INFORMATIE VOOR PATIËNT EN TOESTEMMING TOT BEHANDELINGSDEELNAME NA VOORLICHTING IN HET KADER VAN EEN PROGRAMMA UIT MEDELEVEN

Avalglucosidase alfa (GZ402666)

Informatie voor de patiënt

Uw arts stelt u als behandeling voor de ziekte van Pompe een voortzetting van de behandeling met de enzymvervangingstherapie avalglucosidase alfa voor.

Voordat u toestemt om de behandeling te ontvangen, is het belangrijk dat u volgende uitleg over het geneesmiddel leest en begrijpt. Indien u vragen heeft omtrent het geneesmiddel, beslis dan pas om al dan niet de behandeling te ondergaan nadat al uw vragen beantwoord zijn.

Deze behandeling kadert in een Programma uit medeleven dat tot doel heeft om avalglucosidase alfa beschikbaar te maken voor volwassen patiënten zoals uzelf, die hebben deelgenomen aan de klinische studies COMET (EFC14028) of NEO-EXT (LTS13769) en die, in de opinie en klinische beoordeling van de behandelende arts, baat zouden hebben bij een voortzetting van de behandeling met dit geneesmiddel.

Avalglucosidase alfa is een onderzoeksgeneesmiddel dat werd ontwikkeld door Sanofi voor de ziekte van Pompe.

Indien u akkoord gaat om deel te nemen dient u het formulier “Toestemming tot studiedeelname na voorlichting” te tekenen. U zal een kopie ontvangen van dit document alsook van het toestemmingsformulier.

Er werd tot op heden geen goedkeuring bekomen voor het op de markt brengen, maar de aanvraag is lopende.

Informatie over het geneesmiddel

Mensen met de ziekte van Pompe hebben een tekort aan het enzym alfa-glucosidase, waardoor het gehalte van glycogeen (een soort koolhydraat) in het lichaam te hoog kan worden.

Zoals alglucosidase alfa (Myozyme®) is avalglucosidase een enzymvervangingstherapie. Avalglucosidase alfa bevat een kunstmatig enzym dat het natuurlijke enzym alfa-glucosidase kan vervangen dat ontbreekt of in te lage concentratie aanwezig is bij mensen met de ziekte van Pompe.

Vergeleken met alglucosidase alfa (Myozyme®), is de oppervlaktestructuur van avalglucosidase alfa zodanig gewijzigd dat het makkelijker de cellen in het lichaam zou kunnen bereiken om daar het overtollig glycogeen af te breken.

Behandeling met het geneesmiddel (verloop)

Hoe avalglucosidase alfa bij u wordt toegediend

- Avalglucosidase alfa wordt aan u gegeven onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van de ziekte van Pompe.
- Avalglucosidase alfa wordt via een druppelinfuus in een ader toegediend (intraveneuze infusie). Het wordt geleverd in de vorm van een poeder, dat wordt verdund met steriel water voordat het wordt toegediend.
- Afhankelijk van de dosis avalglucosidase alfa, zal de toediening ongeveer 3.5 tot 6.5 uur duren.
- Avalglucosidase alfa wordt eenmaal in de 2 weken toegediend.

Welke hoeveelheid u ontvangt

De dosering die u krijgt, is afhankelijk van welke vorm van de ziekte van Pompe u heeft en afhankelijk van uw lichaamsgewicht.
De aanbevolen dosering van avalglucosidase alfa is 20 mg per kilogram lichaamsgewicht voor de later optredende vorm van Pompe en 40 mg per kilogram lichaamsgewicht voor de klassieke infantiele vroeg optredende vorm van Pompe.
Het wordt eenmaal in de 2 weken aan u gegeven.

U zal nauwlettend gevolgd worden tijdens de gehele duur van deze behandeling.
U dient uw arts onmiddellijk te contacteren indien u bijwerkingen ondervindt tijdens uw behandeling.

Uw behandelende arts zal beslissen over uw behandeling met dit product en de nodige stappen ondernemen in geval van bijwerkingen.

Wat wordt van u verwacht (specifieke benhandelingsprocedures)?

Als u een afspraak mist

Contacteer uw arts zo snel mogelijk om een nieuwe afspraak te maken. Het is zeer belangrijk dat u van dit geneesmiddel geen dosis mist.

Als u geen avalglucosidase alfa meer ontvangt

Stop niet met de behandeling tenzij u dit met uw arts heeft besproken. Dit omdat het stoppen van de behandeling ook het effect van het geneesmiddel kan stoppen.

Welke zijn de mogelijke voordelen?

Uw arts stelt u een behandeling met avalglucosidase alfa omdat hij/zij van mening is dat u baat zou hebben bij een voortzetting van de behandeling met dit geneesmiddel.

Zoals alglucosidase alfa (Myozyme®) is avalglucosidase alfa een enzymvervangingstherapie. Vergeleken met alglucosidase alfa (Myozyme®), is de oppervlaktestructuur van avalglucosidase alfa zodanig gewijzigd dat het makkelijker de cellen in het lichaam zou kunnen bereiken om daar het overtollig glycogeen af te breken.

