

Product Name	Ultomiris®
Active substance	Ravulizumab
Indication and conditions of use	<p>Medical Need Program with Ravulizumab (Ultomiris®) for the treatment of adult patients with PNH who completed the Open label extension of the phase III studies ALXN1210-PNH-301 (EudraCT Nr: 2016-002025-11) or ALXN1210-PNH-303 (EudraCT Nr: 2017-002370-39) and, in the opinion and the clinical judgement of the treating physician, would continue to benefit from a treatment with Ravulizumab (Ultomiris®), which is not yet commercially available in Belgium.</p> <p>What is Ultomiris</p> <p>Ultomiris is a medicine that contains the active substance ravulizumab and it belongs to a class of medicines called monoclonal antibodies, that attach to a specific target in the body. Ravulizumab has been designed to attach to the C5 complement protein, which is a part of the body's defence system called the 'complement system'.</p> <p>What is Ultomiris used for</p> <p>Ultomiris is used to treat adult patients with a disease called paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH). In patients with PNH, the complement system is overactive and attacks their red blood cells, which can lead to low blood counts (anaemia), tiredness, difficulty in functioning, pain, abdominal pain, dark urine, shortness of breath, difficulty swallowing, erectile dysfunction and blood clots. By attaching to and blocking the C5 complement protein, this medicine can stop complement proteins from attacking red blood cells and so control symptoms of the disease.</p> <p>How to use Ultomiris</p> <p>Because the medicine blocks the complement system, which is part of the body's defences against infection, the use of Ultomiris increases your risk of meningococcal infection caused by <i>Neisseria meningitidis</i>. These are severe infections affecting the linings of the brain and can spread throughout the blood and body (sepsis).</p> <p>At least 2 weeks before you start treatment with Ultomiris, your doctor will give you a vaccine against meningococcal infections if you have not previously had one or if your vaccination is outdated. If you cannot be vaccinated at least 2 weeks before you start treatment with Ultomiris, your doctor will prescribe antibiotics to reduce the risk of infection until 2 weeks after you have been vaccinated.</p> <p>Ultomiris is given by infusion (drip) into a vein. The infusion will take approximately 45 min. The recommended Ultomiris dosing during maintenance phase is weight based and administered via an intravenous infusion every 8 weeks:</p> <ul style="list-style-type: none"> • ≥40 kg to <60 kg: 3000 mg, minimum 55 min infusion duration • ≥60 kg to <100 kg: 3300 mg, minimum 40 min infusion duration • ≥100 kg: 3600 mg, minimum 30 min infusion duration <p>Ravulizumab (Ultomiris®) will be administrated to the patient in the hospital setting under supervision of the requesting physician.</p>

<p>Conditions, delays and further rules for participation of patients</p>	<p>Inclusion criteria</p> <ul style="list-style-type: none"> • Adult patient (≥ 18 years old) diagnosed with Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) • The patient has participated and completed the open label extension of one of the following studies: <ul style="list-style-type: none"> ○ Study ALXN1210-PNH-301 : A Phase 3, Randomized, Open-Label, Active-Controlled Study of Ravulizumab (ALXN1210) Versus Eculizumab in Complement Inhibitor-Naïve Adult Patients With Paroxysmal Nocturnal Haemoglobinuria (PNH) (EudraCT Number: 2016-002025-11) or ○ Study ALXN1210-PNH-303 : A Phase 3, randomized, open-label, parallel-group, multicenter study evaluating ravulizumab SC compared with ravulizumab IV in adult patients with PNH who are clinically stable and have previously been treated with eculizumab for at least three months prior to study entry (EudraCT Nr: 2017-002370-39) <ul style="list-style-type: none"> • Based on the clinical judgment of the treating physician, the patient is benefiting from a continuous treatment with ravulizumab after completion of the clinical study. The patient is not eligible for a clinical trial running with ravulizumab and/or a clinical trial/MNP running in the envisaged indication of this program. • The patient is not eligible for treatment or cannot be treated satisfactorily with alternative therapy commercially available in Belgium AND reimbursed for the concerned condition, in accordance with clinical guidelines, because of efficacy and/or safety issues. • The patient has been clearly and completely informed by the treating physician concerning the Medical Need Program and has signed the informed consent form before the inclusion in this MNP. • As part of the Ultomiris® risk mitigation activities, the patient has been informed about the risk of potential meningococcal infection, and is up to date with its vaccination against meningococcal infections <p>Exclusion criteria</p> <ul style="list-style-type: none"> • History of hypersensitivity to any ingredient contained in ravulizumab (Ultomiris®), including hypersensitivity to murine proteins • Females who plan to become pregnant or are currently pregnant or breastfeeding <p>The responsible physician will evaluate eligibility of the patient taking into consideration the possibility to include the patient in an ongoing clinical trial in Belgium. Rejection or approval will be notified to the requesting physician within 5 working days after reception of all requested information.</p> <p>The responsible of the program (Alexion Belgium) makes available Ravulizumab (Ultomiris®) to the treating physician only if the responsible physician confirmed patient's eligibility and if the individual patient supply request is approved in the MyAccess platform. The medication will be delivered to the treating physician's hospital pharmacy within 72H after GATM supply approval.</p>
<p>Duration of the program</p>	<p>The programme will start as soon as it has been approved by the competent national authorities (FAMHP). Ravulizumab (Ultomiris®) will be provided free of charge by Alexion on an individual basis according to the criteria set out in this protocol until a decision (positive or negative) on reimbursement of ravulizumab (Ultomiris®) in this indication is obtained, or until, in the clinical judgement of the treating physician, the patient no longer benefits from continued treatment, whichever comes first. The patient may also decide at any time to discontinue participation.</p>

