

Titel van het programma:	Medisch noodprogramma met eculizumab (Soliris®) voor de behandeling van refractaire gegeneraliseerde myasthenia gravis (gMG) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ECU-MG-302)
Oprichtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethisch Comité UZA-UA UZA, Wilrijkstraat 10, B-2650 Edegem Tel +32 3 821 38 97 - Fax +32 3 821 42 54 Ethisch.Comite@uza.be
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 Soliris®.

Inleiding

Uw arts stelt u als behandeling voor de ziekte refractaire gegeneraliseerde myasthenia gravis (refractaire gMG) een blijvende behandeling voor met eculizumab (Soliris®).

Het European Medical Agency (EMA) heeft de goedkeuring verleend tot het op de markt brengen van eculizumab (Soliris®) in de bovenvermelde indicatie in augustus 2017. Dit geneesmiddel is echter op heden niet terugbetaald in België.

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

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

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

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

- Dit programma wordt uitgevoerd na evaluatie en goedkeuring door een ethisch comité en het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) alsook het - Global Access to Medical Product (GATM) comité van Alexion (een intern comité bij de opdrachtgever die intern programma's als dit evalueert).
- Uw beslissing over 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 eculizumab (Soliris®) gratis geleverd worden door Alexion tot het terugbetaald wordt in België voor de behandeling van refractaire gegeneraliseerde myasthenia gravis-of totdat uw arts beslist om uw behandeling met eculizumab 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. Myasthenia gravis (MG) is een zeldzame en chronische spierziekte met als typische symptomen zwakte en spierversmoedigheid. MG kan één enkele spiergroep treffen of spiergroepen verspreid over het lichaam (gegeneraliseerde MG = gMG). Refractaire gMG wil zeggen dat u onvoldoende reageert op de gebruikelijke medicijnen die wel de symptomen voldoende verminderen bij patiënten met niet-refractaire gMG. De behandeling/medicatie voor refractaire gMG wordt eculizumab genoemd.

Uw arts heeft u gevraagd om deel te nemen aan een medisch noodprogramma omdat u refractaire gegeneraliseerde myasthenia gravis (refractaire gMG) heeft en baat zouden hebben bij een verdere behandeling met eculizumab (Soliris®).

Informatie over het geneesmiddel

Soliris® bevat de werkzame stof eculizumab. Het behoort tot de groep geneesmiddelen die complementremmers worden genoemd, die de ontsteking helpen verminderen op de neuromusculaire overgang (Neuromuscular Junction, NMJ), wat leidt tot falen van neuromusculaire transmissie.

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 eculizumab (Soliris®) 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 eculizumab (Soliris®) elke 2 weken via intraveneus infuus (het inlopen van een vloeistof in een ader).in een dosis van 1.200 mg gedurende een periode van 25 - 45 minuten toegediend worden.

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 eculizumab (Soliris®) 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 eculizumab (Soliris®) 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 bv. 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 eculizumab (Soliris®) in België wordt terugbetaald voor de behandeling van refractaire gMG.

Algemene risico's

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

Bijzondere waarschuwingen en voorzorgen bij gebruik

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

Waarschuwing voor meningokokkeninfectie en andere ernstige infecties

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

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

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

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

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

Infusiegerelateerde reacties

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

Lijst van bijwerkingen

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

De meest frequente bijwerking was hoofdpijn (kwam meestal in de initiële doseringsfase voor), en de meest ernstige bijwerking was meningokokkeninfectie (ernstige infectie van de hersenvliezen).

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

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

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

- hoofdpijn.

Vaak: kan tot 1 op 10 personen treffen:

- infectie van de long (pneumonie), verkoudheid (nasofaryngitis), infectie van de urinewegen (urineweginfectie)
- laag aantal witte bloedcellen (leukopenie), vermindering in rode bloedcellen waardoor de huid bleek kan worden en zwakte of kortademigheid kunnen optreden
- slapeloosheid
- duizeligheid, smaakstoornissen (dysgeusie), hoge bloeddruk
- infectie van de bovenste luchtwegen, hoesten, keelpijn (orofaryngeale pijn), ontsteking van de luchtwegen met hoesten en het opgeven van slijm (bronchitis), koortslip (herpes simplex)
- diarree, braken, misselijkheid, buikpijn, huiduitslag, haaruitval (alopecia), jeukende huid (pruritus)
- pijn in de gewrichten (armen en benen)
- koorts (pyrexie), vermoeidheid, griepachtige aandoening

Soms: kan tot 1 op 100 personen treffen:

