

Titre du programme:	Programme médical d'urgence avec le ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte (ALXN1210-aHUS-311 ou ALXN1210-aHUS-312)
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
Médecin traitant	<p><i>Nom:</i>.....</p> <p><i>Adresse du centre hospitalier:</i>.....</p> <p>.....</p> <p><i>Coordonnées:</i></p> <p><i>Contact en cas d'urgence:</i></p> <p><i>Coordonnées en cas de question relative au programme:</i></p> <p>.....</p> <p><i>Coordonnées du Responsable/Service de Protection des Données de l'hôpital:</i></p> <p>.....</p>

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 syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) 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 avril 2020 mais le médicament n'est pas encore remboursé en Belgique. Ce programme a donc pour but de mettre le traitement ravulizumab (Ultomiris®) à la disposition de patients qui, comme vous, ont participé à l'étude d'extension en ouvert avec le ravulizumab et qui, selon l'opinion du médecin traitant continuent à tirer bénéfice de leur traitement. Votre médecin vous a expliqué les autres alternatives thérapeutiques disponibles (y compris le médicament Soliris® (eculizumab) actuellement remboursé en Belgique pour votre maladie) et les études cliniques en cours dans cette maladie. Cependant votre médecin estime que vous n'êtes pas éligible pour ce traitement ou que vous ne pourriez pas être traité de manière appropriée avec ce 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 du SHUa - 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.

Le syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) est une maladie affectant le système sanguin et le rein. Chez les patients atteints de SHUa, les reins et les vaisseaux sanguins, peuvent présenter une inflammation, ce qui peut entraîner une diminution du nombre de cellules sanguines, y compris les plaquettes (thrombopénie et anémie), une réduction ou une perte de la fonction rénale, des caillots sanguins, une fatigue et des difficultés fonctionnelles.

Ultomiris® est approuvé pour traiter les patients pesant 10 kg ou plus atteints de SHUa mais ce médicament n'est pas encore remboursé en Belgique. Ultomiris® peut inhiber la réponse inflammatoire de l'organisme et sa capacité à attaquer et détruire ses propres vaisseaux sanguins vulnérables, ce qui permet de contrôler les symptômes de la maladie, notamment les lésions rénales.

Votre médecin vous a proposé de participer à un programme médical d'urgence parce que vous êtes atteint du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) et que vous devriez bénéficier de la poursuite du traitement par le ravulizumab (Ultomiris®) après la fin de l'essai clinique.

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 et détruire ses propres vaisseaux sanguins vulnérables, ce qui permet de contrôler les symptômes de la maladie, notamment les lésions rénales.

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 décidez de participer à ce programme, la dose d'entretien de ravulizumab (Ultomiris®) sera administrée par perfusion intraveineuse (introduction d'un liquide dans une veine) toutes les 8 semaines pour les patients de plus de 20 kg et toutes les 4 semaines pour les patients de moins de 20 kg.

La dose d'entretien d'Ultomiris, l'intervalle entre les doses et la durée minimale de la perfusion dépendent de votre poids corporel, comme le montre le tableau suivant.

Poids(kg)	Dose d'entretien (mg)	Intervalle posologique	Durée de perfusion minimale; minute (heure)
≥ 10 tot < 20 ^o	600	Toutes les 4 semaines	45 (0,8)
≥ 20 tot < 30 ^o	2.100	Toutes les 8 semaines	75 (1,3)
≥ 30 tot < 40 ^o	2.700	Toutes les 8 semaines	65 (1,1)
≥ 40 tot < 60	3.000	Toutes les 8 semaines	55 (0,9)
≥ 60 tot < 100	3.300	Toutes les 8 semaines	40 (0,7)
≥ 100	3.600	Toutes les 8 semaines	30 (0,5)

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 du SHUa

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 anti-méningococcique 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.

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.

Grossesse et allaitement

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.

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 devrez 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),
- Diarrhée, nausées,
- Sensation de fatigue,
- Infection des voies respiratoires supérieures,
- Rhume (rhinopharyngite).

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

- Vertiges,
- Douleurs abdominales, vomissements, gêne gastrique après les repas (dyspepsie),
- Eruption cutanée (rash), démangeaisons (prurit), urticaire,
- Douleurs articulaires (arthralgie), douleur dans le dos, douleurs musculaires (myalgie) et contractures musculaires,
- Fièvre (pyrexie), 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 vertiges (réaction anaphylactique), hypersensibilité,
- Infection à gonocoque.

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 du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte (ALXN1210-aHUS-311 ou ALXN1210-aHUS-312)
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

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 du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa).
- ✓ 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

GATM nr:

Document d'Information et consentement éclairé programme d'urgence Médicale

Patient âgé de 18 ans ou plus

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 du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte (ALXN1210-aHUS-311 ou ALXN1210-aHUS-312)
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

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 Louvain (UZ Leuven/KU 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 le laisser participer à ce programme ou d'arrêter ce programme sans donner de raison, même si vous avez déjà accepté d'y participer. Votre décision n'affectera en aucun cas la 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.

LE 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 votre participation

Alexion met gratuitement à disposition le 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 la participation à ce programme.

Garantie de confidentialité

Votre participation à ce programme signifie que vous acceptez que le médecin collecte des informations vous concernant. Certaines informations concernant les effets indésirables que vous avez signalés à son médecin au cours de sa participation à ce programme seront transmises au sponsor (Alexion).

➤ Les informations médicales à partir desquelles l'identité peut être établie ("dossier patient")

Ces données concernent votre situation clinique actuelle mais aussi une partie de vos antécédents, les résultats des examens effectués pour traiter sa santé selon la norme de soins applicable et, bien sûr, les résultats des examens prescrits par le programme. Vous avez le droit de demander au médecin quelles données il a recueillies sur vous et à quelles fins elles sont utilisées dans le cadre de ce programme.

Toutes les personnes qui ont accès à votre dossier ont un devoir de confidentialité à l'égard des informations consultées.

➤ Les données pseudominimisées (données du programme)

Le nouveau Règlement général sur la protection des données (RGPD), qui est d'application depuis le 25 mai 2018, impose des exigences supplémentaires sur la façon dont les entreprises ou organisations peuvent utiliser vos données personnelles. Une des exigences est que le responsable du traitement vous fournisse les informations ci-dessous.

Vous avez le droit de demander au médecin quelles données il a fourni au sponsor et à quoi elles servent dans le cadre de ce programme. Vous avez le droit de visualiser ces données et de faire des modifications si elles sont incorrectes.

Votre médecin est obligé de traiter ces données collectées de manière confidentielle. Pour protéger votre anonymat, chaque fois que vos données sont transférées au sponsor, votre identité sera remplacée par votre code d'identification dans ce programme. Les données personnelles transférées n'incluent pas une combinaison d'éléments permettant de vous identifier. Le médecin et son équipe seront donc les seules personnes pouvant faire le lien entre les données transférées au cours de ce programme et votre dossier médical.

Votre nom ne sera jamais mentionné dans le contexte d'une publication ou d'une conférence.

Les données (pseudominimisées), en particulier en ce qui concerne les effets indésirables signalés à votre médecin, peuvent être transmises aux autorités de régulation belges ou autres, aux comités d'éthique concernés, à d'autres médecins et / ou institutions collaborant avec le sponsor.

Elles peuvent également être transmises à d'autres centres du sponsor en Belgique et dans d'autres pays où les normes de protection des données personnelles peuvent être différentes ou moins strictes. Ceci est toujours fait sous forme codée comme expliqué ci-dessus.

Toutes les informations concernant ce programme sont confidentielles et sont la propriété du sponsor. Nous vous demandons de ne pas divulguer ces informations.

