. General Information and Purpose

This Informed Consent Form applies to parents and/or guardians of child participants (6-11 years of age). A separate Child Assent Form will be provided for the child program participant.

Vertex Pharmaceuticals Incorporated (“Vertex”) has opened a managed access program (“MAP”, or the “program”) in order to respond to unsolicited requests from physicians to make Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (“ELX/TEZ/IVA”) available for use by certain patients (referred to as “Eligible Patients”) diagnosed with Cystic Fibrosis (“CF”) under the supervision of the treating physician (“your child’s doctor”) who are in critical medical need and who may benefit from treatment with ELX/TEZ/IVA, but who do not have access to ELX/TEZ/IVA or any other satisfactory alternative therapy and cannot enter a clinical trial. Vertex will provide the ELX/TEZ/IVA at no cost during your child’s participation in the program.

251837_VX20-445-906_Belgium Main ICF Version 3.0_07Jul2022 based on Master ICF Version 2.0, 6 Jul 2021 and ELX/TEZ/IVA Triple Combination MAP ICF Risk Language Template based on ELX/TEZ/IVA IB v3.0, dated 07Jun2022

Please read this Informed Consent Form (“Consent Form”) carefully. It explains the things your child will be asked to do before, during, and after the program. If you and your child decide that your child would like to participate in the program, you will be asked to sign this Consent Form. A copy of the signed and dated Consent Form will be given to you to keep.

2. Program Design

Before inclusion in the program, your child’s doctor will assess your child’s eligibility for the program, including assessment of your child’s liver function tests (LFTs). During the program Treatment Period, ELX/TEZ/IVA will be provided to your child and your child’s doctor will monitor your child for safety and how he/she tolerates ELX/TEZ/IVA.

If your child weighs < 30kg, he/she will receive 2 tablets of ELX 50 mg/TEZ 25 mg/IVA 37.5 mg to take in the morning and 1 tablet of IVA 75 mg to take in the evening.

If your child weighs \geq 30 kg, he/she will receive 2 tablets of ELX 100mg/TEZ 50 mg/ IVA 75mg to take in the morning and 1 tablet of IVA 150 mg to take in the evening.

The ELX/TEZ/IVA regimen should be administered with fat-containing food, such as a standard CF high-fat, high-calorie meal or snack.

At the end of your child’s participation in the program, you and your program doctor will determine if your child will continue treatment with commercial product. If your child stops taking ELX/TEZ/IVA early your child’s doctor will follow up with you and your child.

If your child’s doctor refers to ELX/TEZ/IVA as “**Drug**” it means Elexacaftor, Tezacaftor and Ivacaftor in combination.

It is unknown how many children will participate in this program at all sites.

3. Program Visit Tests and Checks

Your child’s doctor believes that your child may meet the requirements to be an Eligible Patient and participate in this program. Before inclusion in the program your child’s doctor will review your child’s medical history and ask you about medications that your child has taken or is currently taking. A spirometry test may be performed, and a blood sample may be obtained to check your child’s liver function. If your child is female of childbearing potential, she may have a blood or urine pregnancy test performed, as assessed by the treating physician. Your child will have an eye exam performed by an eye doctor or eye specialist at the start of the program.

During the Treatment Period your child will come to the clinic on Day 1, Month 1, Month 3 and then every 3 months. On Months 3, 6, 9, 12 and then annually, a blood sample will be obtained to check your child’s liver function. Your child will have another eye exam after 1 year of taking ELX/TEZ/IVA. At each clinic visit your child will be asked how he/she is feeling and what medications he/she is taking. Your child’s weight will be assessed to ensure the appropriate dose is administered.

4. What are the Possible Risks and Discomforts?

Your child will be monitored for possible side effects during the program. You should contact your child's program doctor or your child's primary care provider as soon as possible if you think your child is having a medical problem, side effect, or a change in his/her medical condition or health. You should seek immediate medical treatment for your child if you are unable to contact your child's doctor or your child's primary care provider and you feel it is an emergency. Possible risks and discomforts are detailed below; however, there may be other risks and side effects that are not yet known.

Risks associated with Elexacaftor (ELX)/Tezacaftor (TEZ)/Ivacaftor (IVA) triple combination therapy (referred to as ELX/TEZ/IVA):

To date, ELX/TEZ/IVA has been administered to more than 700 clinical trial participants with cystic fibrosis age 2 years and greater. In addition, ELX has been administered alone or in combination with TEZ/IVA to approximately 200 healthy volunteers.

The side effects associated with ELX/TEZ/IVA are listed or described in the text below. For the listed side effects, the percentages of people with cystic fibrosis in a large study who experienced these side effects are shown.

- Headache (17%)
- Diarrhea (13%)
- Upper respiratory tract infection (common cold) (12%)
- Increased liver enzymes in blood (may be a sign of a liver problem) (11%)
- Rash (11%)
- Stomachache (10%)
- Nasal congestion (9%)
- Increased blood enzyme called creatine phosphokinase (may be a sign of a muscle problem) (9%)
- Runny nose (8%)

Safety Monitoring in This Program:

In some study participants treated with ELX/TEZ/IVA triple combination therapy, high liver enzymes in the blood have been observed. Elevated liver enzymes may be a sign of liver injury. These abnormal liver enzymes may get better after ELX/TEZ/IVA is stopped. Your child will have his/her blood drawn to check his/her liver enzymes during the program.

Other than lab test changes, symptoms of liver injury are not specific and may include loss of appetite, upset stomach, tiredness, pain in the right upper belly, vomiting, dark urine, and/or yellowing of the eyes or skin. You should tell your child's doctor if your child has any of these symptoms or anything else unusual.

In severe cases, significant liver injury can potentially become permanent and even be life-threatening. In patients with advanced liver disease (for example, cirrhosis and/or portal

hypertension), there is a greater risk for worsening of liver function. The worsening of liver function can lead to a need for liver transplant.

In some children or adolescents treated with IVA-containing regimens, abnormality of the eye lens (cataract) has been noted. A link between these medicines and cataracts is uncertain but cannot be excluded. Your child's doctor may perform eye examinations prior to and during treatment with ELX/TEZ/IVA.

In some study participants treated with ELX/TEZ/IVA Triple combination therapy, increases in blood pressure have been observed. Your child's blood pressure will be monitored during the program.

In some study participants treated with ELX/TEZ/IVA Triple combination therapy, rash has been observed. In study participants treated with ELX/TEZ/IVA, rash was more commonly seen in women, especially those taking hormones to prevent pregnancy. In some cases, the rashes were severe, required treatment, or led to stopping of ELX/TEZ/IVA. The rashes got better after ELX/TEZ/IVA was stopped.

ELX/TEZ/IVA may contain a very small amount of lactose, a sugar found in dairy products. The amount of lactose in a single pill is roughly the same as the amount in one teaspoon of milk. This amount of lactose is unlikely to cause symptoms in people who have lactose intolerance.

Reproductive Risks:

Your child's treating physician will check whether your child is of reproductive potential and if your child is sexually active. Your child treating physician will perform a serum or urine pregnancy test if your female child is of childbearing potential. Your child should not become pregnant or father a baby while in this program because ELX/TEZ/IVA might affect an unborn baby. Your female child should not breastfeed a baby while in this program. If sexually active and of reproductive potential, your child must agree to use a suitable method of birth control, determined by you and your treating physician (unless your child is infertile meaning not able to get pregnant or make a female pregnant) from the time of signing consent until 90 days after the last dose of ELX/TEZ/IVA in this program. Check with your child's program doctor what kind of birth control methods to use and how long to use them. If your child practices abstinence from sexual relationships as part of his/her preferred and usual lifestyle then he/she does not need to use contraception while participating in the program.

If your child is a female participant and she becomes pregnant during the program, or if your child is a male participant and his female partner becomes pregnant during the program, you should notify the program doctor right away. If your child is a female participant and she becomes pregnant, she will need to stop ELX/TEZ/IVA immediately. If your child is a male participant, and his female partner becomes pregnant, he will need to use a male condom to avoid exposing the fetus to ELX/TEZ/IVA.

If your child or child's partner becomes pregnant, the program doctor will ask permission to follow the pregnancy to its outcome and until the infant is one year of age.

251837_VX20-445-906_Belgium Main ICF Version 3.0_07Jul2022 based on Master ICF Version 2.0, 6 Jul 2021 and ELX/TEZ/IVA Triple Combination MAP ICF Risk Language Template based on ELX/TEZ/IVA IB v3.0, dated 07Jun2022

Program Procedure Risks:

- Spirometry: When your child's lungs are tested, your child may feel the need to cough, your child may feel short of breath or dizzy during or after the test. Your child can stop if he/she feels any of these.
- Blood sample collection: When your child has his/her blood taken with a needle, it may feel like a pinch. It will hurt for a short time, and sometimes the place where the needle was put might feel sore or look bruised. Some children may experience dizziness, upset stomach, or fainting when their blood is drawn. There is a small risk of infection. If the pain or redness continues or gets worse call your child's program doctor.

Drug Interaction Risks (medicines working with or against each other):

Almost all medicines can cause side effects. Many are mild, but some can become life threatening if they are not treated. The combination of ELX/TEZ/IVA and any other medications, dietary supplements, natural remedies, and vitamins could be harmful to your child. It is very important that you tell your child's program doctor about every medicine, dietary supplement, natural remedy, and vitamin your child is taking, or changes to what your child is taking, while your child is in the program. There are certain herbal medications such as St. John's Wort, and certain fruits and fruit juices (such as grapefruit, or products made from them) that your child must not take during the program. Your child's program doctor will review these with you and your child.

Unknown Risks:

There may be side effects that are not yet known. You should call your child's program doctor if you think your child is having any problem, even if not described above.

Confidentiality:

There is a small possibility that your child's name or other personal information could be seen by an unauthorized person.

5. Possible Benefits

There may or may not be a direct medical benefit to your child as a result of taking part in this program.