	<p>Alexion Belgium and the Alexion Global Access to Medicine (GATM) committee will re-evaluate the program regularly and may decide to stop the program at any time.</p> <p>At the moment the program ends patients who are included in the program should switch to the commercially available medicinal product (regardless its reimbursement status). If the medicinal product is not commercially available in Belgium Alexion will continue to provide the medicinal product following the modalities of the closed program, unless the competent authority has decided otherwise because of scientific reasons.</p>	
<p>Conditions of distribution</p>	<p>The treating physician will check ongoing clinical trials which could fit to the patients and check the inclusion/exclusion criteria of this Medical Need Program.</p> <p>An unsolicited request from the treating physician for the supply of ravulizumab (Ultomiris®) via the GATM program must be submitted in the Parexel MyAccess portal.</p> <p>The Alexion Medical team will provide all required document (MNP protocol, ICF, SmPC, RMA material, physician declaration and MNP request form) to the treating physician to enable submission of motivated request to the responsible physician. The motivated request will be sent to the responsible physician via e-mail.</p> <p>The responsible physician will review eligibility of the patient taking into consideration the possibility to include the patient in an ongoing clinical trial in Belgium. Rejection or approval will be notified to the requesting physician within 5 working days after reception of all requested information.</p> <p>Ravulizumab (Ultomiris®) vials will be delivered to the hospital pharmacist of the treating physician within 72H of medication order received by Alexion Customer Service.</p> <p>If in the clinical judgement of the treating physician, the patient will benefit from continuation of the treatment, he/she can then submit a renewal request according to the GATM procedure.</p>	
<p>Responsible of the program</p>	<p>Responsible for the program: Alexion Pharma Belgium Square de Meeûs 37 1000 Brussels Tel: 0800 200 31 e-mail: belgiummedicalteammicc@alexion.com</p> <p><u>Contact person :</u> Sebastien Block Associate Director Medical Affairs BeLux Mobile: +32 498 90 82 11 Email: sebastien.block@alexion.com</p>	<p>Responsible physician: Dr. Johan Imschoot M.D. Transmedica Geraardsbergsesteenweg 12-14 9320 Erembodegem Mobile: +32 474 880 776 Email: johan.imschoot@transmedica.be</p>
<p>Modalities for the disposal</p>	<p>Any unused or expired medication needs to be either destroyed by the hospital pharmacist according to local regulation or returned to Alexion as soon as possible after the patient's discontinuation from this Medical Need Program.</p> <p>The medication delivered for an individual patient request in the context of this program can only be used for that particular patient.</p>	

