

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Information pour le patient et formulaire de consentement

**Programme médical d'urgence avec Aspaveli®
(pegcétacoplan) chez les adultes atteints de l'hémoglobinurie
paroxystique nocturne (HPN) lorsqu'ils sont anémiques après
avoir reçu un traitement par inhibiteur de C5 pendant au
moins 3 mois.**

Promoteur du programme	<p>Swedish Orphan Biovitrum (Sobi)</p> <p>Stéphane Vanhoudenhove Directeur Médical Sobi Belux Luchthaven Brussel Nationaal 1K 1900 Zaventem Tel: +32 (0) 2 880 61 19 GSM: +32 (0) 475 75 12 20 Email: stephane.vanhoudenhove@sobi.com</p>
Personne de contact pour information	<p>Nom:</p> <p>.....</p> <p>Adresse:</p> <p>.....</p> <p>.....</p> <p>Tél.:</p>

Medical Need Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

FR/NL, v1.1, 31 March 2022.

Information pour le patient

Vous êtes invité(e) à participer de façon volontaire à un programme médical d'urgence avec le médicament Aspaveli® (pegcétacoplan).

Aspaveli® (pegcétacoplan) est un médicament approuvé par l'Agence européenne des médicaments (EMA) pour le traitement des adultes atteints de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) lorsqu'ils sont anémiques après avoir reçu un traitement par inhibiteur de C5 pendant au moins 3 mois. Les inhibiteurs de C5 (= inhibiteurs de la protéine C5 du complément) sont une classe existante de médicaments utilisés dans le traitement de la PNH.

Avant de participer, vous devez savoir pourquoi ce programme est mis en oeuvre et en quoi il consiste. Veuillez lire attentivement ces informations et discutez-en avec d'autres personnes de votre choix, par exemple un ami ou un membre de votre famille. Si vous avez des questions, veuillez les poser à votre médecin ou au personnel soignant.

Ce programme médical d'urgence a été soumis à un Comité d'éthique médicale.

Qu'est-ce que l'Aspaveli® (pegcétacoplan) et à quoi sert-il ?

Aspaveli® (pegcétacoplan) est un médicament contenant une substance active, le pegcétacoplan, qui est une forme modifiée d'un peptide à longue durée d'action. Le pegcétacoplan est conçu pour se fixer sur la protéine C3 du complément, qui fait partie du système de défense de l'organisme appelé le système du complément.

Aspaveli® (pegcétacoplan) est utilisé chez les patients adultes pour traiter une maladie appelée hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) qui sont anémiques après avoir reçu un traitement par inhibiteur de C5 pendant au moins 3 mois.

Chez les patients atteints d'HPN, le système du complément est hyperactif et attaque les globules rouges, ce qui peut entraîner une diminution du nombre de globules rouges (anémie), une fatigue, des difficultés fonctionnelles, des douleurs, des douleurs abdominales, une coloration sombre des urines, un essoufflement, des difficultés à avaler, une dysfonction érectile et des caillots sanguins. En se liant à la protéine C3 et en la bloquant, ce médicament permet d'empêcher les protéines du complément d'attaquer les globules rouges et ainsi contrôler les symptômes de la maladie.

Objectif de ce programme

Ce traitement s'inscrit dans le cadre d'un programme médical d'urgence ayant pour but de mettre l'Aspaveli® (pegcétacoplan) à la disposition de patients comme vous.

Ce programme offre gratuitement ce médicament à titre d'usage médical.

Combien de temps ce programme va-t-il durer ?

Vous pouvez continuer le traitement avec Aspaveli® (pegcétacoplan) en prenant part à ce programme aussi longtemps que votre médecin pense que vous en bénéficiez.

Cependant, votre médecin, le Comité d'éthique médicale, l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS) ou le responsable du programme peuvent à tout moment arrêter

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

votre participation au programme, sans vous en demander l'autorisation. Cette décision peut faire suite à une mauvaise réaction ou intolérance à l'Aspaveli® (pegcétacoplan) ou à l'obtention de nouvelles données relatives à l'efficacité ou à la sécurité de l'Aspaveli® (pegcétacoplan). De manière similaire, votre médecin pourrait décider d'interrompre votre traitement s'il ou elle considère que c'est dans votre intérêt ou si vous ne suivez pas les instructions données pour participer à ce programme médical d'urgence.

Le programme sera réexaminé régulièrement par Sobi. En cas de rejet de la demande de remboursement, ce programme sera arrêté. Sobi peut décider à tout moment de mettre fin à ce programme. Dans tous les cas, le programme sera arrêté lorsque l'Aspaveli® (pegcétacoplan) sera remboursé en Belgique pour le traitement de l'HPN. Toutefois, les critères de remboursement peuvent être plus stricts que les critères d'éligibilité de ce programme. Il n'est donc pas certain que votre traitement sera remboursé lorsque le médicament sera commercialisé.

Si vous décidez à un moment donné de quitter le programme médical d'urgence, il convient d'en informer votre médecin ou ses collaborateurs. Ils veilleront à ce que les procédures adéquates soient suivies et à ce qu'une visite finale soit effectuée pour votre sécurité.

Si vous décidez non seulement d'interrompre le traitement mais aussi de ne plus être contacté(e) par le médecin ou ses collaborateurs, vous pouvez retirer votre consentement. Il est important que votre médecin en soit informé. Vous pouvez discuter avec lui de votre traitement ultérieur. Si vous choisissez de retirer votre consentement, cela n'aura aucun effet sur vos soins médicaux.

Quelles données sont recueillies avant et pendant votre participation à ce programme ?

Si vous acceptez de participer à ce programme, vous serez invité(e) à signer le formulaire de consentement ci-joint avant de pouvoir commencer le traitement avec l'Aspaveli® (pegcétacoplan). Le médecin parcourra vos antécédents médicaux et procédera à quelques examens afin de vérifier si l'on peut vous administrer l'Aspaveli® (pegcétacoplan). Il vous interrogera également sur les médicaments que vous prenez actuellement.

Quels sont les droits des participants à ce programme ?