Het zou mogelijk kunnen zijn dat u een aantal voordelen ondervindt van de behandeling met avalglucosidase alfa, zoals bijvoorbeeld een verbeterde ademhaling, beweging en spiersterkte.

Gezien avalglucosidase alfa momenteel echter nog onderzocht wordt in klinische studies voor de behandeling van de ziekte van Pompe, is er geen garantie dat uw conditie zal verbeteren met deze behandeling.

Welke zijn de mogelijke bijwerkingen (risico's en/of ongemakken) van het geneesmiddel?

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.
Uw arts zal deze met u bespreken en zal de risico's en voordelen van uw behandeling uitleggen.

Gezien avalglucosidase alfa momenteel nog onderzocht wordt in klinische studies, is kennis over de veiligheid en doeltreffendheid van het geneesmiddel beperkt of nog niet volledig begrepen.

Bijwerkingen bij patiënten met de ziekte van Pompe die andere enzymvervangingstherapieën, met name alglucosidase alfa (Myozyme®), hebben ontvangen, deden zich voornamelijk voor tijdens de toediening van het geneesmiddel of kort daarna ('infusiegerelateerde bijwerkingen'). Deze bijwerkingen kunnen voorkomen op eender welk moment tijdens de toediening of enkele uren na de toediening. Het risico op infusiegerelateerde bijwerkingen is groter bij een hogere snelheid van toediening.

De meeste van deze bijwerkingen waren mild tot matig en verdwenen spontaan, maar sommige van deze infusiegerelateerde bijwerkingen waren ernstig of levensbedreigend, waaronder zeer ernstige allergische reacties over het gehele lichaam en anafylactische shock.
Symptomen van dergelijke bijwerkingen zijn onder meer lage bloeddruk, zeer snelle hartslag, ademhalingsmoeilijkheden, braken, zwelling van het gezicht, de lippen of de tong, galbulten of huiduitslag. Enkele patiënten kregen infusiegerelateerde bijwerkingen in de vorm van griepachtige symptomen, die tot een paar dagen na afloop van de infusie aanhielden.

Als u een dergelijke bijwerking ondervindt, **moet u onmiddellijk uw arts waarschuwen**. Het kan noodzakelijk zijn u vooraf te behandelen met aanvullende medicatie om een allergische reactie te voorkomen (bijv. antihistaminica en/of corticosteroïden) of om de koorts te verlagen (antikoortsmiddelen).

De volgende bijwerkingen zijn reeds gerapporteerd bij de behandeling met avalglucosidase alfa:

Infusiegerelateerde reacties
De meeste infusiegerelateerde reacties waren licht of matig. Symptomen van infusiegerelateerde reacties zijn onder andere ongemak op de borst, verhoogde bloeddruk, verhoogde hartslag, koude rillingen, hoest, diarree, vermoeidheid, hoofdpijn, griepachtige ziekte, misselijkheid, braken, rood oog, pijn in de armen en benen, roodheid van de huid, jeukende huid, uitslag en netelroos.

Allergische reacties
Allergische reacties kunnen symptomen omvatten zoals ademhalingsmoeilijkheden, druk op de borst, blozen, hoesten, duizeligheid, misselijkheid, roodheid op de handpalmen en voeten, jeukende handpalmen en voeten gezwollen onderlip en tong, laag zuurstofgehalte in het bloed en uitslag.

Vaak (komt voor bij minder dan 1 op de 10 patiënten)
- Anafylaxie (ernstige allergische reactie)
- Tremor (schudden)
- Rode ogen
- Verhoogde bloeddruk
- Hoofdpijn
- Duizeligheid
- Hoest
- Ademhalingsmoeilijkheden
- Misselijkheid
- Diarree
- Braken
- Lipzwelling
- Gezwollen tong
- Jeukende huid
- Galbulten
- Huiduitslag
- Roodheid van de handen
- Roodheid van de huid
- Spierspasmen
- Spierpijn
- Vermoeidheid
- Koude rillingen
- Ongemak op de borst
- Pijn
- Griepachtige ziekte
- Laag zuurstofgehalte in het bloed

Soms (komt voor bij minder dan 1 op de 100 patiënten)
- Ontsteking van de ogen
- Doof gevoel of tintelingen
- Jeukende ogen
- Waterige ogen
- Snelle hartslag
- Extra hartslagen
- Overmatig blozen
- Lage bloeddruk
- Snelle ademhaling
- Zwelling van de keel
- Keelirritatie
- Buikpijn
- Zwelling van de huid

- Zweten
- Aangezichtspijn
- Verhoogde lichaamstemperatuur
- Lekkage in het weefsel op de infusieplaats
- Gewrichtspijn op infusieplaats
- Uitslag op de infusieplaats
- Jeuk op infusieplaats
- Gelokaliseerd oedeem
- Zwelling in de armen en benen
- Koorts
- Abnormaal ademgeruis (piepende ademhaling)
- Gevoel van vermoeidheid
- Pijn in arm of been
- Bleke huidskleur
- Positieve bloedtest voor ontsteking
- Zwakte
- Spijsverteringsstoornis
- Verminderd gevoel van aanraking, pijn en temperatuur
- Verdoofd gevoel van mond, tong of lip
- Tintelingen ter hoogte van mond, tong of lip
- Moeilijkheden met slikken
- Pijn aan de ribben
- Het koud hebben
- Oraal ongemak (met inbegrip van gevoel van brandende lip)
- Branderig gevoel
- Pijn in de bovenbuik

De gemelde bijwerkingen bij kinderen en jongeren waren vergelijkbaar met de bijwerkingen bij volwassenen.

