

Titre du programme:	Programme médical d'urgence avec le ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (PHPN) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte ALXN1210-PNH-301 ou ALXN1210-PNH-303
Responsable du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Bruxelles
Comité d'éthique	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur
Médecin traitant	<i>Nom:</i> .....  <i>Adresse du centre hospitalier:</i> ..... ..... ..... <i>Coordonnées:</i> ..... <i>Contact en cas d'urgence:</i> ..... <i>Coordonnées en cas de question relative au programme:</i> ..... <i>Coordonnées du Responsable/Service de Protection des Données de l'hôpital:</i> .....

Ce document comporte trois parties : (I) les informations nécessaires dont vous avez besoin pour prendre votre décision, votre consentement éclairé (II) et (III) les informations complémentaires.

**I. Les informations nécessaires à votre décision de participer au programme médical d'urgence ravulizumab (Ultomiris®)**

**INTRODUCTION**

Votre médecin estime que vous devriez continuer à bénéficier du Ravulizumab (Ultomiris) pour le traitement votre hémoglobinurie paroxystique nocturne (PNH) dans le cadre d'un Programme Médical d'Urgence. En effet, l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) a autorisé la mise sur le marché dans cette indication en juillet 2019 mais le médicament n'est pas encore remboursé en Belgique. Ce programme a donc pour but de mettre Ravulizumab (Ultomiris) à la disposition de patients qui comme vous, ont participé à l'étude d'extension en ouvert avec Ultomiris® et qui continuent à tirer bénéfice de leur traitement.

Avant de vous décider de participer à ce « programme médical d'urgence » (ci-après dénommé « programme »), nous voulons vous donner quelques précisions sur ce que cela signifie sur le plan organisationnel, les avantages éventuels et les risques. De cette façon, vous pouvez prendre une décision en fonction d'informations complètes. C'est ce qu'on appelle le "consentement éclairé".

Nous vous demandons de lire attentivement les pages suivantes et de discuter de toute question avec votre médecin ou son représentant. Vous pouvez prendre votre temps et en discuter avec votre médecin, vos amis et votre famille avant de prendre votre décision.

**SI VOUS PARTICIPEZ A CE PROGRAMME, VOUS DEVEZ PRENDRE CONNAISSANCE DE CE QUI SUIT:**

- Ce programme a été évalué et approuvé par un comité d'éthique indépendant et par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de la Santé (AFMPS), ainsi que par le comité GATM (Global Access to Medical Product) d'Alexion (comité interne à Alexion qui évalue de tel programme)
- Votre participation est volontaire et doit rester libre de toute contrainte. Elle nécessite la signature d'un document exprimant votre consentement. Même après l'avoir signé, vous pouvez arrêter de participer au

programme en informant le médecin. Votre décision de ne pas ou de ne plus participer au programme n'aura aucun impact sur la qualité de vos soins ni sur vos relations avec le médecin.

- Les données récoltées dans le cadre de votre participation à ce programme seront traitées de manière strictement confidentielle par votre médecin. Alexion ne recueillera en aucun cas des données qui permettent de vous identifier.
- Vous pouvez toujours contacter le médecin ou un membre de son équipe si vous avez besoin d'informations complémentaires.
- La firme Alexion fournira gratuitement le Ravulizumab (Ultomiris), jusqu'à ce qu'il soit remboursé en Belgique pour le traitement de de l'HPN - ou jusqu'à ce que votre médecin décide d'arrêter votre traitement par ravulizumab ou jusqu'à ce que ce programme soit arrêté.

### **OBJECTIF ET DESCRIPTION DU PROGRAMME**

L'objectif d'un programme médical d'urgence est la mise à disposition d'un médicament qui n'est pas encore disponible sur le marché pour traiter une maladie chronique ou grave et pour qui les traitements actuellement disponibles ne sont pas suffisants.

L'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) est une maladie rare dans laquelle le système du complément est hyperactif et attaque les propres globules rouges du patient, ce qui peut entraîner une anémie (un faible nombre de cellules sanguines), de la fatigue, des difficultés à fonctionner, des douleurs, des douleurs abdominales, des urines foncées, un essoufflement, des difficultés à avaler, des dysfonctionnements érectiles et des caillots sanguins. Le ravulizumab (Ultomiris®) est utilisé pour traiter les patients adultes et les enfants pesant 10 kg et plus qui souffrent d'HPN, y compris les patients qui n'ont pas encore été traités par un inhibiteur du complément et les patients qui ont été traités par l'éculizumab pendant au moins les 6 derniers mois..

Votre médecin vous propose de participer à ce programme médical d'urgence car il estime que vous devriez continuer à bénéficier d'un traitement par Ravulizumab (Ultomiris) pour traiter votre HPN.

### **Information concernant le produit**

Ultomiris® contient la substance active ravulizumab. Il appartient à un groupe de médicaments appelés inhibiteurs du complément. Comme le ravulizumab se lie à la protéine du complément C5 et bloque son action, ce médicament peut empêcher les protéines du complément d'attaquer les globules rouges, ce qui permet de contrôler les symptômes de la maladie.

### **Déroulement du programme**

Afin de pouvoir participer à ce programme, vous devrez répondre à certaines exigences qui seront examinées par votre médecin traitant. Si vous remplissez tous les critères, et que vous avez signé le consentement éclairé, vous recevrez Ravulizumab (Ultomiris) gratuitement, dans le cadre du programme médical d'urgence, aussi longtemps que votre médecin traitant est d'avis que ce traitement vous est bénéfique, ou jusqu'au moment de la décision de remboursement.

Dans le cadre de votre participation à ce programme médical d'urgence, vous serez suivi de près par votre médecin et le personnel médical. L'initiation et l'exécution du traitement sont entièrement sous la responsabilité de votre médecin traitant.

Si vous acceptez de participer à ce programme, vous recevrez une posologie recommandée d'Ultomiris pendant la phase d'entretien est basée sur le poids et administrée par perfusion intraveineuse toutes les 8 semaines :

- $\geq 40$  kg to  $< 60$  kg: 3000 mg, minimum 55 min durée de perfusion
- $\geq 60$  kg to  $< 100$  kg: 3300 mg, minimum 40 min durée de perfusion
- $\geq 100$  kg: 3600 mg, minimum 30 min durée de perfusion

### **Participation volontaire et retrait de consentement**

Votre décision de suivre ce traitement est entièrement volontaire. Même si vous décidez de commencer ce traitement, vous êtes libres de l'arrêter à n'importe quel moment, sans avoir à vous justifier. Votre décision d'arrêter le traitement est appelée « retrait de consentement ». Veuillez discuter de cette décision avec votre médecin. La décision d'arrêter ce traitement n'affectera en rien votre relation avec votre médecin.