Vous pouvez discuter de ces renseignements en toute confidentialité avec votre médecin de famille ou avec des membres de votre famille ou des amis au cours de discussions sur votre système de soins de santé ou pour vous aider à décider de participer ou non à ce programme.

➤ Vos droits

Vous avez le droit de demander au médecin quelles données il a fourni au sponsor et à quelles fins elles sont utilisées dans le cadre de ce programme. Vous avez le droit d'accéder à ces données et de les faire corriger si elles sont incorrectes¹.

Vous avez le droit de supprimer des données que dans des cas dûment justifiés ; une telle demande doit toujours être faite par écrit.

Contactez votre médecin si vous avez des questions concernant le traitement de vos données personnelles ou une demande d'accès à vos données personnelles.

Selon le RGPD, vous disposez de plusieurs droits relatifs au traitement de vos données. Si vous avez d'autres questions à ce sujet, vous pouvez toujours vous adresser au médecin de l'étude.

Le délégué à la protection des données du centre d'examen est également à votre disposition. Vous trouverez ses coordonnées sur la 1^{ère} page de ce document.

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
Site web : www.autoriteprotectiondonnees.be

¹ Loi belge de 30 Juillet 2018 relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel.

GATM nr:

Document d'Information et consentement éclairé programme d'urgence Médicale

Patient âgé de 18 ans ou plus

Protection de la vie privée

Votre identité et votre participation à ce programme resteront strictement confidentielles. Ses données personnelles seront enregistrées dans un registre central spécifique au programme et seront traitées par la personne responsable du programme. Les données personnelles sont obtenues pour des finalités spécifiques explicitement définies et ne seront pas traitées ultérieurement de manière incompatible avec ces finalités. La protection des données à caractère personnel est garantie par l'avis 24/2014 du 2 avril 2014 sur la protection de la vie privée.

Titre du programme:	Programme médical d'urgence avec le ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte (ALXN1210-aHUS-311 ou ALXN1210-aHUS-312)
Responsable du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00
Médecin traitant	<p><i>Nom:</i>.....</p> <p><i>Adresse du centre hospitalier:</i>.....</p> <p>.....</p> <p><i>Coordonnées:</i></p> <p><i>Contact en cas d'urgence:</i></p> <p><i>Coordonnées en cas de question relative au programme:</i></p> <p>.....</p> <p><i>Coordonnées du Responsable/Service de Protection des Données de l'hôpital:</i></p> <p>.....</p>

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

INTRODUCTION

Votre médecin estime que votre enfant devrait continuer à bénéficier du Ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement son syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) 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 avril 2020 mais le médicament n'est pas encore remboursé en Belgique.

Ce programme a donc pour but de mettre le traitement ravulizumab (Ultomiris®) à la disposition de patients qui comme votre enfant, ont participé à l'étude d'extension en ouvert avec le ravulizumab et qui continuent à tirer bénéfice de leur traitement. Votre médecin vous a expliqué les autres alternatives thérapeutiques disponibles (y compris le médicament Soliris® (eculizumab) actuellement remboursé en Belgique pour le SHUa) et les études cliniques en cours dans cette maladie. Cependant votre médecin estime que votre enfant n'est pas éligible pour ce traitement ou que votre enfant ne pourrait pas être traité de manière appropriée avec ce traitement.

Avant de vous décider sur la participation de votre enfant 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 VOTRE ENFANT PARTICIPEE 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)
- La participation de votre enfant est volontaire et doit rester libre de toute contrainte. Elle nécessite la signature d'un document exprimant votre consentement. Même après l'avoir signé, votre enfant peut 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 des soins de votre enfant ni sur vos relations avec le médecin.
- Les données récoltées dans le cadre de la participation de votre enfant à ce programme seront traitées de manière strictement confidentielle par votre médecin. Alexion ne recueillera en aucun cas des données qui permettent d'identifier votre enfant.
- 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 du SHUa - 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.

Le syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) est une maladie affectant le système sanguin et le rein. Chez les patients atteints de SHUa, les reins et les vaisseaux sanguins, peuvent présenter une inflammation, ce qui peut entraîner une diminution du nombre de cellules sanguines, y compris les plaquettes (thrombopénie et anémie), une réduction ou une perte de la fonction rénale, des caillots sanguins, une fatigue et des difficultés fonctionnelles.

Ultomiris® peut inhiber la réponse inflammatoire de l'organisme et sa capacité à attaquer et détruire ses propres vaisseaux sanguins vulnérables, ce qui permet de contrôler les symptômes de la maladie, notamment les lésions rénales. Ultomiris® est approuvé pour traiter les patients pesant 10 kg ou plus atteints de SHUa mais ce médicament n'est pas encore remboursé en Belgique.

Votre médecin a proposé que votre enfant participe à un programme médical d'urgence parce que votre enfant est atteint du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) et qu'il/elle devrait bénéficier de la poursuite du traitement par le ravulizumab (Ultomiris®) après la fin de l'essai clinique.

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 et détruire ses propres vaisseaux sanguins vulnérables, ce qui permet de contrôler les symptômes de la maladie, notamment les lésions rénales.

Déroulement du programme

Afin de pouvoir participer à ce programme, votre enfant doit répondre à certaines exigences qui seront examinées par votre médecin traitant. Si votre enfant remplit 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 est bénéfique, ou jusqu'au moment de la décision de remboursement.

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

Si vous décidez que votre enfant peut participer à ce programme, la dose d'entretien de ravulizumab (Ultomiris®) sera administrée par perfusion intraveineuse (introduction d'un liquide dans une veine) toutes les 8 semaines pour les patients de plus de 20 kg et toutes les 4 semaines pour les patients de moins de 20 kg.

La dose d'entretien d'Ultomiris, l'intervalle entre les doses et la durée minimale de la perfusion dépendent du poids corporel, comme le montre le tableau suivant.

Poids(kg)	Dose d'entretien (mg)	Intervalle posologique	Durée de perfusion minimale; minute (heure)
≥ 10 tot < 20 ^o	600	Toutes les 4 semaines	45 (0,8)
≥ 20 tot < 30 ^o	2.100	Toutes les 8 semaines	75 (1,3)
≥ 30 tot < 40 ^o	2.700	Toutes les 8 semaines	65 (1,1)
≥ 40 tot < 60	3.000	Toutes les 8 semaines	55 (0,9)
≥ 60 tot < 100	3.300	Toutes les 8 semaines	40 (0,7)
≥ 100	3.600	Toutes les 8 semaines	30 (0,5)

Participation volontaire et retrait de consentement

Votre décision de poursuivre ce traitement chez votre enfant 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

Votre enfant pourra continuer le traitement avec Ravulizumab (Ultomiris®) en prenant part à ce programme aussi longtemps que votre médecin pense qu'il en bénéficie. Cependant, votre médecin, le comité d'éthique médical, l'AFMPS ou le responsable du programme peuvent à tout moment arrêter sa 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 son traitement s'il ou elle considère que c'est dans l'intérêt de votre enfant 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 du SHUa

Description des risques

Comme tous les médicaments, le traitement que votre enfant va 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.

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 anti-méningococcique 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.

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.

Grossesse et allaitement

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.

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 votre enfant présente 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),
- Diarrhée, nausées,
- Sensation de fatigue,
- Infection des voies respiratoires supérieures,
- Rhume (rhinopharyngite).

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

- Vertiges,
- Douleurs abdominales, vomissements, gêne gastrique après les repas (dyspepsie),
- Eruption cutanée (rash), démangeaisons (prurit), urticaire,
- Douleurs articulaires (arthralgie), douleur dans le dos, douleurs musculaires (myalgie) et contractures musculaires,
- Fièvre (pyrexie), 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 vertiges (réaction anaphylactique), hypersensibilité,

- Infection à gonocoque.