Krijgt u last van bijwerkingen, **neem dan contact op met uw arts**. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in dit document vermeld worden.

Gebruikt u naast avalglucosidase alfa nog andere geneesmiddelen, of heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken, vertel dat dan aan uw arts.

Wees voorzichtig bij het autorijden of als u gereedschap of machines gebruikt vlak na infusie van avalglucosidase alfa. U kunt duizelig worden.

Welke zijn de mogelijke alternatieve behandelingen en procedures?

Uw arts stelt u deze behandeling voor met avalglucosidase alfa, omdat hij van mening is dat u baat heeft bij een voortzetting van een behandeling met avalglucosidase alfa.

Een alternatieve behandeling die beschikbaar is op de markt is alglucosidase alfa (Myozyme®). Uw arts zal, indien u dat wil, deze alternatieve behandeling met u bespreken.

Gezien de evolutie van uw aandoening tijdens het gebruik van avalglucosidase alfa, is uw arts echter van mening dat het voortzetten van de behandeling met dit geneesmiddel voor u de beste optie is. Aarzel niet om uw arts daar meer uitleg over te vragen.

Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar is?

In sommige gevallen kan er nieuwe informatie beschikbaar komen over het geneesmiddel waarmee u zal worden behandeld.

Als dit gebeurt, dan licht uw arts u hierover in en overlegt hij met u of u de behandeling wenst voort te zetten.
Indien dit het geval is, dan wordt u verzocht op een vrije en geïnformeerde manier een nieuwe, aangepaste versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen.
Als u beslist de behandeling te stoppen, dan zal uw arts ervoor zorgen dat u op de beste manier verder wordt behandeld.

Daarnaast is het mogelijk dat uw arts op basis van de nieuwe informatie bepaalt dat het in uw belang is om uw behandeling stop te zetten.
Hij/zij zal de redenen hiervoor uitleggen en er eveneens voor zorgen dat u op de beste manier verder wordt behandeld.

Vrijwillige toestemming / Recht om te stoppen met behandeling

U beslist volledig vrijwillig of u deze behandeling wil ondergaan en u heeft het recht te weigeren er aan deel te nemen.

Indien u aanvaardt om deel te nemen aan deze behandeling, dient u dit informatieformulier te bewaren en zal er u gevraagd worden het aangehechte toestemmingsformulier te ondertekenen.

U heeft het recht om uw behandeling op elk ogenblik stop te zetten, zelfs nadat u het toestemmingsformulier ondertekend heeft. U bespreekt dit met uw behandelende arts.
Dit zal in geen geval een invloed hebben op uw verdere medische verzorging. U hoeft hiervoor geen reden te vermelden.

Het intrekken van uw toestemming zal geen enkel nadeel of verlies van voordelen met zich meebrengen. Uw beslissing zal ook geen weerslag hebben op uw relatie met uw behandelende arts.

Verder kan uw dokter de behandeling stopzetten indien hij/zij vindt dat dit in uw belang is of indien u zich niet aan de instructies houdt tijdens de behandeling.

Wat indien u zwanger bent, zwanger wenst te worden of borstvoeding geeft?

Er is geen ervaring met het gebruik van avalglucosidase alfa bij zwangere vrouwen of vrouwen die borstvoeding geven.

Avalglucosidase alfa mag niet tijdens de zwangerschap of de borstvoeding worden gegeven.
Indien u zwanger wordt of start met borstvoeding tijdens de behandeling met avalglucosidase alfa, zal u de behandleing stop moeten zetten.
De behandeling kan opnieuw gestart worden na de zwangerschap of als u gestopt bent met borstvoeding.

Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding, **vermeld dit dan onmiddellijk aan uw arts.**

Als u kinderen kunt krijgen of als u seksueel actief bent, ongeacht u man of vrouw bent, dient u een doeltreffende anticonceptiemethode te gebruiken terwijl u wordt behandeld met avalglucosidase alfa en gedurende ten minste 2 weken na de laatste infusie.
Overleg met uw arts welke anticonceptiemethoden u tijdens deze periode dient te gebruiken.

Wat gebeurt er na afloop van de behandeling?

De duur van de behandeling zal afhangen van uw respons op avalglucosidase alfa.

U kan de behandeling verder zetten zolang uw arts meent dat u baat heeft bij de behandeling.

De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien uw ziekte verergert, indien blijkt dat u het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, of indien u zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt. Indien uit nieuwe informatie blijkt dat u geen voordeel meer haalt uit de behandeling, dan zal deze stopgezet worden.