### **Arrêt du traitement et interruption du programme**

Vous pouvez continuer le traitement avec Ravulizumab (Ultomiris) en prenant part à ce programme aussi longtemps que votre médecin pense que vous en bénéficiez. Cependant, votre médecin, le comité d'éthique médical, l'AFMPS ou le responsable du programme peuvent à tout moment arrêter votre participation au programme, sans vous en demander l'autorisation. Cette décision peut faire suite à une mauvaise réaction ou

intolérance à Ultomiris® ou à l'obtention de nouvelles données relatives à l'efficacité ou à la sécurité de l'Ultomiris® ou après obtention du remboursement. 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 Alexion. En cas de rejet de la demande de remboursement, ce programme sera arrêté. Alexion peut décider à tout moment de mettre fin à ce programme.

Dans tous les cas, le programme sera arrêté lorsque l'Ultomiris® sera remboursé en Belgique pour le traitement de l'HPN.

### **Description des risques**

Comme tous les médicaments, le traitement que vous allez recevoir dans le cadre de ce programme peut aussi provoquer des effets indésirables (également appelés « effets secondaires »). Votre médecin discutera avec vous des éventuels effets indésirables et vous expliquera les risques et bénéfices de Ultomiris® avant le début de votre traitement.

### **Avertissements et précautions**

Adressez-vous à votre médecin avant de recevoir Ultomiris.

### **Symptômes des infections à méningocoque et d'autres infections à *Neisseria***

Le médicament inhibe le système du complément qui fait partie du système de défense de l'organisme contre les infections. Le traitement par Ultomiris augmente donc votre risque de développer une infection à méningocoque causée par *Neisseria meningitidis*. Les infections à *Neisseria meningitidis* sont des infections sévères qui touchent les membranes qui enveloppent le cerveau et qui peuvent se propager dans le sang et l'organisme (septicémie).

Consultez votre médecin avant de commencer le traitement par Ultomiris afin de vous assurer de recevoir une vaccination contre *Neisseria meningitidis* au moins deux semaines avant de commencer le traitement. Si vous ne pouvez pas être vacciné(e) deux semaines avant le début du traitement, votre médecin prescrira des antibiotiques à prendre pendant deux semaines après la vaccination afin de réduire le risque d'infection. Assurez-vous que votre vaccination antiméningococcique est à jour. Vous devez également être conscient(e) du fait que la vaccination peut ne pas toujours empêcher ce type d'infection. Conformément aux recommandations nationales, votre médecin peut estimer que des mesures supplémentaires sont nécessaires pour prévenir l'infection.

### **Symptômes de l'infection à méningocoque**

Étant donné l'importance d'identifier et de traiter rapidement l'infection à méningocoque chez les patients qui reçoivent Ultomiris, vous devrez conserver sur vous une « Carte patient » qui vous sera remise et qui comportera la liste des signes et symptômes spécifiques de l'infection/de la septicémie à méningocoque.

Si vous présentez l'un des symptômes suivants, vous devez immédiatement avertir votre médecin :

- céphalées (maux de tête) accompagnées de nausées ou de vomissements,
- céphalées (maux de tête) et fièvre,
- céphalées (maux de tête) accompagnées de raideur de la nuque ou du dos,
- fièvre,
- fièvre et éruption cutanée,
- confusion,
- douleurs musculaires sévères associées à des symptômes pseudo-grippaux,
- sensibilité à la lumière.

### **Traitement de l'infection à méningocoque pendant un voyage**

Si vous voyagez dans une région où vous ne pouvez pas contacter votre médecin ou dans laquelle vous serez momentanément dans l'incapacité de recevoir un traitement médical, votre médecin peut vous prescrire un antibiotique contre *Neisseria meningitidis* que vous emporterez. Si vous présentez l'un des symptômes décrits ci-dessus, vous devez prendre le traitement antibiotique comme il a été prescrit. Vous devez garder à l'esprit qu'il est néanmoins nécessaire de consulter un médecin dès que possible, même si vous vous sentez mieux après avoir pris l'antibiotique.

### **Infections**

Avant de commencer le traitement par Ultomiris, indiquez à votre médecin si vous présentez une quelconque infection.

### **Réactions à la perfusion**

Lors de l'administration d'Ultomiris, vous pouvez présenter des réactions à la perfusion (goutte-à-goutte) telles que céphalées (maux de tête), douleurs lombaires et douleur liée à la perfusion. Certains patients peuvent présenter des réactions allergiques ou d'hypersensibilité (y compris une anaphylaxie, une réaction allergique grave provoquant des difficultés pour respirer ou des sensations vertigineuses).

### **Enfants et adolescents**

Les patients âgés de moins de 18 ans doivent être vaccinés contre *Haemophilus influenzae* et les infections à pneumocoque.

### **Autres médicaments et Ultomiris**

Informez votre médecin ou pharmacien si vous utilisez, avez récemment utilisé ou pourriez utiliser tout autre médicament.

### **Grossesse, allaitement et fertilité**

#### Femmes en âge de procréer

Les effets du médicament sur l'enfant à naître ne sont pas connus. Par conséquent, les femmes en âge de procréer doivent utiliser une contraception efficace pendant le traitement et jusqu'à 8 mois après la fin du traitement.

#### Grossesse/Allaitement

Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez conseil à votre médecin ou pharmacien avant de prendre ce médicament.

Ultomiris n'est pas recommandé pendant la grossesse et chez les femmes en âge de procréer n'utilisant pas de contraception.

### **Conduite de véhicules et utilisation de machines**

Ce médicament n'a aucun effet ou un effet négligeable sur l'aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des machines.

### **Ultomiris contient du sodium**

Après dilution avec une solution injectable de chlorure de sodium à 9 mg/ml (0,9 %), ce médicament contient 0,18 g de sodium (composant principal du sel de cuisine/table) par 72 mL à la dose maximale. Cela équivaut à 9,1 % de l'apport alimentaire quotidien maximal recommandé de sodium pour un adulte.

Vous devez en tenir compte si vous contrôlez votre apport alimentaire en sodium.

### **Liste des effets indésirables**

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

Votre médecin discutera avec vous des éventuels effets indésirables et vous expliquera les risques et bénéfices d'Ultomiris avant le début de votre traitement.

L'effet indésirable le plus grave est l'infection/la septicémie à méningocoque.

Si vous présentez un des symptômes d'infection à méningocoque (voir Symptômes de l'infection à méningocoque), vous devez contacter immédiatement votre médecin traitant.

Si vous n'êtes pas sûr(e) de ce que signifient les effets indésirables mentionnés ci-dessous, demandez à votre médecin de vous les expliquer.

#### **Effets indésirables très fréquents** (peuvent affecter plus d'1 patient sur 10) :

- céphalées (maux de tête),
- nausées, diarrhée,
- infection des voies respiratoires supérieures,
- rhume (rhinopharyngite),
- fièvre (pyrexie), sensation de fatigue (fatigue).

#### **Effets indésirables fréquents** (peuvent affecter jusqu'à 1 patient sur 10) :

- sensations vertigineuses,
- douleurs abdominales, vomissements, gêne gastrique après les repas (dyspepsie),
- éruption cutanée, démangeaisons (prurit),
- dorsalgie (douleur dans le dos), douleurs articulaires (arthralgie), douleurs musculaires (myalgie) et contractures musculaires,
- syndrome pseudo-grippal, sensation de fatigue (asthénie),
- Réaction à la perfusion.