	<p>Each vial is intended for single use only and should only be punctured once. Any unused solution in the vial should be discarded.</p>
<p>The information for registration of suspected unexpected serious adverse reactions</p>	<p>Like all medicines, this medicine can cause side effects, although not everybody gets them. Your doctor will discuss the possible side effects with you and explain the risks and benefits of Ultomiris with you prior to treatment.</p> <p>The most serious side effect is meningococcal infection/sepsis.</p> <p>If you experience any of the meningococcal infection symptoms (see below, Meningococcal infection symptoms), you should immediately inform your doctor.</p> <p>If you are not sure what the side effects below are, ask your doctor to explain them to you.</p> <p>Very common (may affect more than 1 in 10 people):</p> <ul style="list-style-type: none"> - Headache - Nausea, diarrhoea, - Upper respiratory tract infection - Common cold (nasopharyngitis) - Fever (pyrexia), feeling tired (fatigue) <p>Common (may affect up to 1 in 10 people):</p> <ul style="list-style-type: none"> - Dizziness - Abdominal pain, vomiting, stomach discomfort after meals (dyspepsia) - Rash, itchy skin (pruritus) - Back pain, joint pain (arthralgia), muscle pain (myalgia) and muscle spasms - Influenza like illness, feeling tired (asthenia) - Infusion related reaction <p>Uncommon (may affect up to 1 in 100 people):</p> <ul style="list-style-type: none"> - Meningococcal infection - Chills - Serious allergic reaction which causes difficulty in breathing or dizziness (anaphylactic reaction), hypersensitivity - Hives <p>Because of the increased risk of developing meningococcal sepsis, ravulizumab (Ultomiris®) must not be given to people who have an infection caused by <i>Neisseria meningitidis</i>; it must also not be given to patients who have not been vaccinated against this bacterium, unless they have the vaccination and take appropriate antibiotics to reduce the risk of infection for two weeks after vaccination. For the full list of side effects and restrictions with Ultomiris®, see the package leaflet.</p> <p>The treating physician should report any adverse event to Pharmacovigilance.Belgium@alexion.com.</p> <p>Meningococcal infection symptoms</p> <p>Because of the importance of rapidly identifying and treating meningococcal infection in patients who receive Ultomiris, you will be provided a ‘Patient card’ to carry with you at all times, listing relevant signs and symptoms of meningococcal infection/sepsis.</p> <p>If you experience any of the following symptoms, you should immediately inform your doctor:</p> <ul style="list-style-type: none"> - headache with nausea or vomiting - headache and fever - headache with a stiff neck or stiff back - fever - fever and rash - confusion - muscle aches with flu-like symptoms - eyes sensitive to light

Nom du médicament	ULTOMIRIS®
Nom de la substance active	Ravulizumab
Indication et conditions d'utilisation	<p>Programme médical d'urgence avec le Ravulizumab (Ultomiris®) pour le traitement de patients atteints d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN) qui ont terminé l'extension ouverte des études de phase III ALXN1210-PNH-301 (EudraCT Nr : 2016-002025-11) ou ALXN1210-PNH-303 (EudraCT Nr : 2017-002370-39) et, selon l'avis et le jugement clinique du médecin traitant, devraient continuer à bénéficier d'un traitement par Ravulizumab (Ultomiris®), qui n'est pas encore disponible commercialement en Belgique.</p> <p>Qu'est-ce qu'Ultomiris ? Ultomiris est un médicament qui contient la substance active ravulizumab. Il appartient à une classe de médicaments appelée anticorps monoclonaux qui se lie à une cible spécifique dans l'organisme. Le ravulizumab a été conçu pour se lier à la protéine C5 du complément qui fait partie du système de défense de l'organisme appelé « système du complément ».</p> <p>Dans quels cas Ultomiris est-il utilisé ? Ultomiris est utilisé pour traiter les patients adultes et les enfants et adolescents pesant 10 kg ou plus atteints d'une maladie appelée hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN). Chez les patients atteints d'HPN, le système du complément est suractivé et attaque les globules rouges, ce qui peut entraîner un taux faible de globules rouges (anémie), une fatigue, des difficultés fonctionnelles, des douleurs, des douleurs abdominales, des urines foncées, des difficultés respiratoires, des difficultés pour avaler, des troubles de l'érection et la formation de caillots sanguins. En se liant à la protéine C5 du système du complément et en l'inhibant, ce médicament peut empêcher les protéines du complément d'attaquer les globules rouges et permet donc de contrôler les symptômes de la maladie, notamment les lésions rénales.</p> <p>Comment utiliser Ultomiris Le médicament inhibe le système du complément qui fait partie du système de défense de l'organisme contre les infections. Le traitement par Ultomiris augmente donc votre risque de développer une infection à méningocoque causée par Neisseria meningitidis. Les infections à Neisseria meningitidis sont des infections sévères qui touchent les membranes qui enveloppent le cerveau et qui peuvent se propager dans le sang et l'organisme (septicémie). Au moins deux semaines avant le début du traitement par Ultomiris, votre médecin vous vaccinera contre l'infection à méningocoque si vous ne l'avez pas déjà été ou si votre vaccination n'est plus à jour. Si vous ne pouvez pas être vacciné(e) au moins deux semaines avant le début du traitement par Ultomiris, votre médecin prescrira des antibiotiques à prendre pendant deux semaines après la vaccination afin de réduire le risque d'infection.</p> <p>Ultomiris est administré par perfusion (goutte à goutte) dans une veine. La perfusion dure environ 45 minutes. La posologie recommandée d'Ultomiris pendant la phase d'entretien est basée sur le poids et administrée par perfusion intraveineuse toutes les 8 semaines :</p> <ul style="list-style-type: none"> • ≥40 kg to <60 kg: 3000 mg, minimum 55 min infusion duration • ≥60 kg to <100 kg: 3300 mg, minimum 40 min infusion duration • ≥100 kg: 3600 mg, minimum 30 min infusion duration