- ernstige infectie (meningokokkeninfectie), sepsis (ernstige bloedinfectie), septische shock, virusinfectie, infectie van de onderste luchtwegen, buikgriep (gastro-intestinale infectie), blaasontsteking (cystitis)
- infectie, schimmelinfectie, ophoping van etter (abces), bepaald type huidinfectie (cellulitis), griep (influenza), sinusitis, tandinfectie (abces)
- relatief weinig plaatjes in het bloed (trombocytopenie), laag aantal lymfocyten, een specifieke soort witte bloedcellen (lymfopenie), hartkloppingen
- ernstige allergische reactie die ademhalingsproblemen en duizeligheid veroorzaakt (anafylactische reactie), overgevoeligheid
- verlies van eetlust
- depressie, angst, stemmingswisselingen
- tintelingen in een deel van het lichaam (paresthesie), beven
- wazig zien
- oorsuizingen, draaiduizeligheid (vertigo)
- plotse en snelle ontwikkeling van extreem hoge bloeddruk, lage bloeddruk, opvliegers, aderaandoening
- dyspneu (ademhalingsproblemen), bloedneus, neusverstopping (nasale congestie), keelirritatie, loopneus (rinorroe)
- ontsteking van het peritoneum (het buikvlies dat zich rond de meeste organen in de buik bevindt), constipatie, maagproblemen na het eten (dyspepsie), opgezetten buik
- netelroos, rode huid, droge huid, rode of paarse vlekken onder de huid, meer zweten
- spierkramp, spierpijn, rug- en nekpijn, botpijn, opgezwollen gewricht, pijn in de ledematen (armen en benen)
- nierfunctiestoornis, moeilijk of pijnlijk plassen (dysurie), bloed in urine
- spontane erectie (erectie zonder aanleiding niet veroorzaakt door een seksuele prikkeling, aanraking of opwinding),
- zwelling (oedeem), ongemak op de borst, gevoel van zwakte (asthenie), pijn op de borst, pijn op de infusieplaats, koude rillingen
- verhoging van leverenzymen, verminderde hoeveelheid van het bloedvolume dat uit rode bloedcellen bestaat, verlaagd gehalte van het eiwit in rode bloedcellen waarmee zuurstof wordt getransporteerd
- infusiegerelateerde reactie

Zelden: kan tot 1 op de 1.000 personen treffen:

- infectie door schimmels (*Aspergillus*-infectie), infectie van het gewricht (bacteriële artritis), *Haemophilus influenzae* infectie, tandvleesinfectie, impetigo (oppervlakkige infectie van de huid), bacteriële seksueel overdraagbare ziekte (gonorroe)
- huidtumor (melanoom), beenmergaandoening
- vernietiging van rode bloedcellen (hemolyse), klonteren van cellen, abnormale stollingsfactor, abnormale bloedstolling
- ziekte met overactieve schildklier (ziekte van Graves)
- slaapstoornis, abnormale dromen
- flauwvallen
- oogirritatie
- blauwe plekken

- ongewone terugstroming van voedsel uit de maag, tandvleespijn
- vergeling van de huid en/of ogen (geelzucht)
- ontsteking van de huid, huidskleurstoornis
- mondspierspasme (contractie van de mondspieren)
- menstruele stoornis
- abnormale lekkage van het geïnfundeerde geneesmiddel uit de ader, abnormaal gevoel op de infusieplek, opvliegers

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.

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

Melding van nieuwe informatie

In sommige gevallen kan het zijn dat er nieuwe informatie beschikbaar is over het geneesmiddel dat u krijgt. Als dit gebeurt, zal uw arts u inlichten en met u bespreken of u de behandeling wenst verder te zetten. Eculizumab (Soliris®) 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/neuroloog 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 eculizumab (Soliris®) 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 eculizumab (Soliris®) voor de behandeling van refractaire gegeneraliseerde myasthenia gravis (gMG) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ECU-MG-302)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethisch Comité UZA-UA UZA, Wilrijkstraat 10, B-2650 Edegem Tel +32 3 821 38 97 - Fax +32 3 821 42 54 Ethisch.Comite@uza.be

II. Geïnformeerde toestemming

Deel enkel bestemd voor de patiënt:

Hierbij bevestig ik, ondergetekende (naam & voornaam) _____

- ✓ Dat ik ben ingelicht over het Medisch noodprogramma met eculizumab voor de behandeling van patiënten met refractaire gegeneraliseerde myasthenia gravis (refractaire gMG).
- ✓ 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 eculizumab (Soliris®) voor de behandeling van refractaire gegeneraliseerde myasthenia gravis (gMG) bij patiënten die deelgenomen hebben aan de Open Label Extension studie (ECU-MG-302)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethisch Comité UZA-UA UZA, Wilrijkstraat 10, B-2650 Edegem Tel +32 3 821 38 97 - Fax +32 3 821 42 54 Ethisch.Comite@uza.be