**Effets indésirables peu fréquents** (peuvent affecter jusqu'à 1 patient sur 100) :

- infection à méningocoque,
- frissons,
- réaction allergique grave provoquant des difficultés pour respirer ou des sensations vertigineuses (réaction anaphylactique), hypersensibilité,
- urticaire.

**Que se passe-t-il si de nouvelles informations deviennent disponibles ?**

Dans certains cas, de nouvelles informations sur le médicament que vous recevez peuvent devenir disponibles. Si cela arrive, votre médecin vous en informera et vous parlera de votre volonté à continuer le traitement..

- Au cas où vous décideriez de continuer le traitement, on vous demandera de signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement.
- Si vous décidez d'arrêter le traitement, votre médecin s'assurera que vous continuez à être traité de la meilleure manière possible, et cela n'aura aucune influence sur votre relation avec votre médecin.

De plus, votre médecin peut déterminer, sur base de ces nouvelles informations, s'il est dans votre intérêt de stopper le traitement. Si cela arrive, il/elle vous en expliquera les raisons et s'assurera également que vous continuez à être traité de la meilleure manière possible.

Si de nouvelles informations voient le jour, Alexion, les autorités compétentes ou le comité d'éthique peuvent également décider d'interrompre ce programme médical d'urgence.

**Coûts associés à votre participation**

Alexion fournira l'Ultomiris® gratuitement pendant toute la durée de ce programme médical d'urgence. Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s'avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.

Vous ne recevrez aucune compensation financière pour votre participation à ce programme.

**Évaluation par un comité d'éthique**

Ce programme a été évalué par un comité d'éthique indépendant et par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de la Santé (AFMPS). Ces deux évaluations ont été effectuées pour s'assurer que les personnes participant à ce programme sont protégées contre tout préjudice.

En aucun cas vous ne devez prendre l'évaluation du comité d'éthique et l'avis favorable de l'AFMPS comme une incitation à participer à ce programme médical d'urgence.

**Contact**

Si vous avez besoin d'informations complémentaires, mais aussi en cas de problèmes ou si vous êtes inquiet, vous pouvez contacter votre médecin traitant. Les coordonnées se trouvent à la page 1 du présent formulaire de consentement.

En dehors des heures de consultation, vous devez vous présenter aux urgences de votre hôpital et mentionner que vous participez à ce programme. Votre dossier contiendra des informations utiles pour le médecin de garde concernant le programme.

Titre du programme:	Programme médical d'urgence avec le ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte ALXN1210-PNH-301 ou ALXN1210-PNH-303
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Bruxelles
Comité d'éthique	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

## II. Consentement éclairé

### **Partie réservée pour le patient :**

Par la présente, je soussigné (nom et prénom) \_\_\_\_\_

- ✓ Que je suis informé sur le programme de besoin médical avec ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement des patients atteints de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN).
- ✓ Je déclare que je suis informé de la nature, but, durée, avantages et risques du programme et que je sais ce que l'on attend de moi. J'ai pris note de la notice d'information (*partie I du présent document*) et les informations complémentaires (*partie III du présent document*)
- ✓ J'ai eu assez de temps pour réfléchir et parler à une personne que j'ai choisi, comme mon médecin de famille ou un membre de ma famille.
- ✓ J'ai pu poser toutes les questions qui me venaient à l'esprit et j'ai reçu une réponse claire à mes questions.
- ✓ Je comprends que ma participation à ce programme est volontaire et que je suis libre d'arrêter de participer à ce programme sans nuire à la relation avec l'équipe médicale.
- ✓ Je comprends que les informations me concernant seront recueillies lors de ma participation à ce programme et que le médecin et le sponsor garantissent la confidentialité de ces informations en accord avec la législation belge et européenne sur le sujet.
- ✓ J'accepte le traitement de ces données à caractère personnel conformément aux modalités décrites dans la section sur la protection de la confidentialité (*partie III du présent document*). J'autorise également le transfert et le traitement de ces données cryptées dans des pays autres que la Belgique.
- ✓ Je conviens que le médecin et les autres spécialistes responsables de ma santé seront informés de ma participation à ce programme
- ✓ J'ai reçu une copie de ce document (Parties I, II et III).

En signant

J'accepte de participer à ce programme décrit dans ce document d'information et dans ce consentement  
J'accepte le traitement de mes données dans le cadre de ce programme, comme indiqué dans la partie III

\_\_\_\_\_ Signature du patient

\_\_\_\_\_ Date de la signature

**Partie réservée au médecin :**

Je soussigné, \_\_\_\_\_ (nom et prénom)  
\_\_\_\_\_ (Numéro INAMI) confirme par la présente  
avoir fourni oralement à mon patient (nom du patient (e) dans son intégralité)

\_\_\_\_\_ les informations nécessaires sur ce programme d'usage compassionnel, lui 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.

Signature du médecin: \_\_\_\_\_ Date: \_\_\_\_\_

**Partie réservée pour le témoin/interprète (si applicable)**

Je soussigné, \_\_\_\_\_ (nom et prénom) ayant la qualification \_\_\_\_\_ confirme que durant tout le processus d'information auprès du patient (nom & prénom) \_\_\_\_\_ J'étais présent et je confirme que les informations sur les objectifs et les procédures du programme ont été fournies de manière adéquate, que le patient a vraisemblablement compris le programme et que l'autorisation de participer au programme a été donnée librement.

Signature du *témoin/interprète* : \_\_\_\_\_ Date: \_\_\_\_\_

Titre du programme:	Programme médical d'urgence avec le ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement de l'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte ALXN1210-PNH-301 ou ALXN1210-PNH-303
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Bruxelles
Comité d'éthique	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

### III. Information Complémentaires

#### Informations complémentaires sur la protection et les droits des parties d'un programme d'urgence médical

##### Comité d'éthique

Ce programme a été évalué par un comité d'éthique indépendant, le comité d'éthique de l'Université de Leuven (UZ Leuven) qui a émis un avis favorable. Le comité d'éthique a pour tâche de protéger les personnes participant aux programmes. Ils vérifient si vos droits en tant que patient et participant à un programme sont respectés ou, selon les connaissances actuelles, que l'équilibre entre risques et avantages est bénéfique pour les participants, que le programme soit scientifiquement pertinent et éthiquement justifié.

En aucun cas, vous ne devriez considérer l'opinion positive du Comité d'éthique comme une incitation à participer à ce programme.

##### Participation volontaire

N'hésitez pas à poser des questions avant de signer. Prenez le temps d'en parler avec une personne de confiance si vous le souhaitez.

Votre participation à ce programme est volontaire et il ne peut y avoir aucune contrainte de quelque manière que ce soit. Cela signifie que vous avez le droit de ne pas participer à ce programme ou d'arrêter ce programme sans donner de raison, même si vous avez déjà accepté de participer à ce programme. Votre décision n'affectera en aucun cas votre relation avec votre médecin, ni la qualité de vos soins ultérieurs.

Pour votre sécurité, il est recommandé d'informer votre médecin si vous décidez de ne plus participer à ce programme.

Si vous acceptez de participer à ce programme, vous devez signer le formulaire de consentement.

Votre médecin signera également ce formulaire et confirmera qu'il vous a fourni les informations nécessaires sur ce programme. Vous recevrez la copie qui vous est destinée.

##### Frais liés à votre participation

Alexion met gratuitement à disposition ravulizumab (Ultomiris®) tant que vous participez à ce programme.

Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s'avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.

Vous ne recevrez aucune compensation financière pour votre participation à ce programme.

##### Garantie de confidentialité

Pour la bonne exécution de ce programme, il est nécessaire de partager certaines de vos données médicales avec d'autres personnes que le médecin prescripteur. Ce formulaire de consentement décrit de quelle manière vos données médicales personnelles seront utilisées et à qui elles seront communiquées.

Votre identité et votre participation à ce programme seront traitées de manière strictement confidentielle. Vous ne serez identifié ni par votre nom ni d'une autre manière reconnaissable dans les dossiers relatifs à ce programme. Votre médecin codera vos données personnelles afin de garantir leur confidentialité.

Vous avez le droit de demander au médecin quelles données vous concernant sont collectées dans le cadre de ce programme et dans quel but. Vous avez également le droit de demander au médecin prescripteur de consulter vos informations personnelles et de les corriger, si nécessaire.

Le médecin et son équipe sont obligés de traiter les informations récoltées de façon confidentielle. Cela signifie qu'il/elle s'engage à ne jamais divulguer votre nom aux représentants du responsable de ce programme (votre identité sera remplacée par un code d'identification avant qu'il/elle les transmettent aux représentants du responsable de ce programme).



Les données que votre médecin transmettra aux délégués du responsable du programme ne contiennent ni le nom ni l'adresse ni toute autre information qui peut directement vous identifier.

Vos données de santé personnelles seront conservées dans des bases de données dont l'accès sera limité. L'accès à l'ensemble des informations est limité et permis uniquement aux conditions décrites dans ce document. Des mesures sont prises pour réduire le risque que vos données de santé personnelles soient utilisées à mauvais escient ou consultées par des personnes non autorisées. Ce risque ne peut toutefois pas être éliminé. Pour le gestionnaire des données désigné par le responsable du programme, les données transmises ne permettent pas de vous identifier.

Le responsable du programme est responsable de la collecte des données recueillies par tous les médecins participant à ce programme, de leur traitement et de leur protection en conformité avec les impératifs de la loi belge relative à la protection de la vie privée du 30 juillet 2018 et le Règlement Général sur la Protection des Données (2016/679).

Dans le cadre de ce programme, votre médecin fournira les données codées suivantes à Alexion :

- Les données médicales importantes pour vos antécédents médicaux : sexe, année de naissance et date du diagnostic de l'HPN.
- Données sur l'évolution de votre maladie et ses traitements
- Des données sur les effets secondaires que vous pouvez rencontrer au cours du traitement de votre maladie, pendant le programme.

Les données codées pourront être transmises aux autorités réglementaires belges ou autres, aux Comités d'Éthique concernés, à d'autres médecins et/ou à des organismes ou partenaires commerciaux travaillant en collaboration avec le responsable du programme. Ces personnes sont aussi soumises au secret professionnel ou en tout état de cause, cet examen de votre dossier médical ne peut avoir lieu que sous la responsabilité du médecin prescripteur et sous la supervision d'un collaborateur qu'il/elle aura désigné. Les données peuvent aussi être transmises dans d'autres pays où les normes en matière de protection des données personnelles peuvent être différentes ou moins contraignantes.

Le responsable du programme s'engage alors à respecter les contraintes du Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD) et de la législation belge en matière de protection de la vie privée. Si vous avez des questions sur l'utilisation ou le traitement de vos informations ou si vous souhaitez exercer les droits tels que cités ci-dessus, veuillez contacter le Data Privacy Officer (responsable de protection des données) de l'hôpital (via les coordonnées indiquées sur la première page de ce document). Cette personne pourra ensuite, si nécessaire, prendre contact avec le responsable de ce programme. Outre les droits susmentionnés, vous avez également le droit d'introduire une plainte auprès de l'autorité de protection des données compétente à l'adresse suivante : Autorité de protection des données (APD) Rue de la presse 35 1000 Bruxelles E-mail : [contact@apd-gba.be](mailto:contact@apd-gba.be) Site web: <https://www.autoriteprotectiondonnees.be> Si vous retirez votre consentement à participer au programme, les données codées jusqu'au moment de votre interruption seront utilisées. Aucune nouvelle donnée ne pourra être transmise au responsable du programme, sauf si cela s'avère nécessaire pour préserver l'intégrité du programme.

Enfin, vous avez également le droit d'introduire une plainte sur la manière dont vos informations sont traitées. Vous pouvez le faire auprès de l'instance belge de contrôle qui est responsable du respect de la législation relative à la protection des données :

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](mailto:contact@apd-gba.be)  
Site web : [www.autoriteprotectiondonnees.be](http://www.autoriteprotectiondonnees.be)

Titel van het programma:	Medisch noodprogramma met ravulizumab (Ultomiris®) voor de behandeling van paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) bij patiënten die deelgenomen hebben aan een Open Label Extension studie (ALXN1210-PNH-301 of ALXN1210-PNH-303)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur
Behandelende arts	Naam:..... Adres van het ziekenhuis:..... ..... ..... Contactnummer: ..... Noodnummer: ..... Contactnummer in geval van vragen in verband met dit programma: ..... Contactgegevens verantwoordelijke/dienst voor gegevensbescherming van het ziekenhuis: ..... .....

Dit document bestaat uit 3 delen: de noodzakelijke informatie (I) die u nodig heeft voor het nemen van uw beslissing, uw schriftelijke geïnformeerde toestemming (II) en aanvullende informatie (III).

**I. Noodzakelijke informatie voor uw beslissing om deel te nemen aan het medisch noodprogramma ravulizumab (Ultomiris®).**

**Inleiding**

Uw arts stelt u als behandeling voor de ziekte paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) een blijvende behandeling voor met ravulizumab (Ultomiris®). Het European Medical Agency (EMA) heeft de goedkeuring verleend tot het op de markt brengen van ravulizumab (Ultomiris®) in de bovenvermelde indicatie in juli 2019. Dit geneesmiddel is echter op heden niet terugbetaald in België.

Deze behandeling kadert in een Medisch Noodprogramma dat tot doel heeft om ravulizumab (Ultomiris®) beschikbaar te maken voor patiënten die zoals uzelf, hebben deelgenomen aan klinische studie met ravulizumab (Ultomiris®) en baat blijven hebben bij hun behandeling waarvoor er geen andere afdoende behandeling beschikbaar is en die, in de opinie en klinische beoordeling van de behandelende arts, baat zouden hebben bij een behandeling met dit geneesmiddel.

Voordat u beslist of u zal deelnemen aan dit “medisch noodprogramma” (verder programma genoemd) willen we u wat meer informatie geven over wat dit betekent op organisatorisch vlak en wat de eventuele voordelen en risico's zijn. Zo kunt u een beslissing nemen op basis van de juiste informatie. Dit wordt "geïnformeerde toestemming" genoemd.

Wij vragen u de volgende pagina's met informatie aandachtig te lezen en eventuele vragen te bespreken met uw arts of zijn of haar vertegenwoordiger. U mag uw tijd nemen om uw beslissing te nemen en u mag het bespreken met uw arts, vrienden en familie voordat u uw beslissing neemt.

**Als u aan dit programma deelneemt, dient u het volgende te weten:**

- Dit programma wordt uitgevoerd na evaluatie en goedkeuring door een ethisch comité en het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) alsook het - Global Access to Medical Product (GATM) comité van Alexion (een intern comité bij de opdrachtgever die interne programma's zoals deze evalueert).
- Uw beslissing over het al dan niet deelnemen aan dit programma is geheel vrijwillig. Voor deelname is uw ondertekende toestemming nodig. Ook nadat u hebt getekend, kan u de arts laten weten dat u uw

deelname wilt stopzetten. De beslissing om al dan niet (verder) deel te nemen zal geen enkele negatieve invloed hebben op de kwaliteit van de zorgen noch op uw relatie met de arts.

- De gegevens die in het kader van uw deelname worden verzameld, zullen op strikt vertrouwelijke wijze behandeld worden door uw arts. In geen geval zal Alexion gegevens ontvangen die het toelaten u te identificeren.
- Indien u extra informatie wenst, kan u altijd contact opnemen met de arts of een medewerker van zijn/haar team.
- In het kader van dit medisch noodprogramma zal ravulizumab (Ultomiris®) gratis geleverd worden door Alexion tot het terugbetaald wordt in België voor de behandeling van paroxysmale nachtelijke hemoglobulinurie - of totdat uw arts beslist om uw behandeling met ravulizumab te stoppen, of totdat dit programma stopgezet wordt.

## Doelstelling en beschrijving van het programma

Het doel van een medisch noodprogramma is een geneesmiddel dat nog niet beschikbaar is op de markt om een specifieke ziekte te behandelen, beschikbaar te maken voor één of meer patiënten die lijden aan een chronische of ernstige ziekte en die onvoldoende kunnen behandeld worden met de huidige beschikbare behandelingsopties. Paroxysmale nachtelijke hemoglobulinurie (PNH) is een zeldzame ziekte waarbij het complementsysteem overactief is en de eigen rode bloedcellen aanvalt, wat kan leiden tot bloedarmoede (ook wel 'anemie' genoemd; een laag aantal bloedcellen), vermoeidheid, moeite met functioneren, pijn, buikpijn, donkere urine, kortademigheid, moeite met slikken, erectiestoornissen en bloedstolsels. Ravulizumab (Ultomiris®) wordt gebruikt voor de behandeling van volwassen patiënten en kinderen met een gewicht van 10 kg en meer, die leiden aan PNH, onder wie patiënten die nog niet behandeld zijn met een complementremmer en patiënten die gedurende ten minste de afgelopen 6 maanden behandeld zijn met eculizumab. Doordat ravulizumab bindt aan het complementeiwit C5 en de werking daarvan blokkeert, kan dit geneesmiddel ervoor zorgen dat complementeiwitten geen rode bloedcellen meer aanvallen en zo de verschijnselen van de ziekte onder controle houden.

Uw arts heeft u gevraagd om deel te nemen aan een medisch noodprogramma omdat u paroxysmale nachtelijke hemoglobulinurie (PNH) heeft en baat zou hebben bij een verdere behandeling met ravulizumab (Ultomiris®).

## Informatie over het geneesmiddel

Ultomiris® bevat de werkzame stof ravulizumab. Het behoort tot de groep geneesmiddelen die monoklonale antilichamen worden genoemd, die zich binden aan een specifiek doelwit in het lichaam. Ravulizumab is ontworpen om zich te binden aan complementeiwit C5; dat is een onderdeel van het afweersysteem van het lichaam dat wordt aangeduid als het 'complementsysteem'.

## Verloop van het programma

Om aan dit programma te kunnen deelnemen, zal u moeten voldoen aan een aantal voorwaarden die uw behandelende arts zal nakijken. Indien u voldoet aan alle voorwaarden en u de geïnformeerde toestemming ondertekend heeft, zal het geneesmiddel ravulizumab (Ultomiris®) voorzien worden door Alexion.

Tijdens uw deelname aan dit medisch noodprogramma wordt u van dichtbij opgevolgd door uw arts en het medisch personeel. De start en het verloop van de behandeling vallen volledig onder de verantwoordelijkheid van uw arts.

Als u beslist tot deelname aan dit programma zal ravulizumab (Ultomiris®) elke 8 weken via intraveneus infuus (het inlopen van een vloeistof in een ader) toegediend worden in een dosis en gedurende een toedieningsperiode die wordt aangepast aan uw gewicht:

- $\geq 40$  kg tot  $< 60$  kg: een dosis van 3000 mg om de 8 weken, toegediend over een periode van ten minste 55 minuten
- $\geq 60$  kg tot  $< 100$  kg: een dosis van 3300 mg om de 8 weken, toegediend over een periode van ten minste 40 minuten
- $\geq 100$  kg: een dosis van 3600 mg, toegediend om de 8 weken over een periode van ten minste 30 minuten

## Vrijwillige deelname en intrekking van uw toestemming

Uw beslissing om deze behandeling te volgen is geheel vrijwillig. Zelfs als u besluit om met de behandeling te starten, bent u vrij om op eender welk moment de behandeling te stoppen. U hoeft hiervoor geen reden te geven. Uw beslissing om de behandeling te stoppen wordt "intrekking van toestemming" genoemd. Gelieve deze beslissing aan uw arts te laten weten. Uw beslissing om deze behandeling te stoppen zal de relatie met uw arts niet beïnvloeden.

Ook uw arts kan beslissen om uw behandeling stop te zetten als hij/zij denkt dat u daar baat bij heeft of als u de gegeven richtlijnen voor deelname aan dit medisch noodprogramma niet opvolgt.

## Stopzetting van de behandeling of van het programma

U kunt de behandeling met ravulizumab (Ultomiris®) voortzetten door aan dit programma deel te nemen zolang uw arts denkt dat u er baat bij heeft. Uw arts, de medische ethische commissie, het FAGG of de programmamanager kunnen echter op elk moment uw deelname aan het programma stopzetten zonder uw toestemming te vragen. Deze 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 ravulizumab (Ultomiris®) of nadat terugbetaling is verkregen. Evenzo kan uw arts besluiten uw behandeling stop te zetten als hij of zij van mening is dat dit in uw beste belang is. Bijvoorbeeld indien uw ziekte erger wordt of u geen baat heeft bij de behandeling of als u de instructies voor deelname aan dit medische noodprogramma niet opvolgt.

Het programma zal regelmatig worden herzien door Alexion. Als het verzoek om terugbetaling wordt afgewezen, kan dit programma worden stopgezet. Alexion kan op elk moment besluiten om dit programma te beëindigen.

Het programma wordt in ieder geval stopgezet wanneer ravulizumab (Ultomiris®) in België wordt terugbetaald voor de behandeling van PNH.

## Algemene risico's

Zoals elk geneesmiddel is het mogelijk dat u tijdens dit programma waarbij ravulizumab (Ultomiris®) wordt toegediend, bijwerkingen kan hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. Uw arts zal de mogelijke bijwerkingen met u bespreken en de risico's en voordelen van Ultomiris® aan u uitleggen voorafgaand aan de behandeling.

## Bijzondere waarschuwingen en voorzorgen bij gebruik

Uw arts zal de mogelijke bijwerkingen met u bespreken en de risico's en voordelen van Ultomiris® aan u uitleggen voorafgaand aan de behandeling.

## Waarschuwing voor meningokokkeninfectie en andere ernstige infecties

Door behandeling met ravulizumab (Ultomiris®) wordt een deel van uw immuunsysteem geblokkeerd. Ravulizumab (Ultomiris®) verhoogt het risico op een ernstige infectie, in het bijzonder door bepaalde bacteriën die een meningokokkeninfectie (ernstige infectie van de hersenvliezen) of andere ernstige infectie, waaronder verspreide gonorrhoe (bacteriële seksueel overdraagbare ziekte), veroorzaken.

Deze infecties moeten dringend op een geschikte manier behandeld worden omdat ze snel fataal of levensbedreigend kunnen worden of omdat ze tot ernstige invaliditeit kunnen leiden.

Het is belangrijk dat u weet welke voorzorgsmaatregelen moeten genomen worden om het risico op deze infecties tot een minimum te beperken en dat u weet wat u moet doen als u zich zorgen maakt dat u misschien een infectie hebt.

Voordat een behandeling met ravulizumab (Ultomiris®) wordt gestart, zal uw arts met u het belang van het volgende bespreken:

- Gevaccineerd worden tegen meningokokkeninfectie en in sommige gevallen een bepaald antibioticum krijgen om het risico op een infectie met een bepaalde bacterie, Neisseria meningitidis genoemd, tot een minimum te beperken.
- De symptomen kennen die verband houden met infecties en wat u moet doen als u die symptomen hebt:  
Als zich bij u een van de volgende symptomen voordoet, moet u uw arts onmiddellijk op de hoogte brengen:
  - Hoofdpijn met misselijkheid of braken
  - Hoofdpijn en koorts
  - Hoofdpijn met een stijve nek of rug
  - Koorts
  - Koorts en huiduitslag
  - Verwardheid
  - Spierpijn in combinatie met griepachtige verschijnselen
  - Gevoeligheid van de ogen voor licht
- Uw arts zal u ook 2 informatieve materialen geven om de mogelijke, ernstige infecties en de relevante tekenen en symptomen beter kunnen begrijpen
  - een '**Informatieve brochure voor PNH patiënten**'. In deze gids vindt u informatie over Ultomiris®, hoe het aan u zal worden gegeven en belangrijke veiligheidsinformatie die u dient te weten.
  - een '**informatiekaart voor de patiënt**'. U moet deze kaart altijd bij zich hebben. Toon deze kaart aan elke arts die bij uw gezondheidszorg betrokken is.

### **Infusiegerelateerde reacties**

Toediening van Ultomiris<sup>®</sup> kan leiden tot infusiegerelateerde reacties. Dit zijn allergische reacties of overgevoeligheidsreacties (inclusief anafylaxie) die kunnen optreden tijdens de toediening van ravulizumab (Ultomiris<sup>®</sup>) of kort daarna. Om risico's te beperken, wordt u na elk infuus gedurende ongeveer één uur gecontroleerd.

### **Lijst van bijwerkingen**

Onderstaande lijst geeft de bijwerkingen weer die werden vastgesteld gedurende de klinische onderzoeken met ravulizumab (Ultomiris<sup>®</sup>).

De ernstigste bijwerking was meningokokkeninfectie/-sepsis (ernstige infectie van de hersenvliezen). Als u één of meer van de verschijnselen van een meningokokkeninfectie ervaart (zie rubriek: Waarschuwing voor meningokokkeninfectie en andere ernstige infecties), moet u onmiddellijk uw arts informeren.

Uw arts zal de mogelijke bijwerkingen met u bespreken en de risico's en voordelen van Soliris aan u uitleggen voorafgaand aan de behandeling.

Als u niet zeker weet wat de onderstaande bijwerkingen inhouden, vraag uw arts dan om uitleg.

**Zeer vaak:** kan meer dan 1 op 10 personen treffen:

- hoofdpijn
- misselijkheid, diarree
- infectie van de bovenste luchtwegen
- verkoudheid
- koorts, vermoeidheid

**Vaak:** kan tot 1 op 10 personen treffen:

- duizeligheid
- buikpijn, braken, last van de maag na het eten (dyspepsie)
- huiduitslag, jeuk op de huid
- rugpijn, gewrichtspijn, spierpijn en spierspasmen
- griepachtige aandoening, zich moe of slap voelen
- infusiegerelateerde reactie

**Soms:** kan tot 1 op 100 personen treffen:

- meningokokkeninfectie
- koude rillingen
- ernstige allergische reactie die moeite met ademen of duizeligheid veroorzaakt (anafylactische reactie), overgevoeligheid
- uitslag op de huid met roze bulten en erge jeuk (netelroos)

### **Zwangerschap en borstvoeding**

Ravulizumab (Ultomiris<sup>®</sup>) wordt niet aanbevolen voor gebruik tijdens de zwangerschap en bij vrouwen die zwanger kunnen worden en geen anticonceptie gebruiken. Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts of apotheker voordat u dit geneesmiddel gebruikt.

Als u ervoor kiest om deel te nemen aan dit programma en u een vruchtbare leeftijd heeft, moet u tijdens en gedurende 8 maanden na de behandeling de toegestane anticonceptiemethoden gebruiken (zodat u niet zwanger wordt). Uw arts zal met u de verschillende geschikte opties bespreken.

### **Melding van nieuwe informatie**

In sommige gevallen kan het zijn dat er nieuwe informatie beschikbaar is over het geneesmiddel dat u krijgt. Als dit gebeurt, zal uw arts u inlichten en met u bespreken of u de behandeling wenst verder te zetten. Ravulizumab (Ultomiris<sup>®</sup>) is onderhevig aan additionele monitoring door het EMA.

- Als u beslist om de behandeling verder te zetten, zal u gevraagd worden om een nieuwe, aangepaste versie van dit toestemmingsformulier te ondertekenen.
- Als u beslist om de behandeling stop te zetten, zal uw arts er voor zorgen dat u verder wordt behandeld op de best mogelijke manier; dit zal de relatie met uw arts/hematoloog niet beïnvloeden.

Bovendien zou uw arts kunnen bepalen, gebaseerd op de nieuwe informatie, dat het beter is voor u om de behandeling te stoppen. Als dit gebeurt, zal hij/zij de redenen hiervoor aan u uitleggen en er voor zorgen dat u verder wordt behandeld op de best mogelijke manier.

Indien er nieuwe informatie beschikbaar is, kunnen Alexion, de regelgevende instanties of de ethische commissie ook beslissen om dit medisch noodprogramma stop te zetten.

### **Kosten geassocieerd met uw deelname**

Alexion biedt ravulizumab (Ultomiris®) gratis aan gedurende de looptijd van dit medisch noodprogramma. Alle andere procedures, testen en medicatie die mogelijk noodzakelijk zijn voor dit programma zijn onderhevig aan de huidige terugbetalingscriteria.

U zal geen financiële compensatie ontvangen voor uw deelname aan dit programma.

### **Evaluatie door de ethische commissie**

Dit programma is geëvalueerd door een onafhankelijke ethische commissie en door het federale agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG) om ervoor te zorgen dat de deelnemers aan dit programma beschermd worden tegen schade.

De evaluatie door de onafhankelijk ethische commissie en de goedkeuring door het FAGG mogen in geen enkel geval dienen als motivatie om deel te nemen aan dit medisch noodprogramma.

### **Contact**

Als u bijkomende informatie wenst, maar ook ingeval van problemen of als u zich zorgen maakt, kan u contact opnemen met uw behandelende arts. Contactgegevens vindt u op pagina 1 van dit toestemmingsformulier.

Buiten de consultatie-uren moet u zich aanmelden op de spoedafdeling van uw ziekenhuis en vermelden dat u deelneemt aan dit programma. Uw dossier zal nuttige informatie bevatten voor de dienstdoende arts met betrekking tot het programma.

Titel van het programma:	Medisch noodprogramma met ravulizumab (Ultomiris®) voor de behandeling van paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) bij patiënten die deelgenomen hebben aan een Open Label Extension studie (ALXN1210-PNH-301 of ALXN1210-PNH-303)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

## II. Geïnformeerde toestemming

### **Deel enkel bestemd voor de patiënt:**

Hierbij bevestig ik, ondergetekende (naam & voornaam) \_\_\_\_\_

- ✓ Dat ik ben ingelicht over het Medisch noodprogramma met ravulizumab (Ultomiris®) voor de behandeling van patiënten met paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH).
- ✓ Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over de aard, het doel, de duur, de eventuele voordelen en risico's van het programma en dat ik weet wat van mij wordt verwacht. Ik heb kennis genomen van het informatiedocument (*Deel I van dit document*) en de aanvullende informatie (*Deel III van dit document*)
- ✓ Ik heb voldoende tijd gehad om na te denken en om te praten met een door mij gekozen persoon, zoals mijn huisarts of een familielid.
- ✓ Ik heb alle vragen kunnen stellen die bij me opkwamen en ik heb een duidelijk antwoord gekregen op onze vragen.
- ✓ Ik begrijp dat mijn deelname aan dit programma vrijwillig is en dat ik vrij ben om deelname aan dit programma stop te zetten zonder dat dit de relatie schaadt met het therapeutisch team dat instaat voor mijn gezondheid.
- ✓ Ik begrijp dat er tijdens deelname aan dit programma gegevens over mij zullen worden verzameld en dat de arts en de opdrachtgever de vertrouwelijkheid van deze gegevens verzekeren overeenkomstig de Belgische en Europese wetgeving ter zake.
- ✓ Ik stem in met de verwerking van deze persoonlijke gegevens volgens de modaliteiten die zijn beschreven in de rubriek over het verzekeren van de vertrouwelijkheid (*Deel III van dit document*). Ik geef ook toestemming voor de overdracht naar en verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.
- ✓ Ik ga ermee akkoord dat de huisarts en andere specialisten die voor mijn gezondheid instaan op de hoogte worden gesteld van mijn deelname aan dit programma.
- ✓ Ik heb een exemplaar ontvangen van dit document (Deel I, II en III).

Door ondertekening

- ✓ Ga ik akkoord met deelname aan dit programma beschreven in dit informatie- en toestemmingsdocument
- ✓ Ga ik akkoord met de verwerking van mijn gegevens in het kader van dit programma, zoals uiteengezet in deel III

\_\_\_\_\_ Handtekening van de patiënt

\_\_\_\_\_ Datum van ondertekening

**Deel enkel bestemd voor de arts :**

Ik, ondergetekende, \_\_\_\_\_ (naam en voornaam)  
\_\_\_\_\_ (R.I.Z.I.V nummer) bevestig hierbij dat ik  
mijn patiënt (naam van de patiënt(e) \_\_\_\_\_  
mondeling de nodige informatie over het programma heb verstrekt en hem een kopie van het  
informatiedocument heb bezorgd. Ik bevestig dat er geen enkele druk op de patiënt is uitgeoefend om te deel te  
nemen en ik ben bereid om op alle eventuele bijkomende vragen te beantwoorden, waar nodig.

Handtekening arts: \_\_\_\_\_ Datum: \_\_\_\_\_

**Deel enkel bestemd voor de Getuige / Tolk (indien van toepassing)**

Ik, ondergetekende, \_\_\_\_\_ (naam en voornaam) met  
kwalificatie \_\_\_\_\_ bevestig hierbij dat ik  
tijdens het volledige proces van informatieverstrekking aan de patiënt (naam & voornaam)  
\_\_\_\_\_ aanwezig ben geweest en ik bevestig dat de informatie over de  
doelstellingen en procedures van het programma op adequate wijze is verstrekt, dat patiënt het programma naar  
alle waarschijnlijkheid heeft begrepen en dat de toestemming tot deelname aan het programma uit vrije wil is  
gegeven.

Handtekening getuige / tolk : \_\_\_\_\_ Datum: \_\_\_\_\_



Titel van het programma:	Medisch noodprogramma met ravulizumab (Ultomiris®) voor de behandeling van paroxysmale nachtelijke hemoglobinurie (PNH) bij patiënten die deelgenomen hebben aan een Open Label Extension studie (ALXN1210-PNH-301 of ALXN1210-PNH-303)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

### III. Aanvullende informatie

#### Aanvullende informatie over de bescherming en de rechten van deelnemers aan een medisch noodprogramma

##### Ethisch comité

Dit programma werd geëvalueerd door een onafhankelijk Ethisch Comité, nl. Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven, dat een gunstig advies heeft uitgebracht. Het ethische comité heeft als taak de personen die aan programma's deelnemen te beschermen. Ze controleren of uw rechten als patiënt en als deelnemer aan een programma gerespecteerd worden, of - uitgaande van de huidige kennis - de balans tussen risico's en voordelen gunstig is voor de deelnemers, of het programma wetenschappelijk relevant en ethisch verantwoord is. U dient het positief advies van het Ethische Comité in geen geval te beschouwen als een aansporing om deel te nemen aan dit programma.

##### Vrijwillige deelname

Aarzel niet om alle vragen te stellen die bij u opkomen voordat u tekent. Neem de tijd om er over te praten met een vertrouwenspersoon indien u dat wenst.

Uw deelname aan dit programma is vrijwillig en er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Dit betekent dat u het recht heeft om niet deel te nemen aan dit programma of om met dit programma te stoppen, zonder dat u hiervoor een reden hoeft te geven, zelfs al hebt u eerder toegestemd om aan dit programma deel te nemen. Uw beslissing zal in geen geval uw relatie met uw arts beïnvloeden, noch de kwaliteit van uw verdere verzorging.

Voor uw veiligheid is het wel aanbevolen om uw arts op de hoogte te stellen indien u beslist om uw deelname aan dit programma stop te zetten.

Indien u aanvaardt om aan dit programma deel te nemen, moet u het toestemmingsformulier ondertekenen.

Uw arts zal dit formulier ook ondertekenen en zal zo bevestigen dat hij u de noodzakelijke informatie over dit programma heeft gegeven. U zal het voor u bestemde exemplaar ontvangen.

##### Kosten in verband met uw deelname

De opdrachtgever stelt ravulizumab (Ultomiris®) gratis ter beschikking zolang u deelneemt aan dit programma.

U en uw ziekteverzekering zullen verder de kosten blijven dragen van onderzoeken, procedures en andere geneesmiddelen die deel uitmaken van uw standaard medische verzorging.

Er zal geen vergoeding worden toegekend door de opdrachtgever in geval van een eventueel letsel of kosten als gevolg van uw deelname aan het programma.

##### Vertrouwelijkheidsgarantie

Om dit programma goed te kunnen uitvoeren is het noodzakelijk om uw medische gegevens met andere personen dan de behandelende arts te delen. Dit toestemmingsformulier beschrijft op welke manier uw persoonlijke gezondheidsgegevens zullen gebruikt worden en aan wie deze gegevens zullen worden doorgegeven.

Uw identiteit en uw deelname aan dit programma worden strikt vertrouwelijk behandeld. Uw identiteit zal niet bij naam of op een andere herkenbare wijze vermeld worden in de dossiers betreffende dit programma. De arts zal uw persoonlijke gegevens coderen om te garanderen dat deze vertrouwelijk blijven ten opzichte van Alexion, de verantwoordelijke van het programma. Dit houdt in dat de arts een code zal toewijzen aan uw gegevens. Deze code vervangt uw naam bij verzenden van uw medische gegevens. Enkel de behandelende

arts of één van zijn medewerkers zal de sleutel tot de code bewaren en deze zal in geen geval doorgegeven worden.

U hebt het recht om aan de arts te vragen welke gegevens hij/zij over u heeft verzameld en waarvoor ze gebruikt worden in het kader van het programma. U hebt het recht om deze gegevens in te kijken en om verbeteringen te laten aanbrengen indien ze foutief zouden zijn.

De arts en zijn/haar team zijn verplicht om de verzamelde gegevens vertrouwelijk te behandelen. Dit betekent dat hij/zij zich ertoe verbindt om uw naam nooit bekend te maken aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke van het programma (uw identiteit zal worden vervangen door een identificatiecode voordat hij/zij ze doorgeeft aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke van het programma). De informatie die de arts overmaakt aan de vertegenwoordigers van de verantwoordelijke van het programma omvat dus geen gegevens die u rechtstreeks kunnen identificeren, zoals uw naam, adres of andere informatie.

De door de verantwoordelijke van het programma aangestelde beheerder van de programmeergegevens kan u niet identificeren op basis van de overgedragen gegevens. De verantwoordelijke van het programma (Alexion) is verantwoordelijk voor het verzamelen, de verwerking en de bescherming van uw gegevens in overeenstemming met de Belgische wet betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer van 30 juli 2018 en de Algemene Verordening Gegevensbescherming (2016/679).

Uw gecodeerd persoonlijke gegevens worden opgeslagen in gegevensbanken met beperkte toegang. Toegang tot alle informatie is beperkt en alleen toegestaan zoals vermeld in dit document. Er zijn maatregelen genomen om het risico op misbruik van of toegang tot uw persoonlijke informatie door onbevoegden te verminderen. Deze risico's kunnen echter niet worden uitgesloten.

In het kader van het programma zal uw arts de volgende gecodeerde gegevens aan Alexion bezorgen :

- De medische gegevens die belangrijk zijn voor uw medische voorgeschiedenis: geslacht, geboortjaar en datum van diagnose van PNH
- De Gegevens over de ontwikkeling van uw ziekte
- Gegevens over bijwerkingen die u tijdens de behandeling van uw ziekte kunt ervaren tijdens het programma,.
- Uw geboortjaar, geslacht en gewicht
- Gegevens met betrekking tot uw ziekte, uw gezondheidstoestand en medische voorgeschiedenis:
- Gegevens over bijwerkingen die u kunt ervaren tijdens het programma,.

Deze gecodeerde gegevens zullen door Alexion gebruikt worden om de uitvoering van het programma mogelijk te maken.

Daarnaast zal Alexion deze gegevens ook gebruiken om te voldoen aan haar wettelijke verplichtingen (zoals het melden en verzamelen van mogelijke bijwerkingen). De gegevens kunnen mogelijk doorgegeven worden aan Belgische of andere regelgevende instanties (bv. het FAGG), aan de betrokken ethische comités, aan andere artsen en/of instellingen en partners die samenwerken met de verantwoordelijke voor dit programma. Deze instanties zijn eveneens gebonden aan het beroepsgeheim en dit kan hoe dan ook enkel plaatsvinden onder de verantwoordelijkheid van de behandelende arts en onder het toezicht van één van de door hem/haar aangestelde medewerkers. De gegevens kunnen ook worden voorgelegd in andere landen waar de normen inzake de bescherming van persoonsgegevens verschillend of minder strikt kunnen zijn.

Als u vragen hebt over de verwerking van uw persoonsgegevens of bovengenoemde rechten wilt uitoefenen, dan kunt u contact opnemen met de Data Privacy Officer (verantwoordelijke voor de gegevensbescherming) van het ziekenhuis (zoals vermeld op de eerste pagina van dit document). Deze persoon kan dan contact opnemen met verantwoordelijke voor dit programma, indien nodig.

Naast bovenstaande rechten, hebt u ook het recht om een klacht in te dienen bij de bevoegde gegevensbeschermingsautoriteit op het adres:

Gegevensbeschermingsautoriteit (GBA)  
Drukpersstraat 35,  
1000 Brussel  
Tel. +32 2 274 48 00  
e-mail: [contact@apd-gba.be](mailto:contact@apd-gba.be)  
Website: [www.gegevensbeschermingsautoriteit.be](http://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be)

Indien u uw toestemming tot deelname aan het programma intrekt, zullen de gecodeerde gegevens die al verzameld waren vóór uw terugtrekking, gebruikt worden. Er mogen geen nieuwe gegevens aan de verantwoordelijke van het programma worden doorgegeven, tenzij dit vereist is om de integriteit van het programma te behouden.