6. Alternatives to Participation

Your child does not have to take part in this program. If you or your child does not want to participate in this program, other treatments include: Inhaled antibiotics, like tobramycin and aztreonam; anti-inflammatory drugs, like prednisone and ibuprofen; physical therapies, like a percussion vest or flutter valve; medications to help with digestion, like pancreatic enzymes; hypertonic saline. Please discuss other treatment options with your program doctor to see what is

right for your child.

7. Voluntary Participation

Your child will only take part in this program if you, your child and your doctor voluntarily decide your child should participate. You or your child can decide not to take part. If you and your child agree to take part, you and your child can change your minds at any time without losing any benefits which your child would have received if he/she were not in the program. Your or your child's decision not to be in the program will not affect the care that your child would normally get from your child's health care provider. You and your child can ask any questions about the program at any time.

8. Participant and Parent/Guardian Responsibilities

First, you will be asked to sign this consent form if you agree to your child be included in this program. If your child takes part in this program, you should follow the program procedures and your child should attend all the program visits. It is also important that your child takes the program medication as directed. You should report any side effects to your child's doctor.

Please inform your child's doctor if your child becomes pregnant during treatment, or within 90 days after the last treatment.

It is important that you tell the medical staff about any other medication your child is taking before and during the program including any over-the-counter medication, herbal/natural products or other folk remedies. There are also other medications that your child should not take while taking the program medication (your child's doctor will tell you about these medications).

9. Costs of Participating in This Program

You and your child will not be charged for the ELX/TEZ/IVA he/she receives during participation in the program. Vertex will provide ELX/TEZ/IVA to your child at no charge, but will not pay for the program doctor's services or for the tests and medicine that your child would normally receive as part of the regular treatment of their CF.

10. Compensation for Participation

You and your child will not be compensated for his/her participation. Vertex will not offer any payment to you or your child as a result of the development or commercial sale of any final product created as a result of the program or any research studies involving ELX/TEZ/IVA, whether in combination or individually.

11. Treatment Related Injury

Neither Vertex nor your child's doctor has made any provisions to reimburse your child should he/she become physically sick or injured as a direct result of taking ELX/TEZ/IVA. However, you do not give up any of your or your child's legal rights by signing this form.

If your child experiences an injury or side effects, you should contact your program doctor at the number provided on the first page of this document.

12. Reasons Your Child May Be Discontinued

Your child's participation in the program can be ended at any time for any reason without your permission. Your child's participation in the program can be stopped for medical reasons, if

he/she does not follow his/her doctor's instructions, or for any other reason as determined by your child's doctor or Vertex. Vertex also has the right to terminate the participation of your child's doctor in the program or the entire program at any time. The FAMHP or the Ethics committee also has the right to terminate the program at this site at any time.

Normally, and unless terminated earlier, this program should continue until ELX/TEZ/IVA is assessed by the European Medicines Agency and, in case of positive opinion and marketing authorization granted by the European Commission, is available in Belgium.

In the event the program terminates for any reason or your child's participation in the program is ended, you should consult with your child's treating physician about what treatment options would be best for your child.

If your child is taken out of the program or the program has ended, Vertex does not have any obligation to and will not continue providing your child with ELX/TEZ/IVA. If you or your child decide to stop the program, please inform your child's doctor right away. Your child will be asked to return for a follow-up visit at your child's doctor's clinic to evaluate your child's health and return all of the empty, partly empty and full drug packaging.

13. How Your Child's Information Will Be Used

In the event of an adverse event (AE), your child's program doctor will prepare a report and submit it to Vertex. This report will include relatedness of the AE to ELX/TEZ/IVA, and whether or not the drug dosing was interrupted or stopped because of the AE. Your program doctor will also prepare follow-up reports regarding the progress and final outcome of the AE.

Your child's data will be processed in accordance with the European General Data Protection Regulation (GDPR) and with the Belgian legislation on the protection of natural persons with regard to the processing of personal data. Vertex Pharmaceuticals Incorporated shall act as data controller for your child's data. You and your child are entitled to ask the program doctor what data are being collected about your child and what is their use in connection with the program. This data concerns your child's current clinical situation but also some of your child's background, the results of examinations carried out within the context of care of your child's health in accordance with the current standards and obviously the results of examinations required by the program. You have the right to inspect these data and correct them if they are incorrect¹.

The program doctor has a duty of confidentiality vis-à-vis the data collected.

This means that he/she undertakes not only never to reveal your child's name in the context of a publication or conference but also that he/she will encode (your child's identity will be replaced by an ID code in the program) your child's data before sending them to the manager of the database of the collected data, Parexel under the control of the Data Controller (Global Information Services; Sponsor: Vertex International Incorporated; Location: Vertex Data Centre,

¹ These rights are guaranteed by the European Data Protection Regulation (GDPR), by the Belgian Law of 30 July 2018 on the protection of natural persons with regard to the processing of personal data and by the Law of 22 August 2002 on patient rights.

1 Summer Street, Markley Building, Boston, Massachusetts, 02110, USA email : privacy@vrtx.com).

The program doctor and his/her team will therefore be the only ones to be able to establish a link between the data transmitted throughout the program and your child's medical records².

The personal data transmitted will not contain any combination of elements that might allow your child to be identified³.

For the program data manager designated by the sponsor, the data transmitted will not allow your child to be identified. The latter is responsible for collecting the data gathered by all program doctors taking part in the program, processing them and protecting them in accordance with the requirements of the Belgian law on the protection of privacy.

To verify the quality of the program, it is possible that your child's medical records will be examined by persons subject to professional secrecy and designated by the ethics committee, the sponsor of the program or an independent audit body. In any event, this examination of your child's medical records may only take place under the responsibility of the program doctor and under the supervision of one of the collaborators designated by him/her.

The (encoded) program data will be able to be sent to Belgian or other regulatory authorities, to the relevant ethics committees, to other doctors and/or to organizations working in collaboration with the sponsor.

They will also be able to be sent to other sites of the sponsor in Belgium and in other countries where the standards in terms of the protection of personal data may be different or less stringent. As explained above, the transmitted data are encoded⁴.

Your and your child's consent to take part in this program therefore also implies you/your child consent to the use of your child's encoded medical data for the purposes described in this information form and to their transmission to the aforementioned people and authorities.

The sponsor will use the data collected within the context of the program in which your child is taking part.

If you/your child withdraw consent to take part in the program, to guarantee the validity of the program, the data encoded up to the point at which your child withdraws will be retained. No new data may be sent to the sponsor.

If you/your child have any questions relating to how your child's data are being processed, you/your child may contact Vertex Pharmaceuticals Incorporated's Data Protection Officer that can be reached at privacy@vrtx.com or the program doctor. The data protection officer in your child's hospital can be contacted as well:

DPO contact details in your child's hospital:

Location: _____

² The law requires this link with your records to be retained for 20 years.

³ The database containing the results of the program will therefore not contain any combination of elements such as your initials, your gender and your full date of birth (dd/mm/yyyy).

⁴ The sponsor then undertakes to respect the constraints of the European General Data Protection Regulation (GDPR) and the Belgian legislation on the protection of privacy.

Patient Number: _____ Annex I_ICF_EN_NL_FR

Telephone/Email: _____

Finally, if you or your child have a complaint concerning the processing of your child's data, you/your child can contact the Belgian supervisory authority who ensures that privacy is respected when personal data are processed.

The Belgian supervisory authority is called:
Data Protection Authority (DPA)
Drukpersstraat 35,
1000 Brussels
Tel. +32 2 274 48 00
e-mail: contact@apd-gba.be
Website: <https://www.dataprotectionauthority.be>

14. Your and Your Child's Rights/Whom to Contact

During this program if you have questions, concerns or complaints about this program, or your child's rights as a participant, you may contact the program doctor or his/her staff at the telephone number on the first page of this document.

In all cases, you should indicate that your child is taking part in a program. Your child's records will contain information of use to the on-call doctor in relation to this program.

If you have any questions relating to your child's rights as a participant in a program, you can contact the patient rights ombudsman of your child's institution. If necessary, he/she can put you in contact with the ethics committee of your child's institution.

15. Consent to Participate in the Program

By signing below, you are documenting that you have read the information provided in this document, and what will be required of you and your child, and that you voluntarily agree with your doctor that you would like your child to be in the program.

You are documenting that you have been given enough time to ask all the questions that you need to about the program and that the questions have been answered to your satisfaction.

You are documenting that you understand that your child is free to leave the program at any time without giving the reason for doing so and without it affecting your child's medical care now or in the future. You agree that your child's doctor may ask about your child's medical history/data. By signing this document, you are giving permission to review, disclose, and use your child's confidential information as described above.

By signing this Consent Form, you are not giving up any of your or your child's legal rights.

Informed Consent Form

Title of Program:	ELX/TEZ/IVA Managed Access Program for Patients 6 Through 11 Years of Age With Cystic Fibrosis Who are Homozygous for F508del or Heterozygous for F508del and a Minimal Function Mutation
Program Number:	VX20 445 906

Patient's name (print)

Parent's/Guardian's name (print)

Parent/Guardian relationship

Parent's/Guardian's Signature

Date

Time

Witness's signature (if applicable)

Date

Time

2. Parent's/Guardian's name (print)

Parent/Guardian relationship

Parent's/Guardian's Signature

Date

Time

Witness's signature (if applicable)

Date

Time

Patient Number: _____ Annex I_ICF_EN_NL_FR

Person Obtaining Consent

Consenter's name (print)

Consenter's Role or Title

Consenter's signature

Date

Time

Formulier voor geïnformeerde toestemming

Titel van het programma:	ELX/TEZ/IVA-programma voor beheerde toegang voor patiënten 6 t/m 11 jaar oud met cystische fibrose die homozygoot zijn voor F508del of heterozygoot voor F508del en een minimale functiemutatie
Opdrachtgever van het programma:	Vertex Pharmaceuticals Incorporated 50 Northern Avenue – Boston MA 02210-1862 – VS
Programmanummer:	VX20 445 906
Naam van het geneesmiddel:	Elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (ELX/TEZ/IVA). Het doseringsschema voor ELX/TEZ/IVA is twee tabletten ELX/TEZ/IVA in een vast gedoseerde combinatie 's ochtends en een monotablet IVA 's avonds
Onderzoeksorganisatie:	PAREXEL Belgium SPRL Avenue Pasteur 2 - 1300 Wavre - België
Centrale Commissie voor Medische Ethiek:	_____
Naam van de programma-arts:	_____
Naam en adres van het centrum:	_____ _____ _____
Telefoonnr. overdag:	_____
Telefoonnr. in noodgevallen:	_____
Telefoonnr. buiten de spreekuren:	_____

1. Algemene informatie en doel

Dit formulier voor geïnformeerde toestemming geldt voor ouders en/of voogden van minderjarige deelnemers (6-11 jaar oud). Een apart instemmingsformulier voor kinderen zal verstrekt worden voor de deelnemer aan het kinderprogramma.