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

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

- 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, le médecin s'assurera que votre enfant continue 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 l'intérêt de votre enfant de stopper le traitement. Si cela arrive, il/elle vous en expliquera les raisons et s'assurera également que votre enfant continue 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 la participation de votre enfant

Alexion fournira le Ravulizumab (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 la participation de votre enfant 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 votre enfant participe à ce programme. Son 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 du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte (ALXN1210-aHUS-311 of ALXN1210-aHUS-312)
Responsable du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00

II. Consentement éclairé

Partie réservée pour le représentant légal* du patient :

Par la présente, je soussigné (nom et prénom) _____, représentant légal du patient (nom et prénom) _____

- ✓ Que je suis informé sur le programme de besoin médical avec le ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa)
- ✓ 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.
- ✓ 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.
- ✓ J'accepte que le sponsor, le médecin et son équipe, ainsi que d'autres personnes, aient accès à mes données médicales et à mes informations personnelles, comme décrit dans ce formulaire.
- ✓ En signant ce document, j'autorise l'utilisation de mes données personnelles conformément à la loi belge et à l'avis 24/2014 du 2 avril 2014 sur la protection de la vie privée.
- ✓ Je conviens que le médecin et les autres spécialistes responsables de ma santé seront informés de ma participation à ce programme (**veuillez supprimer cette phrase si vous n'êtes pas d'accord**).
- ✓ J'ai reçu une copie de ce document (Parties I, II et III).

_____ Signature du représentant légal

_____ Date de la signature

_____ Signature du patient (si maturité intellectuelle suffisante)

_____ Date de la signature

*Représentant légal

«Dans le cas du mineur (<18 ans), le droit de consentir à participer à une étude clinique est exercé par ses parents qui exercent l'autorité légale sur le mineur ou, à défaut, par le tuteur du mineur; le mineur est impliqué dans l'exercice du droit en question, en fonction de son âge et de son degré de maturité. A cet effet, le mineur reçoit, préalablement à l'étude, les informations adaptées à sa compréhension par du personnel qualifié. La volonté exprimée du mineur est également examinée et observée par l'investigateur, dans la mesure où le mineur est en mesure de porter un jugement et d'évaluer les informations concernant sa participation à l'essai, son refus d'y participer ou sa volonté de se retirer. Ce consentement doit exprimer la volonté présumée du mineur et peut être retiré à tout moment sans causer de préjudice au mineur; » **Source: Loi du 7 mai 2004 relative aux expériences sur la personne humaine (article 7).**

«Dans le cas d'un adulte (≥ 18 ans) qui relève du statut de minorité élargie, ou qui a été déclaré inapte, le droit de consentir à participer à un essai clinique est exercé par ses parents ou tuteur. Dans le cas d'un adulte [qui n'est pas en mesure de consentir à participer à un essai clinique et] qui ne relève pas des dispositions du paragraphe précédent, le droit de consentir à participer à l'essai est exercé par un représentant préalablement notifié par la personne une forme d'une procuration datée et signée par les deux parties. Sans cette procuration, le droit de consentir à participer à un essai clinique est exercé par le conjoint cohabitant, le conjoint légal ou le concubin de fait. Dans le cas contraire, le droit de consentir à participer à une expérience est exercé par ordre décroissant par un enfant adulte, un parent ou un frère ou une sœur adulte de la personne concernée. En cas de désaccord entre frères et sœurs adultes, il est considéré que le consentement n'a pas été donné; » **Source: Loi du 7 mai 2004 relative aux expériences sur la personne humaine (article 8).**

GATM nr:

Document d'Information et consentement éclairé pour les parents ou représentant légal
Programme Médical d'Urgence
Patient âgé de < 18 ans ou Patient inapte de 18 ans ou plus

Partie réservée au médecin :

Je soussigné, _____ (nom et prénom du médecin)

_____ (Numéro INAMI) confirme par la présente

que le représentant légal (nom et prénom) _____ de mon patient (nom du

patient (e) dans son intégralité) _____ ainsi que mon

patient (si il est suffisamment mature) sont informés et qu'ils/elles ont donné son consentement pour participer à

ce 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 représentant légal (nom & prénom)

_____ 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 représentant légal du 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 du syndrome hémolytique et urémique atypique (SHUa) chez les patients ayant participé à l'étude d'extension ouverte (ALXN1210-aHUS-311 of ALXN1210-aHUS-312)
Responsable du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00

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 Louvain (UZ Leuven/KU 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.

La participation de votre enfant 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 le laisser participer à ce programme ou d'arrêter ce programme sans donner de raison, même si vous avez déjà accepté que votre enfant y participe. Votre décision n'affectera en aucun cas la relation avec votre médecin, ni la qualité des soins ultérieurs de votre enfant.

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

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

Son 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 la participation de votre enfant

Alexion met gratuitement à disposition le Ravulizumab (Ultomiris®) tant que votre enfant participe 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 la participation de votre enfant à ce programme.

Garantie de confidentialité

La participation de votre enfant à ce programme signifie que vous acceptez que le médecin collecte des informations le concernant. Certaines informations concernant les effets indésirables que vous avez signalés à son médecin au cours de sa participation à ce programme seront transmises au sponsor (Alexion).

➤ Les informations médicales à partir desquelles l'identité peut être établie ("dossier patient")

Ces données concernent la situation clinique actuelle de votre enfant mais aussi une partie de ses antécédents, les résultats des examens effectués pour traiter sa santé selon la norme de soins applicable et, bien sûr, les résultats des examens prescrits par le programme. Vous avez le droit de demander au médecin quelles données il a recueillies sur votre enfant et à quelles fins elles sont utilisées dans le cadre de ce programme.

Toutes les personnes qui ont accès à votre dossier ont un devoir de confidentialité à l'égard des informations consultées.

➤ Les données pseudominisées (données du programme)

Le nouveau Règlement général sur la protection des données (RGPD), qui est d'application depuis le 25 mai 2018, impose des exigences supplémentaires sur la façon dont les entreprises ou organisations peuvent utiliser vos données personnelles. Une des exigences est que le responsable du traitement vous fournisse les informations ci-dessous.

Vous avez le droit de demander au médecin quelles données il a fourni au sponsor et à quoi elles servent dans le cadre de ce programme. Vous avez le droit de visualiser ces données et de faire des modifications si elles sont incorrectes.

Votre médecin est obligé de traiter ces données collectées de manière confidentielle. Pour protéger votre anonymat, chaque fois que vos données sont transférées au sponsor, votre identité sera remplacée par votre code d'identification dans ce programme. Les données personnelles transférées n'incluent pas une combinaison d'éléments permettant de vous identifier. Le médecin et son équipe seront donc les seules personnes pouvant faire le lien entre les données transférées au cours de ce programme et votre dossier médical.

Votre nom ou le nom de votre enfant ne sera jamais mentionné dans le contexte d'une publication ou d'une conférence.

Les données (pseudominisées), en particulier en ce qui concerne les effets indésirables signalés à votre médecin, peuvent être transmises aux autorités de régulation belges ou autres, aux comités d'éthique concernés, à d'autres médecins et / ou institutions collaborant avec le sponsor.

Elles peuvent également être transmises à d'autres centres du sponsor en Belgique et dans d'autres pays où les normes de protection des données personnelles peuvent être différentes ou moins strictes. Ceci est toujours fait sous forme codée comme expliqué ci-dessus.

Toutes les informations concernant ce programme sont confidentielles et sont la propriété du sponsor. Nous vous demandons de ne pas divulguer ces informations.

Vous pouvez discuter de ces renseignements en toute confidentialité avec votre médecin de famille ou avec des membres de votre famille ou des amis au cours de discussions sur votre système de soins de santé ou pour vous aider à décider de participer ou non à ce programme.