Si vous participez à ce programme médical d'urgence, vous devez savoir que :

- Votre participation est **volontaire** et vous devez signer un formulaire de consentement. Même après avoir signé le formulaire de consentement, vous avez le droit de mettre fin à votre participation en avertissant votre médecin. Le retrait de votre consentement n'entraînera aucun désavantage ni perte d'avantage. Votre décision n'aura aucune répercussion sur votre traitement médical futur. Votre décision n'aura pas non plus de répercussion sur vos relations avec votre médecin traitant.
- Le médecin, le Comité d'éthique médicale ou le promoteur du programme, Sobi, peuvent également mettre fin à tout moment à votre participation au programme, sans votre accord. Parmi les motifs à la base de cette décision, citons notamment les possibilités suivantes :
 - o Vous ne respectez pas les instructions liées à la participation au programme ;
 - o La poursuite du programme serait dangereuse pour votre santé ;
 - o Il a été constaté en cours du programme que vous ne remplissiez pas les conditions

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

d'admission au programme.

- Vous êtes enceinte.
- Il n'est pas dans votre intérêt de continuer le traitement avec l'Aspaveli® (pegcétacoplan).

- Votre identité et votre participation à ce programme seront traitées de façon strictement confidentielle. Le médecin codera vos données personnelles pour que votre identité reste toujours secrète. Ces données seront éventuellement transmises à des instances publiques nationales et/ou étrangères de pays membres ou non membres de l'Espace Economique Européen, au Comité d'éthique médicale et à d'autres médecins et/ou organisations qui travaillent en collaboration avec le promoteur. Ces données peuvent éventuellement aussi être transmises à d'autres filiales du promoteur, en Belgique et dans d'autres pays où les normes relatives à la gestion des données personnelles sont au moins du même niveau que la législation belge.

Vos données médicales liées au programme seront traitées et analysées par voie électronique (c'est-à-dire par ordinateur) ou à la main. Ces données sont protégées contre tout usage abusif.

- Vous avez le droit de demander au médecin du programme quelles sont les données vous concernant qui sont recueillies dans le cadre de ce programme, et dans quel but. Vous avez aussi le droit de demander au médecin de consulter vos données personnelles et éventuellement d'y apporter les corrections nécessaires. Vos données seront traitées conformément au Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD, Réf. [1]) et la loi belge du 30 juillet 2018 (Réf. [2]) sur la protection des données.
- Si vous arrêtez prématurément votre participation au programme, votre consentement initial autorisera l'utilisation de vos données relatives à la période durant laquelle vous avez participé au programme.
- Votre **médecin généraliste** sera informé de votre participation au programme. Pendant le programme, il se pourrait que votre médecin du programme prenne contact avec votre médecin généraliste pour un échange d'informations vous concernant. Ces contacts sont nécessaires afin d'assurer le meilleur suivi possible de votre état de santé. Si vous le souhaitez, vous pouvez consulter cette correspondance.

Quels sont les devoirs des participants à ce programme ?

Consultez votre médecin **avant** de commencer le traitement par l'Aspaveli® (pegcétacoplan) pour vous assurer de recevoir une vaccination contre *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* et *Haemophilus influenzae*, si vous n'avez pas encore reçu ces vaccins. Même si vous avez déjà reçu ces vaccins auparavant, une vaccination supplémentaire pourrait être nécessaire avant de débuter le traitement par l'Aspaveli® (pegcétacoplan). Ces vaccins doivent être administrés au moins 2 semaines avant le début du traitement. Si vous ne pouvez pas être vacciné(e) 2 semaines à l'avance, votre médecin vous prescrira des antibiotiques afin de réduire le risque d'infection, jusqu'à 2 semaines après la vaccination. Après la vaccination, votre médecin pourra surveiller plus étroitement l'apparition de symptômes d'infection.

Egalement **avant** de commencer à utiliser l'Aspaveli® (pegcétacoplan), prévenez votre médecin si vous avez la moindre infection.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez conseil à votre médecin **avant** d'utiliser ce médicament.

Veillez à toujours utiliser ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin. Vérifiez auprès de votre médecin en cas de doute.

Informez votre médecin ou pharmacien si vous utilisez, avez récemment utilisé ou pourriez utiliser tout autre médicament (y compris les médicaments en vente libre, les médicaments sur ordonnance, les remèdes à base de plantes et les compléments alimentaires).

Si vous ressentez des symptômes d'infection, vous devez en informer immédiatement votre médecin.

Veillez à ce que vos vaccins soient à jour.

Si vous souhaitez arrêter d'utiliser le médicament, parlez-en d'abord avec votre médecin. Si vous arrêtez brutalement le médicament, vos symptômes risquent de s'aggraver. Si votre médecin décide d'arrêter votre traitement avec ce médicament, suivez ses instructions pour l'arrêt. Votre médecin surveillera étroitement l'apparition de signes de destruction des globules rouges due à l'HPN pendant au moins 8 semaines **après** l'arrêt du traitement.

Prise du traitement médical d'urgence

Les instructions générales pour la prise de l'Aspaveli® (pegcetacoplan) sont les suivantes:

Veillez à toujours utiliser ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin. Vérifiez auprès de votre médecin en cas de doute.

Au moins 2 semaines avant le début du traitement avec ce médicament, votre médecin examinera votre dossier médical et pourra vous administrer un ou plusieurs vaccins. Si vous ne pouvez pas être vacciné(e) au moins 2 semaines avant le début du traitement par l'Aspaveli® (pegcetacoplan), votre médecin vous prescrira des antibiotiques jusqu'à 2 semaines après la vaccination afin de réduire le risque d'infection.

Une perfusion à domicile doit être envisagée pour les patients ayant bien toléré le traitement dans les centres de traitement spécialisés. La décision de réaliser les perfusions à domicile devra être prise après évaluation et sur recommandation de votre médecin. Vous devrez effectuer vous-même les perfusions à domicile ou les faire réaliser par un aidant après avoir reçu une formation appropriée de la part d'un professionnel de santé qualifié.