	<p>Le ravulizumab (Ultomiris®) sera administré au patient en milieu hospitalier sous la supervision du médecin requérant.</p>
<p>Conditions, délais et modalités selon lesquels les patients sont admis dans le programme</p>	<p>Critères d'inclusion</p> <ul style="list-style-type: none"> • Patient adulte (≥ 18 ans) ayant reçu un diagnostic d'hémoglobinurie paroxystique nocturne (HPN). • Le patient a participé et terminé l'extension ouverte de l'une des études cliniques suivantes : <ul style="list-style-type: none"> ○ Étude ALXN1210-PNH-301 : Une étude de phase 3, randomisée, ouverte et contrôlée par un traitement actif du ravulizumab (ALXN1210) par rapport à l'eculizumab chez des patients adultes atteints d'HPN n'ayant jamais reçu d'inhibiteur du complément (numéro EudraCT : 2016-002025-11). <p>ou</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ Étude ALXN1210-PNH-303 : Une étude multicentrique de phase 3, randomisée, ouverte, en groupes parallèles, évaluant le ravulizumab SC par rapport au ravulizumab IV chez des patients adultes atteints de PNH, cliniquement stables et ayant déjà été traités par éculizumab pendant au moins trois mois avant l'entrée dans l'étude (N° EudraCT : 2017-002370-39) <ul style="list-style-type: none"> • Selon le jugement clinique du médecin traitant, le patient devrait continuer à bénéficier d'un traitement par ravulizumab après la fin de l'étude clinique. • Le patient n'est pas éligible pour un essai clinique en cours avec le ravulizumab et/ou un essai clinique/MNP en cours dans l'indication envisagée de ce programme. • Le patient n'est pas éligible au traitement ou ne peut pas être traité de manière satisfaisante par une alternative thérapeutique approuvée et disponible dans le commerce, conformément aux recommandations cliniques, en raison de problèmes d'efficacité et/ou de sécurité. • Le patient a été clairement et complètement informé par le médecin traitant concernant le programme de besoin médical et a signé le formulaire de consentement éclairé avant l'inclusion dans ce MNP. • Dans le cadre des activités de réduction des risques liés à Ultomiris®, le patient a été informé du risque d'infection par le méningocoque et est à jour de sa vaccination contre les infections à méningocoques. <p>Critères d'exclusion</p> <ul style="list-style-type: none"> • Antécédents d'hypersensibilité à l'un des ingrédients contenus dans le ravulizumab (Ultomiris®), y compris une hypersensibilité aux protéines murines. • Femmes qui prévoient de devenir enceintes ou qui sont actuellement enceintes ou qui <p>Le médecin responsable évaluera l'éligibilité du patient en tenant compte de la possibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours en Belgique. Le rejet ou l'approbation sera notifié au médecin demandeur dans les 5 jours ouvrables suivant la réception de toutes les informations demandées.</p> <p>Le responsable du programme ne mettra le ravulizumab (Ultomiris®) à la disposition du médecin traitant que si l'avis du médecin responsable est positif et si la demande individuelle est approuvée dans la plateforme MyAccess.</p> <p>Le traitement sera livré à la pharmacie de l'hôpital du médecin demandeur dans les 72H après approbation de l'envoi GATM.</p>