➤ Vos droits

Vous avez le droit de demander au médecin quelles données il a fourni au sponsor et à quelles fins elles sont utilisées dans le cadre de ce programme. Vous avez le droit d'accéder à ces données et de les faire corriger si elles sont incorrectes¹.

Vous avez le droit de supprimer des données que dans des cas dûment justifiés ; une telle demande doit toujours être faite par écrit.

Contactez votre médecin si vous avez des questions concernant le traitement de vos données personnelles ou une demande d'accès à vos données personnelles.

Selon le RGPD, vous disposez de plusieurs droits relatifs au traitement des de données votre enfant. Si vous avez d'autres questions à ce sujet, vous pouvez toujours vous adresser au médecin de l'étude.

Le délégué à la protection des données du centre d'examen est également à votre disposition. Vous trouverez ses coordonnées sur la 1ere page de ce document.

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
Site web : www.autoriteprotectiondonnees.be

¹ Loi belge de 30 Juillet 2018 relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel.

GATM nr:

Document d'Information et consentement éclairé pour les parents ou représentant légal
Programme Médical d'Urgence
Patient âgé de < 18 ans ou Patient inapte de 18 ans ou plus

Protection de la vie privée

L'identité de votre enfant et sa participation à ce programme resteront strictement confidentielles. Ses données personnelles seront enregistrées dans un registre central spécifique au programme et seront traitées par la personne responsable du programme. Les données personnelles sont obtenues pour des finalités spécifiques explicitement définies et ne seront pas traitées ultérieurement de manière incompatible avec ces finalités. La protection des données à caractère personnel est garantie par l'avis 24/2014 du 2 avril 2014 sur la protection de la vie privée.

Titel van het programma:	Medisch noodprogramma met ravulizumab (Ultomiris®) voor de behandeling van atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ALXN1210-aHUS-311 of ALXN1210-aHUS-312)
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
Behandelende arts	<i>Naam:</i> <i>Adres van het ziekenhuis:</i> <i>Contactnummer:</i> <i>Noodnummer:</i> <i>Contactnummer in geval van vragen in verband met dit programma:</i> <i>Contactgegevens verantwoordelijke/dienst voor gegevensbescherming van het ziekenhuis:</i>

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 atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) 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 april 2020. 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 de Open Label Extension studie met ravulizumab (Ultomiris®) en baat blijven hebben bij hun behandeling, waarbij uw arts de alternatieve mogelijkheden heeft uitgelegd (onder andere het commercieel beschikbare geneesmiddel Soliris® (eculizumab) dat wordt vergoed in België voor de betrokken aandoening of een ander geneesmiddel in het kader van een klinische studie) en er is beslist dat u hiervoor niet in aanmerking komt of er niet op de gepaste wijze mee kan worden behandeld.

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 atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) - 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. Atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) is een zeldzame ziekte die het bloedstelsel en de nieren aantast. Bij patiënten met aHUS kunnen de nieren en bloedvaten, en ook de bloedplaatjes, ontstoken zijn. Dat kan leiden tot een laag aantal rode bloedcellen (trombocytopenie en bloedarmoede), een verminderde of helemaal geen nierfunctie, bloedstolsels, vermoeidheid en moeilijkheden bij het functioneren.

Ravulizumab (Ultomiris[®]) wordt gebruikt voor de behandeling van volwassen patiënten en kinderen met een gewicht van 10 kg en meer, die leiden aan aHUS. Ultomiris[®] kan de ontstekingsreactie van het lichaam blokkeren en daarmee ook het vermogen van het lichaam om de eigen kwetsbare bloedvaten aan te vallen en te vernietigen. Het kan zo verschijnselen van de ziekte, waaronder schade aan de nieren, onder controle houden.

Uw arts heeft u gevraagd om deel te nemen aan een medisch noodprogramma omdat u atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) heeft en baat zou hebben bij een verdere behandeling met ravulizumab (Ultomiris[®]) na het einde van de klinische studie.

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[®]) onderhoudsdosis toegediend worden via intraveneus infuus (het inlopen van een vloeistof in een ader) om de 8 weken voor patiënten van meer dan 20 kg en om de 4 weken voor patiënten van minder dan 20 kg.

De Ultomiris onderhoudsdosis, doseringsinterval en minimale duur van de infusie zijn afhankelijk van uw lichaamsgewicht, zoals weergegeven in de volgende table.

Lichaams- gewicht (kg)	Onderhoudsdosis (mg)	Doseringsinterval	Minimale duur van de infusie; minuten (uur)
≥ 10 tot < 20 ^c	600	Om de 4 weken	45 (0,8)
≥ 20 tot < 30 ^c	2.100	Om de 8 weken	75 (1,3)
≥ 30 tot < 40 ^c	2.700	Om de 8 weken	65 (1,1)
≥ 40 tot < 60	3.000	Om de 8 weken	55 (0,9)
≥ 60 tot < 100	3.300	Om de 8 weken	40 (0,7)
≥ 100	3.600	Om de 8 weken	30 (0,5)

Ravulizumab (Ultomiris®) zal gratis geleverd worden -via het Alexion GATM programma - op individuele basis tot het terugbetaald wordt in België voor de behandeling van aHUS of totdat de behandelende arts beslist om uw behandeling met ravulizumab te stoppen.

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 aHUS.

Bijzondere waarschuwingen en voorzorgen bij gebruik

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.

Wanneer mag u dit middel niet gebruiken?

- U bent allergisch voor een van de stoffen in dit geneesmiddel.
- U bent niet gevaccineerd tegen meningokokkeninfectie.
- U heeft een meningokokkeninfectie.

Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?

Neem contact op met uw arts voordat u dit middel gebruikt.

Verschijnselen van meningokokkeninfectie en andere infecties met *Neisseria*

Doordat het geneesmiddel de werking blokkeert van het complementsysteem, dat deel uitmaakt van het afweersysteem van het lichaam tegen infecties, heeft u bij gebruik van Ultomiris een grotere kans op een meningokokkeninfectie veroorzaakt door *Neisseria meningitidis*. Dit zijn ernstige infecties van de hersenvliezen die zich ook kunnen verspreiden door het bloed en het lichaam (bloedvergiftiging: sepsis).

Raadpleeg uw arts vóór aanvang van de behandeling met Ultomiris om ervoor te zorgen dat u ten minste 2 weken vóór u de behandeling start, wordt gevaccineerd tegen *Neisseria meningitidis*. Als u niet 2 weken van tevoren kunt worden gevaccineerd, schrijft uw arts antibiotica voor om het risico van infectie tot 2 weken na vaccinatie te beperken. Verzekert u ervan dat uw laatste meningokokkenvaccinatie nog geldig is. U moet zich er ook van bewust zijn dat vaccinatie dit type infectie mogelijk niet altijd kan voorkomen.

Het is mogelijk dat uw arts van oordeel is dat u, in overeenstemming met de nationale aanbevelingen, bijkomende maatregelen dient te nemen om een infectie te vermijden.

Verschijselen van een meningokokkeninfectie

Omdat het belangrijk is dat een eventuele meningokokkeninfectie bij patiënten die Ultomiris krijgen toegediend snel wordt vastgesteld en behandeld, ontvangt u een zogenaamde 'patiëntenkaart' die u altijd bij u moet dragen, waarop specifieke tekenen en verschijnselen van een meningokokkeninfectie/sepsis vermeld staan.

Als u één of meer van de volgende verschijnselen krijgt, laat dat dan meteen weten aan uw arts:

- hoofdpijn met misselijkheid of braken
- hoofdpijn en koorts
- hoofdpijn met een stijve nek of stijve rug
- koorts
- koorts en huiduitslag
- verwardheid
- spierpijn met griepachtige verschijnselen
- gevoeligheid van de ogen voor licht

Infecties

Als u infecties heeft, informeer dan uw arts voordat u begint met Ultomiris.