Dose

La dose initiale recommandée chez les adultes atteints d'HPN est de 1 080 mg deux fois par semaine, en complément de votre dose d'inhibiteur de C5 actuellement prescrite, pendant 4 semaines. Les deux doses hebdomadaires devront être administrées le jour 1 et le jour 4 de chaque semaine de traitement. Au bout de 4 semaines, vous devrez arrêter le traitement par l'inhibiteur de C5.

Vous ne devez pas modifier la dose ou la fréquence d'administration sans en avoir d'abord parlé avec votre médecin. Votre médecin pourra ajuster votre dose à 1 080 mg tous les trois jours s'il le juge nécessaire. Si vous pensez avoir oublié une dose, parlez-en à votre médecin dès que possible.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Mode et voie d'administration

Aspaveli® (pegcétacoplan) est prévu pour être administré par voie sous-cutanée à l'aide d'une pompe à perfusion avec seringue. Cela signifie qu'une aiguille est insérée sous la peau et que le médicament est injecté lentement en perfusion.

Si votre médecin vous a demandé de vous auto-administrer le médicament, un professionnel de santé vous expliquera comment le faire.

Durée de la perfusion

La durée habituelle de la perfusion est d'environ 30 minutes, si vous utilisez deux sites de perfusion, ou d'environ 60 minutes, si vous utilisez un seul site. Une fois Aspaveli® (pegcétacoplan) aspiré dans la seringue, la perfusion doit être débutée rapidement. L'administration doit être terminée dans les 2 heures suivant la préparation de la seringue.

Si vous oubliez d'utiliser Aspaveli® (pegcétacoplan)

Si vous avez oublié une dose, vous devez l'administrer dès que possible puis poursuivre le traitement normalement suivant le calendrier prévu.

Si vous arrêtez d'utiliser Aspaveli® (pegcétacoplan)

L'HPN est une maladie qui dure toute la vie ; par conséquent, vous devrez sans doute utiliser ce médicament pendant longtemps. Si vous souhaitez arrêter d'utiliser le médicament, parlez-en d'abord avec votre médecin. Si vous arrêtez brutalement le médicament, vos symptômes risquent de s'aggraver.

Si votre médecin décide d'arrêter votre traitement avec ce médicament, suivez ses instructions pour l'arrêt. Votre médecin surveillera étroitement l'apparition de signes de destruction des globules rouges due à l'HPN pendant au moins 8 semaines après l'arrêt du traitement. Les symptômes ou problèmes pouvant survenir à cause de la destruction des globules rouges comprennent : fatigue, essoufflement, présence de sang dans les urines, douleurs abdominales, chute du nombre de globules rouges, caillots sanguins (thrombose), difficultés à avaler et dysfonction érectile chez les hommes.

Votre médecin traitant peut consulter le Conseiller/Directeur médical de Sobi à propos des interruptions ou des modifications de traitement.

Si vous quittez le programme anticipativement, vous devrez restituer tous les médicaments Aspaveli® (pegcétacoplan) au médecin.

Quels sont les risques et désagréments éventuels de l'Aspaveli® (pegcétacoplan)?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Votre médecin vous parlera des effets indésirables éventuels et vous expliquera les risques et les bénéfices liés à l'Aspaveli® (pegcétacoplan) avant le traitement.

Effets indésirables graves

L'effet indésirable le plus grave qui a été observé est une infection grave.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Du fait que le médicament cible le système du complément, qui fait partie des défenses de l'organisme contre les infections, l'utilisation de l'Aspaveli® (pegcétacoplan) augmente le risque d'infections, notamment celles dues à *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* et *Haemophilus influenzae*. Ce sont des infections sévères qui touchent les voies respiratoires supérieures (nez, gorge et poumons) ou les membranes qui enveloppent le cerveau et qui peuvent se propager dans le sang et l'ensemble du corps.

Si vous ressentez l'un des **symptômes d'une infection** suivants, vous devez en informer immédiatement votre médecin : maux de tête et fièvre, fièvre et éruption cutanée, fièvre accompagnée ou non de tremblements ou de frissons, essoufflement, rythme cardiaque rapide, peau moite, maux de tête accompagnés d'une raideur de la nuque ou du dos, maux de tête accompagnés de nausées ou de vomissements, sensibilité des yeux à la lumière, douleurs musculaires accompagnées de symptômes pseudo-grippaux, confusion, sensation de douleur ou d'inconfort extrême.

Consultez votre médecin avant de commencer le traitement par l'Aspaveli® (pegcétacoplan) pour vous assurer de recevoir une vaccination contre *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* et *Haemophilus influenzae*, si vous n'avez pas encore reçu ces vaccins. Même si vous avez déjà reçu ces vaccins auparavant, une vaccination supplémentaire pourrait être nécessaire avant de débuter le traitement par l'Aspaveli® (pegcétacoplan). Ces vaccins doivent être administrés au moins 2 semaines avant le début du traitement. Si vous ne pouvez pas être vacciné(e) 2 semaines à l'avance, votre médecin vous prescrira des antibiotiques afin de réduire le risque d'infection, jusqu'à 2 semaines après la vaccination. Après la vaccination, votre médecin pourra surveiller plus étroitement l'apparition de symptômes d'infection.

Veillez à ce que vos vaccins soient à jour. Vous devez également savoir que les vaccins diminuent le risque d'infections graves mais n'éliminent pas totalement ce risque. Conformément aux recommandations nationales, votre médecin pourra estimer que des mesures supplémentaires doivent être prises pour vous protéger contre les infections.

Effets indésirables fréquents et très fréquents

Les effets indésirables très fréquents, pouvant toucher plus de 1 personne sur 10, sont les réactions au site de perfusion, comprenant : rougeur (érythème), gonflement (œdème), démangeaisons (prurit) et durcissement (induration) au site de perfusion. Ces réactions disparaissent habituellement en quelques jours.

Les effets indésirables fréquents, pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10 sont : infection grave, y compris infection du sang (septicémie), infections des poumons bouton de fièvre (herpès buccal), destruction des globules rouges (hémolyse), diminution du nombre de plaquettes (thrombopénie), taux de calcium élevés dans le sang (hypercalcémie), impatiences, maux de tête, étourdissements, diarrhée, flatulences, nausée, éruption cutanée, fatigue, fièvre.