Vergoeding

Sanofi Belgium stelt het geneesmiddel zonder kosten ter uwer beschikking:

- tot het beschikbaar is op de markt

Alle andere noodzakelijke ingrepen, onderzoeken en medicatie vallen onder de gewone terugbetalingscriteria.

Bescherming van de persoonlijke levenssfeer

Sommige van uw medische gegevens gerelateerd aan de bijwerkingen die u zou kunnen ondervinden tijdens de behandeling of andere gegevens (zoals geboortedatum, geslacht) kunnen door uw behandelende arts verzameld en doorgegeven worden aan de farmaceutische firma die het product ontwikkelt (namelijk Sanofi) met als doel de veiligheid van het toegediende product te bepalen.

Uw identiteit blijft geheim aangezien informatie over uw persoon enkel aan de hand van een uniek patiëntennummer (dus gecodeerd) zal worden aangeduid.

De verzamelde gegevens zullen geen gegevens bevatten waarvan de combinatie tot de identificatie van de patiënt zou kunnen leiden.

Mogelijk gebruikt de farmaceutische firma de informatie over u voor de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen of in het kader van de gezondheidszorg. Enkel de gecodeerde informatie over u zal voor dit doel worden gebruikt.

De gecodeerde informatie wordt mogelijk beschikbaar gesteld aan regelgevende overheden, aan de commissie voor ethiek en aan andere artsen en/of organisaties die samenwerken met de opdrachtgever.

U heeft het recht aan uw arts te vragen welke gegevens er over u worden verzameld in het kader van de behandeling en wat de bedoeling ervan is.
U heeft het recht aan de geneesheer-onderzoeker te vragen om u inzage van uw persoonlijke informatie te verlenen en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen.
De bescherming van de persoonlijke gegevens is wettelijk bepaald door de wet van 30 juli 2018, op grond van de Algemene verordening gegevensbescherming (AVG), betreffende de verwerking van persoonlijke gegevens.

Indien u toestemt in deze behandeling betekent dit dat u ook toestemming geeft voor het gebruik van uw gecodeerde medische gegevens voor boven beschreven doelen en het overmaken ervan aan bovenvermelde personen en/of instanties.

Indien u beslist om deze behandeling te stoppen, zal uw initiële toestemming het gebruik toelaten van uw medische gegevens met betrekking tot de periode dat U in behandeling was tenzij u uitdrukkelijk vraagt dit niet te doen.

Teneinde een medische opvolging te verzekeren, zullen uw huisarts/specialist en andere zorgverleners die betrokken zijn bij uw behandeling hiervan op de hoogte gebracht worden.

Bijkomende informatie

De onafhankelijke ethische commissie van het Erasmus ziekenhuis - ULB heeft dit document, de doelstellingen en het voorgestelde verloop van de behandeling onderzocht en daaromtrent een gunstig advies verleend.

Vragen

Indien u of uw verwanten vragen hebben omtrent de behandeling of in geval van een behandelingsgebonden letsel, dient u contact op te nemen met uw arts.

Indien u dringende hulp inroept of in het ziekenhuis moet worden opgenomen, meld dan aan de behandelende arts dat u deelneemt aan een behandeling met avalglucosidase alfa.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans gehad heeft vragen te stellen en voldoende antwoorden op al uw vragen gekregen heeft.

TOESTEMMINGSFORMULIER TOT BEHANDELINGSDEELNAME NA VOORLICHTING:

Deel enkel bestemd voor de patiënt(e) of de wettelijke vertegenwoordig(s)ter:

Hierbij bevestig ik, ondergetekende, dat ik over deze behandeling ben ingelicht en een kopie van de "Informatie voor de patiënt en toestemming tot behandelingsdeelname na voorlichting" ontvangen heb in het kader van een **Programma uit medeleven** voor de ziekte van Pompe met avalglucosidase alfa als behandeling.

Ik heb de informatie gelezen en begrepen.

Mijn arts heeft mij voldoende informatie gegeven met betrekking tot deze behandeling.

Bovendien werd mij voldoende tijd gegeven om de informatie te overwegen en om vragen te stellen, waarop ik voldoende antwoorden gekregen heb.

- Ik heb begrepen dat ik mijn deelname aan deze behandeling op elk ogenblik mag stopzetten nadat ik mijn arts hierover heb ingelicht, zonder dat dit mij enig nadeel kan berokkenen.
- Ik geef toestemming aan regulerende overheden om inzage te hebben in mijn patiëntendossier. Mijn medische gegevens zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. Ik ben mij bewust van het doel waarvoor deze gegevens verzameld, verwerkt en gebruikt worden in het kader van deze behandeling. Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze gecodeerde gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België waar de wetgeving minder strikt is.
- Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze gecodeerde gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.
- Ik stem geheel vrijwillig toe om deel te nemen aan deze behandeling. Ik ben bereid informatie te verstrekken i.v.m. mijn medische geschiedenis en mijn geneesmiddelengebruik.