Vertex Pharmaceuticals Incorporated (“Vertex”) heeft een programma voor beheerde toegang (“MAP”, of het “programma”) om te reageren op spontane verzoeken van artsen om elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (“ELX/TEZ/IVA”) beschikbaar te stellen voor gebruik door bepaalde patiënten (aangeduid als “in aanmerking komende patiënten”) gediagnosticeerd met cystische fibrose (“CF”) onder toezicht van de behandelend arts (“de arts van uw kind”) die een

dringende medische behoefte hebben en die baat kunnen hebben bij behandeling met ELX/TEZ/IVA, maar die geen toegang hebben tot ELX/TEZ/IVA of andere bevredigende alternatieve behandelingen en niet aan een klinisch onderzoek kunnen meedoen. Vertex zal ELX/TEZ/IVA kosteloos verstrekken tijdens de deelname van uw kind aan het programma.

Gelieve dit formulier voor geïnformeerde toestemming (“toestemmingsformulier”) aandachtig te lezen. Hierin wordt uitgelegd wat men van uw kind zal vragen vóór, tijdens en na het programma. Als u en uw kind beslissen dat uw kind aan het programma wenst deel te nemen, vragen wij u om het toestemmingsformulier te ondertekenen. U ontvangt een ondertekend en gedateerd exemplaar van dit toestemmingsformulier.

2. Opzet van het programma

Voordat uw kind in het programma wordt opgenomen, beoordeelt de arts van uw kind de geschiktheid van uw kind voor het programma, waaronder beoordeling van leverfunctietesten (LFT's) van uw kind. Tijdens de behandelingsperiode van het programma, zal ELX/TEZ/IVA worden verstrekt aan uw kind en de arts van uw kind zal uw kind volgen voor de veiligheid en hoe hij/zij ELX/TEZ/IVA verdraagt.

Als uw kind < 30 kg weegt, krijgt hij/zij 2 tabletten ELX 50 mg/TEZ 25 mg/IVA 37,5 mg om 's ochtends in te nemen en 1 tablet IVA 75 mg om 's avonds in te nemen.

Als uw kind \geq 30 kg weegt, krijgt hij/zij 2 tabletten ELX 100 mg/TEZ 50 mg/IVA 75 mg om 's ochtends in te nemen en 1 tablet IVA 150 mg om 's avonds in te nemen.

Het ELX/TEZ/IVA-doseringsschema moet worden toegediend met voedsel dat vet bevat, zoals een standaard CF vetrijke, calorierijke maaltijd of snack.

Aan het einde van de deelname van uw kind aan het programma zullen u en uw programma-arts bepalen of uw kind doorgaat met de behandeling met het commercieel product. Als uw kind vroegtijdig stopt met ELX/TEZ/IVA zal de arts van uw kind u en uw kind opvolgen.

Als de arts van uw kind verwijst naar ELX/TEZ/IVA als het “**geneesmiddel**”, betekent dit de combinatie van elexacaftor, tezacaftor en ivacaftor.

Het is onbekend hoeveel kinderen in alle centra zullen deelnemen aan dit programma.

3. Testen en controles bij programmabezoeken

De arts van uw kind denkt dat uw kind aan de vereisten voor een geschikte patiënt voldoet en aan dit programma kan deelnemen. Voordat uw kind in het programma wordt opgenomen, controleert de arts van uw kind de medische voorgeschiedenis van uw kind en vraagt u naar geneesmiddelen die uw kind gebruikt heeft of momenteel gebruikt. Er kan een spirometrietest gedaan worden en een bloedstaal genomen worden om de leverfunctie van uw kind te controleren. Als uw kind een meisje is in de vruchtbare leeftijd, wordt er mogelijk een zwangerschapstest op bloed of urine uitgevoerd, zoals beoordeeld door de behandelend arts. Uw kind ondergaat een oogonderzoek door een oogarts of oogspecialist aan het begin van het programma.

Tijdens de behandelingsperiode zal uw kind op dag 1, maand 1, maand 3 en daarna om de 3 maanden naar het ziekenhuis komen. In maand 3, 6, 9, 12 en daarna jaarlijks wordt er een

bloedstaal afgenomen om de leverfunctie van uw kind te controleren. Uw kind zal nog een oogonderzoek krijgen na 1 jaar gebruik van ELX/TEZ/IVA. We vragen uw kind bij elk bezoek aan het ziekenhuis hoe hij/zij zich voelt en welke geneesmiddelen hij/zij neemt. Het gewicht van uw kind zal worden beoordeeld om ervoor te zorgen dat de juiste dosis wordt toegediend.

4. Welke zijn de mogelijke risico's en ongemakken?

Uw kind wordt tijdens het programma gevolgd op mogelijke bijwerkingen. U dient de programma-arts van uw kind of zorgverlener van uw kind zo snel mogelijk te contacteren als u denkt dat uw kind een medisch probleem, een bijwerking of een verandering in zijn/haar medische toestand of gezondheid ervaart. U moet onmiddellijk medische behandeling voor uw kind inroepen als u niet in staat bent om de arts van uw kind of de primaire zorgverlener van uw kind te contacteren en u denkt dat het een noodgeval is. Mogelijke risico's en ongemakken volgen hieronder, maar er kunnen ook andere, nog ongekende risico's en bijwerkingen zijn.

Risico's in verband met de drievoudige combinatietherapie elexacaftor (ELX)/tezacaftor (TEZ)/ivacaftor (IVA) (aangeduid als ELX/TEZ/IVA):

Tot op heden is ELX/TEZ/IVA toegediend aan meer dan 700 deelnemers aan klinische onderzoeken van 2 jaar en ouder met cystische fibrose. Daarnaast is ELX toegediend alleen of in combinatie met TEZ/IVA aan ongeveer 200 gezonde vrijwilligers.

De bijwerkingen van ELX/TEZ/IVA worden vermeld of beschreven in de onderstaande tekst. Voor de vermelde bijwerkingen worden de percentages mensen met cystische fibrose in een grootschalig onderzoek weergegeven die deze bijwerkingen kregen.

- Hoofdpijn (17%)
- Diarree (13%)
- Infectie van de bovenste luchtwegen (verkoudheid) (12%)
- Verhoging van leverenzymen in het bloed (kan een teken zijn van een leverprobleem) (11%)
- Huiduitslag (11%)
- Maagpijn (10%)
- Neusverstopping (9%)
- Verhoging van een bloedenzym met de naam creatinefosfokinase (kan een teken zijn van een spierprobleem) (9%)
- Loopneus (8%)

Controle van de veiligheid in dit programma:

Bij sommige onderzoeksdeelnemers die zijn behandeld met de drievoudige combinatietherapie ELX/TEZ/IVA, werden hoge leverenzymen in het bloed waargenomen. Verhoogde leverenzymen kunnen een teken zijn van leverschade. Deze afwijkende leverenzymen kunnen beter worden nadat ELX/TEZ/IVA wordt gestopt. Er zal bloed worden afgenomen bij uw kind om zijn/haar leverenzymen tijdens het programma te controleren.

Afgezien van wijzigingen in labo-onderzoeken zijn symptomen van leverschade niet specifiek en ze kunnen bestaan uit verlies van eetlust, maagklachten, vermoeidheid, pijn in de rechterbovenbuik, braken, donkere urine, en/of geelverkleuring van ogen of huid. U moet het de arts van uw kind vertellen als uw kind een van deze symptomen krijgt of andere ongebruikelijke ervaringen heeft.

In ernstige gevallen kan aanzienlijke leverbeschadiging mogelijk blijvend worden en zelfs levensbedreigend zijn. Bij patiënten met een vergevorderde leverziekte (bijvoorbeeld cirrose en/of portale hypertensie) is er een groter risico op verslechtering van de leverfunctie. De verslechtering van de leverfunctie kan leiden tot de noodzaak voor een levertransplantatie.

Bij sommige kinderen en adolescenten die zijn behandeld met IVA-bevattende doseringsschema's werd afwijking van de ooglenzen (cataract) vastgesteld. Een link tussen deze geneesmiddelen en cataract is niet bevestigd, maar kan niet worden uitgesloten. De arts van uw kind kan oogonderzoeken uitvoeren vóór en tijdens de behandeling met ELX/TEZ/IVA.

Bij sommige onderzoeksdeelnemers die behandeld zijn met de drievoudige combinatietherapie ELX/TEZ/IVA, werden verhogingen van de bloeddruk waargenomen. De bloeddruk van uw kind wordt gecontroleerd tijdens het programma.

Bij sommige onderzoeksdeelnemers die behandeld zijn met de drievoudige combinatietherapie ELX/TEZ/IVA, werd huiduitslag waargenomen. In de onderzoeksdeelnemers die behandeld zijn met ELX/TEZ/IVA, kwam huiduitslag vaker voor bij vrouwen, vooral bij vrouwen die hormonen namen om zwangerschap te voorkomen. In sommige gevallen was de uitslag ernstig, was er behandeling nodig of leidde het tot stopzetting van ELX/TEZ/IVA. De uitslag werd beter nadat ELX/TEZ/IVA werd gestopt.

ELX/TEZ/IVA kan een zeer kleine hoeveelheid lactose bevatten, een suiker die in zuivelproducten voorkomt. De hoeveelheid lactose in een enkele pil is ongeveer dezelfde als de hoeveelheid in één theelepel melk. Deze hoeveelheid lactose geeft waarschijnlijk geen symptomen bij mensen die lactose-intolerantie hebben.