Si vous n'êtes pas sûr(e) de savoir à quoi correspondent ces effets indésirables, demandez à votre médecin de vous l'expliquer.

Quels sont les avantages possibles de ma participation ?

Si vous acceptez de participer à ce programme, l'Aspaveli® (pegcétacoplan) pourra s'avérer

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

bénéfique ou pas pour le traitement de la maladie dont vous êtes atteints ou diminuer vos symptômes.

Autres médicaments et Aspaveli® (pegcétacoplan)

Informez votre médecin ou pharmacien si vous utilisez, avez récemment utilisé ou pourriez utiliser tout autre médicament (y compris les médicaments en vente libre, les médicaments sur ordonnance, les remèdes à base de plantes et les compléments alimentaires).

Qui ne peut pas participer à ce programme?

N'utilisez jamais l'Aspaveli® (pegcétacoplan)

- si vous êtes allergique au pegcétacoplan ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament (sorbitol (E420), acide acétique glacial, acétate de sodium trihydraté, hydroxyde de sodium et eau pour préparations injectables).
- si vous avez une infection bactérienne grave non guérie due à une bactérie encapsulée telle que *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* et *Haemophilus influenzae* (Voir ci-dessus 'Symptômes d'une infection'.)
- si vous n'êtes pas vacciné(e) contre *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* et *Haemophilus influenzae*, sauf si vous recevez des antibiotiques appropriés jusqu'à 2 semaines après la vaccination.

Enfants et adolescents

Ne donnez pas ce médicament à des enfants âgés de moins de 18 ans car aucune donnée n'est disponible concernant sa sécurité et son efficacité chez les personnes de cet âge.

Grossesse/allaitement

Aspaveli® (pegcétacoplan) n'est pas recommandé pendant la grossesse et l'allaitement. Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez conseil à votre médecin avant d'utiliser ce médicament.

Formulaire de consentement

Programme médical d'urgence avec Aspaveli® (pegcétacoplan) chez les adultes atteints de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) lorsqu'ils sont anémiques après avoir reçu un traitement par inhibiteur de C5 pendant au moins 3 mois.

Déclaration du patient ou de son représentant légal :

Je soussigné(e), confirme par la présente avoir été informé(e) sur le programme médical d'urgence et avoir reçu une copie du document « Information pour le patient et Formulaire de consentement ».

J'ai lu et compris leur contenu et j'ai eu suffisamment de temps pour réfléchir à ma participation et poser d'éventuelles questions.

Mon médecin m'a suffisamment informé(e) sur les conditions et la durée de ce programme, ainsi que sur l'action et les effets indésirables de ce traitement.

- Je sais que ma participation à ce programme est entièrement volontaire et que je peux me retirer du programme à tout moment, après en avoir informé mon médecin, sans devoir en subir un quelconque désavantage.
- J'autorise les responsables du promoteur et les autorités compétentes à consulter mon dossier médical. Mes données médicales seront traitées en toute confidentialité. Je connais le but dans lequel ces données sont recueillies, traitées et utilisées dans le cadre de ce programme.
- Je consens à la collecte, au traitement et à l'utilisation de ces données médicales, comme cela est décrit dans le document d'information du patient. Je consens également au transfert et au traitement de ces données dans d'autres pays que la Belgique.
- Je consens tout à fait volontairement à participer à ce programme et à collaborer à tous les examens demandés. Je suis prêt(e) à fournir des informations relatives à mes antécédents médicaux, à ma consommation de médicaments et à ma participation éventuelle à d'autres études.
- Je consens à ce que mon médecin généraliste/spécialiste et les autres prestataires de soins impliqués dans mon traitement soient informés de ma participation à ce programme.
- J'autorise/je n'autorise pas (**rayez ce qui vous convient**) le promoteur du programme à utiliser ces données médicales cryptées à d'autres fins de recherche, à condition que le Comité d'éthique médicale donne à nouveau son approbation.

Nom et prénom du patient
 (en majuscules)

Date (jour/mois/année)

Signature

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Représentant legal

**Nom et prénom du 1^{er}
 représentant légal**
 (en majuscules)

Date (jour/mois/année)

Signature

**Nom et prénom du 2^{ème}
 représentant légal**
 (en majuscules)

Date (jour/mois/année)

Signature

Nom de l'enfant (la personne représentée) : _____

Lien de parenté avec la personne representee : _____

Déclaration du médecin :

Je soussigné(e), confirme par la présente avoir fourni oralement les informations nécessaires sur ce programme médical d'urgence, avoir remis une copie, signée par les différentes parties, du document d'information et du formulaire de consentement, être prêt(e) à répondre, si nécessaire, à toutes les questions supplémentaires et n'avoir exercé aucune pression pour que le patient participe au programme.

Nom
 (en majuscules)

Date (jour/mois/année)

Signature

Références :

[1] Règlement général sur la protection des données n° 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE.

[2] Loi belge de 30 Juillet 2018 relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier

Medisch noodprogramma met Aspaveli® (pegcetacoplan) voor volwassen patiënten met paroxismale nachtelijke hemoglobinerie (PNH) die anemisch zijn na behandeling met een C5 remmer gedurende ten minste 3 maanden.

Opdrachtgever van het programma	<p>Swedish Orphan Biovitrum (Sobi)</p> <p>Stéphane Vanhoudenhove Medisch Directeur Sobi Belux Luchthaven Brussel Nationaal 1K 1900 Zaventem Tel: +32 (0) 2 880 61 19 GSM: +32 (0) 475 75 12 20 Email: stephane.vanhoudenhove@sobi.com</p>
Contactpersoon voor informatie	<p>Naam:</p> <p>.....</p> <p>Adres:</p> <p>.....</p> <p>.....</p> <p>Tel.:</p>

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Patiënteninformatie

U wordt uitgenodigd om vrijwillig deel te nemen aan een medisch noodprogramma met het geneesmiddel Aspaveli® (pegcetacoplan).

Aspaveli® (pegcetacoplan) is een geneesmiddel dat werd goedgekeurd door het Europese geneesmiddelen agentschap (EMA) voor de behandeling van volwassen patiënten met paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) die anemisch zijn na behandeling met een C5 remmer gedurende ten minste 3 maanden. C5-remmers (= remmers van het C5-complementeiwit) zijn een bestaande klasse van geneesmiddelen die worden gebruikt bij de behandeling van PNH.