Durée	<p>Le programme démarrera dès qu'il aura été approuvé par les autorités nationales compétentes (AFMPS). Le ravulizumab (Ultomiris®) sera fourni gratuitement par Alexion sur base individuelle suivant les critères énoncés dans ce protocole jusqu'à ce qu'une décision (positive ou négative) sur le remboursement de ravulizumab (Ultomiris®) dans cette indication soit obtenu, ou jusqu'à ce que, selon le jugement clinique du médecin traitant, le patient ne bénéficie plus de la poursuite du traitement, quoi qu'il arrive en premier. Le patient peut également décider à tout moment de mettre fin à sa participation. De nouvelles données sur l'évaluation des bénéfices et des risques du produit dans cette indication spécifique peuvent conduire à l'arrêt du programme.</p> <p>Alexion et le comité du GATM réévalueront régulièrement le programme et pourront décider de modifier les critères d'éligibilité ou d'interrompre le programme.</p> <p>Au moment où le programme prend fin, les patients qui sont inclus dans le programme doivent passer au médicament disponible sur le marché (indépendamment de son statut de remboursement). Si le médicament n'est pas disponible commercialement en Belgique, le demandeur continuera à fournir le médicament selon les modalités du programme fermé, sauf si l'autorité compétente en a décidé autrement pour des raisons scientifiques.</p>	
Conditions de distribution	<p>Le médecin traitant vérifiera les essais cliniques en cours qui pourraient convenir aux patients et vérifiera les critères d'inclusion/exclusion de ce programme de besoin médical.</p> <p>Une demande non sollicitée du médecin traitant pour la fourniture de ravulizumab (Ultomiris®) via le programme GATM doit être soumise dans le portail Parexel MyAccess.</p> <p>L'équipe médicale d'Alexion fournira tous les documents requis (protocole MNP, ICF, SmPC, matériel RMA, déclaration du médecin et formulaire de demande MNP) au médecin traitant pour lui permettre de soumettre une demande motivée au médecin responsable. La demande motivée sera envoyée au médecin responsable par e-mail.</p> <p>Le médecin responsable examinera l'éligibilité du patient en tenant compte de la possibilité d'inclure le patient dans un essai clinique en cours en Belgique. Le rejet ou l'approbation sera notifié au médecin demandeur dans les 5 jours ouvrables suivant la réception de toutes les informations demandées.</p> <p>Les flacons de ravulizumab (Ultomiris®) seront livrés au pharmacien hospitalier du médecin traitant dans les 72H suivant la réception de la commande de médicaments par le service clientèle d'Alexion.</p> <p>Si, selon le jugement clinique du médecin traitant, le patient bénéficie de la poursuite du traitement, il peut alors soumettre une demande de renouvellement selon la procédure GATM.</p>	
Responsable	<p>Responsable du programme:</p> <p>Alexion Pharma Belgium Square de Meeûs 37 1000 Bruxelles Tel: 0800 200 31 e-mail: belgiummedicalteammicc@alexion.com</p> <p>Sebastien Block Associate Director Medical Affairs BeLux Tel: +32 498 90 82 11 Email: sebastien.block@alexion.com</p>	<p>Médecin responsable:</p> <p>Dr. Johan Imschoot M.D. Transmedica Geraardsbergsesteenweg 12-14 9320 Erembodegem Mobile: +32 474 880 776 Email: johan.imschoot@transmedica.be</p>

<p>Modalités selon lesquelles les médicaments non-utilisés sont traités</p>	<p>Tout médicament inutilisé ou périmé doit être, soit détruit par le pharmacien de l'hôpital conformément à la réglementation locale, soit renvoyé à Alexion dès que possible après l'arrêt du patient de ce programme médical.</p> <p>Le médicament délivré pour une demande individuelle de patient dans le cadre de ce programme ne peut être utilisé que pour ce patient particulier.</p> <p>Chaque flacon est destiné à un usage unique et ne doit être prélevé qu'une seule fois. Toute solution non utilisée dans le flacon doit être jetée.</p>
<p>Données pour l'enregistrement des suspicions d'effets indésirables graves</p>	<p>Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.</p> <p>Votre médecin discutera avec vous des éventuels effets indésirables et vous expliquera les risques et bénéfices d'Ultomiris avant le début de votre traitement.</p> <p>L'effet indésirable le plus grave est l'infection/la septicémie à méningocoque.</p> <p>Si vous présentez un des symptômes d'infection à méningocoque (voir ci-dessous : Symptômes de l'infection à méningocoque), vous devrez contacter immédiatement votre médecin traitant.</p> <p>Liste des effets indésirables</p> <p>Effets indésirables très fréquents (peuvent affecter plus d'1 patient sur 10) :</p> <ul style="list-style-type: none"> • céphalées (maux de tête), • nausées, diarrhée, • infection des voies respiratoires supérieures, • rhume (rhinopharyngite), • fièvre (pyrexie), sensation de fatigue (fatigue). <p>Effets indésirables fréquents (peuvent affecter jusqu'à 1 patient sur 10) :</p> <ul style="list-style-type: none"> • sensations vertigineuses, • douleurs abdominales, vomissements, gêne gastrique après les repas (dyspepsie), • éruption cutanée, démangeaisons (prurit), • dorsalgie (douleur dans le dos), douleurs articulaires (arthralgie), douleurs musculaires (myalgie) et contractures musculaires, • syndrome pseudo-grippal, sensation de fatigue (asthénie), • réaction à la perfusion. <p>Effets indésirables peu fréquents (peuvent affecter jusqu'à 1 patient sur 100) :</p> <ul style="list-style-type: none"> • infection à méningocoque, • frissons, • réaction allergique grave provoquant des difficultés pour respirer ou des sensations vertigineuses (réaction anaphylactique), hypersensibilité, • urticaire. <p>Du fait de son mécanisme d'action, l'utilisation d'Ultomiris[®] augmente la prédisposition du patient à une infection à méningocoque (<i>Neisseria meningitidis</i>). Une infection à méningocoque de tout sérotype peut survenir. Pour réduire le risque d'infection, tous les patients doivent être vaccinés au moins 2 semaines avant l'administration d'Ultomiris[®] à moins que le risque de retarder le traitement par Ultomiris[®] soit supérieur à celui de développer une infection à méningocoque.</p> <p>Le médecin traitant doit signaler tout effet secondaire à pharmacovigilance.belgium@alexion.com</p>