Voortplantingsrisico's:

De behandelend arts van uw kind zal controleren of uw kind kinderen kan krijgen en of uw kind seksueel actief is. De behandelend arts van uw kind voert een zwangerschapstest op serum of urine uit als uw dochter in de vruchtbare leeftijd is. Uw kind mag niet zwanger worden of een kind verwekken terwijl hij/zij aan dit programma meedoet omdat ELX/TEZ/IVA invloed kan hebben op een ongeboren baby. Uw dochter mag geen borstvoeding geven terwijl ze aan dit programma meedoet. Als uw kind seksueel actief is en kinderen kan krijgen, moet uw kind ermee akkoord gaan om een geschikte anticonceptiemethode te gebruiken zoals bepaald door u en uw behandelend arts (tenzij uw kind onvruchtbaar is, wat betekent dat hij/zij niet zwanger kan worden of een vrouw zwanger kan maken) vanaf het moment van ondertekening van het toestemmingsformulier tot 90 dagen na de laatste dosis ELX/TEZ/IVA in dit programma. Raadpleeg de programma-arts van uw kind over de anticonceptiemethoden die uw kind moet gebruiken en hoe lang hij/zij deze moet gebruiken. Als uw kind aan onthouding van seksuele relaties doet als onderdeel van zijn/haar gewenste en

251837_VX20-445-906_Belgium Main ICF_
Version 3.0_07Jul2022 based on Master ICF Version 2.0, 06JUL2021 and ELX/TEZ/IVA Triple Combination
MAP ICF Risk Language Template based on ELX/TEZ/IVA IB v3.0, dated 07Jun2022

gebruikelijke manier van leven dan hoeft hij/zij geen anticonceptie te gebruiken tijdens zijn/haar deelname aan het programma.

Als uw kind een vrouwelijke deelnemer is en zwanger wordt tijdens het programma, of als uw kind een mannelijke deelnemer is en zijn vrouwelijke partner zwanger wordt tijdens het programma, moet u dit onmiddellijk melden aan de programma-arts. Als uw kind een vrouwelijke deelnemer is en zwanger wordt, zal ze onmiddellijk moeten stoppen met ELX/TEZ/IVA. Als uw kind een mannelijke deelnemer is, en zijn vrouwelijke partner zwanger wordt, zal hij een mannelijk condoom moeten gebruiken om te voorkomen dat de foetus wordt blootgesteld aan ELX/TEZ/IVA.

Als uw kind of de partner van uw kind zwanger wordt, zal de programma-arts toestemming vragen om de zwangerschap te volgen tot de afloop ervan en totdat het kind één jaar oud is.

Risico's van programmaprocedures:

- Spirometrie: Wanneer de longen van uw kind worden getest, kan uw kind het gevoel hebben te moeten hoesten en zich kortademig of duizelig voelen tijdens of na de test. Uw kind kan stoppen als hij/zij een van deze ervaart.
- Afname van bloedstalen: Als er met een naald bloed wordt afgenomen bij uw kind, kan dat aanvoelen alsof iemand hem/haar knijpt. Het zal voor korte tijd pijn doen, en soms kan de plek waar de naald is ingebracht pijnlijk aanvoelen of blauwe plekken vertonen. Sommige kinderen kunnen duizelig worden, last krijgen van hun maag of flauwvallen wanneer er bloed bij hen wordt afgenomen. Er bestaat een klein risico op infectie. Als de pijn of roodheid aanhoudt of erger wordt, bel dan de programma-arts van uw kind.

Risico's van wisselwerking tussen geneesmiddelen (geneesmiddelen die met elkaar werken of elkaar tegenwerken):

Bijna alle geneesmiddelen kunnen bijwerkingen veroorzaken. Veel bijwerkingen zijn mild van aard, maar sommige kunnen levensbedreigend worden als ze niet worden behandeld. De combinatie van ELX/TEZ/IVA en andere geneesmiddelen, voedingssupplementen, natuurlijke middelen en vitamines kan schadelijk zijn voor uw kind. Het is heel belangrijk dat u de programma-arts van uw kind informeert over elk geneesmiddel, voedingssupplement, natuurlijke remedie en vitamine die uw kind neemt, of wijzigingen in wat uw kind neemt, zolang uw kind deelneemt aan het programma. Er zijn bepaalde kruidengeneesmiddelen, zoals sint-janskruid, en bepaalde vruchten en vruchtensappen (zoals pompelmoes, of producten gemaakt van pompelmoes) die uw kind niet mag gebruiken tijdens het programma. De programma-arts van uw kind zal deze met u en uw kind overlopen.

Ongekende risico's:

Er kunnen nog ongekende bijwerkingen zijn. U moet contact opnemen met de programma-arts van uw kind als u denkt dat uw kind een probleem heeft, zelfs als het hierboven niet wordt vermeld.

Vertrouwelijkheid:

Er bestaat een kleine kans dat de naam van uw kind of andere persoonlijke informatie kan worden gezien door onbevoegden.

5. Mogelijke voordelen

Uw kind kan al dan niet rechtstreeks medisch voordeel hebben van deelname aan dit programma.

6. Alternatieven voor deelname

Uw kind hoeft niet aan dit programma deel te nemen. Als u of uw kind niet wil deelnemen aan dit programma, zijn er andere mogelijke behandelingen: geïnhaleerde antibiotica, zoals tobramycine en aztreonam; ontstekingsremmende geneesmiddelen, zoals prednison en ibuprofen; fysiotherapie, zoals een percussie-vest of Heimlich-ventiel; geneesmiddelen die helpen met de spijsvertering, zoals pancreasenzymen; hypertone zoutoplossing. Bespreek andere behandelingsmogelijkheden met uw programma-arts om te zien wat geschikt is voor uw kind.

7. Vrijwillige deelname

Uw kind neemt alleen aan dit programma deel als u, uw kind en uw arts vrijwillig beslissen dat uw kind zou moeten deelnemen. U of uw kind kan beslissen om niet deel te nemen. Als u en uw kind akkoord gaan met deelname, kunnen u en uw kind op elk moment van gedachten veranderen, zonder verlies van de voordelen die uw kind zou hebben gehad als hij/zij niet aan het programma zou hebben deelgenomen. De beslissing van u of uw kind om niet aan het programma deel te nemen, heeft geen invloed op de zorg die uw kind normaal gezien van de gezondheidszorgverlener van uw kind ontvangt. U en uw kind kunnen op elk moment vragen stellen over het programma.

8. Verantwoordelijkheden van de deelnemer en ouder/voogd

Wij vragen u eerst om dit toestemmingsformulier te ondertekenen als u ermee instemt dat uw kind in dit programma wordt opgenomen. Als uw kind aan dit programma deelneemt, dient u zich aan de procedures te houden en dient uw kind alle bezoeken in het kader van het programma af te leggen. Het is ook belangrijk dat uw kind de programmamedicatie volgens de aanwijzingen inneemt. U dient alle bijwerkingen te melden aan de arts van uw kind.

Verwittig de arts van uw kind als uw kind tijdens de behandeling of binnen 90 dagen na de laatste behandeling zwanger wordt.

Het is belangrijk dat u het medisch personeel informeert over andere medicatie die uw kind vóór en tijdens het programma gebruikt, inclusief alle zelfzorggeneesmiddelen, kruiden/natuurproducten of andere volksmiddeltjes. Er zijn ook geneesmiddelen die uw kind niet mag gebruiken zolang hij/zij met de programmamedicatie wordt behandeld (de arts van uw kind zal zeggen om welke geneesmiddelen het gaat).

9. Kosten van deelname aan dit programma

U en uw kind hoeven niet te betalen voor de ELX/TEZ/IVA die hij/zij tijdens deelname aan het programma krijgt. Vertex zal ELX/TEZ/IVA kosteloos verstrekken, maar niet betalen voor de diensten van de programma-arts of voor de testen en medicatie die uw kind normaal gezien zou krijgen in het kader van de gewone behandeling van zijn/haar CF.

10. Vergoeding voor deelname

U en uw kind worden niet vergoed voor zijn/haar deelname aan dit programma. Vertex keert geen betaling uit aan u of uw kind als resultaat van de ontwikkeling of commerciële verkoop van een eindproduct dat uit het programma gecreëerd is of uit wetenschappelijke onderzoeken met ELX/TEZ/IVA, in combinatie dan wel individueel.

11. Schade in verband met de behandeling

Vertex noch de arts van uw kind heeft een regeling getroffen om uw kind te vergoeden mocht hij/zij lichamelijk ziek worden of schade oplopen als rechtstreeks gevolg van het gebruik van ELX/TEZ/IVA. Maar met de ondertekening van dit formulier doet u of uw kind geen afstand van de wettelijke rechten van u en uw kind.

Als uw kind schade of bijwerkingen ondervindt, moet u uw programma-arts contacteren op het nummer dat op de eerste pagina van dit document staat.

12. Redenen dat de deelname van uw kind kan worden stopgezet

De deelname van uw kind aan het programma kan op elk moment en om elke reden zonder uw toestemming beëindigd worden. De deelname van uw kind aan het programma kan om medische redenen worden beëindigd, als hij/zij de instructies van zijn/haar arts niet opvolgt, of om elke andere reden naar het oordeel van de arts van uw kind of Vertex. Ook heeft Vertex het recht om op elk moment de deelname van de arts van uw kind aan het programma, of het hele programma te beëindigen. De FAMHP of de ethische commissie heeft ook het recht om het programma in dit centrum op elk moment te beëindigen.

Normaal gesproken, en tenzij eerder beëindigd, moet dit programma worden voortgezet tot ELX/TEZ/IVA is beoordeeld door het Europees Geneesmiddelenbureau en, in geval er een positief advies wordt uitgebracht en een handelsvergunning wordt verleend door de Europese Commissie, beschikbaar is in België.

In geval dat het programma om een bepaalde reden stopt of de deelname van uw kind aan het programma beëindigd wordt, moet uw kind de behandelend arts raadplegen over welke behandelingsopties voor uw kind het beste zijn.

Als uw kind uit het programma gehaald wordt of het programma wordt beëindigd, is Vertex niet verplicht om uw kind ELX/TEZ/IVA te blijven verstrekken. Als u of uw kind beslist om met het programma te stoppen, moet u de arts van uw kind onmiddellijk verwittigen. We zullen uw kind dan vragen terug te komen naar het ziekenhuis van de arts van uw kind voor een follow-upbezoek om de gezondheid van uw kind te evalueren, en verzoeken om alle lege, gedeeltelijk lege en volle geneesmiddelverpakkingen terug te brengen.

13. Hoe de informatie van uw kind wordt gebruikt

In geval van een bijwerking zal de programma-arts van uw kind een rapport opstellen en het indienen bij Vertex. In dit rapport staat het verband tussen de bijwerking en ELX/TEZ/IVA, en of de dosering van het geneesmiddel al dan niet onderbroken of stopgezet is omwille van de bijwerking. Uw programma-arts zal ook follow-uprapporten opstellen over het verloop en de uiteindelijke afloop van de bijwerking.

De gegevens van uw kind worden verwerkt in overeenstemming met de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG) en met de Belgische wetgeving inzake de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens. Vertex Pharmaceuticals Incorporated zal optreden als verwerkingsverantwoordelijke voor de gegevens van uw kind. U en uw kind hebben het recht om de programma-arts te vragen welke gegevens men over uw kind verzamelt en waarvoor men deze gebruikt in verband met het programma. Deze gegevens betreffen de huidige klinische situatie van uw kind, maar ook een deel van de achtergrond van uw kind, de resultaten van onderzoeken die werden uitgevoerd in het kader van de gezondheidszorg van uw kind volgens de huidige normen, en natuurlijk ook de resultaten van onderzoeken die verplicht zijn volgens het programma. U hebt het recht om deze gegevens in te kijken en deze te corrigeren als ze onjuist zijn¹.

De programma-arts is gebonden aan een vertrouwelijkheidsplicht ten opzichte van de verzamelde gegevens.

Dit betekent dat hij/zij zich ertoe verplicht om niet alleen nooit de naam van uw kind bekend te maken in het kader van een publicatie of conferentie, maar ook dat hij/zij de gegevens van uw kind zal coderen (de identiteit van uw kind wordt in het programma vervangen door een ID-code) alvorens deze te versturen naar de beheerder van de database met verzamelde gegevens, Parexel onder het toezicht van de verwerkingsverantwoordelijke (Global Information Services; opdrachtgever: Vertex International Incorporated; locatie: Vertex Data Centre, 1 Summer Street, Markley Building, Boston, Massachusetts, 02110, VS; e-mail: privacy@vrtx.com).

De programma-arts en zijn/haar team zullen tijdens het volledige programma dus de enigen zijn die een verband kunnen leggen tussen de gegevens overgedragen tijdens het programma en het medisch dossier van uw kind².

De verstuurde persoonsgegevens zullen geen combinatie van elementen bevatten waarmee uw kind geïdentificeerd kan worden³.

De gegevensbeheerder van het programma die door de opdrachtgever is aangesteld, zal uw kind niet kunnen identificeren aan de hand van de verzonden gegevens. Deze beheerder is verantwoordelijk voor het verzamelen van de gegevens van alle programma-artsen die aan het

¹ Deze rechten worden gegarandeerd door de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG), door de Belgische wet van 30 juli 2018 inzake de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens en door de wet van 22 augustus 2002 inzake patiëntenrechten.

² De wet vereist dat deze link met het dossier van uw kind bewaard blijft gedurende 20 jaar.

³ Daardoor zal de database die de programmaresultaten bevat, geen combinatie bevatten van elementen zoals de initialen, het geslacht en de volledige geboortedatum (dd/mm/jjjj) van uw kind.

programma deelnemen en zal deze verwerken en beschermen in overeenstemming met de verplichtingen van de Belgische wet op de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.

Om de kwaliteit van het programma te verifiëren, is het mogelijk dat het medisch dossier van uw kind gecontroleerd wordt door personen die gebonden zijn aan het beroepsgeheim en die zijn aangewezen door de commissie voor medische ethiek, de opdrachtgever van het programma of een onafhankelijk controleorgaan. Deze controle van het medisch dossier van uw kind kan hoe dan ook alleen gebeuren onder de verantwoordelijkheid van de programma-arts en onder toezicht van een van zijn/haar medewerkers.

De (gecodeerde) programmagegevens zullen mogelijkerwijs worden verstuurd naar Belgische of andere bevoegde overheidsinstanties, naar de betrokken commissies voor medische ethiek, naar andere artsen en/of naar organisaties die met de opdrachtgever samenwerken.

Ze kunnen ook doorgestuurd worden naar andere vestigingen van de opdrachtgever in België en naar andere landen waar de normen inzake de bescherming van persoonsgegevens anders of minder strikt kunnen zijn. Zoals hierboven uitgelegd, zijn de verstuurde gegevens gecodeerd⁴.

De toestemming van u en uw kind voor deelname aan dit programma betekent daarom ook dat u en uw kind toestemming geven voor het gebruik van de gecodeerde medische gegevens van uw kind voor de doelstellingen die in dit informatieformulier worden beschreven, en voor het overdragen ervan naar de hierboven vermelde personen en overheidsinstanties.

De opdrachtgever verbindt er zich toe alleen de gegevens te gebruiken die verzameld zijn binnen de context van het programma waaraan uw kind deelneemt.

Indien u/uw kind de toestemming tot deelname aan het programma intrekt, zullen de gegevens die gecodeerd zijn tot het moment van de terugtrekking van uw kind behouden blijven, om de geldigheid van het programma te garanderen. Er mogen geen nieuwe gegevens verstuurd worden naar de opdrachtgever.

Als u/uw kind vragen heeft met betrekking tot hoe de gegevens van uw kind worden verwerkt, kunt/kan u/uw kind contact opnemen met de functionaris voor gegevensbescherming van Vertex Pharmaceuticals Incorporated die kan worden bereikt op privacy@vrtx.com of met de programma-arts. U kunt ook contact opnemen met de functionaris voor gegevensbescherming in het ziekenhuis van uw kind:

Contactgegevens functionaris voor gegevensbescherming in het ziekenhuis van uw kind:

Locatie: _____

Telefoon/e-mail: _____

Tot slot, indien u of uw kind een klacht heeft over de verwerking van de gegevens van uw kind, kunt/kan u/uw kind contact opnemen met de Belgische toezichthoudende instantie die toeziet op de naleving van de grondbeginselen van de bescherming van persoonsgegevens.

De Belgische toezichthoudende autoriteit is:

⁴ De opdrachtgever verbindt zich ertoe om de beperkingen te respecteren die opgelegd worden door de Algemene verordening gegevensbescherming (AVG) en de Belgische wetgeving inzake de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.

Gegevensbeschermingsautoriteit (GBA)

Drukpersstraat 35,

1000 Brussel

Tel. +32 2 274 48 00

E-mail: contact@apd-gba.be

Website: <https://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be>

14. De rechten van u en uw kind/wie gecontacteerd kan worden

Als u tijdens dit programma vragen, bezorgdheden of klachten hebt over dit programma, of de rechten van uw kind als deelnemer, kunt u de programma-arts of zijn/haar personeel contacteren op het telefoonnummer op de eerste bladzijde van dit document.

U dient in elk geval aan te geven dat uw kind deelneemt aan een programma. Het dossier van uw kind bevat belangrijke informatie over dit programma voor de arts van dienst.

Voor vragen over de rechten van uw kind als deelnemer aan een programma, kunt u ook contact opnemen met de ombudsdienst voor rechten van de patiënt van de instelling van uw kind. Zo nodig kan hij/zij u in contact brengen met de commissie voor medische ethiek van de instelling van uw kind.

15. Toestemming voor deelname aan het programma

Door hieronder te tekenen bevestigt u dat u de informatie in dit document gelezen hebt, en wat er van u en uw kind verwacht wordt, en dat u het vrijwillig eens bent met uw arts dat u wilt dat uw kind aan dit programma deelneemt.

U bevestigt ook dat u genoeg tijd hebt gekregen om zoveel vragen te stellen als u nodig vindt over het programma en dat de vragen naar uw tevredenheid zijn beantwoord.

U bevestigt dat u begrijpt dat het uw kind vrijstaat om op elk moment uit het programma te stappen, zonder opgave van redenen en zonder dat dit gevolgen heeft voor de medische zorg van uw kind nu of in de toekomst. U gaat ermee akkoord dat de arts van uw kind eventueel om de medische voorgeschiedenis/gegevens van uw kind vraagt.

Met de ondertekening van dit document geeft u toelating tot inzage, verspreiding en gebruik van de vertrouwelijke gegevens van uw kind zoals hierboven beschreven.

Door ondertekening van dit toestemmingsformulier doet u geen afstand van de wettelijke rechten van u of uw kind.

Formulier voor geïnformeerde toestemming

Titel van het programma:	ELX/TEZ/IVA-programma voor beheerde toegang voor patiënten 6 t/m 11 jaar oud met cystische fibrose die homozygoot zijn voor F508del of heterozygoot voor F508del en een minimale functiemutatie
Programmanummer:	VX20 445 906

Naam van de patiënt (in drukletters)

Naam van de ouder/voogd (in drukletters)

Relatie tot de ouder/voogd

Handtekening van de ouder/voogd

Datum

Tijd

Handtekening van de getuige
(indien van toepassing)

Datum

Tijd

2. Naam van de ouder/voogd (in drukletters)

Relatie tot de ouder/voogd

Handtekening van de ouder/voogd

Datum

Tijd

Handtekening van de getuige
(indien van toepassing)

Datum

Tijd

Persoon die de toestemming verkrijgt

Naam van de persoon die
de toestemming verkrijgt (in drukletters)

Rol of titel van de persoon die de toestemming
verkrijgt

Handtekening van de persoon die
toestemming verkrijgt

Datum

Tijd

Formulaire de consentement éclairé

Titre du programme :	Programme d'accès géré de l'ELX/TEZ/IVA pour des patients de 6 à 11 ans atteints de mucoviscidose, qui sont homozygotes pour la mutation F508del ou hétérozygotes pour la mutation F508del et une mutation de la fonction minime
Promoteur du programme :	Vertex Pharmaceuticals Incorporated 50 Northern Avenue – Boston MA 02210-1862 – États-Unis
Numéro du programme :	VX20 445 906
Nom du médicament :	Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (ELX/TEZ/IVA). Le schéma posologique ELX/TEZ/IVA est de deux comprimés de l'association à doses fixes de ELX/TEZ/IVA le matin et un monocomprimé de IVA le soir
Organisme de recherche :	PAREXEL Belgium SPRL Avenue Pasteur 2 – 1300 Wavre – Belgique
Comité d'éthique central :	_____
Nom du médecin du programme :	_____
Nom et adresse du centre :	_____ _____ _____
N° de téléphone en journée :	_____
N° de téléphone d'urgence :	_____
N° de téléphone en dehors des heures de consultation :	_____

1. Informations générales et objectif

Ce formulaire de consentement éclairé s'adresse aux parents et/ou tuteurs de l'enfant participant (6-11 ans). Un formulaire d'assentiment distinct sera fourni pour l'enfant participant au programme.

Vertex Pharmaceuticals Incorporated (« Vertex ») a ouvert un programme d'accès géré (« PAG », ou le « programme ») afin de répondre à des demandes non sollicitées de médecins pour rendre l'Elexacaftor/Tezacaftor/Ivacaftor (« ELX/TEZ/IVA ») disponible à une utilisation par certains patients (ci-après dénommés « patients admissibles ») ayant un diagnostic de mucoviscidose (« MCV ») sous la supervision du médecin traitant (« le médecin de votre

251837_VX20-445-906_Belgium Main ICF_

Version 3.0_07Jul2022 based on Master ICF Version 2.0, 06JUL2021 and ELX/TEZ/IVA Triple Combination MAP ICF Risk Language Template based on ELX/TEZ/IVA IB v3.0, dated 07Jun2022

enfant »), qui sont dans un besoin médical critique et qui pourraient bénéficier d'un traitement par ELX/TEZ/IVA, mais qui n'ont pas accès à l'ELX/TEZ/IVA ni à toute autre option de traitement satisfaisante et qui ne peuvent pas intégrer une étude clinique. Vertex vous fournira gratuitement l'ELX/TEZ/IVA durant la participation de votre enfant au programme.

Veillez lire attentivement ce formulaire de consentement éclairé (« formulaire de consentement »). Ce document décrit ce qu'il sera demandé à votre enfant de faire avant, pendant et après le programme. Si vous et votre enfant décidez que votre enfant souhaiterait participer au programme, vous serez invité(e) à signer ce formulaire de consentement. Un exemplaire du formulaire de consentement signé et daté vous sera remis pour que vous le conserviez.

2. Conception du programme

Avant l'inscription au programme, le médecin de votre enfant évaluera l'admissibilité de votre enfant au programme, notamment l'évaluation des résultats aux tests de la fonction hépatique (TFH) de votre enfant. Pendant la Période de traitement du programme, l'ELX/TEZ/IVA sera remis à votre enfant et le médecin de votre enfant surveillera votre enfant pour sa sécurité et pour observer la manière dont il/elle tolère l'ELX/TEZ/IVA.

Si votre enfant pèse < 30 kg, il/elle recevra 2 comprimés d'ELX 50 mg/TEZ 25 mg/IVA 37,5 mg à prendre le matin et 1 comprimé d'IVA 75 mg à prendre le soir.

Si votre enfant pèse \geq 30 kg, il/elle recevra 2 comprimés d'ELX 100 mg/TEZ 50 mg/IVA 75 mg à prendre le matin et 1 comprimé d'IVA 150 mg à prendre le soir.

Le schéma ELX/TEZ/IVA doit être administré avec des aliments gras, comme un repas ou une collation riche en graisses, très calorique, standard pour la MCV.

À la fin de la participation de votre enfant au programme, vous et le médecin du programme déterminerez si votre enfant doit continuer le traitement avec le produit commercial. Si votre enfant arrête de prendre l'ELX/TEZ/IVA prématurément, le médecin de votre enfant fera le suivi avec vous et votre enfant.

Lorsque le médecin de votre enfant se réfèrera à l'ELX/TEZ/IVA en tant que « **médicament** », cela désignera l'association de l'elxacaflor, du tezacaftor et de l'ivacaftor.

Nous ne savons pas combien d'enfants participeront à ce programme tous centres confondus.

3. Analyses et examens des visites du programme

Le médecin de votre enfant estime que votre enfant pourrait remplir les critères pour être un(e) patient(e) admissible pour participer à ce programme. Avant l'inscription au programme, le médecin de votre enfant examinera les antécédents médicaux de votre enfant et vous demandera quels sont les médicaments que votre enfant a pris ou ceux qu'il/elle prend actuellement. Il est possible qu'un test de spirométrie soit effectué et qu'un échantillon sanguin soit prélevé pour vérifier la fonction hépatique de votre enfant. Si votre enfant est une jeune fille ayant la capacité d'avoir des enfants, un test de grossesse sanguin ou urinaire peut être réalisé, selon l'avis du médecin traitant. Votre enfant passera un examen ophtalmologique réalisé par un(e) ophtalmologue ou spécialiste des yeux au début du programme.

Pendant la période de traitement, votre enfant viendra à la clinique le Jour 1, le Mois 1, le Mois 3 et puis tous les 3 mois. Lors des Mois 3, 6, 9, 12 puis tous les ans, un échantillon sanguin sera prélevé afin de vérifier la fonction hépatique de votre enfant. Votre enfant passera un autre examen oculaire après avoir pris l'ELX/TEZ/IVA pendant 1 an. Lors de chaque visite à la clinique, on demandera à votre enfant comment il/elle se sent et les médicaments qu'il/elle prend. Le poids de votre enfant sera relevé afin de s'assurer que la dose appropriée est administrée.

4. Quels sont les risques et les désagréments potentiels ?

Pendant le programme, votre enfant sera surveillé(e) afin de déceler d'éventuels effets secondaires. Vous devrez communiquer avec le médecin du programme qui suit votre enfant ou le prestataire de soins de santé de votre enfant dès que possible si vous pensez que votre enfant a un problème médical, un effet secondaire ou un changement dans son affection médicale ou état de santé. Vous devez consulter immédiatement un médecin pour votre enfant si vous ne parvenez pas à contacter son médecin ou son principal prestataire de soins et si vous estimez qu'il s'agit d'une urgence. Les risques et désagréments possibles sont présentés ci-dessous ; il peut toutefois exister d'autres risques et effets secondaires encore inconnus à ce jour.

Risques associés au traitement combiné triple Elexacaftor (ELX)/Tezacaftor (TEZ)/Ivacaftor (IVA) (ci-après dénommé ELX/TEZ/IVA) :

À ce jour, l'ELX/TEZ/IVA a été administré à plus de 700 participants à une étude clinique qui étaient atteints de mucoviscidose et qui étaient âgés d'au moins deux ans. En outre, l'ELX a été administré seul ou en association au TEZ/IVA à environ 200 volontaires en bonne santé.

Les effets secondaires associés à l'ELX/TEZ/IVA sont répertoriés ou décrits ci-dessous. Pour les effets secondaires énumérés, les pourcentages indiqués sont ceux de personnes atteintes de mucoviscidose ayant présenté ces effets secondaires dans une vaste étude.

- Maux de tête (17 %)
- Diarrhée (13 %)
- Infection des voies respiratoires supérieures (rhume) (12 %)
- Augmentation des enzymes hépatiques dans le sang (peut être un signe de problème au foie) (11 %)
- Éruption cutanée (11 %)

- Maux d'estomac (10 %)
- Congestion nasale (9 %)
- Augmentation d'une enzyme dans le sang, appelée créatine phosphokinase (peut être un signe d'un problème musculaire) (9 %)
- Nez qui coule (8 %)

Contrôle de sécurité dans ce programme :

Des taux élevés d'enzymes hépatiques dans le sang ont été observés chez certains participants à l'étude, traités par le traitement combiné triple ELX/TEZ/IVA. Une élévation des enzymes hépatiques pourrait être le signe d'une lésion hépatique. Ces enzymes hépatiques anormaux peuvent s'améliorer après arrêt de l'ELX/TEZ/IVA. Pendant le programme, des prélèvements de sang seront effectués sur votre enfant pour vérifier ses enzymes hépatiques.

Outre les changements des paramètres biologiques, les symptômes indiquant une lésion hépatique ne sont pas précis et peuvent comprendre une perte d'appétit, des maux d'estomac, une fatigue, une douleur dans la région supérieure droite de l'abdomen, des vomissements, des urines foncées et/ou un jaunissement des yeux ou de la peau. Avertissez son médecin si votre enfant développe l'un de ces symptômes ou autre chose d'inhabituel.

Dans les cas graves, une lésion hépatique importante peut potentiellement devenir permanente, voire menacer le pronostic vital. Chez les patients présentant une maladie hépatique avancée (par exemple, une cirrhose et/ou une hypertension portale), le risque d'aggravation de la fonction hépatique est plus élevé. L'aggravation de la fonction hépatique peut conduire à la nécessité d'une transplantation du foie.

Une anomalie du cristallin de l'œil (cataracte) a été rapportée chez certains enfants et adolescents traités par des traitements contenant de l'IVA. Le lien entre ces médicaments et la cataracte est incertain, mais ne peut pas être exclu. Le médecin de votre enfant pourrait réaliser des examens oculaires avant et pendant le traitement par l'ELX/TEZ/IVA.

Chez certains participants à l'étude traités par le traitement combiné triple ELX/TEZ/IVA, des augmentations de la tension artérielle ont été observées. La tension artérielle de votre enfant sera surveillée au cours du programme.

Chez certains participants à l'étude traités par le traitement combiné triple ELX/TEZ/IVA, des éruptions cutanées ont été observées. Chez les participants à l'étude traités par ELX/TEZ/IVA, l'éruption cutanée était plus fréquemment observée chez les femmes, particulièrement celles prenant des hormones contraceptives. Dans certains cas, les éruptions cutanées ont été sévères, ont nécessité un traitement ou ont conduit à l'arrêt de l'ELX/TEZ/IVA. Les éruptions cutanées se sont améliorées après arrêt de l'ELX/TEZ/IVA.

L'ELX/TEZ/IVA contient une très faible quantité de lactose, un sucre présent dans les produits laitiers. La quantité de lactose dans un seul comprimé est à peu près la même que celle

contenue dans une cuillère à café de lait. Il est peu probable que cette quantité de lactose provoque des symptômes chez les personnes présentant une intolérance au lactose.

Risques pour la reproduction :

Le médecin traitant de votre enfant vérifiera si votre enfant a la capacité d'avoir des enfants et si votre enfant est sexuellement actif/active. Le médecin traitant de votre enfant effectuera un test de grossesse sérique ou urinaire si votre fille a la capacité d'avoir des enfants. Votre enfant ne doit pas devenir enceinte, ou concevoir un enfant, pendant sa participation à ce programme parce que l'ELX/TEZ/IVA pourrait affecter un enfant à naître. Votre fille ne doit pas allaiter pendant sa participation à ce programme. S'il/Si elle est sexuellement actif/active et a la capacité d'avoir des enfants, votre enfant doit accepter d'utiliser une méthode contraceptive appropriée, déterminée par vous et votre médecin traitant (sauf si votre enfant est stérile, à savoir incapable de devenir enceinte ou de rendre une femme enceinte) à partir de la signature du consentement jusqu'à 90 jours après la dernière dose d'ELX/TEZ/IVA dans ce programme. Renseignez-vous auprès du médecin de programme de votre enfant sur les méthodes contraceptives à utiliser et la durée de leur utilisation. Si votre enfant pratique l'abstinence totale de relations sexuelles dans le cadre de son mode de vie préféré et habituel, il/elle n'a pas besoin d'utiliser de méthode contraceptive pendant sa participation au programme.

Si votre enfant est une jeune fille et qu'elle devient enceinte pendant le programme, ou si votre enfant est un jeune garçon et que sa partenaire devient enceinte pendant le programme, vous devez en informer immédiatement le médecin du programme. Si votre enfant est une jeune fille et qu'elle devient enceinte, elle devra arrêter immédiatement l'ELX/TEZ/IVA. Si votre enfant est un jeune garçon et que sa partenaire devient enceinte, il devra utiliser un préservatif masculin pour éviter d'exposer le fœtus à l'ELX/TEZ/IVA.

Si votre enfant, ou la partenaire de votre enfant, devient enceinte, le médecin du programme vous demandera l'autorisation de suivre la grossesse jusqu'à son issue et jusqu'à ce que le bébé ait atteint l'âge d'un an.

Risques liés aux procédures du programme :

- Spirométrie : Lorsque les poumons de votre enfant sont examinés, votre enfant pourrait ressentir le besoin de tousser, se sentir essoufflé(e) ou avoir des vertiges pendant ou après l'examen. Votre enfant peut arrêter s'il/si elle ressent l'un de ces symptômes.
- Prélèvement des échantillons de sang : Lorsqu'on fera une prise de sang avec une aiguille à votre enfant, il/elle pourrait ressentir une sorte de pincement. Cela fera mal pendant un court moment, et l'endroit où l'aiguille a été introduite pourra éventuellement faire mal ou présenter un bleu. Certains enfants ont des étourdissements, des nausées ou s'évanouissent lors d'un prélèvement sanguin. Il existe un faible risque d'infection. Si la douleur ou rougeur continue ou s'aggrave, appelez le médecin du programme qui suit votre enfant.

Risques d'interaction médicamenteuse (médicaments agissant de concert ou en opposition les uns aux autres) :

Presque tous les médicaments sont susceptibles de provoquer des effets secondaires. Beaucoup sont bénins, mais certains peuvent devenir potentiellement mortels s'ils ne sont pas traités. L'association de l'ELX/TEZ/IVA et d'autres médicaments, compléments alimentaires, remèdes naturels et vitamines pourrait être nocive pour votre enfant. Il est très important que vous informiez le médecin du programme qui suit votre enfant de tous les médicaments, compléments alimentaires, remèdes naturels, et vitamines que prend votre enfant, ou des modifications apportées à ce que prend votre enfant, pendant que votre enfant est dans le programme. Votre enfant ne peut pas prendre certains médicaments à base de plantes, comme le millepertuis, et certains fruits et jus de fruits (comme le pamplemousse ou les produits à base de pamplemousse) pendant sa participation au programme. Le médecin du programme qui suit votre enfant les passera en revue avec vous et votre enfant.

Risques non connus :

Il se pourrait que d'autres effets secondaires soient encore inconnus. Vous devez appeler le médecin du programme qui suit votre enfant si vous pensez que votre enfant a un problème quelconque, même s'il n'est pas décrit ci-dessus.

Confidentialité :

Il existe une faible possibilité que le nom de votre enfant ou d'autres informations personnelles puissent être consultées par une personne non autorisée.

5. Bénéfices possibles

Votre enfant pourrait ou non tirer des bénéfices médicaux directs de sa participation au programme.

6. Options autres que la participation

Votre enfant n'est pas obligé(e) de participer à ce programme. Si vous ou votre enfant ne souhaitez pas participer à ce programme, d'autres traitements s'offrent à vous, notamment : des antibiotiques inhalés, comme la tobramycine et l'aztréonam ; des médicaments anti-inflammatoires, comme la prednisone et l'ibuprofène ; des thérapies physiques, comme une veste de compression thoracique à haute fréquence ou un flutter ; des médicaments pour favoriser la digestion, comme les enzymes pancréatiques ; une solution saline hypertonique. Veuillez discuter des autres options thérapeutiques avec le médecin du programme pour décider de ce qui convient à votre enfant.

7. Participation volontaire

Votre enfant ne participera à ce programme que si vous, votre enfant et votre médecin décidez volontairement de sa participation. Cela signifie que vous et votre enfant pouvez décider de ne pas y participer. Si vous et votre enfant décidez de participer, vous et votre enfant pouvez changer d'avis à tout moment sans perdre les bénéfices auxquels votre enfant aurait eu droit s'il/si elle n'avait pas participé au programme. Votre décision, venant de vous et de votre enfant, de ne pas intégrer le programme n'aura aucune incidence sur les soins que votre enfant devrait normalement recevoir par son professionnel de santé. Vous et votre enfant pouvez poser des

251837_VX20-445-906_Belgium Main ICF_

Version 3.0_07Jul2022 based on Master ICF Version 2.0, 06JUL2021 and ELX/TEZ/IVA Triple Combination MAP ICF Risk Language Template based on ELX/TEZ/IVA IB v3.0, dated 07Jun2022

questions sur le programme à tout moment.

8. Responsabilités du/de la participant(e) et des parents/tuteurs

Il vous sera tout d'abord demandé de signer ce formulaire de consentement si vous acceptez que votre enfant prenne part à ce programme. Si votre enfant participe à ce programme, vous devrez en respecter les procédures et votre enfant devra se rendre à toutes les visites. Il est également important que votre enfant prenne le médicament du programme conformément aux instructions. Vous devrez signaler tout effet secondaire au médecin de votre enfant.

Veillez informer le médecin de votre enfant si celle-ci débute une grossesse pendant le traitement ou dans les 90 jours après le dernier traitement.

Il est important que vous informiez le personnel médical de tout autre médicament que prend votre enfant avant et pendant le programme, y compris les médicaments en vente libre, les produits naturels/à base de plantes ou d'autres remèdes traditionnels. Il existe également d'autres médicaments que votre enfant ne doit pas prendre pendant sa prise du médicament du programme (le médecin de votre enfant vous informera à propos de ces médicaments).

9. Coûts de la participation à ce programme

Vous et votre enfant n'aurez aucuns frais à payer pour l'ELX/TEZ/IVA qu'il/elle recevra durant sa participation à ce programme. Vertex fournira gratuitement l'ELX/TEZ/IVA à votre enfant, mais ne prendra pas en charge les prestations de votre médecin ni les examens et médicaments que votre enfant aurait normalement reçu dans le cadre du traitement habituel de sa MCV.

10. Rémunération pour la participation

Vous et votre enfant ne serez pas rémunéré(e)s pour sa participation à ce programme. Vertex ne proposera aucun paiement à vous ni à votre enfant, résultant du développement ou de la commercialisation d'un produit final créé à la suite du programme ou d'études cliniques portant sur l'ELX/TEZ/IVA, qu'il s'agisse des médicaments seuls ou en association.

11. Préjudices liés au traitement

Ni Vertex ni le médecin de votre enfant n'ont l'intention de rembourser votre enfant dans le cas où il/elle se blesserait ou tomberait malade comme conséquence directe de la prise de l'ELX/TEZ/IVA. Vous ne renoncez cependant à aucun de vos droits légaux, ni à ceux de votre enfant, en signant ce formulaire.

Si votre enfant est blessé(e) ou présente des effets secondaires, vous devez contacter le médecin du programme au numéro indiqué en première page de ce document.

12. Raisons pour lesquelles la participation de votre enfant pourrait être interrompue

La participation de votre enfant au programme peut être interrompue à tout moment quelle qu'en soit la raison, sans votre permission. La participation de votre enfant au programme peut être interrompue pour des raisons médicales s'il/si elle ne respecte pas les instructions de son médecin, ou pour toute autre raison déterminée par le médecin de votre enfant ou par Vertex. Vertex a également le droit de mettre fin à la participation du médecin qui s'occupe de votre enfant, dans le cadre du programme, ou de mettre fin au programme entier, et ce à tout moment. L'AFMPS ou le comité d'éthique a également le droit de mettre fin au programme dans ce centre à tout moment.

Normalement, et sauf arrêt anticipé, ce programme devrait se poursuivre jusqu'à évaluation de l'ELX/TEZ/IVA par l'Agence européenne des médicaments et, en cas d'avis positif et d'autorisation de commercialisation accordée par la Commission européenne, jusqu'à ce qu'il soit disponible en Belgique.

Dans le cas où il est mis un terme au programme pour une raison quelconque ou que la participation de votre enfant au programme prend fin, vous devez consulter le médecin traitant de votre enfant au sujet des options thérapeutiques qui conviennent le mieux à votre enfant.

Si votre enfant est retiré(e) du programme ou si le programme a été interrompu, Vertex ne continuera pas à fournir l'ELX/TEZ/IVA à votre enfant et n'a aucune obligation à cet égard. Si vous ou votre enfant décidez d'arrêter le programme, veuillez en informer immédiatement le médecin de votre enfant. Votre enfant sera invité(e) à se rendre à une visite de suivi au cabinet du médecin de votre enfant afin d'évaluer son état de santé et de restituer tous les emballages du médicament, qu'ils soient vides, entamés ou remplis.

13. Comment les informations de votre enfant seront-elles utilisées ?

En cas d'événement indésirable (EI), le médecin de votre enfant préparera un rapport et l'enverra à Vertex. Ce rapport précisera le lien entre l'EI et ELX/TEZ/IVA et si l'administration du médicament a été interrompue ou arrêtée en raison de l'EI. Le médecin du programme préparera également des rapports de suivi concernant l'évolution et l'issue finale de l'EI.

Les données de votre enfant seront traitées conformément au Règlement général européen sur la protection des données (RGPD) et à la législation belge sur la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel. Vertex Pharmaceuticals Incorporated agira en tant que responsable du traitement des données de votre enfant. Vous et votre enfant avez le droit de demander au médecin du programme quelles sont les données recueillies concernant votre enfant, et quelle est leur utilité dans le cadre du programme. Ces données concernent la situation clinique actuelle de votre enfant, mais aussi certains de ses antécédents, les résultats des examens effectués dans le cadre de soins adaptés à l'état de santé de votre enfant selon les normes en vigueur et, bien entendu, les résultats des examens requis par le programme. Vous avez le droit de vérifier ces données et de les rectifier si elles sont incorrectes¹.

Le médecin du programme a un devoir de confidentialité vis-à-vis des données recueillies.

Cela signifie qu'il/elle s'engage non seulement à ne jamais révéler le nom de votre enfant dans le cadre d'une publication ou d'une conférence, mais aussi à coder les données de votre enfant (l'identité de votre enfant sera remplacée par un code d'identification dans le programme) avant leur envoi au gestionnaire de la banque de données des données recueillies, Parexel, sous le contrôle du responsable du traitement des données (Global Information Services ; promoteur : Vertex International Incorporated ; emplacement : Vertex Data Center, 1 Summer Street, Markley Building, Boston, Massachusetts, 02110, États-Unis ; e-mail : privacy@vrtx.com).

¹ Ces droits sont garantis par le Règlement général sur la protection des données (RGPD) européen, la loi belge du 30 juillet 2018 relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel et la loi du 22 août 2002 relative aux droits des patients.

Le médecin du programme et son équipe seront donc les seuls à pouvoir faire le lien entre les données transmises pendant toute la durée du programme et les dossiers médicaux de votre enfant².

Les données personnelles transmises ne contiendront aucune association d'éléments qui pourrait permettre d'identifier votre enfant³.

Pour le gestionnaire des données du programme nommé par le promoteur, les données transmises ne permettront pas d'identifier votre enfant. Ce dernier est responsable du recueil des données rassemblées par tous les médecins du programme participant au programme, de leur traitement et de leur protection conformément aux impératifs de la loi belge relative à la protection de la vie privée.

Afin de vérifier la qualité du programme, il est possible que les dossiers médicaux de votre enfant soient examinés par des personnes tenues au secret professionnel et désignées par le comité d'éthique, le promoteur du programme ou un organisme d'audit indépendant. En tout état de cause, cet examen des dossiers médicaux de votre enfant ne peut avoir lieu que sous la responsabilité du médecin du programme et sous la supervision de l'un des collaborateurs qu'il/elle aura désigné.

Les données du programme (codées) pourront être transmises aux autorités réglementaires belges ou autres, aux comités d'éthique concernés, à d'autres médecins et/ou à des organismes travaillant en collaboration avec le promoteur.

Elles pourront également être transmises à d'autres centres du promoteur en Belgique et dans d'autres pays où les normes en matière de protection des données personnelles peuvent être différentes ou moins strictes. Comme expliqué ci-dessus, les données sont transmises sous forme codée⁴.

Votre consentement et celui de votre enfant à la participation à ce programme implique donc aussi votre consentement et celui de votre enfant à l'utilisation des données médicales codées de votre enfant aux fins décrites dans ce document d'information et à leur transmission aux personnes et autorités susmentionnées.

Le promoteur s'engage à n'utiliser les données recueillies que dans le cadre du programme auquel votre enfant participe.

Si vous ou votre enfant retirez votre consentement à participer au programme, les données codées jusqu'au moment du retrait de votre enfant seront conservées afin de garantir la validité du programme. Aucune nouvelle donnée ne pourra être transmise au promoteur.

Si vous ou votre enfant avez des questions relatives à la manière dont les données de votre enfant sont traitées, vous/votre enfant pouvez contacter le délégué à la protection des données de Vertex Pharmaceuticals Incorporated, qui peut être contacté à l'adresse privacy@vrtx.com, ou le

² La loi oblige à conserver ce lien avec votre dossier pendant 20 ans.

³ La base de données contenant les résultats du programme ne contiendra donc aucune association d'éléments comme vos initiales, votre sexe et votre date de naissance complète (jj/mm/aaaa).

⁴ Le promoteur s'engage ainsi à respecter les contraintes du Règlement général sur la protection des données (RGPD) européen et de la législation belge en matière de protection de la vie privée.

Numéro du/de la patient(e) : _____ Annex I_ICF_EN_NL_FR

médecin du programme. Vous pouvez également contacter le délégué à la protection des données de l'hôpital de votre enfant :

Coordonnées du délégué à la protection des données (DPD) de l'hôpital de votre enfant :

Emplacement : _____

Téléphone/E-mail : _____

Enfin, si vous ou votre enfant avez une réclamation concernant le traitement des données de votre enfant, vous ou votre enfant pouvez contacter l'autorité de contrôle belge qui veille au respect de la confidentialité dans le cadre du traitement des données personnelles.

L'autorité de contrôle belge s'appelle :

Autorité de protection des données (APD)

Rue de la Presse, 35,

1000 Bruxelles

Tél. +32 2 274 48 00

E-mail : contact@apd-gba.be

Site Internet : <https://www.autoriteprotectiondonnees.be>

14. Vos droits et les droits de votre enfant/Personnes à contacter

Au cours de ce programme, si vous avez des questions, des inquiétudes ou des réclamations au sujet de ce programme, ou des droits de votre enfant en tant que participant(e), vous pouvez contacter le médecin du programme ou son personnel au numéro de téléphone indiqué sur la première page de ce document.

Dans tous les cas, vous devez indiquer que votre enfant prend part à ce programme. Les dossiers médicaux de votre enfant contiendront des informations utiles au médecin de garde concernant ce programme.

Si vous avez des questions relatives aux droits de votre enfant en tant que participant(e) à un programme, vous pouvez également contacter le médiateur des droits des patients de l'établissement de votre enfant. Si nécessaire, ce dernier peut vous mettre en contact avec le comité d'éthique de l'établissement de votre enfant.

15. Consentement à participer au programme

En apposant votre signature ci-dessous, vous confirmez que vous avez lu les informations fournies dans ce document, et ce qui est attendu de vous et de votre enfant, et que vous consentez volontairement avec le médecin que vous souhaitez que votre enfant participe au programme.

Vous confirmez également que vous avez eu suffisamment de temps pour poser toutes les questions que vous souhaitiez sur le programme et que toutes vos questions ont reçu une réponse satisfaisante.

Vous confirmez avoir compris que votre enfant est libre de quitter le programme à tout moment sans avoir à se justifier et sans que cela affecte les soins médicaux actuels ou futurs de votre enfant. Vous acceptez que le médecin de votre enfant puisse vous demander les antécédents médicaux/données de votre enfant.

251837_VX20-445-906_Belgium Main ICF_

Version 3.0_07Jul2022 based on Master ICF Version 2.0, 06JUL2021 and ELX/TEZ/IVA Triple Combination MAP ICF Risk Language Template based on ELX/TEZ/IVA IB v3.0, dated 07Jun2022

Numéro du/de la patient(e) : _____ Annex I_ICF_EN_NL_FR

En signant ce document, vous donnez votre autorisation pour l'examen, la divulgation et l'utilisation des informations confidentielles concernant votre enfant, comme décrit précédemment.

En signant ce formulaire de consentement, vous ne renoncez à aucun des droits légaux de votre enfant.

Formulaire de consentement éclairé

Titre programme :	du	Programme d'accès géré de l'ELX/TEZ/IVA pour des patients de 6 à 11 ans atteints de mucoviscidose, qui sont homozygotes pour la mutation F508del ou hétérozygotes pour la mutation F508del et une mutation de la fonction minime
Numéro programme :	du	VX20 445 906

Nom du/de la patient(e) (en caractères d'imprimerie)

Nom du parent/tuteur (en caractères d'imprimerie)

Lien de parenté avec le parent/tuteur

Signature du parent/tuteur

Date

Heure

Signature du témoin (le cas échéant)

Date

Heure

2. Nom du parent/tuteur (en caractères d'imprimerie)

Lien de parenté avec le parent/tuteur

Signature du parent/tuteur

Date

Heure

Signature du témoin (le cas échéant)

Date

Heure

Numéro du/de la patient(e) : _____ Annex I_ICF_EN_NL_FR

Personne obtenant le consentement

Nom de la personne obtenant le consentement
(en caractères d'imprimerie)

Rôle ou titre de la personne obtenant le consentement

Signature de la personne obtenant le consentement

Date

Heure