Voor u deelneemt, moet u weten waarom dit programma wordt uitgevoerd en wat het inhoudt. Lees de informatie zorgvuldig door en bespreek ze vrij met wie u ook wilt, bijvoorbeeld een vriend of familielid. Eventuele vragen kunt u stellen aan de behandelende arts of het behandelende personeel.

Dit medisch noodprogramma werd voorgelegd aan een Commissie voor Medische Ethiek.

Wat is Aspaveli® (pegcetacoplan) en waarvoor wordt het gebruikt?

Aspaveli® (pegcetacoplan) is een geneesmiddel dat de werkzame stof pegcetacoplan bevat. Pegcetacoplan is een gewijzigde, langwerkende vorm van een peptide. Pegcetacoplan is zo ontworpen dat het zich gaat hechten aan het C3 complementeiwit. Dat eiwit is een onderdeel van het afweersysteem van het lichaam, "complementsysteem" genaamd.

Aspaveli® (pegcetacoplan) wordt gebruikt voor de behandeling van volwassen patiënten met een ziekte, paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) genaamd, die bloedarmoede hebben na een behandeling met een C5 remmer gedurende ten minste 3 maanden.

Bij patiënten met PNH is het "complementsysteem" te actief en valt het de eigen rode bloedcellen aan. Dat kan leiden tot te weinig bloedcellen (bloedarmoede), vermoeidheid, moeite met functioneren, pijn, buikpijn, donkere urine, buiten adem zijn, moeite met slikken, erectiestoornissen en bloedstolsels. Doordat dit geneesmiddel zich bindt aan het C3 eiwit en het C3 eiwit blokkeert, vallen de complementeiwitten de rode bloedcellen niet meer aan. Op die wijze kunnen de klachten van de ziekte onder controle worden gebracht.

Doel van dit programma

Het doel van dit programma is om Aspaveli® (pegcetacoplan) ter beschikking te stellen aan patiënten met uw aandoening.

In dit programma wordt deze behandeling kosteloos ter beschikking gesteld als medische nood medicatie.

Hoe lang zal dit programma duren?

U kunt de behandeling met Aspaveli® (pegcetacoplan) voortzetten door aan dit programma deel te nemen zolang uw arts denkt dat u er baat bij heeft.

Uw arts, de Commissie voor Medische Ethiek, het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) of de programmamanager kunnen echter op elk moment uw deelname aan het programma stopzetten zonder uw toestemming te vragen. Deze

Medical Need Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

FR/NL, v1.1, 31 March 2022.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

beslissing kan genomen worden indien, blijkt dat u het geneesmiddel niet verdraagt vanwege ernstige bijwerkingen of naar aanleiding van nieuwe gegevens gerelateerd aan de doeltreffendheid of de tolerantie van Aspaveli® (pegcetacoplan). Evenzo kan uw arts besluiten uw behandeling stop te zetten als hij of zij van mening is dat dit in uw beste belang is bv. indien uw ziekte erger wordt of u geen baat heeft bij de behandeling of als u de instructies voor deelname aan dit medisch noodprogramma niet opvolgt.

Het programma zal regelmatig worden herzien door Sobi. Als het verzoek om terugbetaling wordt afgewezen, kan dit programma worden stopgezet. Sobi kan op elk moment besluiten om dit programma te beëindigen. Het programma wordt in ieder geval stopgezet wanneer Aspaveli® (pegcetacoplan) in België wordt terugbetaald voor de behandeling van PNH. De terugbetalingscriteria kunnen echter strenger zijn dan de toelatingscriteria van dit programma. Het is dus niet zeker dat uw behandeling zal worden terugbetaald zodra het geneesmiddel in de handel wordt gebracht.

Indien u op een bepaald moment beslist om het medisch noodprogramma te verlaten, dan moet u uw arts of zijn/haar medewerkers op de hoogte brengen. Zij zullen ervoor zorgen dat de gepaste procedures worden gevolgd en dat een eindbezoek plaatsvindt voor uw veiligheid.

Indien u beslist dat u niet alleen de behandeling wilt stoppen maar ook niet meer wilt gecontacteerd worden door de arts of zijn medewerkers, dan kunt u uw toestemming intrekken. Het is belangrijk om uw arts hiervan op de hoogte te brengen. U kunt uw verdere behandeling met hem bespreken. Uw keuze om uw toestemming in te trekken heeft geen gevolgen voor uw medische zorg.

Welke gegevens worden verzameld voor en tijdens uw deelname aan dit programma?

Indien u akkoord gaat om aan dit programma deel te nemen, dan zal men u vragen om het bijgevoegde toestemmingsformulier te ondertekenen voor u de behandeling met Aspaveli® (pegcetacoplan) kunt starten. De arts zal uw medische voorgeschiedenis overlopen en zal enkele onderzoeken uitvoeren om na te gaan of u Aspaveli® (pegcetacoplan) kunt krijgen. Hij/zij zal ook vragen naar de medicatie die u nu inneemt.

Wat zijn de rechten van de deelnemers aan dit programma?

Indien u aan dit medisch noodprogramma deelneemt, moet u weten dat:

- Uw deelname vrijwillig is en dat u een toestemmingsformulier moet ondertekenen. Zelfs na ondertekening van het toestemmingsformulier hebt u het recht om uw deelname te beëindigen mits verwittiging van uw arts. Het intrekken van uw toestemming zal geen nadeel of verlies van voordeel met zich meebrengen. Uw beslissing zal geen weerslag hebben op uw toekomstige medische behandeling. Uw beslissing zal ook geen weerslag hebben op de relaties met uw behandelende arts.
- De arts, de Commissie voor Medische Ethiek of de promotor van het programma, Sobi, kunnen ook op eender welk moment uw deelname aan het programma beëindigen, zonder uw toestemming. Mogelijke redenen voor deze beslissing worden hieronder vermeld:
 - U volgt de instructies voor deelname aan het programma niet.
 - Het verderzetten van het programma zou gevaarlijk zijn voor uw gezondheid.
 - Men heeft tijdens het programma vastgesteld dat u niet aan de inclusievoorwaarden voldeed.