Symptômes de l'infection à méningocoque

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

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

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

Naam geneesmiddel	Ultomiris
Naam actieve substantie	Ravulizumab
Indicatie en gebruiksvoorwaarden	<p>Medisch noodprogramma met Ravulizumab (Ultomiris®) voor de behandeling van patiënten met paroxismale nachtelijke hemoglobininurie (PNH) die de Open Label Extension van de fase III studies ALXN1210-PNH-301 (EudraCT Nr: 2016-002025-11) of ALXN1210-PNH-303 (EudraCT Nr: 2017-002370-39) en, naar de mening en het klinisch oordeel van de behandelend arts, baat zouden blijven hebben bij een behandeling met Ravulizumab (Ultomiris®), dat nog niet commercieel beschikbaar is in België.</p> <p>Wat is Ultomiris?</p> <p>Ultomiris is een geneesmiddel dat de werkzame stof ravulizumab bevat en het behoort tot een klasse geneesmiddelen genaamd monoklonale antilichamen, die zich binden aan een specifiek doelwit in het lichaam. Ravulizumab is ontworpen om zich te binden aan complementeiwit C5; dat is een onderdeel van het afweersysteem van het lichaam dat wordt aangeduid als het 'complementsysteem'.</p> <p>Waarvoor wordt Ultomiris gebruikt?</p> <p>Ultomiris wordt gebruikt voor de behandeling van volwassen patiënten en kinderen met een gewicht van 10 kg en meer die een ziekte hebben met de naam paroxismale nachtelijke hemoglobininurie (PNH). Bij patiënten met PNH is het complementsysteem overactief en valt het de eigen rode bloedcellen aan, wat kan leiden tot bloedarmoede (ook wel 'anemie' genoemd; een laag aantal bloedcellen), vermoeidheid, moeite met functioneren, pijn, buikpijn, donkere urine, kortademigheid, moeite met slikken, erectiestoornissen en bloedstolsels. Doordat het bindt aan het complementeiwit C5 en de werking daarvan blokkeert, kan dit geneesmiddel ervoor zorgen dat complementeiwitten geen rode bloedcellen meer aanvallen en zo de verschijnselen van de ziekte onder controle houden.</p> <p>Doordat het geneesmiddel de werking blokkeert van het complementsysteem, dat deel uitmaakt van het afweersysteem van het lichaam tegen infecties, heeft u bij gebruik van Ultomiris een grotere kans op een meningokokkeninfectie veroorzaakt door <i>Neisseria meningitidis</i>. Dit zijn ernstige infecties van de hersenvliezen die zich ook kunnen verspreiden door het bloed en het lichaam (bloedvergiftiging: sepsis).</p> <p>Ten minste 2 weken voordat u begint met de behandeling met Ultomiris, krijgt u van uw arts een vaccin tegen meningokokkeninfecties, als u dat niet al eerder heeft gehad of als uw vaccinatie is verlopen. Als u niet ten minste 2 weken voor het begin van uw behandeling met Ultomiris kunt worden gevaccineerd, schrijft uw arts u antibiotica voor om de kans op infectie te verkleinen tot 2 weken nadat u bent gevaccineerd.</p> <p>Ultomiris wordt toegediend via een infuus in een ader. De infusie duurt ongeveer 45 minuten.</p> <p>De aanbevolen dosering van Ultomiris tijdens de onderhoudsfase is gebaseerd op het gewicht en wordt elke 8 weken via een intraveneuze infusie toegediend:</p> <ul style="list-style-type: none"> - ≥ 40 kg tot < 60 Kg minimale infusieduur 55 min. - ≥ 60 kg tot < 100 Kg minimale infusieduur 40 min. - ≥ 100 kg: 3600 mg, minimale infusieduur 30 min.