_____
Naam van de patiënt in drukletters

_____ _____
Handtekening van de patiënt Datum

_____ _____
(indien van toepassing) Datum
Handtekening van getuige of wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt

Naam in drukletters en verwantschap met de patiënt:
_____
_____

Deel enkel bestemd voor de behandelende arts:

Ik, ondergetekende …….., bevestig hierbij dat ik, **[naam & voornaam van de patiënt(e)]** …… heb ingelicht en dat hij (zij) zijn (haar) toestemming heeft gegeven om deel te nemen aan deze behandeling.

Datum: …… **Handtekening:** ……

INFORMATION AU PATIENT ET CONSENTEMENT ECLAIRE AFIN DE PARTICIPER A UN TRAITEMENT DANS LE CADRE D'UN PROGRAMME POUR USAGE COMPASSIONNEL

Avalglucosidase alfa (GZ402666)

Informations destinéés au patient

Votre médecin vous suggère de continuer à traiter votre maladie de Pompe par la thérapie enzymatique de substitution avec l'avalglucosidase alfa.

Avant d'accepter de recevoir ce traitement, il est important de lire et de comprendre les explications suivantes relatives au médicament.
Si vous avez des questions concernant le médicament, attendez d'avoir obtenu une réponse à toutes vos questions avant de décider de suivre ou non le traitement.

Ce traitement s'inscrit dans le cadre d'un Programme pour usage compassionnel ayant pour but de mettre avalglucosidase alfa à la disposition de patients adultes comme vous, qui ont participé aux essais cliniques COMET (EFC14028) ou NEO-EXT (LTS13769) et qui, selon l'avis et l'évaluation clinique du médecin traitant, pourraient tirer un bénéfice d'un traitement à base de ce médicament.

Avalglucosidase alfa est un médicament à l'étude qui a été développé par Sanofi pour la maladie de Pompe.

Si après la lecture de celles-ci, vous acceptez de participer, il vous est demandé de signer le formulaire de consentement éclairé.
Vous recevrez une copie de ce document ainsi que du formulaire de consentement.

Jusqu'à ce jour, aucune autorisation de mise sur le marché n'a été obtenue,
mais la demande est en cours.

Information du médicament

Les personnes atteintes de la maladie de Pompe souffrent d'un déficit en l'enzyme alpha-glucosidase, ce qui entraine un taux potentiellement élevé de glycogène (un type de glucide) dans l'organisme.

Tout comme l'alglucosidase alfa (Myozyme®), l'avalglucosidase est une thérapie enzymatique de substitution.
L'avalglucosidase alfa contient une enzyme synthétique qui peut remplacer l'enzyme naturelle alpha-glucosidase, qui est absente ou présente en trop faible concentration chez les personnes souffrant de la maladie de Pompe.

Comparée à l'alglucosidase alfa (Myozyme®), la structure de surface de l'avalglucosidase alfa a été modifiée de sorte qu'elle puisse atteindre plus facilement les cellules de l'organisme pour y décomposer le glycogène en excès.

Traitement avec le médicament (déroulement)

Comment l'avalglucosidase alfa est-elle administrée

- L'avalglucosidase alfa vous est donnée sous la surveillance d'un médecin ayant de l'expérience dans le traitement de la maladie de Pompe.
- L'avalglucosidase alfa est administrée par goutte-à-goutte dans une veine (perfusion intraveineuse). Elle est fournie sous forme de poudre qui doit être diluée dans de l'eau stérile avant administration.
- En fonction de la dose d'avalglucosidase alfa, l'administration durera entre 3,5 et 6,5 heures.
- L'avalglucosidase alfa est administrée une fois toutes les 2 semaines.

Quelle quantité recevrez-vous

La dose que vous recevrez dépend de la forme de la maladie de Pompe que vous avez et de votre poids.
La dose recommandée de l'avalglucosidase alfa est de 20 mg par kilogramme de poids corporel pour la forme d'apparition tardive de la maladie de Pompe et de 40 mg par kilogramme de poids corporel pour la forme infantile classique d'apparition précoce de la maladie de Pompe.
Elle vous est administrée une fois toutes les 2 semaines.

Vous serez suivi(e) de façon rapprochée pendant toute la durée de ce traitement.
Si vous observez des effets secondaires pendant votre traitement, veuillez en aviser immédiatement votre médecin.

Il/elle prendra une décision quant au traitement avec ce produit et des mesures à prendre en cas d'effets secondaires.

Qu'attend-on de vous (procédures de traitement spécifiques) ?

Si vous ratez un rendez-vous

Contactez votre médecin dès que possible pour convenir d'un nouveau rendez-vous.
Il est très important de ne pas rater une dose de ce médicament.

Si vous ne recevez plus l'avalglucosidase alfa

N'arrêtez pas le traitement sans en avoir parlé avec votre médecin.
Car arrêter le traitement peut également arrêter l'effet du médicament.

Quels sont les avantages potentiels ?

Votre médecin vous propose un traitement par l'avalglucosidase alfa parce qu'il / elle pense que vous pourriez tirer un bénéfice de la continuation du traitement avec ce médicament.

Comme l'alglucosidase alfa (Myozyme®), l'avalglucosidase alfa est un traitement enzymatique de substitution.

Comparée à l'alglucosidase alfa (Myozyme®), la structure de surface de l'avalglucosidase alfa a été modifiée de sorte qu'elle puisse atteindre plus facilement les cellules de l'organisme pour y décomposer le glycogène en excès.

Il est possible que vous remarquiez un certain nombre de bénéfices du traitement par l'avalglucosidase alfa, comme une amélioration de la respiration, du mouvement et de la force musculaire.

Puisque l'avalglucosidase alfa est encore évaluée dans des études cliniques pour la maladie de Pompe, il n'existe aucune garantie que votre état s'améliorera grâce à ce traitement.

Quels sont les effets secondaires possibles (risques et ou inconvénients) du médicament ?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.
Votre médecin vous en parlera et évaluera les risques et bénéfices de votre traitement.

Puisque l'avalglucosidase alfa est encore évaluée dans des études cliniques, les connaissances concernant la sécurité d'emploi et l'efficacité du médicament sont limitées ou pas encore totalement comprises.

Les effets indésirables présentés par les patients atteints de la maladie de Pompe, qui ont reçu d'autres thérapies enzymatiques de substitution, notamment l'alglucosidase alfa (Myozyme®), surviendront vraisemblablement pendant l'administration du médicament ou peu de temps après celle-ci (« effets indésirables liés à la perfusion »).
Ces effets indésirables peuvent survenir à tout moment pendant l'administration ou quelques heures après celle-ci. Le risque d'effets indésirables liés à la perfusion augmente avec la vitesse d'administration.

La plupart de ces effets indésirables étaient légers à modérés et ont disparu spontanément, mais quelques-uns des effets indésirables liés à la perfusion ont été graves ou potentiellement mortels, notamment des réactions allergiques très sévères dans tout l'organisme ou choc anaphylactique.
Les symptômes de tels effets indésirables sont, entre autres, une faible tension artérielle, des battements cardiaques très rapides, des difficultés respiratoires, des vomissements, un gonflement du visage, des lèvres ou de la langue, de l'urticaire ou une éruption cutanée.
Quelques patients ont présenté des effets indésirables liés à la perfusion sous la forme de symptômes grippaux, qui ont disparu quelques jours après la perfusion.

Si un tel effet indésirable survient, **vous devez immédiatement en avertir votre médecin.**
Il peut être nécessaire de vous administrer préalablement un médicament supplémentaire pour prévenir les réactions allergiques (par exemple, antihistaminique et/ou corticostéroïde) ou pour réduire la fièvre (antipyrétique).

Les effets indésirables suivants ont été rapportés lors du traitement par l'avalglucosidase alfa :

Réactions associées à la perfusion
La majorité des réactions associées à la perfusion sont légères à modérées. Les symptômes liés aux réactions associées à la perfusion comprennent gêne thoracique, pression artérielle augmentée, rythme cardiaque augmenté, frissons, toux, diarrhée, fatigue, maux de tête, syndrome grippal, nausées, vomissement, rougeur des yeux, douleur dans les bras et les jambes, rougeur, démangeaison, éruption cutanée et urticaire.

Réactions allergiques
Les réactions allergiques peuvent inclure des symptômes tels que des difficultés à respirer, pression du thorax, bouffées de chaleur, toux, sensations vertigineuses, nausées, rougeurs sur les paumes et les pieds, démangeaisons des paumes et des pieds, gonflement de la lèvre inférieure et de la langue, faible taux d'oxygène dans le sang et éruption cutanée.

Fréquents (peuvent affecter jusqu'à 1 personne sur 10)
- Anaphylaxie (réaction allergique sévère)
- Tremblements
- Rougeur des yeux
- Elévation de la pression artérielle
- Maux de tête
- Sensation vertigineuse
- Toux
- Difficultés à respirer
- Nausée
- Diarrhée
- Vomissements
- Gonflement des lèvres
- Gonflement de la langue
- Démangeaison de la peau
- Urticaire
- Éruption cutanée
- Rougeur des mains
- Rougeur de la peau
- Spasmes musculaires
- Douleurs musculaires
- Fatigue
- Frissons
- Gêne thoracique
- Douleurs
- Syndrome pseudo-grippal
- Faible taux d'oxygène dans le sang

Peu fréquents (peuvent affecter jusqu'à 1 personne sur 100)
- Inflammation des yeux
- Engourdissements ou picotements
- Démangeaison des yeux
- Augmentation du larmoiement
- Fréquence cardiaque rapide
- Battements cardiaques supplémentaires
- Bouffée de chaleur
- Pression artérielle basse
- Respiration rapide
- Gonflement de la gorge
- Irritation de la gorge

- Douleurs abdominales (estomac)
- Gonflement de la peau
- Transpiration
- Douleur faciale
- Température augmentée
- Fuite du médicament au niveau des tissus entourant la veine au site de perfusion
- Douleur articulaire au site de perfusion
- Éruption cutanée au site de perfusion
- Démangeaisons au site de perfusion
- Œdème localisé
- Gonflement des bras et des jambes
- Fièvre
- Bruits respiratoires anormaux (sifflement)
- Sentiment de fatigue
- Douleur dans les bras ou les jambes
- Teint pâle
- Test sanguin pour l'inflammation positif
- Faiblesse
- Indigestion
- Diminution de la sensibilité au toucher, à la douleur et à la température
- Engourdissement de la bouche, de la langue ou des lèvres
- Fourmillement de la bouche, de la langue ou des lèvres
- Difficulté à avaler
- Douleur au flanc
- Sensation de froid
- Gêne buccale (dont sensation de brûlure des lèvres)
- Sensation de brûlure
- Douleur abdominale haute

Les effets indésirables observés chez les enfants et les adolescents étaient similaires à ceux observés chez les adultes.

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, **parlez-en à votre médecin.**
Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice.

Informez votre médecin si vous prenez, avez récemment pris ou pourriez prendre tout autre médicament, en plus de l'avalglucosidase alfa.

Soyez prudent(e) si vous devez conduire un véhicule ou utiliser des machines juste après la perfusion. Vous pourriez avoir des vertiges.

Quels sont les procédures et ou traitements alternatifs disponibles ?

Votre médecin vous propose ce traitement par l'avalglucosidase alfa car il/elle pense que vous pourriez tirer un bénéfice de la continuation du traitement avec ce médicament.

Un traitement alternatif disponible sur le marché est alglucosidase alfa (Myozyme®).
Si vous le souhaitez, votre médecin en discutera avec vous.

Cependant, étant donné l'évolution de votre état tout en prenant avalglucosidase alfa, votre médecin croit que la poursuite du traitement avec ce médicament est la meilleure option pour vous. N'hésitez pas à demander plus d'informations à votre médecin.

Qu'advient-il si de nouvelles informations sont disponibles ?

Dans certains cas, il arrive que de nouvelles informations deviennent disponibles au sujet du médicament avec lequel vous allez être traité(e).

Le cas échéant, votre médecin vous en informe et examine avec vous si vous souhaitez poursuivre le traitement.
Dans ce cas, vous êtes invité(e) à signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement de manière libre et éclairée.
Si vous décidez de mettre un terme au traitement, votre médecin veillera à ce que vous continuiez d'être traité(e) de la meilleure façon qui soit.

Par ailleurs, il est possible que votre médecin décide, sur la base des nouvelles informations, qu'il est dans votre intérêt d'arrêter le traitement.
Il/elle en expliquera les raisons et veillera également à ce que vous continuiez d'être traité(e) de la meilleure façon qui soit.

Participation volontaire / Droit d'arrêter le traitement

Votre décision de suivre ce traitement est entièrement volontaire et vous avez le droit de refuser d'y participer.

Si vous acceptez de participer à ce traitement, vous devez conserver cette brochure d'information et il vous sera demandé de signer le formulaire d'autorisation joint en annexe.

Vous avez à tout moment le droit d'arrêter votre participation, même après avoir signé le formulaire d'autorisation. Vous aborderez cette décision avec votre médecin traitant.
Cette décision n'affectera en aucune manière votre traitement médical ultérieur.
Il ne vous faut pour cela fournir aucune raison.

Le retrait de votre autorisation n'entraînera pour vous aucun désavantage ou aucune perte d'avantages. Votre décision n'aura pas non plus de répercussions sur votre relation avec votre médecin traitant.

De même, votre médecin peut mettre un terme au traitement s'il/si elle estime que c'est dans votre intérêt ou si vous ne vous conformez pas aux instructions en cours de traitement.

Qu'en est-il si vous êtes enceinte, souhaitez être enceinte ou si vous allaitez ?

On ne dispose d'aucune expérience de l'utilisation de l'avalglucosidase alfa chez les femmes enceintes ou allaitantes.
L'avalglucosidase alfa ne doit pas être administré pendant la grossesse, ni pendant l'allaitement.
Si vous débutez une grossesse ou commencez à allaiter pendant le traitement par l'avalglucosidase alfa, vous devrez arrêtez le traitement.
Le traitement pourra être repris après la grossesse ou à l'arrêt de l'allaitement.

Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, **informez-en immédiatement votre médecin**.

Si vous êtes en âge d'avoir des enfants ou si vous êtes sexuellement actif, que vous soyez un homme ou une femme, vous devez utiliser une contraception efficace pendant le traitement par l'avalglucosidase alfa et pendant au moins 2 semaines après la dernière perfusion. Voyez avec votre médecin quelles méthodes contraceptives vous devez utiliser pendant cette période.

Que se passe-t-il au terme du traitement ?

La durée du traitement dépendra de votre réponse à avalglucosidase alfa.

Vous pouvez poursuivre le traitement aussi longtemps que votre médecin estime que vous en tirez un bénéfice.

Le traitement peut être arrêté, même sans votre consentement, si votre maladie s'aggrave, s'il apparaît que vous ne tolérez pas le médicament en raison d'effets secondaires graves, ou si vous ne vous conformez pas aux instructions relatives au traitement.
Si de nouvelles informations indiquent que vous ne tirez plus de bénéfice du traitement, celui-ci sera arrêté.

Indemnité

Sanofi Belgium met le médicament à votre disposition sans frais pour vous:

- Jusqu'à ce qu'il soit disponible sur le marché

Toutes les autres interventions et tous les autres examens et médicaments nécessaires relèvent des critères de remboursement habituels.

Protection de la vie privée

Veuillez noter que certaines données médicales liées aux effets indésirables que vous pourriez rencontrer durant le traitement ainsi que d'autres données (telles qu'âge, sexe) pourraient être collectées et transmises par votre médecin à la société pharmaceutique qui développe ce produit (à savoir Sanofi) afin de déterminer la sécurité d'utilisation du produit qui vous est administré.

Votre identité demeurera confidentielle, puisque les informations vous concernant seront identifiées uniquement par un numéro de patient unique et seront donc codées.

Les données personnelles recueillies ne contiendront donc pas d'association d'éléments susceptibles de permettre de vous retrouver (identifier).

Il est possible que la société pharmaceutique utilise les informations vous concernant dans le cadre des soins de santé ou du développement de nouveaux médicaments.
Pour cela, seules des informations codées vous concernant seront utilisées.

Les informations vous concernant pourront être transmises aux autorités réglementaires, au Comité d'Ethique, à d'autres médecins et/ou à des organismes travaillant en collaboration avec la société pharmaceutique.

Vous avez le droit de demander au médecin quelles sont les données collectées à votre sujet dans le cadre du traitement et quelle est l'utilité de ces données.
Vous avez le droit de demander au médecin de vous permettre d'examiner vos informations personnelles et d'y apporter les éventuelles corrections jugées nécessaires.
La protection des données personnelles est assurée par la loi du 30 juillet 2018 en application du RGPD relatif au traitement des données personnelles.

Votre consentement à participer à ce traitement implique que vous consentez également à l'utilisation de vos données médicales codées aux fins décrites ci-dessus et à leur transmission aux personnes et/ou instances susmentionnées.

Si vous décidez d'arrêter ce traitement, votre consentement initial autorisera l'utilisation de vos données médicales ayant trait à la période de participation dans ce traitement, sauf avis contraire de votre part.

Afin d'assurer un suivi médical continu, votre médecin généraliste/spécialiste et d'autres prestataires de soins associés à votre traitement seront mis au courant de votre participation à ce traitement.

Informations complémentaires

Le comité d'éthique indépendant hospitalo-facultaire Erasme-ULB a examiné le présent document, les objectifs et la proposition de déroulement du traitement et a émis un avis favorable.

Questions

Si vous ou vos proches avez des questions concernant le traitement ou en cas de lésion liée au traitement, vous devez prendre contact avec votre médecin.

Si vous faites appel à un service d'aide médicale urgente ou si vous devez être hospitalisé(e), signalez au médecin traitant que vous suivez un traitement à base de avalglucosidase alfa.

Ne signez pas ce formulaire de consentement avant d'avoir eu l'occasion de poser des questions et d'obtenir une réponse satisfaisante à toutes vos questions.

CONSENTEMENT ECLAIRE AFIN DE PARTICIPER A UN TRAITEMENT :

Partie destinée au (à la) patient(e) ou à son(a) représentant(e) légal(e) :

Je, soussigné(e), confirme que j'ai été bien informé(e) concernant ce traitement et que j'ai reçu une copie du document « Informations destinées au patient et consentement éclairé dans le cadre d'un **Programme pour usage compassionnel** pour les patients avec la maladie de Pompe, qui ont participé aux essais cliniques COMET (EFC14028) ou NEO-EXT (LTS13769).

J'ai lu et compris les informations.

Mon médecin m'a donné suffisamment d'informations concernant ce traitement.

J'ai de surcroît bénéficié de suffisamment de temps pour me permettre de réfléchir aux informations qui m'ont été communiquées et de poser des questions, auxquelles j'ai reçu des réponses satisfaisantes.

- Je comprends que je peux arrêter à tout moment ma participation à ce traitement, après en avoir informé mon médecin, et sans que cela n'entraîne pour moi un quelconque désavantage.
- J'autorise les organismes de règlementation à consulter mon dossier médical. Les données médicales qu'il contient seront traitées de façon strictement confidentielle. Je sais dans quel but ces données seront recueillies, traitées et utilisées dans le cadre de ce traitement.
- Je consens à la collecte, au traitement et à l'utilisation de ces données codées, comme décrit dans le formulaire d'information destiné au patient. Je consens également à la transmission et au traitement de ces données codées dans d'autres pays que la Belgique où la législation est moins contraignante.
- Je consens de manière entièrement volontaire à participer à ce traitement. Je suis disposé(e) à communiquer des informations relatives à mes antécédents médicaux et à mon utilisation de médicaments.

_____
Nom du/de la patient(e) en capitales

_____ _____
Signature du/de la patient(e) Date

_____ _____
(si d'application) Date
Signature du témoin ou du représentant légal du/de la patient(e)

Nom en capitales et lien de parenté avec le/la patient(e) :

_____

_____

Partie destinée au médecin traitant:

Je, soussigné(e), ……..……., confirme avoir informé **[nom & prénom du (de la) patient(e)]** ……..……...…… et qu'il (elle) a donné son autorisation pour participer à ce traitement.

Date: …… **Signature:** ……