Medical Need Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

- U bent zwanger.
 - Het is niet in uw voordeel om de behandeling met Aspaveli® (pegcetacoplan) verder te zetten.
- Uw identiteit en uw deelname aan dit programma zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. De behandelende arts zal uw persoonsgegevens coderen zodat uw identiteit altijd geheim zal blijven. Deze informatie wordt mogelijk ook overgemaakt aan binnen- en/of buitenlandse overheidsinstanties in zowel landen binnen als buiten de Europese Economische Unie, aan de Commissie voor Medische Ethiek en aan andere artsen en/of organisaties die samenwerken met de opdrachtgever. Deze informatie kan eventueel ook overgemaakt worden aan andere vestigingen van de opdrachtgever in België en in andere landen waar de normen betreffende beheer van persoonlijke gegevens minstens gelijk zijn aan de Belgische wetgeving.
Uw medische gegevens worden elektronisch (d.w.z. in de computer) of handmatig verwerkt. Deze gegevens worden beschermd tegen verkeerd gebruik.
 - U hebt het recht aan de behandelende arts te vragen welke gegevens er over u worden verzameld in het kader van het programma en wat de bedoeling ervan is. U hebt ook het recht aan de behandelende arts te vragen om u inzage te verlenen in uw persoonlijke informatie en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen. Je gegevens zullen verwerkt worden in overeenstemming met de Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG) (Ref. [1]) en de Belgische wet over gegevensbescherming van 30 juli 2018 (Ref. [2]).
 - Indien uw deelname aan het programma voortijdig gestopt wordt, zal uw initiële toestemming het gebruik toelaten van uw programmeergegevens met betrekking tot de periode dat u in het programma ingesloten was.
 - Uw **huisarts** zal op de hoogte gebracht worden van uw deelname aan het programma. Tijdens het programma zou het kunnen gebeuren dat uw behandelende arts contact opneemt met uw huisarts om informatie over u uit te wisselen. Deze contacten zijn noodzakelijk om uw gezondheidstoestand zo goed mogelijk te kunnen opvolgen. Indien u dat wil, mag u de correspondentie inkijken.

Welke zijn de plichten van de deelnemers aan dit programma?

Neem contact op met uw arts **voordat** u start met Aspaveli® (pegcetacoplan) om zeker te zijn dat u een vaccinatie krijgt tegen *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* en *Haemophilus influenzae* als u die vaccins nog niet eerder heeft gehad. Ook als u deze vaccins vroeger al heeft gehad, is het mogelijk dat u aanvullende vaccinaties nodig heeft voordat u start met Aspaveli® (pegcetacoplan). Ten minste 2 weken voordat u met de therapie start, moeten deze vaccinaties worden gegeven. Als u niet 2 weken tevoren kunt worden gevaccineerd, zal uw arts antibiotica voorschrijven tot 2 weken nadat u uw vaccinatie heeft gekregen. Dat is om het risico op een infectie te verminderen. Na vaccinatie is het mogelijk dat u nauwlettender wordt gevolgd door uw arts voor klachten van een infectie.

Ook **voordat** u start met Aspaveli® (pegcetacoplan) moet u het melden aan uw arts als u een infectie heeft.

Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts **voordat** u dit geneesmiddel gebruikt.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Gebruik dit geneesmiddel altijd precies zoals uw arts u dat heeft verteld. Twijfelt u over het juiste gebruik? Neem dan contact op met uw arts.

Gebruikt u nog andere geneesmiddelen (met inbegrip van vrij verkrijgbare geneesmiddelen, geneesmiddelen op voorschrift, kruidenmiddelen en voedingssupplementen), heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u er binnenkort gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of apotheker.

Als u een of meerdere klachten van een infectie heeft, moet u onmiddellijk contact opnemen met uw arts.

Zorg dat u de nodige vaccinaties heeft gehad.

Als u wilt stoppen met het geneesmiddel, moet u eerst contact opnemen met uw arts. Als u plots stopt met het geneesmiddel, is het mogelijk dat u het risico loopt dat uw klachten verergeren. Als uw arts beslist uw behandeling met dit geneesmiddel stop te zetten, moet u zijn/haar instructies volgen om ermee te stoppen. Uw arts zal u gedurende ten minste 8 weken **nadat** u bent gestopt met de behandeling, nauwlettend volgen voor tekenen die duiden op de vernietiging van rode bloedcellen door PNH.

De inname van de medische noodmedicatie

De algemene richtlijnen voor inname van Aspaveli® (pegcetacoplan) zijn als volgt:

Gebruik dit geneesmiddel altijd precies zoals uw arts u dat heeft verteld. Twijfelt u over het juiste gebruik? Neem dan contact op met uw arts.

Ten minste 2 weken voordat u start met de behandeling met dit geneesmiddel doorloopt uw arts uw medisch dossier en geeft hij/zij u mogelijk een of meer vaccinaties. Als u niet ten minste 2 weken voordat u start met de behandeling met Aspaveli® (pegcetacoplan) kunt worden gevaccineerd, schrijft uw arts u antibiotica voor tot 2 weken nadat u bent gevaccineerd om het risico op infecties te verminderen.

Infusies thuis moeten worden overwogen voor patiënten die de behandeling goed hebben verdragen in ervaren behandelcentra. De beslissing van een patiënt om infusies thuis te krijgen, moet worden genomen na evaluatie en aanbeveling door de behandelend arts. Infusies thuis moeten door u of een verzorger worden gegeven door de betreffende instructies van een bevoegde beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg te volgen.

Dosis

De aanvankelijke aanbevolen dosering voor volwassenen met PNH is 1 080 mg tweemaal per week als aanvulling op uw huidige dosis C5 remmer, zoals voorgeschreven gedurende 4 weken. U moet de dosis van tweemaal per week toedienen op dag 1 en dag 4 van elke behandelingsweek. Na 4 weken moet u de behandeling met uw C5 remmer stopzetten.