Reacties op het infuus

Wanneer Ultomiris wordt toegediend, kan u reacties op het infuus ervaren (infusiereacties), zoals hoofdpijn, lage rugpijn en infusiegerelateerde pijn. Sommige patiënten kunnen een allergische reactie of overgevoelighedsreactie ervaren (waaronder anafylaxie, een ernstige allergische reactie die moeite met ademen of duizeligheid veroorzaakt).

Kinderen en jongeren tot 18 jaar

Patiënten jonger dan 18 jaar moeten gevaccineerd zijn tegen *Haemophilus influenzae* en pneumokokkeninfecties.

Zwangerschap en borstvoeding

Vrouwen die zwanger kunnen worden

Het is niet bekend welk effect dit geneesmiddel op een ongeborn kind heeft. Daarom dient effectieve anticonceptie te worden gebruikt tijdens de behandeling en gedurende 8 maanden na de behandeling, bij vrouwen die zwanger kunnen worden.

Zwangerschap en borstvoeding

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.

Ultomiris wordt niet aanbevolen voor gebruik tijdens de zwangerschap en bij vrouwen die zwanger kunnen worden en geen anticonceptie gebruiken.

Lijst van bijwerkingen

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

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: Verschijnselen van een meningokokkeninfectie), moet u onmiddellijk uw arts informeren.

Uw arts zal de mogelijke bijwerkingen met u bespreken en de risico's en voordelen van ravulizumab (Ultomiris®) 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
- vermoeidheid

- infectie van de bovenste luchtwegen
- verkoudheid

Vaak: kan tot 1 op 10 personen treffen:

- duizeligheid
- buikpijn, braken, last van de maag na het eten (dyspepsie)
- huiduitslag, jeuk op de huid, galbulten
- rugpijn, gewrichtspijn, spierpijn en spierspasmen
- koorts, 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
- gonokokkeninfectie

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®) 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/nefroloog 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 atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ALXN1210-aHUS-311 of ALXN1210-aHUS-312)
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 atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS).
- ✓ 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 atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ALXN1210-aHUS-311 of ALXN1210-aHUS-312)
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.

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 de relatie met uw behandelende arts beïnvloeden, noch de kwaliteit van de verdere verzorging.

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

Indien u aanvaardt om aan dit programma deel te nemen, moet u de geïnformeerde toestemming (*Deel II van dit document*) ondertekenen.

De behandelende arts zal dit formulier ook ondertekenen en zal zo bevestigen dat hij/zij 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 Ultomiris® (ravulizumab) 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 deelname aan het programma.

Vertrouwelijkheidsgarantie

Uw deelname aan dit programma, betekent dat u ermee akkoord gaat dat de arts gegevens over u verzamelt. Sommige informatie, betreffende de bijwerkingen die u gemeld heeft aan uw arts tijdens uw deelname aan dit programma, zal aan de opdrachtgever worden overgebracht.

- Uw medische gegevens waaruit uw identiteit kan worden afgeleid ("patiëntendossier")

Deze gegevens hebben betrekking op uw huidige klinische situatie maar ook op een deel van uw achtergrond, de resultaten van onderzoeken die werden uitgevoerd voor de behandeling van uw gezondheid volgens de geldende zorgstandaard en uiteraard de resultaten van onderzoeken zoals voorgeschreven door het protocol. U hebt het

recht om aan de arts-onderzoeker te vragen welke gegevens hij/zij over u heeft verzameld en waarvoor ze worden gebruikt in het kader van dit programma.

Alle personen die toegang hebben tot uw dossier, hebben een geheimhoudingsplicht met betrekking tot de bekeken informatie.

➤ Uw gepseudonimiseerde gegevens (gegevens voor het programma)

De nieuwe **Europese Algemene Verordening omtrent Gegevensbescherming (AVG)**, die sinds 25 mei 2018 van kracht is, legt bijkomende vereisten op over hoe bedrijven of organisaties uw persoonsgegevens mogen gebruiken. Een van die vereisten is dat de verantwoordelijke voor de verwerking u onderstaande informatie bezorgt.

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

Uw arts is verplicht om deze verzamelde gegevens vertrouwelijk te behandelen. Om uw anonimiteit te beschermen zal, bij elke overdracht van uw gegevens aan de opdrachtgever, uw identiteit worden vervangen met uw identificatiecode van dit programma. De overgedragen persoonlijke gegevens omvatten geen combinatie van elementen waarmee het mogelijk is u te identificeren. De arts-onderzoeker en zijn/haar team zullen daarom de enige personen zijn die een verband kunnen leggen tussen de gegevens die gedurende dit programma worden overgedragen en uw medisch dossier.

Uw naam zal ook nooit worden genoemd in het kader van een publicatie of een conferentie.

De (gecodeerde) gegevens, met name betreffende de bijwerkingen die u gemeld heeft aan uw arts, kunnen worden doorgegeven aan Belgische of andere regelgevende instanties, aan de betrokken ethische comités, aan andere artsen en/of instellingen die samenwerken met de opdrachtgever.

Ze kunnen ook worden doorgegeven aan andere centra van de opdrachtgever in België en in andere landen waar de normen inzake de bescherming van persoonsgegevens verschillend of minder strikt kunnen zijn. Dit gebeurt dan steeds in gecodeerde vorm zoals hierboven uitgelegd

Alle informatie met betrekking tot dit programma is vertrouwelijk. Deze informatie is eigendom van de opdrachtgever. We vragen dat u deze informatie niet vrijgeeft. U kan deze informatie in vertrouwen bespreken met uw huisarts of met familieleden of vrienden tijdens gesprekken over uw gezondheidszorg of om u te helpen bij uw beslissing om al dan niet aan dit programma deel te nemen.

➤ Uw rechten

U heeft het recht om aan de arts te vragen welke gegevens hij/zij overgemaakt heeft aan de opdrachtgever en waarvoor ze gebruikt worden in het kader van dit programma. U hebt het recht om deze gegevens in te kijken en om verbeteringen te laten aanbrengen indien ze foutief zouden zijn¹.

U hebt het recht om gegevens te verwijderen en het recht om te worden vergeten in naar behoren gemotiveerde gevallen; een dergelijk verzoek moet altijd schriftelijk worden gedaan.

Neem contact op met uw arts als u vragen hebt over de verwerking van uw persoonlijke gegevens of een verzoek om toegang tot uw persoonlijke gegevens.

Volgens de AVG hebt u een aantal rechten rond de verwerking van uw gegevens. Indien u hierover verdere vragen hebt, kan u hiervoor steeds terecht bij uw arts-onderzoeker.

Ook de functionaris voor gegevensbescherming van het onderzoekcentrum, staat ter uwer beschikking. Op pagina 1 van dit document vindt u zijn/haar contactgegevens.

Tot slot heeft u ook het recht om een klacht in te dienen over hoe uw informatie wordt behandeld. Dit kan u doen bij de Belgische toezichthoudende instantie die verantwoordelijk is voor het handhaven van de wetgeving rond gegevensbescherming:

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

¹ Deze rechten zijn bepaald door de wet van 30 juli 2018 tot bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens.

Bescherming van de persoonlijke levenssfeer

Uw identiteit en uw deelname aan dit programma worden strikt vertrouwelijk behandeld. Uw persoonlijke gegevens zullen in een, specifiek voor het programma, centraal register worden geregistreerd en door de verantwoordelijke van het programma worden behandeld. De persoonsgegevens worden verkregen voor welbepaalde, uitdrukkelijk omschreven doeleinden en zullen niet verder worden verwerkt op een wijze die onverenigbaar is met deze doeleinden. De bescherming van persoonsgegevens wordt gewaarborgd door het advies 24/2014 van 2 april 2014 betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.

Titel van het programma:	Medisch noodprogramma met ravulizumab (Ultomiris®) voor de behandeling van atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ALXN1210-aHUS-311 of ALXN1210-aHUS-312)
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	<i>Naam:.....</i> <i>Adres van het ziekenhuis:.....</i> <i>Contactnummer:</i> <i>Noodnummer:</i> <i>Contactnummer in geval van vragen in verband met dit programma:</i> <i>Contactgegevens verantwoordelijke/dienst voor gegevensbescherming van het ziekenhuis:</i>

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 (6 pagina's) aan het medisch noodprogramma Ravulizumab.

INLEIDING

Uw kind wordt uitgenodigd om deel te nemen aan dit programma, dat uw kind de mogelijkheid biedt - de behandeling met ravulizumab (Ultomiris®), een geneesmiddel voor de behandeling van de ziekte atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) te ontvangen.

Het European Medical Agency (EMA) heeft de goedkeuring verleend tot het op de markt brengen van ravulizumab (Ultomiris®) in de bovenvermelde indicatie in april 2020. 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 uw kind, hebben deelgenomen aan de Open Label Extension studie met ravulizumab (Ultomiris®) en baat blijven hebben bij hun behandeling, waarbij uw arts de alternatieve mogelijkheden heeft uitgelegd (onder andere het commercieel beschikbare geneesmiddel Soliris® (eculizumab) dat wordt vergoed in België voor de betrokken aandoening of een ander geneesmiddel in het kader van een klinische studie) en er is beslist dat uw kind hiervoor niet in aanmerking komt of er niet op de gepaste wijze mee kan worden behandeld.

Voordat u beslist of u uw kind laat 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 uw kind kind aan dit programma deelneemt, moet u het volgende 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 intern programma's als dit evalueert).
- Uw beslissing over al dan niet deelnemen aan dit programma is geheel vrijwillig. Voor deelname van uw kind is uw ondertekende toestemming nodig. De medische zorg van uw kind zal niet beïnvloed worden als u beslist uw kind niet te laten deelnemen.
- U heeft ook het recht om op gelijk welk moment de deelname van uw kind stop te zetten. Uw beslissing om de deelname te stoppen, zal geen enkele invloed hebben op uw kind's verdere behandeling. Gelieve de arts tijdig op de hoogte te stellen (maw voordat u zich terugtrekt uit dit programma). Men kan u vragen terug te keren naar het ziekenhuis voor tests. De veiligheidsgegevens die voorafgaand aan de terugtrekking verzameld werden, kunnen nog steeds gebruikt worden
- Indien u extra informatie wenst, kan u altijd contact opnemen met de arts of een medewerker van zijn/haar team.

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. Atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) is een zeldzame ziekte die die het bloedstelsel en de nieren aantast. Bij patiënten met aHUS kunnen de nieren en bloedvaten, en ook de bloedplaatjes, ontstoken zijn. Dat kan leiden tot een laag aantal rode bloedcellen (trombocytopenie en bloedarmoede), een verminderde of helemaal geen nierfunctie, bloedstolsels, vermoeidheid en moeilijkheden bij het functioneren.

Ravulizumab (Ultomiris®) wordt gebruikt voor de behandeling van volwassen patiënten en kinderen met een gewicht van 10 kg en meer, die leiden aan aHUS. Ultomiris® kan de ontstekingsreactie van het lichaam blokkeren en daarmee ook het vermogen van het lichaam om de eigen kwetsbare bloedvaten aan te vallen en te vernietigen. Het kan zo verschijnselen van de ziekte, waaronder schade aan de nieren, onder controle houden.

Uw kind wordt gevraagd om deel te nemen aan een medisch noodprogramma dat uw kind toegang zal verlenen tot een behandeling omdat uw kind atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) heeft en baat zouden hebben bij een verdere behandeling met ravulizumab (Ultomiris®) na het einde van de klinische studie.

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

Tijdens deelname aan dit medisch noodprogramma wordt uw kind 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 uw kind aan dit programma deelneemt, zal ravulizumab (Ultomiris®) onderhoudsdosis toegediend worden via intraveneus infuus (het inlopen van een vloeistof in een ader) om de 8 weken voor patiënten van meer dan 20 kg en om de 4 weken voor patiënten van minder dan 20 kg.

De Ultomiris onderhoudsdosis, doseringsinterval en minimale duur van de infusie zijn afhankelijk van het lichaamsgewicht van uw kind, zoals weergegeven in de volgende table.

Lichaams- gewicht (kg)	Onderhoudsdosis (mg)	Doseringsinterval	Minimale duur van de infusie; minuten (uur)
≥ 10 tot < 20°	600	Om de 4 weken	45 (0,8)
≥ 20 tot < 30°	2.100	Om de 8 weken	75 (1,3)
≥ 30 tot < 40°	2.700	Om de 8 weken	65 (1,1)
≥ 40 tot < 60	3.000	Om de 8 weken	55 (0,9)
≥ 60 tot < 100	3.300	Om de 8 weken	40 (0,7)
≥ 100	3.600	Om de 8 weken	30 (0,5)

Ravulizumab (Ultomiris®) zal gratis geleverd worden -via het Alexion GATM programma - op individuele basis tot het terugbetaald wordt in België voor de behandeling van aHUS of totdat de behandelende arts beslist om de behandeling van uw kind met ravulizumab te stoppen.

Vrijwillige deelname en intrekking van uw toestemming

Uw beslissing om uw kind te laten deelnemen is geheel vrijwillig. Zelfs als u besluit om met de behandeling te starten, bent u vrij om op eender welk moment de behandeling van uw kind 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 zijn/haar behandeling stop te zetten als hij/zij denkt dat uw kind 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

Uw kind kan de behandeling verder zetten zolang uw arts meent dat hij/zij baat heeft bij de behandeling. De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien de ziekte verergert, indien blijkt dat uw kind het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, indien uw kind zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt. Indien uit nieuwe informatie blijkt dat uw kind geen voordeel meer haalt uit de behandeling, dan zal deze stopgezet worden. Het is ook mogelijk dat de arts de deelname aan het programma stopzet omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor de gezondheid van uw kind.

Het kan eveneens gebeuren dat het ethisch comité of de bevoegde autoriteiten die aanvankelijk goedkeuring hadden gegeven voor het programma het programma stopzet.

Het programma kan ook door Alexion stopgezet worden. In geval van definitieve terugtrekking of afwijzing van de terugbetalingsaanvraag kan het medische noodprogramma afgesloten worden.

Het programma wordt in ieder geval gestopt wanneer ravulizumab (Ultomiris®) terugbetaald wordt in België.

Bijzondere waarschuwingen en voorzorgen bij gebruik

Zoals elk geneesmiddel is het mogelijk dat uw kind 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.

Wanneer mag uw kind dit middel niet gebruiken?

- Uw kind is allergisch voor een van de stoffen in dit geneesmiddel.
- Uw kind is niet gevaccineerd tegen meningokokkeninfectie.
- Uw kind heeft een meningokokkeninfectie.

Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met dit middel?

Neem contact op met uw arts voordat u dit middel gebruikt.

Verschijnselen van meningokokkeninfectie en andere infecties met *Neisseria*

Doordat het geneesmiddel de werking blokkeert van het complementsysteem, dat deel uitmaakt van het afweersysteem van het lichaam tegen infecties, heeft u bij gebruik van Ultomiris een grotere kans op een meningokokkeninfectie veroorzaakt door *Neisseria meningitidis*. Dit zijn ernstige infecties van de hersenvliezen die zich ook kunnen verspreiden door het bloed en het lichaam (bloedvergiftiging: sepsis).

Raadpleeg uw arts vóór aanvang van de behandeling met Ultomiris om ervoor te zorgen dat u ten minste 2 weken vóór u de behandeling start, wordt gevaccineerd tegen *Neisseria meningitidis*. Als u niet 2 weken van tevoren kunt worden gevaccineerd, schrijft uw arts antibiotica voor om het risico van infectie tot 2 weken na vaccinatie te beperken. Verzekert u ervan dat uw laatste meningokokkenvaccinatie nog geldig is. U moet zich er ook van bewust zijn dat vaccinatie dit type infectie mogelijk niet altijd kan voorkomen.

Het is mogelijk dat uw arts van oordeel is dat u, in overeenstemming met de nationale aanbevelingen, bijkomende maatregelen dient te nemen om een infectie te vermijden.

Verschijselen van een meningokokkeninfectie

Omdat het belangrijk is dat een eventuele meningokokkeninfectie bij patiënten die Ultomiris krijgen toegediend snel wordt vastgesteld en behandeld, ontvangt u een zogenaamde 'patiëntenkaart' die u altijd bij u moet dragen, waarop specifieke tekenen en verschijnselen van een meningokokkeninfectie/sepsis vermeld staan.

Als u één of meer van de volgende verschijnselen krijgt, laat dat dan meteen weten aan uw arts:

- hoofdpijn met misselijkheid of braken
- hoofdpijn en koorts
- hoofdpijn met een stijve nek of stijve rug
- koorts
- koorts en huiduitslag
- verwardheid
- spierpijn met griepachtige verschijnselen
- gevoeligheid van de ogen voor licht

Infecties

Als u infecties heeft, informeer dan uw arts voordat u begint met Ultomiris.

Reacties op het infuus

Wanneer Ultomiris wordt toegediend, kan uw kind reacties op het infuus ervaren (infusiereacties), zoals hoofdpijn, lage rugpijn en infusiegerelateerde pijn. Sommige patiënten kunnen een allergische reactie of overgevoelighedsreactie ervaren (waaronder anafylaxie, een ernstige allergische reactie die moeite met ademen of duizeligheid veroorzaakt).

Kinderen en jongeren tot 18 jaar

Patiënten jonger dan 18 jaar moeten gevaccineerd zijn tegen *Haemophilus influenzae* en pneumokokkeninfecties.

Zwangerschap en borstvoeding

Vrouwen die zwanger kunnen worden

Het is niet bekend welk effect dit geneesmiddel op een ongeborn kind heeft. Daarom dient effectieve anticonceptie te worden gebruikt tijdens de behandeling en gedurende 8 maanden na de behandeling, bij vrouwen die zwanger kunnen worden.

Zwangerschap en borstvoeding

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.

Ultomiris wordt niet aanbevolen voor gebruik tijdens de zwangerschap en bij vrouwen die zwanger kunnen worden en geen anticonceptie gebruiken.

Lijst van bijwerkingen

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

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: Verschijnselen van een meningokokkeninfectie), moet u onmiddellijk uw arts informeren.

Uw arts zal de mogelijke bijwerkingen met u bespreken en de risico's en voordelen van ravulizumab (Ultomiris®) 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
- vermoeidheid

- infectie van de bovenste luchtwegen
- verkoudheid

Vaak: kan tot 1 op 10 personen treffen:

- duizeligheid
- buikpijn, braken, last van de maag na het eten (dyspepsie)
- huiduitslag, jeuk op de huid, galbulten
- rugpijn, gewrichtspijn, spierpijn en spierspasmen
- koorts, 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
- gonokokkeninfectie

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®) 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 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.

Uw dossier zal nuttige informatie bevatten voor de dienstdoende arts met betrekking tot het programma.

GATM nr :

Informatiedocument en geïnformeerde toestemming Medisch Noodprogramma add ouders of voogd
Patiënt < 18 jaar of ≥ 18 jaar die onder het statuut van verlengde minderjarigheid valt

Titel van het programma:	Medisch noodprogramma met ravulizumab (Ultomiris®) voor de behandeling van atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ALXN1210-aHUS-311 of ALXN1210-aHUS-312)
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 wettelijke vertegenwoordig(st)er* van de patiënt:

Hierbij bevestig ik, ondergetekende (naam & voornaam) _____, wettelijke vertegenwoordig(st)er van patiënt (naam & voornaam) _____

- ✓ Dat ik ben ingelicht over het Medisch Nood Programma met ravulizumab voor de behandeling van patiënten met atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS).
- ✓ Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over de aard, het doel, de duur, de eventuele voordelen en risico's van de het programma en dat ik weet wat van mij en mijn kind 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 mijn vragen.
- ✓ Ik begrijp dat de deelname aan dit programma vrijwillig is en dat ik vrij ben deelname aan dit programma stop te zetten zonder dat dit de relatie schaadt met het therapeutisch team dat instaat voor de gezondheid van mijn kind.
- ✓ Ik begrijp dat er tijdens deelname aan dit programma gegevens over mijn kind zullen worden verzameld en dat de arts en de opdrachtgever de vertrouwelijkheid van deze gegevens verzekeren.
- ✓ 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 aanvaard dat de opdrachtgever, de arts en zijn/haar team, evenals andere personen, toegang hebben tot de medische gegevens en persoonlijke informatie van mijn kind, zoals beschreven in dit informatieformulier.
- ✓ Met de ondertekening van dit document geef ik de toestemming dat de persoonlijke gegevens van mijn kind worden gebruikt in overeenstemming met de Belgische wetgeving en het advies 24/2014 van 2 april 2014 betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.
- ✓ Ik ga ermee akkoord dat de huisarts en andere specialisten die voor de gezondheid van mijn kind instaan op de hoogte worden gesteld van de deelname van mijn kind aan dit programma (**gelieve deze zin te schrappen indien u niet akkoord gaat**).
- ✓ Ik heb een exemplaar ontvangen van dit document (Deel I, II en III).

Handtekening wettelijk vertegenwoordig(st)er : _____

Datum: _____

Handtekening patiënt (in geval van voldoende intellectuele maturiteit): _____

Datum: _____

***Wettelijke Vertegenwoordiger**

"Bij de minderjarige (< 18 jaar) wordt het recht toe te stemmen tot een deelname aan een experiment uitgeoefend door zijn ouders die het wettelijke gezag over de minderjarige uitoefenen, of, zo die er niet zijn, door de voogd van de minderjarige; de minderjarige wordt betrokken bij de uitoefening van het bewuste recht, rekening houdend met zijn leeftijd en zijn graad van maturiteit. Daartoe ontvangt de minderjarige, voorafgaand aan het experiment, van pedagogisch gekwalificeerd personeel de informatie die is aangepast aan zijn begripsvermogen. De uitdrukkelijke wil van de minderjarige wordt eveneens onderzocht en nageleefd door de onderzoeker, in de mate waarin de minderjarige in staat is zich een oordeel te vormen en de informatie te evalueren wat betreft zijn deelname aan het experiment, zijn weigering eraan deel te nemen, of zijn wens zich terug te trekken. Deze toestemming moet de veronderstelde wil van de minderjarige uitdrukken en kan op elk moment worden ingetrokken zonder dat de minderjarige daardoor enig nadeel ondervindt." **Bron: Wet van 7 mei 2004 inzake experimenten op de menselijke persoon (Artikel 7).**

"Bij de meerderjarige (≥ 18 jaar) die onder het statuut van verlengde minderjarigheid valt, of onbekwaam is verklaard, wordt het recht toe te stemmen tot een deelname aan een experiment uitgeoefend door zijn ouders of voogd. Bij de meerderjarige [die onbekwaam is toestemming te verlenen voor deelname aan experimenten en] die niet valt onder de bepalingen van vorige lid, wordt het recht om toe te stemmen tot deelname aan een experiment uitgeoefend door een vertegenwoordiger die voorafgaand door betrokkene via een bijzondere schriftelijke volmacht gedateerd en ondertekend door beide partijen, is aangewezen. Zonder dergelijke volmacht wordt het recht toe te stemmen tot deelname aan een experiment uitgeoefend door de samenwonende echtgenoot, de wettelijke samenwonende partner of de feitelijk samenwonende partner. Indien die er niet zijn, wordt het recht toe te stemmen tot deelname aan een experiment in dalende volgorde uitgeoefend door een meerderjarig kind, een ouder, een meerderjarige broer of zus van de betrokkene. In het geval van onenigheid tussen meerderjarige broers of zussen, wordt ervan uitgegaan dat de toestemming niet gegeven is;" **Bron: Wet van 7 mei 2004 inzake experimenten op de menselijke persoon (Artikel 8).**

GATM nr :

Informatiedocument en geïnformeerde toestemming Medisch Noodprogramma add ouders of voogd
 Patiënt < 18 jaar of ≥ 18 jaar die onder het statuut van verlengde minderjarigheid valt

Deel enkel bestemd voor de arts :

Ik, ondergetekende, _____ (naam en voornaam)
 _____ (R.I.Z.I.V nummer) bevestig hierbij dat ik
 de wettelijke vertegenwoordiger (naam & voornaam) _____
 van patiënt (naam van de patiënt(e) voluit) _____ en
 de patiënt zelf (in geval van voldoende intellectuele maturiteit) heb ingelicht en dat hij (zij/zij) zijn (haar/hun)
 toestemming heeft (hebben) gegeven om zijn/haar kind te laten deelnemen aan dit programma.

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 wettelijke vertegenwoordiger (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 de wettelijke
 vertegenwoordiger 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 atypisch hemolytisch-uremisch syndroom (aHUS) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ALXN1210-aHUS-311 of ALXN1210-aHUS-312)
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

Bijlage 1: 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.

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 de relatie met de behandelende arts van uw kind beïnvloeden, noch de kwaliteit van de verdere verzorging van uw kind.

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

Indien u aanvaardt om aan dit programma deel te nemen, moet u de geïnformeerde toestemming (*Deel II van dit document*) ondertekenen.

De behandelende arts zal dit formulier ook ondertekenen en zal zo bevestigen dat hij/zij 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 Ultomiris® (ravulizumab) gratis ter beschikking zolang uw kind 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 deelname aan het programma.

Vertrouwelijkheidsgarantie

Uw deelname aan dit programma, betekent dat u ermee akkoord gaat dat de arts gegevens over u verzamelt. Sommige informatie, betreffende de bijwerkingen die u gemeld heeft aan uw arts tijdens uw deelname aan dit programma, zal aan de opdrachtgever worden overgebracht.

- Uw medische gegevens waaruit uw identiteit kan worden afgeleid ("patiëntendossier")

Deze gegevens hebben betrekking op uw huidige klinische situatie maar ook op een deel van uw achtergrond, de resultaten van onderzoeken die werden uitgevoerd voor de behandeling van uw gezondheid volgens de geldende zorgstandaard en uiteraard de resultaten van onderzoeken zoals voorgeschreven door het protocol. U hebt het

recht om aan de arts-onderzoeker te vragen welke gegevens hij/zij over u heeft verzameld en waarvoor ze worden gebruikt in het kader van dit programma.

Alle personen die toegang hebben tot uw dossier, hebben een geheimhoudingsplicht met betrekking tot de bekeken informatie.

➤ Uw gepseudonimiseerde gegevens (gegevens voor het programma)

De nieuwe **Europese Algemene Verordening omtrent Gegevensbescherming (AVG)**, die sinds 25 mei 2018 van kracht is, legt bijkomende vereisten op over hoe bedrijven of organisaties uw persoonsgegevens mogen gebruiken. Een van die vereisten is dat de verantwoordelijke voor de verwerking u onderstaande informatie bezorgt.

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

Uw arts is verplicht om deze verzamelde gegevens vertrouwelijk te behandelen. Om uw anonimiteit te beschermen zal, bij elke overdracht van uw gegevens aan de opdrachtgever, uw identiteit worden vervangen met uw identificatiecode van dit programma. De overgedragen persoonlijke gegevens omvatten geen combinatie van elementen waarmee het mogelijk is u te identificeren. De arts-onderzoeker en zijn/haar team zullen daarom de enige personen zijn die een verband kunnen leggen tussen de gegevens die gedurende dit programma worden overgedragen en uw medisch dossier.

Uw naam zal ook nooit worden genoemd in het kader van een publicatie of een conferentie.

De (gecodeerde) gegevens, met name betreffende de bijwerkingen die u gemeld heeft aan uw arts, kunnen worden doorgegeven aan Belgische of andere regelgevende instanties, aan de betrokken ethische comités, aan andere artsen en/of instellingen die samenwerken met de opdrachtgever.

Ze kunnen ook worden doorgegeven aan andere centra van de opdrachtgever in België en in andere landen waar de normen inzake de bescherming van persoonsgegevens verschillend of minder strikt kunnen zijn. Dit gebeurt dan steeds in gecodeerde vorm zoals hierboven uitgelegd

Alle informatie met betrekking tot dit programma is vertrouwelijk. Deze informatie is eigendom van de opdrachtgever. We vragen dat u deze informatie niet vrijgeeft. U kan deze informatie in vertrouwen bespreken met uw huisarts of met familieleden of vrienden tijdens gesprekken over uw gezondheidszorg of om u te helpen bij uw beslissing om al dan niet aan dit programma deel te nemen.

➤ Uw rechten

U heeft het recht om aan de arts te vragen welke gegevens hij/zij overgemaakt heeft aan de opdrachtgever en waarvoor ze gebruikt worden in het kader van dit programma. U hebt het recht om deze gegevens in te kijken en om verbeteringen te laten aanbrengen indien ze foutief zouden zijn¹.

U hebt het recht om gegevens te verwijderen en het recht om te worden vergeten in naar behoren gemotiveerde gevallen; een dergelijk verzoek moet altijd schriftelijk worden gedaan.

Neem contact op met uw arts als u vragen hebt over de verwerking van uw persoonlijke gegevens of een verzoek om toegang tot uw persoonlijke gegevens.

Volgens de AVG hebt u een aantal rechten rond de verwerking van uw gegevens. Indien u hierover verdere vragen hebt, kan u hiervoor steeds terecht bij uw arts-onderzoeker.

Ook de functionaris voor gegevensbescherming van het onderzoekcentrum, staat ter uwer beschikking. Op pagina 1 van dit document vindt u zijn/haar contactgegevens.

Tot slot heeft u ook het recht om een klacht in te dienen over hoe uw informatie wordt behandeld. Dit kan u doen bij de Belgische toezichthoudende instantie die verantwoordelijk is voor het handhaven van de wetgeving rond gegevensbescherming:

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

¹ Deze rechten zijn bepaald door de wet van 30 juli 2018 tot bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens.

GATM nr :

Informatiedocument en geïnformeerde toestemming Medisch Noodprogramma add ouders of voogd
Patiënt < 18 jaar of ≥ 18 jaar die onder het statuut van verlengde minderjarigheid valt**Bescherming van de persoonlijke levenssfeer**

Uw identiteit en uw deelname aan dit programma worden strikt vertrouwelijk behandeld. Uw persoonlijke gegevens zullen in een, specifiek voor het programma, centraal register worden geregistreerd en door de verantwoordelijke van het programma worden behandeld. De persoonsgegevens worden verkregen voor welbepaalde, uitdrukkelijk omschreven doeleinden en zullen niet verder worden verwerkt op een wijze die onverenigbaar is met deze doeleinden. De bescherming van persoonsgegevens wordt gewaarborgd door het advies 24/2014 van 2 april 2014 betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.