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. Ethisch Comité UZ Antwerpen, dat een gunstig advies heeft uitgebracht. Het ethische comité heeft als taak de personen die aan programma's deelnemen te beschermen. Ze controleren of uw rechten als patiënt en als deelnemer aan een programma gerespecteerd worden, of - uitgaande van de huidige kennis - de balans tussen risico's en voordelen gunstig is voor de deelnemers, of het programma wetenschappelijk relevant en ethisch verantwoord is.

U dient het positief advies van het Ethische Comité in geen geval te beschouwen als een aansporing om deel te nemen aan dit programma.

Vrijwillige deelname

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

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

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

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

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

Kosten in verband met uw deelname

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

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

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

Vertrouwelijkheidsgarantie

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

Gegevensbeschermingsautoriteit (GBA)

Drukpersstraat 35,

1000 Brussel

Tel. +32 2 274 48 00

e-mail: contact@apd-gba.be

Website: www.gegevensbeschermingsautoriteit.be

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

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec eculizumab (Soliris®) pour le traitement de la myasthénie gravis généralisée réfractaire (MAG) chez les patients ayant terminé l'Etude d'Extension en Ouvert (ECU-MG-302)
Responsable du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Bruxelles
Comité d'éthique	Comité d'éthique UZA-UA UZA, Wilrijkstraat 10, B-2650 Edegem Tel +32 3 821 38 97 - Fax +32 3 821 42 54 Ethisch.Comite@uza.be
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 eculizumab (Soliris®)

INTRODUCTION

Votre médecin estime que vous devriez continuer à bénéficier de l'eculizumab (Soliris®) pour le traitement de votre myasthénie gravis 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 aout 2017 mais le médicament n'est pas encore remboursé en Belgique. Ce programme a donc pour but de mettre eculizumab (Soliris®) à la disposition de patients qui comme vous, ont participé à l'étude d'extension en ouvert avec eculizumab (Soliris®) et qui continuent à tirer bénéfice de leur traitement.

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

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

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

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

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

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

La Myasthénie gravis (MG) est une maladie neuromusculaire rare et chronique avec des symptômes typiques comme la faiblesse musculaire et la fatigue. La MG peut atteindre un seul groupe musculaire ou des groupes musculaires dans tout le corps (MG généralisée = MAG). MAG réfractaire signifie que vous ne répondez pas suffisamment aux médicaments habituels qui réduisent les symptômes chez les patients non réfractaires. Le traitement/médicament pour MAG réfractaire est appelé eculizumab.

Votre médecin vous propose de participer à ce programme médical d'urgence car il estime que vous devriez continuer à bénéficier d'un traitement par eculizumab (Soliris®) pour traiter votre Myasthenia gravis.

Information concernant le produit

Soliris® contient la substance active eculizumab. Il appartient à un groupe de médicaments appelés inhibiteurs du complément, qui contribuent à réduire l'inflammation au niveau des jonctions neuro-musculaires.

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 l'eculizumab (Soliris®) gratuitement, dans le cadre du programme médical d'urgence, aussi longtemps que votre médecin traitant est d'avis que ce traitement vous est bénéfique, ou jusqu'au moment de la décision de remboursement.

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

Si vous acceptez de participer à ce programme, vous recevrez une dose de 1200 mg de eculizumab (Soliris®) une fois toutes les 2 semaines par une infusion intraveineuse (c'est-à-dire par injection dans votre veine) ; qui durera 25-45 minutes.

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 eculizumab (Soliris®) 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 eculizumab (Soliris®) ou à l'obtention de nouvelles données relatives à l'efficacité ou à la sécurité de l'eculizumab (Soliris®) 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'eculizumab (Soliris®) sera remboursé en Belgique pour le traitement des MAG réfractaires.

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 Soliris avant le début de votre traitement.

Avertissements et précautions

Avertissement concernant les infections à méningocoque et autres infections graves

Étant donné que SOLIRIS® bloque un constituant du système immunitaire, il augmente le risque d'infection grave et de septicémie, en particulier contre certains microorganismes responsables de l'infection à méningocoque (inflammation sévère des membranes qui enveloppent le cerveau et septicémie) et d'autres infections à *Neisseria*, y compris l'infection gonococcique (« gonorrhée » une infection bactérienne sexuellement transmissible) disséminée.

Ces infections exigent un traitement urgent et adéquat, car elles peuvent être rapidement fatales ou menaçantes pour le pronostic vital, ou elles peuvent provoquer une incapacité sévère.

Il est important que vous connaissiez les précautions à prendre pour minimiser le risque de ces infections ainsi que la manière de réagir si vous pensez que vous avez peut-être contracté une infection.

Avant de débiter un traitement par SOLIRIS®, votre médecin discutera avec vous de l'importance des éléments suivants :

- Intérêt d'être vacciné(e) contre la méningite et, dans certains cas, de recevoir un antibiotique spécifique pour minimiser le risque de contracter une infection due à une bactérie appelée "Neisseria meningitidis".
- Connaître les symptômes associés aux infections et savoir comment réagir si vous présentez ces symptômes. Si vous présentez l'un des symptômes suivants, vous devez immédiatement avertir votre médecin :
 - maux de tête accompagnés de nausées ou de vomissements,
 - maux de tête accompagnés de raideur du cou ou du dos,
 - fièvre,
 - éruption cutanée,
 - confusion,
 - douleurs musculaires sévères associées à des symptômes grippaux,
 - sensibilité à la lumière.
- Votre médecin vous remettra également un kit d'initiation au traitement, comprenant les informations importantes en matière de sécurité que vous devez connaître. Ce kit sera composé de :
 - Une carte de surveillance pour le patient mentionnant les symptômes spécifiques auxquels vous devez toujours être attentif/ive. Vous devez porter cette carte sur vous en permanence et la montrer au personnel médical que vous consultez.
 - Une brochure d'information pour les patients atteints de gMG réfractaire décrivant les précautions à prendre pour minimiser le risque de ces infections ainsi que la manière de réagir si vous pensez que vous avez peut-être contracté une infection

Réactions à la perfusion : L'administration de l'eculizumab (Soliris®) peut entraîner des réactions allergiques ou d'hypersensibilité (y compris l'anaphylaxie) durant ou après l'administration du traitement par perfusion intraveineuse. Afin de réduire les risques et de pouvoir détecter rapidement toute réaction à la perfusion, ils vous sera demandé de rester à l'hôpital pendant environ une heure après la fin de la perfusion.

Liste des effets indésirables

Les effets indésirables rapportés dans le cadre des études cliniques menées avec l'eculizumab, sont décrit ci-dessous.

L'effet secondaire le plus fréquent sont les maux de tête qui surviennent principalement lors de l'initiation du traitement. Les effets secondaires les plus graves sont les infections à méningocoques.

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.

Très fréquents (susceptibles de toucher plus d'1 patient sur 10) :

- Maux de tête.

Fréquents (susceptibles de toucher jusqu'à 1 patient sur 10) :

- infection pulmonaire (pneumonie), rhume (rhinopharyngite), infection urinaire (infection des voies urinaires),
- faible taux de globules blancs (leucopénie), diminution du nombre de globules rouges pouvant provoquer une pâleur de la peau et une fatigue ou un essoufflement,
- insomnie,
- étourdissements, troubles du goût (dysgueusie),
- hypertension artérielle,
- infection des voies respiratoires supérieures, toux, mal de gorge (douleur oropharyngée), bronchite, bouton de fièvre (herpès),
- diarrhée, vomissements, nausées, douleurs abdominales,
- éruption cutanée, perte de cheveux (alopécie), démangeaisons (prurit)
- douleurs des articulations (bras et jambes),
- fièvre (pyrexie), frissons, sensation de fatigue, syndrome pseudo-grippal.

Peu fréquents (susceptibles de toucher jusqu'à 1 patient sur 100) :

- infection sévère (infection à méningocoque), septicémie (infection grave du sang), choc septique, infection virale, infection des voies respiratoires inférieures, gastro-entérite (infection gastro-intestinale), cystite,
- infection, infection fongique, collection de pus (abcès), infection de la peau (cellulite), grippe, sinusite, infection dentaire (abcès),
- diminution des plaquettes dans le sang (thrombopénie), faible taux d'un type spécifique de globules blancs, les lymphocytes (lymphopénie), palpitations (sentir les battements du coeur),
- réaction allergique grave provoquant des difficultés respiratoires ou des étourdissements (réaction anaphylactique), hypersensibilité,
- perte d'appétit,
- dépression, anxiété, changements d'humeur,
- fourmillements dans diverses parties du corps (paresthésie), tremblement
- trouble de la vision,
- bourdonnements d'oreille, vertige,
- tension artérielle très élevée d'apparition soudaine et rapide, hypotension artérielle, bouffées de chaleur, troubles veineux,
- difficulté à respirer (dyspnée), saignements de nez, nez bouché (congestion nasale), irritation de la gorge, écoulement nasal (rhinorrhée),
- inflammation du péritoine (tissu qui entoure la majorité des organes de l'abdomen), constipation, gêne gastrique après les repas (dyspepsie), ballonnement abdominal,
- urticaire, rougeur de la peau, peau sèche, taches rouges ou violettes sous la peau, augmentation de la transpiration,
- crampe musculaire, douleurs musculaires, douleur dans le dos et la nuque, douleur au niveau des os, gonflement articulaire, douleur dans les membres (bras et jambes),
- altération de la fonction rénale, difficulté pour uriner ou douleur en urinant (dysurie), présence de sang dans les urines,
- érection spontanée du pénis,
- tuméfaction (oedème), gêne thoracique, sensation de faiblesse (asthénie), douleur au niveau du thorax, douleur au point de perfusion, frissons,
- augmentation des enzymes hépatiques, diminution de la proportion des globules rouges dans le sang, diminution de la protéine qui transporte l'oxygène dans les globules rouges
- réaction à la perfusion.

Rares (susceptibles de toucher jusqu'à 1 patient sur 1 000) :

- infection fongique (infection à *Aspergillus*), infection d'une articulation (arthrite bactérienne), infection à *Haemophilus influenzae*, infection des gencives, impétigo, infection sexuellement transmissible bactérienne (gonorrhée),
- tumeur de la peau (mélanome), trouble de la moelle osseuse,
- destruction des globules rouges (hémolyse), agglutination des cellules, facteurs de la coagulation anormaux, coagulation anormale du sang,
- hyperactivité thyroïdienne (maladie de Basedow),
- troubles du sommeil, rêves anormaux,
- évanouissement,

- irritation des yeux,
- ecchymoses (« bleus »),
- remontées inhabituelles d'aliments de l'estomac, douleur des gencives,
- coloration jaune de la peau et/ou des yeux (ictère),
- inflammation de la peau, trouble de la pigmentation de la peau,
- spasme des muscles de la bouche,
- trouble du cycle menstruel,
- fuite anormale du liquide de perfusion en dehors de la veine, sensation anormale au site d'injection, sensation de chaleur,

Grossesse et 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.

Si vous choisissez de participer à ce programme et que vous êtes en âge de procréer, vous devez utiliser une méthode de contraception pendant le traitement avec eculizumab (afin de ne pas tomber enceinte). Votre médecin discutera avec vous des différentes options appropriées.

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'eculizumab (Soliris®) 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 de besoin médical avec eculizumab (Soliris®) pour le traitement de la myasthénie gravis généralisée réfractaire (MAG) chez les patients ayant terminé l'Etude d'Extension en Ouvert (ECU-MG-302)
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Bruxelles
Comité d'éthique	Comité d'éthique UZA-UA UZA, Wilrijkstraat 10, B-2650 Edegem Tel +32 3 821 38 97 - Fax +32 3 821 42 54 Ethisch.Comite@uza.be

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

En signant

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

_____ Signature du patient

_____ Date de la signature

Partie réservée au médecin :

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

_____ les informations nécessaires sur ce programme d'usage compassionnel, lui avoir remis une copie, signée par les différentes parties, du document d'information et du formulaire de consentement, être prêt(e) à répondre, si nécessaire, à toutes les questions supplémentaires et n'avoir exercé aucune pression pour que le patient participe au programme.

Signature du médecin: _____ Date: _____

Partie réservée pour le témoin/interprète (si applicable)

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

Signature du *témoin/interprète* : _____ Date: _____

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec eculizumab (Soliris®) pour le traitement de la myasthénie gravis généralisée réfractaire (MAG) chez les patients ayant terminé l'Etude d'Extension en Ouvert (ECU-MG-302)
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Bruxelles
Comité d'éthique	Comité d'éthique UZA-UA UZA, Wilrijkstraat 10, B-2650 Edegem Tel +32 3 821 38 97 - Fax +32 3 821 42 54 Ethisch.Comite@uza.be

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

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

Participation volontaire

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

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

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

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

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

Frais liés à votre participation

Alexion met gratuitement à disposition Soliris® (eculizumab) tant que vous participez à ce programme.

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

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

Garantie de confidentialité

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

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

Autorité de protection des données (APD)
Rue de la Presse 35,
1000 Bruxelles
Tél. +32 2 274 48 00
e-mail : contact@apd-gba.be
Site web : www.autoriteprotectiondonnees.be