De dosis of het toedieningsinterval mag niet worden gewijzigd zonder uw arts te raadplegen. Het is mogelijk dat uw arts uw dosis aanpast tot 1 080 mg elke derde dag, als hij/zij dat noodzakelijk vindt. Als u denkt dat u een dosis heeft overgeslagen, neem dan zo snel mogelijk contact op met uw arts.

Wijze van gebruik en toedieningsweg

Aspaveli® (pegcetacoplan) is bestemd voor subcutane toediening met een infuuspomp met

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

suitsysteem. Dit wil zeggen dat een naald onder de huid wordt geplaatst en dat het geneesmiddel langzaam met een infuus wordt toegediend.

Als uw arts u instructies heeft gegeven om het middel zelf toe te dienen, zal een beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg u uitleggen hoe u dat moet doen.

Infusiesnelheid (snelheden)

De gebruikelijke infusieduur is ongeveer 30 minuten als u 2 infusieplaatsen gebruikt of ongeveer 60 minuten als u 1 plaats gebruikt. Nadat Aspaveli® (pegcetacoplan) in de spuit is opgetrokken, moet de infusie onmiddellijk worden gestart. U moet de toediening binnen 2 uur na gereedmaken van de spuit voltooien.

Bent u vergeten dit middel te gebruiken?

Als u een dosis bent vergeten, moet u die zo snel mogelijk toedienen. Daarna dient u de volgende dosis op het gebruikelijke, geplande tijdstip toe.

Als u stopt met het gebruik van dit middel

PNH is een aandoening voor het leven. Daarom is de verwachting dat u dit geneesmiddel lange tijd gebruikt. Als u wilt stoppen met het geneesmiddel, moet u eerst contact opnemen met uw arts. Als u plots stopt met het geneesmiddel, is het mogelijk dat u het risico loopt dat uw klachten verergeren.

Als uw arts beslist uw behandeling met dit geneesmiddel stop te zetten, moet u zijn/haar instructies volgen om ermee te stoppen. Uw arts zal u gedurende ten minste 8 weken nadat u bent gestopt met de behandeling, nauwlettend volgen voor tekenen die duiden op de vernietiging van rode bloedcellen door PNH. Klachten of problemen die zich kunnen voordoen door de vernietiging van rode bloedcellen zijn de volgende: vermoeidheid, buiten adem zijn, bloed in de urine, buikpijn, daling van het aantal rode bloedcellen, bloedstolsels (trombose), moeite met slikken, erectiestoornissen bij mannen.

De behandelende arts kan de Medische Adviseur/Directeur van Sobi raadplegen over onderbrekingen of aanpassingen van de dosis.

Indien u vroeger met de behandeling stopt, moet u aan de arts alle Aspaveli® (pegcetacoplan) medicatie die u nog heeft, teruggeven.

Wat zijn de mogelijke risico's en ongemakken van Aspaveli® (pegcetacoplan)?

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

Voorafgaand aan de behandeling zal uw arts de mogelijke bijwerkingen met u bespreken en u uitleggen wat de risico's en voordelen van Aspaveli® (pegcetacoplan) zijn.

Ernstige bijwerkingen

De ernstigste bijwerking was een ernstige infectie.

Omdat het geneesmiddel zich richt op het complementsysteem, dat deel uitmaakt van de afweer van het lichaam tegen infecties, verhoogt het gebruik van Aspaveli® (pegcetacoplan) uw risico op infecties, waaronder infecties die worden veroorzaakt door *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* en *Haemophilus influenzae*. Dat zijn ernstige infecties die de bovenste luchtwegen (uw neus, keel en longen) of de bekleding van de hersenen kunnen

Medical Need Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

FR/NL, v1.1, 31 March 2022.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

aantasten. Ze kunnen zich door het bloed en het hele lichaam heen verspreiden.

Als u een of meerdere van de volgende **symptomen van een infectie** heeft, moet u onmiddellijk contact opnemen met uw arts: hoofdpijn en koorts, koorts en huiduitslag, koorts met of zonder beven of koude rillingen, buiten adem zijn, snelle hartslag, klamme huid, hoofdpijn met een stijve nek of stijve rug, hoofdpijn met misselijkheid of overgeven, ogen die gevoelig zijn voor licht, spierpijn met griepachtige klachten, in de war zijn, heel erge pijn of heel veel ongemak.

Neem contact op met uw arts voordat u start met Aspaveli® (pegcetacoplan) om zeker te zijn dat u een vaccinatie krijgt tegen *Streptococcus pneumoniae*, *Neisseria meningitidis* en *Haemophilus influenzae* als u die vaccins nog niet eerder heeft gehad. Ook als u deze vaccins vroeger al heeft gehad, is het mogelijk dat u aanvullende vaccinaties nodig heeft voordat u start met Aspaveli® (pegcetacoplan). Ten minste 2 weken voordat u met de therapie start, moeten deze vaccinaties worden gegeven. Als u niet 2 weken tevoren kunt worden gevaccineerd, zal uw arts antibiotica voorschrijven tot 2 weken nadat u uw vaccinatie heeft gekregen. Dat is om het risico op een infectie te verminderen. Na vaccinatie is het mogelijk dat u nauwlettender wordt gevolgd door uw arts voor klachten van een infectie.

Zorg dat u de nodige vaccinaties heeft gehad. U moet altijd in gedachten houden dat vaccins het risico op ernstige infecties verminderen, maar niet alle ernstige infecties voorkomen. Volgens de aanbevelingen in uw land is het mogelijk dat uw arts vindt dat u aanvullende maatregelen moet nemen om een infectie te voorkomen.

Vaak en zeer vaak voorkomende bijwerkingen

Zeer vaak voorkomende bijwerkingen, die kunnen voorkomen bij meer dan 1 op de 10 gebruikers zijn reacties op de plaats van de infusie: deze bestaan uit onder andere rode huid (erytheem), uw lichaam houdt te veel vocht vast (oedeem), jeuk (pruritus) en verharding op de plaats van de infusie. Normaal verdwijnen deze bijwerkingen binnen een paar dagen.