	Ravulizumab (Ultomiris®) zal aan de patiënt worden toegediend in de ziekenhuisomgeving onder toezicht van de aanvragende arts.
Voorwaarden, termijnen en nadere regelen waaronder patiënten worden toegelaten	<p>Inclusie criteria</p> <ul style="list-style-type: none"> • Volwassen patiënt (≥ 18 jaar) met een diagnose van paroxismale nachtelijke hemoglobinurie (PNH). <ul style="list-style-type: none"> ○ De patiënt heeft deelgenomen aan de open-label uitbreiding van een van de volgende klinische onderzoeken en deze voltooid: <ul style="list-style-type: none"> ○ Studie ALXN1210-PNH-301: Een fase 3, gerandomiseerde, open-label, actief-gecontroleerde studie van ravulizumab (ALXN1210) versus eculizumab in complementinhibitor-naïeve volwassen HPN-patiënten (EudraCT-nummer: 2016-002025-11). <p>Of</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ Studie ALXN1210-PNH-303: Een multicentrische, gerandomiseerde, open-label, parallelle groep, fase 3-studie waarin ravulizumab SC versus ravulizumab IV wordt geëvalueerd bij volwassen patiënten met PNH die klinisch stabiel zijn en ten minste drie maanden voor aanvang van de studie zijn behandeld met eculizumab (EudraCT-nummer: 2017-002370-39). <ul style="list-style-type: none"> • Op basis van het klinische oordeel van de behandelend arts moet de patiënt na afloop van de klinische studie de behandeling met ravulizumab voortzetten. • De patiënt komt niet in aanmerking voor een lopend klinisch onderzoek met ravulizumab en/of een lopend klinisch onderzoek/MNP in de beoogde indicatie van dit programma. • De patiënt komt niet in aanmerking voor behandeling of kan niet op gepaste wijze behandeld worden met commercieel beschikbare alternatieve behandelingen die worden vergoed in België voor de betrokken aandoening, in overeenstemming met de klinische richtlijnen, omwille van problemen met de werkzaamheid en/of veiligheid. • De patiënt is duidelijk en volledig geïnformeerd door de behandelende arts over het Medical Need Program en heeft het informed consent-formulier ondertekend voorafgaand aan opname in dit NPM. • De patiënt is geïnformeerd over het risico van mogelijke meningokokkeninfectie, is opnieuw gevaccineerd of is in orde met zijn vaccinatie tegen meningokokkeninfecties. <p>De verantwoordelijke arts zal de geschiktheid van de patiënt beoordelen, rekening houdend met de mogelijkheid om de patiënt op te nemen in een lopende klinische studie in België. Afwijzing of goedkeuring wordt binnen 5 werkdagen na ontvangst van alle gevraagde informatie aan de verzoekende arts meegedeeld.</p> <p>De programmaverantwoordelijke stelt ravulizumab (Ultomiris®) alleen beschikbaar aan de behandelend arts als het oordeel van de verantwoordelijke arts positief is en de individuele aanvraag is goedgekeurd in het MyAccess-platform.</p> <p>De behandeling wordt binnen 72 uur na goedkeuring van de GATM-verzending afgeleverd bij de ziekenhuisapothek van de aanvragende arts.</p>
Looptijd	<p>Het programma start zodra het is goedgekeurd door de nationale bevoegde autoriteiten (FAGG). Ravulizumab (Ultomiris®) wordt gratis ter beschikking gesteld door Alexion Belgium voor een individuele patiënt volgens de criteria beschreven in dit protocol totdat een beslissing (positief of negatief) over de terugbetaling van ravulizumab (Ultomiris®) bij deze specifieke indicatie is verkregen. , of totdat, naar het klinische oordeel van de behandelende arts, de patiënt niet langer baat heeft bij voortzetting van de behandeling, indien dit eerder is. De patiënt kan ook op elk moment besluiten om zijn deelname te beëindigen.</p>

	<p>Nieuwe bevindingen die van invloed zijn op de baten- en risicobeoordeling van het product bij deze specifieke indicatie kunnen leiden tot beëindiging van het programma. Alexion en de GATM-commissie zullen het programma regelmatig herevalueren en kunnen beslissen om de toelatingscriteria te wijzigen of om het programma stop te zetten.</p> <p>Op het moment dat het programma eindigt, moeten patiënten die in het programma zijn opgenomen overschakelen op het in de handel verkrijgbare geneesmiddel (ongeacht de status van terugbetaling). Indien het geneesmiddel in België niet in de handel verkrijgbaar is, zal de aanvrager het geneesmiddel blijven verstrekken volgens de modaliteiten van het afgesloten programma, tenzij de bevoegde autoriteit om wetenschappelijke redenen anders heeft besloten.</p>	
<p>Distributievoorwaarden</p>	<p>Een ongevraagd verzoek van de behandelende arts voor de levering van Soliris® via het GATM-programma moet worden ingediend in het Parexel MyAccess-portaal.</p> <p>De programmamanager bezorgt de behandelend arts de instructies en bijbehorende procedurele documenten (MNP-protocol, ICF, SmPC, MNP-aanvraag van, doktersverklaring, veiligheidsinformatie) om een gemotiveerd verzoek aan de verantwoordelijke arts te kunnen indienen.</p> <p>Het gemotiveerde verzoek wordt (per e-mail) naar de verantwoordelijke arts gestuurd, die de geschiktheid van de patiënt beoordeelt, rekening houdend met de mogelijkheid om de patiënt op te nemen in een klinische studie die in België aan de gang is. Afwijzing of goedkeuring wordt binnen 5 werkdagen na ontvangst van alle gevraagde informatie aan de verzoekende arts meegedeeld.</p> <p>De flacons met ravulizumab (Ultomiris) worden afgeleverd bij de apotheker van het ziekenhuis van de behandelende arts.</p> <p>Indien naar het klinische oordeel van de behandelende arts, de patiënt baat zal hebben bij voortzetting van de behandeling (de verzoekende arts moet ten minste elke 6 maanden een vervolfbezoek af te leggen in My Acces om de positieve baten / risicobeoordeling te bevestigen), kan hij / zij vervolgens een nieuw verzoek tot verzending van medicijnen indienen op het MyAccess-platform.</p>	
<p>Verantwoordelijke</p>	<p>Verantwoordelijke voor het programma Alexion Pharma Belgium Square de Meeûs 37 1000 Brussel Tel: 0800 200 31 e-mail: belgiummedicalteammicc@alexion.com</p> <p>Sebastien Block Associate Director Medical Affairs BeLux Tel: +32 498 90 82 11 Email: sebastien.block@alexion.com</p>	<p>Arts verantwoordelijk voor het programma:</p> <p>Dr. Johan Imschoot M.D. Transmedica Geraardsbergsesteenweg 12-14 9320 Erembodegem Mobile: +32 474 880 776 Email: johan.imschoot@transmedica.be</p>
<p>Modaliteiten voor de behandeling van niet-gebruikt geneesmiddel</p>	<p>Alle ongebruikte of vervallen medicatie moet zo snel mogelijk volgens de geldende regels vernietigd worden of terugbezorgd aan Alexion Pharma Belgium nadat de patiënt zijn/haar deelname aan dit Medical Need Programma heeft stopgezet.</p> <p>De medicatie geleverd voor een individuele patiënt in het kader van een programma voor schrijvende gevallen kan alleen worden gebruikt voor die specifieke patiënt.</p> <p>Elke injectieflacon is uitsluitend bedoeld voor eenmalig gebruik en mag slechts één keer worden doorgeprikt. Elke ongebruikte oplossing in de injectieflacon moet worden weggegooid.</p>	

<p>Gegevens voor de registratie van vermoedens van onverwachte bijwerkingen</p>	<p>Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.</p> <p>Vóór de behandeling zal uw arts de mogelijke bijwerkingen met u bespreken en uitleggen wat de risico's en voordelen van Ultomiris zijn.</p> <p>De ernstigste bijwerking is meningokokkeninfectie/-sepsis.</p> <p>Als u één of meer van de verschijnselen van een meningokokkeninfectie ervaart (zie rubriek 2: Verschijnselen van meningokokkeninfectie), moet u onmiddellijk uw arts informeren.</p> <p>Als u niet zeker weet wat de onderstaande bijwerkingen inhouden, vraag uw arts dan om uitleg.</p> <p>Zeer vaak (komen voor bij meer dan 1 op de 10 gebruikers):</p> <ul style="list-style-type: none"> • hoofdpijn • misselijkheid, diarree, • infectie van de bovenste luchtwegen • verkoudheid • koorts, vermoeidheid <p>Vaak (komen voor bij minder dan 1 op de 10 gebruikers):</p> <ul style="list-style-type: none"> • duizeligheid • buikpijn, braken, last van de maag na het eten (dyspepsie) • huiduitslag, jeuk op de huid • rugpijn, gewrichtspijn, spierpijn en spierspasmen • griepachtige aandoening, zich moe of slap voelen • infusiegerelateerde reactie <p>Soms (komen voor bij minder dan 1 op de 100 gebruikers):</p> <ul style="list-style-type: none"> • meningokokkeninfectie • koude rillingen • ernstige allergische reactie die moeite met ademen of duizeligheid veroorzaakt (anafylactische reactie), overgevoeligheid • uitslag op de huid met roze bulten en erge jeuk (netelroos) <p>Verschijnselen van een meningokokkeninfectie</p> <p>Omdat het belangrijk is dat een eventuele meningokokkeninfectie bij patiënten die Ultomiris krijgen toegediend snel wordt vastgesteld en behandeld, ontvangt u een zogenaamde 'patiëntenkaart' die u altijd bij u moet dragen, waarop specifieke tekenen en verschijnselen van een meningokokkeninfectie/-sepsis vermeld staan.</p> <p>Als u één of meer van de volgende verschijnselen krijgt, laat dat dan meteen weten aan uw arts:</p> <ul style="list-style-type: none"> - hoofdpijn met misselijkheid of braken - hoofdpijn en koorts - hoofdpijn met een stijve nek of stijve rug - koorts - koorts en huiduitslag - verwardheid - spierpijn met griepachtige verschijnselen - - gevoeligheid van de ogen voor licht <p>De behandelende arts moet elke bijwerking melden aan pharmacovigilance.belgium@alexion.com</p>
---	---