Vaak voorkomende bijwerkingen, die kunnen voorkomen bij minder dan 1 op de 10 gebruikers zijn: ernstige infectie, waaronder infectie in het bloed (sepsis), infecties van de longen, koortsblaasjes (orale herpes), vernietiging van rode bloedcellen (hemolyse), te weinig bloedplaatjes (trombocytopenie), te veel calcium in het bloed (hypercalciëmie), rusteloosheid, hoofdpijn, duizeligheid, diarree, veel scheten laten, misselijkheid, huiduitslag, vermoeidheid, koorts.

Als u twijfelt wat de bijwerkingen hieronder inhouden, moet u uw arts vragen om ze uit te leggen.

Wat zijn de mogelijke voordelen van mijn deelname?

Indien u toestemt om aan dit programma deel te nemen kan de behandeling met Aspaveli® (pegcetacoplan) al dan niet nuttig zijn voor de behandeling van uw ziekte.

Andere medicatie en Aspaveli® (pegcetacoplan)

Gebruikt u nog andere geneesmiddelen (met inbegrip van vrij verkrijgbare geneesmiddelen, geneesmiddelen op voorschrift, kruidenmiddelen en voedingssupplementen), heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u er binnenkort gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of apotheker.

Wie kan niet deelnemen aan dit programma?

Medical Need Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Wanneer mag u Aspaveli® (pegcetacoplan) niet gebruiken?

- U bent allergisch voor pegcetacoplan of een andere stof in dit geneesmiddel (sorbitol (E 420), ijsazijnzuur, natriumacetaatrihydraat, natriumhydroxide en water voor injectie).
- U heeft een ernstige infectie die is veroorzaakt door ingekapselde bacteriën, waaronder *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* en *Haemophilus influenzae*, en die niet kon worden genezen (Zie hierboven 'Symptomen van een infectie').
- U bent niet gevaccineerd tegen *Neisseria meningitidis*, *Streptococcus pneumoniae* en *Haemophilus influenzae*, tenzij u tot 2 weken na de vaccinatie geschikte antibiotica krijgt.

Kinderen en jongeren

U mag dit geneesmiddel niet geven aan kinderen jonger dan 18 jaar, omdat er geen gegevens beschikbaar zijn over de veiligheid en werkzaamheid bij deze groep.

Zwangerschap/borstvoeding

Aspaveli® (pegcetacoplan) wordt niet aanbevolen voor gebruik tijdens de zwangerschap en in de periode dat borstvoeding wordt gegeven. Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts voordat u dit geneesmiddel gebruikt.

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Toestemmingsformulier

Medisch noodprogramma met Aspaveli® (pegcetacoplan) voor volwassen patiënten met paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) die anemisch zijn na behandeling met een C5 remmer gedurende ten minste 3 maanden.

Verklaring van de patiënt of van zijn wettelijke vertegenwoordiger:

Hierbij bevestig ik, ondergetekende, dat ik over het medisch noodprogramma ben ingelicht en een kopie van de "Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier" ontvangen heb.

Ik heb de informatie gelezen en begrepen en heb voldoende tijd gehad om mijn deelname te overwegen en eventuele vragen te stellen.

Mijn arts heeft mij voldoende informatie gegeven met betrekking tot de voorwaarden en de duur van het programma, én het effect en de bijwerkingen van deze behandeling.

- Ik weet dat mijn deelname aan dit programma volledig vrijwillig is, en dat ik mij op elk ogenblik uit het programma kan terugtrekken nadat ik mijn arts hierover heb ingelicht, zonder dat dit mij enig nadeel kan berokkenen.
- Ik geef toestemming aan de verantwoordelijken van de opdrachtgever en aan regulerende overheden om inzage te hebben in mijn patiëntendossier. Mijn medische gegevens zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. Ik ben op de hoogte van het doel waarvoor deze gegevens verzameld, verwerkt en gebruikt worden in het kader van dit programma.
- Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze medische gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gegevens in andere landen dan België.
- Ik stem geheel vrijwillig toe om deel te nemen aan dit programma. Ik ben bereid informatie te verstrekken i.v.m. mijn medische voorgeschiedenis, mijn geneesmiddelengebruik en eventuele deelname aan andere studies.
- Ik ga akkoord dat mijn huisarts en andere gezondheidsmedewerkers die betrokken zijn bij mijn behandeling op de hoogte worden gebracht van mijn deelname aan dit programma.
- Ik ga akkoord/ik ga niet akkoord (***schrapen wat niet past***) met het gebruik door de opdrachtgever van deze gecodeerde medische gegevens voor andere onderzoeksdoeleinden op voorwaarde van een nieuwe goedkeuring door de Commissie voor Medische Ethiek.

Naam en voornaam van de patiënt
(in hoofdletters)

Datum (dag/maand/jaar)

Handtekening

Medical Program Program with Aspaveli® (pegcetacoplan) for adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who are anaemic despite treatment with a C5 inhibitor for at least 3 months.

Wettelijke vertegenwoordiger

**Naam en voornaam van de 1^{ste}
 wettelijke vertegenwoordiger**
 (in hoofdletters)

Datum (dag/maand/jaar)

Handtekening

**Naam en voornaam van de 2^{de}
 wettelijke vertegenwoordiger**
 (in hoofdletters)

Datum (dag/maand/jaar)

Handtekening

Naam van de persoon die u vertegenwoordigt: _____

Relatie met de person die u vertegenwoordigt: _____

Verklaring van de arts:

Ik, ondergetekende, bevestig hierbij dat ik mondeling de nodige informatie heb gegeven over dit programma, dat ik een kopie heb gegeven van het informatie- en toestemmingsformulier dat door de verschillende partijen werd getekend, dat ik bereid ben om zo nodig alle aanvullende vragen te beantwoorden en dat ik geen druk op de patiënt heb uitgeoefend om aan dit programma deel te nemen.

Naam
 (in hoofdletters)

Datum (dag/maand/jaar)

Handtekening

Referenties:

[1] Algemene Verordening Gegevensbescherming nr. 2016/679 van het Europees Parlement en van de Raad van 27 april 2016 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van Richtlijn 95/46/EG.

[2] Belgische wet van 30 juli 2018 betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens.