

Consentement parental pour recevoir un traitement (vamorolone) dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel d'un médicament non approuvé

Titre : Programme d'usage compassionnel de vamorolone pour le traitement des garçons atteints de dystrophie musculaire de Duchenne ayant terminé l'étude VBP15-004

Médecin traitant pour ce protocole : _____

Nom du promoteur : Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd ou « Santhera »

Introduction

Ce consentement parental actualisé vous est présenté afin de vous fournir, à vous ou à votre fils, des informations supplémentaires dans le cadre de la poursuite de son traitement par vamorolone. La vamorolone a récemment été approuvée par l'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (*Food and Drug Administration* ou FDA), l'Agence européenne des médicaments (EMA) et l'Agence britannique de réglementation des médicaments et produits de santé (*Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency* ou MHRA).

Veuillez examiner les nouvelles informations contenues dans ce formulaire de consentement avant de décider si vous souhaitez ou non que votre fils continue de suivre ce traitement. **Cette décision relève exclusivement de votre choix. Si vous décidez de continuer le traitement pour votre fils, vous pourrez changer d'avis ultérieurement et arrêter le traitement.** La décision de continuer ou non ce traitement ne nuira pas aux soins dont bénéficie votre fils. Si vous décidez de ne pas inclure votre fils dans ce programme d'usage compassionnel, son médecin traitant continuera de prendre soin de lui de la même manière.

Avant de prendre votre décision :

- lisez attentivement ce formulaire ou demandez à vous le faire lire ;
- écoutez les explications qui vous sont données par le médecin traitant ou le personnel responsable du programme, concernant le traitement ;
- posez des questions sur tout ce qui ne vous paraît pas clair.

Veuillez prendre le temps de parcourir ces informations, que vous pouvez emporter chez vous pour les étudier plus en détail. Discutez-en avec votre partenaire, votre famille et vos proches. Signez ce formulaire de consentement uniquement si vous avez pu poser toutes les questions qui vous préoccupent et que vous avez obtenu des réponses qui ont du sens pour vous. En signant ce formulaire, vous ne renoncez à

aucun des droits reconnus par la loi. Après la signature du consentement, vous recevrez une copie pour vos dossiers.

Quel est l'objectif de ce programme ?

Le médecin traitant prescrit actuellement de la vamorolone à votre fils dans le cadre du programme d'usage compassionnel, lui permettant de continuer à prendre ce médicament, déjà administré au cours d'une étude de recherche précédente.

Que devrai-je faire ?

- Le traitement de vamorolone continuera de vous être fourni par le médecin traitant de votre fils, dont le nom figure sur ce formulaire de consentement. Le traitement vous sera expédié chez vous ou remis en main propre à l'occasion d'une consultation avec votre médecin traitant.
- Vous devrez administrer la dose de vamorolone prescrite par le médecin traitant. À partir de maintenant, la dose maximale sera de 240 mg dès lors que le poids de votre enfant atteint 40 kg ou plus.
- Vous pourrez conserver le médicament à température ambiante (inférieur à 25°C) avant sa première utilisation. Après l'avoir ouvert, veuillez ensuite conserver le flacon au réfrigérateur (entre 2°C et 8°C), comme indiqué sur l'étiquette. Le flacon se présente dans une boîte incluant deux seringues de dosage réutilisables et un adaptateur pour flacon.
- Le médecin traitant devra collecter, documenter et signaler au fournisseur du médicament (Santhera) tout problème de sécurité ou tout événement qui pourrait affecter votre fils pendant son traitement de vamorolone. Vous devrez respecter le plan d'administration recommandé pour la prise du traitement et vous conformer aux normes de soin en matière de suivi et de contrôle, en suivant les recommandations du médecin traitant, qui peuvent comprendre des analyses de sang ou d'urine et des procédures de soin standard.
- Tout problème de sécurité éventuel devra obligatoirement être signalé au médecin traitant de votre fils (dont le nom figure sur ce formulaire de consentement) soit par vous directement, soit par un autre membre de votre famille, soit par un autre médecin ou prestataire de soins (par exemple, une personne travaillant dans le service des urgences d'un hôpital).

Qui aura accès aux informations concernant le traitement de mon fils ?

Si votre fils reçoit ce traitement, des informations sur la vamorolone seront communiquées aux médecins de votre fils, au fabricant du médicament, Santhera, ainsi qu'aux autorités réglementaires. Vous ne percevrez aucune rémunération pour la participation de votre fils. Si votre fils arrête le traitement, les

informations déjà collectées pourront toujours être utilisées pour ce programme.

Quels sont les risques ou désagréments potentiels ?

Il est possible que votre fils ressente des effets secondaires ou un inconfort pendant son traitement de vamorolone. Le fait de consulter son médecin traitant, comme cela est recommandé, permettra un suivi attentif de votre enfant. En cas de préoccupations ou d'évènements liés à la sécurité survenant pendant que votre fils prend la vamorolone, contactez votre médecin traitant

_____ [nom du contact dans le centre participant] à
ces coordonnées _____ [coordonnées de contact].

Les effets secondaires susceptibles d'affecter votre fils sont énumérés ci-dessous. D'autres effets secondaires, inconnus à ce jour, ne sont pas exclus.

Risques liés à la prise de vamorolone

Les effets secondaires les plus fréquemment observés avec la vamorolone à 6 mg/kg/jour sont des caractéristiques cushingoïdes, c'est-à-dire principalement un visage rond (28,6 %), des vomissements (14,3 %), une prise de poids (10,7 %) et de l'irritabilité (10,7 %). Ces effets secondaires sont plus fréquents à la dose la plus élevée (vamorolone à 6 mg/kg/jour) et pendant les premiers mois de traitement.

INSUFFISANCE SURRÉNALIENNE

L'insuffisance surrénalienne résulte d'une diminution du fonctionnement des glandes surrénales. Les glandes surrénales produisent des hormones dans le corps. La plupart des enfants sous vamorolone ne présentent aucun symptôme.

Les enfants atteints d'insuffisance surrénalienne ont un risque de tomber très malades. Lorsque cela se produit, on parle alors de crise d'insuffisance surrénalienne aiguë. Les signes et symptômes d'une insuffisance surrénalienne aiguë peuvent comprendre :

- Fatigue / épuisement
- Nausées / vomissements
- Douleur abdominale / douleur à l'estomac
- Douleurs musculaires
- Survenue d'une nouvelle faiblesse musculaire, perte de force
- Vertiges

- Difficulté à penser clairement

La crise d'insuffisance surrénalienne aiguë peut être associée à une hypotension artérielle (basse pression artérielle) et/ou à une hypoglycémie (taux de sucre dans le sang est réduit). Elle se produit le plus souvent lorsqu'un enfant est exposé à un stress physique, tel qu'une maladie, une intervention chirurgicale ou une lésion/blessure. La crise d'insuffisance surrénalienne aiguë peut être évitée/traitée par l'administration d'un traitement stéroïdien substitutif, sous forme de « doses de stress », durant l'épisode de stress aigu. Pour les patients prenant de la vamorolone, l'hydrocortisone doit être utilisée pour les doses de stress. Si votre fils présente l'un des symptômes énoncés ci-dessus, son médecin traitant doit en être averti. Par ailleurs, si votre fils doit subir une intervention chirurgicale, s'il se blesse gravement ou s'il tombe malade (par exemple, s'il développe une infection) pendant sa participation à ce programme, vous devrez immédiatement en informer le médecin traitant de votre fils, afin d'obtenir ses conseils pour réduire le risque de survenue d'effets indésirables liés à une potentielle insuffisance surrénalienne.

L'arrêt brutal de la vamorolone peut être dangereux car cela peut également provoquer une crise surrénalienne. Si votre fils ne prend pas la vamorolone pendant plus de 24 heures (s'il manque deux doses) pour quelque raison que ce soit, vous devez contacter le médecin traitant dès que possible pour obtenir des conseils. Si votre fils doit cesser le traitement, il est impératif de ne pas l'arrêter brutalement. Le médecin traitant vous donnera des conseils sur la manière d'arrêter le traitement en toute sécurité.

Il vous sera remis une carte d'urgence comportant des conseils sur les symptômes et le traitement de l'insuffisance surrénale et de la crise d'insuffisance surrénalienne aiguë.

GAIN DE POIDS

Il est possible que la vamorolone augmente l'appétit de votre fils et, par conséquent, lui fasse prendre du poids, surtout pendant les premiers mois de traitement. Au cours des études cliniques, la prise de poids était observée plus fréquemment chez les personnes prenant les doses les plus élevées de vamorolone, c.-à-d. 6 mg/kg/jour.

RISQUE ACCRU D'INFECTIONS

La vamorolone peut, comme les glucocorticoïdes, réduire la résistance naturelle aux nouvelles infections. Ces infections peuvent être sévères et parfois fatales. Dans les essais cliniques, la vamorolone n'a pas montré d'augmentation du risque d'infections. Cependant, des données supplémentaires sont nécessaires pour caractériser le risque d'infections.

VACCINATION

Votre fils ne doit pas recevoir de vaccins vivants ou vivants atténués pendant le traitement par la vamorolone. D'autres types de vaccins peuvent être utilisés mais la réponse vaccinale peut être modifiée par la vamorolone.

EFFETS SUR L'ŒIL

Les stéroïdes peuvent induire une cataracte (le cristallin devient progressivement opaque) ou un glaucome (augmentation de la pression à l'intérieur du globe oculaire). Aucun cas n'a été observé avec la vamorolone à ce jour, mais ces risques ne peuvent être totalement exclus.

RISQUE DE PERTE DE CONFIDENTIALITÉ DES DONNÉES

La confidentialité de tous les dossiers sera protégée conformément au règlement général sur la protection des données (RGPD) de l'Union européenne. Tout effet indésirable signalé durant la période de traitement vamorolone de votre fils sera enregistré dans une base de données sécurisée, pour des fins d'analyse. Votre fils sera identifié uniquement par un numéro de référence dans le programme, afin de protéger sa confidentialité. Néanmoins, bien qu'il soit peu probable, le risque de perte de confidentialité des données ne peut être totalement exclu.

Chez vous, veillez à conserver les médicaments hors de la portée des enfants ou de toute autre personne qui ne serait pas en mesure de lire ou de comprendre l'étiquette. Ne laissez personne d'autre que votre fils prendre le traitement.

Il est possible que les médecins découvrent de nouveaux éléments, pendant le traitement de votre fils, concernant les risques associés au traitement. Si cela arrive, vous en serez informés. Vous pourrez alors décider de continuer ou d'interrompre sa participation à ce programme. Si vous choisissez de continuer le traitement de votre fils, il pourra alors vous être demandé de signer un nouveau formulaire de consentement, incluant ces nouveaux éléments d'information.

Pendant toute la durée de ce programme, évitez les médicaments suivants et si quelqu'un vous conseille des médicaments ou traitements de ce type, consultez le médecin traitant avant de commencer à les donner à votre enfant :

- vaccins vivants ou vivants atténués ;

- médicaments appartenant au groupe appelé « antagonistes des récepteurs des minéralocorticoïdes » (par ex. : spironolactone et éplérénone);
- corticostéroïdes systémiques chroniques (hors « doses de stress » éventuellement nécessaires);
- autres médicaments immunosuppresseurs.

Si vous n'êtes pas certain(e) de pouvoir donner à votre fils, pendant sa période de traitement de vamorolone, un traitement qui lui a été prescrit par un médecin autre que son médecin traitant, veuillez le contactez.

Mon fils bénéficiera-t-il directement de ce traitement ?

Il se peut que ce traitement soit bénéfique pour votre fils, ou pas, ou bien qu'il aggrave son état. Parlez bien de tous les aspects liés au bénéfice du traitement avec le médecin traitant, afin de vous assurer de faire le bon choix pour votre fils.

Quels sont les bénéfices potentiels ?

Votre fils pourrait tirer certains bénéfices de la vamorolone. Les bénéfices possibles incluent une amélioration de la force et de la fonction musculaires et une croissance qui ne serait pas altérée comme elle le serait avec l'utilisation de corticostéroïdes. Ces bénéfices potentiels reposent sur les résultats d'études précédentes sur la vamorolone chez les garçons atteints de DMD. Sur la base de ces données, il est possible qu'en participant à ce programme, votre enfant connaisse une amélioration plus importante de son état que s'il ne prenait aucun stéroïde ou s'il prenait de la prednisone.

On ignore si le fait de prendre la vamorolone pendant plus de 24 semaines peut améliorer davantage la force musculaire et/ou la fonction musculaire. Il est possible que votre fils ne retire aucun bénéfice direct de sa participation à ce programme, mais d'autres personnes pourraient tirer un bénéfice des informations obtenues par les médecins au cours du traitement de votre fils.

Aurons-nous une contrepartie pour le temps et les efforts investis ?

Aucune compensation financière ne vous sera accordée pour l'administration de ce traitement à votre fils.

Quelles sont les autres options de mon fils ?

Si vous décidez de ne plus continuer le traitement par vamorolone, d'autres options s'offrent à votre fils.

Le médecin traitant de votre fils pourra lui prescrire de la prednisone ou du déflazacort, ou bien aucun traitement.

Si votre fils prend ce traitement, il est possible qu'il ne puisse pas participer à des études de recherche. Pensez à aborder cette question avec le médecin traitant de votre fils. Vous avez également la possibilité de chercher d'autres programmes de recherche envisageables, en consultant des sites Internet tels que clinicaltrials.gov.

Comment seront protégées les données à caractère personnel de mon fils, collectées dans le cadre de ce programme ?

Le centre d'investigation auquel vous êtes rattachés préservera la confidentialité des données obtenues dans le cadre de ce programme, dans toute la mesure exigée par la loi. Autant que possible, c'est un numéro, plutôt que son nom, qui sera utilisé pour identifier votre enfant dans les dossiers destinés au fabricant du médicament, Santhera, ou aux autorités réglementaires. Si nous présentons ou publions des informations concernant le traitement, nous ne ferons apparaître ni son nom ni aucune autre donnée d'identification.

Dossier médical

Des copies du formulaire de consentement que vous signerez seront incluses dans le dossier médical de votre fils.

Certaines informations liées au traitement de votre fils pourront être utiles à son médecin traitant, aux fins de sa prise en charge, par exemple les résultats des examens ou des procédures. Ces résultats seront intégrés au dossier médical de votre fils. Toute personne ayant accès aux dossiers médicaux de votre fils aura accès à toutes les informations qui y seront intégrées. La confidentialité des données qui figurent dans le dossier médical de votre fils est protégée par la loi.

Si vous décidez de continuer le traitement de votre fils par la vamorolone, il est important que les autres prestataires de soins qui s'occupent de votre fils en soient informés. Il est essentiel que tout médecin amené à s'occuper de votre fils soit informé du fait qu'il prend un traitement dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel, et que toute préoccupation concernant la sécurité soit communiquée à son médecin traitant.

Coûts

Tous les aspects de la prise en charge de votre fils, notamment les consultations, les analyses d'urine ou de sang et autres procédures, se dérouleront comme dans le cadre d'une prise en charge clinique

standard. Santhera fournira gratuitement la vamorolone pendant toute la durée de ce programme d'usage compassionnel. Santhera vous remboursera vos frais de déplacement, d'hébergement et de repas et autres frais directs liés à ses consultations cliniques, conformément aux directives en matière de remboursement.

Arrêt du traitement

Vous avez le droit de décider d'arrêter le traitement de votre fils à tout moment, sans que cela n'entraîne de pénalité. Des effets secondaires graves peuvent survenir si votre fils arrête de prendre la vamorolone brutalement. Pour la sécurité de votre fils, veuillez avertir son médecin traitant et suivre ses recommandations sur la façon d'arrêter le traitement.

Le médecin traitant aura également le droit d'arrêter le traitement de votre fils, sans votre consentement, pour une quelconque raison, notamment s'il estime qu'il n'est plus dans l'intérêt de votre fils de prendre le traitement, ou dans l'éventualité où vous vous opposeriez à un changement ultérieur du plan de traitement.

Comment l'anonymat de mon fils sera-t-il préservé ?

Les données obtenues dans le cadre de ce programme resteront confidentielles. Les dossiers cliniques seront conservés au moins aussi longtemps que l'imposent la législation locale, les exigences institutionnelles ou les autorités réglementaires (selon la durée la plus longue).

Les entités énumérées ci-dessous pourront être amenées à consulter les dossiers médicaux (y compris, dans de rares cas, les données d'identification de votre fils) afin de vérifier que la prise en charge clinique est réalisée correctement, que nous respectons la législation et que nous protégeons correctement les enfants dans le cadre de ce programme : autorités réglementaires, notamment la US Food and Drug Administration (FDA), l'Agence européenne des médicaments (EMA), la MHRA ou autres autorités réglementaires, Santhera ou ses représentants agissant au nom de Santhera ; ainsi que l'hôpital où votre fils est traité.

Coordonnées de contact

Vous pouvez contacter _____ [personne(s) à contacter dans l'équipe responsable du traitement] au _____ [numéro(s) de téléphone] :

- si vous avez des questions à poser concernant la vamorolone ;
- si vous avez le sentiment que votre fils a subi un préjudice en lien avec le traitement ou qu'il

réagit mal à la vamorolone ; ou

- si vous avez des questions, des inquiétudes ou des réclamations concernant le traitement de votre fils.

CONSENTEMENT VOLONTAIRE :

Les informations qui précèdent m'ont été expliquées, et j'ai obtenu des réponses à toutes mes questions.

Je comprends que je suis encouragé(e) à poser des questions à tout moment et que j'obtiendrai systématiquement une réponse de la part d'une personne qualifiée ou bien du ou des médecins traitants désignés sur la première page de ce formulaire de consentement, pour toutes les questions que je pourrais poser à l'avenir, en appelant au(x) _____ numéro(s) de téléphone indiqué(s). Je comprends que je pourrai systématiquement exiger que ce soit le médecin traitant qui réponde à mes questions, inquiétudes ou réclamations.

Je comprends que je suis autorisé(e) à accéder aux informations contenues dans les dossiers médicaux de mon fils. En signant ce formulaire, je consens à ce que mon fils reçoive la vamorolone dans le cadre du programme d'usage compassionnel et je donne mon autorisation pour que, le cas échéant, les effets indésirables et les effets indésirables graves soient communiqués au fabricant du médicament.

Nom du sujet (de l'enfant) (EN LETTRES MAJUSCULES)

Je comprends, étant donné que l'enfant désigné ci-dessus a moins de 16 ans, qu'il n'est pas autorisé à participer à ce programme d'usage compassionnel sans mon consentement. Par conséquent, en signant ce formulaire, je donne mon consentement pour sa participation. Je comprends les bénéfices et les risques. Je sais que je peux décider à tout moment de mettre fin à la participation de mon fils à ce programme, auquel cas mon fils continuera de bénéficier d'une prise en charge médicale classique. En signant ce formulaire de consentement éclairé, je ne renonce à aucun des droits reconnus à mon fils par la loi. Une copie signée de ce formulaire de consentement me sera remise.

Nom du parent ou du tuteur légal (EN LETTRES MAJUSCULES)

Lien avec le sujet (l'enfant)

Signature du parent ou du tuteur légal

Date

ATTESTATION DE CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ :

Je certifie avoir expliqué la nature et l'objectif de ce programme d'usage compassionnel à la ou aux personnes nommées ci-dessus et avoir discuté des bénéfices et risques potentiels du traitement. Nous avons répondu à toutes les questions posées par cette ou ces personnes concernant le traitement et le suivi, et nous serons toujours disponibles pour répondre à toutes les autres questions qu'elle ou elles pourraient poser à l'avenir.

Nom de la personne ayant obtenu le consentement (EN LETTRES MAJUSCULES)

Fonction

Signature de la personne ayant obtenu le consentement

Date

Ouderlijke toestemming voor het krijgen van een behandeling (Vamorolone) in een programma voor het gebruik van een niet-goedgekeurd geneesmiddel in schrijnende gevallen (compassionate use programma)

Titel: Compassionate Use programma met Vamorolone voor de behandeling van jongens met Duchenne spierdystrofie die de studie VBP15-004 volgen

Behandelende arts in dit protocol: _____

Naam van de sponsor: Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd “Santhera”

Inleiding

Dit BIJGEWERKTE formulier voor ouderlijke toestemming wordt u voorgelegd om u/uw zoon bijkomende informatie te verstrekken omdat hij de behandeling met vamorolone voortzet. Vamorolone werd onlangs goedgekeurd door de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA), het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) en het Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) in het Verenigd Koninkrijk (VK).

Lees de bijkomende informatie in dit toestemmingsformulier door voordat u beslist of u al dan niet wilt dat uw zoon deze behandeling blijft volgen. **De keuze is volledig aan u. Als u besluit om uw zoon deze behandeling te laten volgen, kunt u zich later altijd bedenken en de behandeling stopzetten.** De beslissing om deze behandeling te volgen, heeft geen invloed op de zorg die uw zoon krijgt. Als u besluit om uw zoon niet in dit compassionate use programma te laten opnemen, zal zijn behandelende arts hem met dezelfde zorg blijven behandelen.

Voordat u een beslissing neemt:

- Lees dit formulier aandachtig door of laat het voorlezen.
- Luister naar de behandelende arts of het personeel van het programma die/dat de behandeling aan u zal uitleggen.
- Stel vragen over alles wat niet duidelijk is.

Neem de tijd om deze informatie, die u mee kunt nemen en thuis kunt bekijken, door te lezen. Bespreek de kwestie met uw partner, familie of vrienden. Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans hebt gehad om alle vragen te stellen die voor u noodzakelijk zijn en antwoorden hebt gekregen waarmee u verder kunt. Door dit formulier te ondertekenen, geeft u geen enkel wettelijk recht op. U krijgt een exemplaar van het ondertekende geïnformeerde toestemmingsformulier om te bewaren.

Wat is het doel van dit programma?

De behandelende arts schrijft uw zoon momenteel vamorolone voor in het kader van het compassionate use programma, zodat hij dit medicijn, dat hij tijdens een vorig onderzoek kreeg, kan blijven innemen.

Wat wordt er van mij gevraagd?

- Vamorolone wordt u verstrekt door de behandelende arts van uw kind, die genoemd wordt in dit toestemmingsformulier. Vamorolone zal ofwel naar u worden verstuurd per koerier ofwel persoonlijk worden afgeleverd tijdens een bezoek aan de behandelende arts.
- U wordt gevraagd om de dosis vamorolone die door de behandelende arts is voorgeschreven toe te dienen. De maximale dosis zal nu 240 mg zijn zodra uw zoon een gewicht van 40 kg of meer heeft bereikt.
- U zal het medicijn vóór het eerste gebruik op kamertemperatuur kunnen bewaren (beneden 25°C), vervolgens bewaart u de fles na opening in de koelkast (tussen 2°C en 8°C), zoals aangegeven op het etiket van de fles. De fles wordt geleverd in een doos met twee herbruikbare toedieningshulpmiddelen (spuiten) en een indruk-flesadapter.
- De behandelende arts is verplicht om alle veiligheidskwesties of gebeurtenissen die zich voordoen terwijl uw zoon vamorolone neemt, te verzamelen, te documenteren en te rapporteren aan de leverancier van het geneesmiddel (Santhera). U dient het aanbevolen toedieningsplan van het geneesmiddel te volgen en u te houden aan de opvolging en monitoring van de standaardzorg zoals aanbevolen door de behandelende arts, wat bloed/urineonderzoeken en procedures volgens de standaardzorg kan inhouden.
- Eventuele ongerustheid over de veiligheid moet door u, een ander familielid of een andere arts of zorgverlener (bijvoorbeeld op een spoedafdeling) worden gemeld aan de behandelende arts van uw kind, die genoemd wordt in dit toestemmingsformulier.

Wie krijgt informatie over de behandeling van mijn zoon?

Als uw zoon deze behandeling volgt, zal de informatie over vamorolone worden doorgegeven aan de artsen van uw zoon, de fabrikant van het medicijn, Santhera, en aan de regelgevende instanties. U ontvangt geen vergoeding voor de deelname van uw zoon. Als uw zoon stopt met de behandeling, kan de reeds verzamelde informatie nog steeds worden gebruikt voor dit programma.

Wat zijn de mogelijke risico's en ongemakken?

Uw zoon zou bepaalde bijwerkingen of ongemakken kunnen ondervinden terwijl hij vamorolone neemt. Houd u aan de aanbevolen consultaties bij zijn behandelende arts om uw kind zorgvuldig te laten opvolgen. Neem in het geval van ongerustheid over de veiligheid of voorvallen die zich voordoen terwijl uw zoon vamorolone gebruikt, contact op met uw behandelende arts via:

_____ [Naam van de contactpersoon op de deelnemende locatie] via _____ [Contactinformatie], Hieronder vindt u een lijst van bijwerkingen die uw zoon zou kunnen ondervinden. Er kunnen ook bijwerkingen optreden die nog onbekend zijn.

Risico's van het nemen van Vamorolone

De vaakst voorkomende bijwerkingen die werden waargenomen met vamorolone 6 mg/kg/dag zijn Cushing-achtige kenmerken, voornamelijk een vollemaansgezicht (28,6%), braken (14,3%), gewichtstoename (10,7%) en prikkelbaarheid (10,7%). Deze bijwerkingen komen vaker voor bij de hogere dosis, vamorolone 6 mg/kg/dag, en in de eerste maanden van de behandeling.

BIJNIERINSUFFICIËNTIE

Bijnierinsufficiëntie wordt veroorzaakt door een verminderde werking van de bijnieren. De bijnieren produceren hormonen in het lichaam. De meeste kinderen die vamorolone innemen hebben geen symptomen.

Kinderen met bijnierinsufficiëntie lopen het risico zeer ziek te worden. Wanneer dit gebeurt, noemen we dit een bijniercrisis. Tekenen en symptomen van acute bijnierinsufficiëntie kunnen zijn:

- Vermoeidheid/moe zijn
- Misselijkheid/braken
- Pijn in de buik/onderbuik
- Spierpijn
- Spierzwakte die opnieuw optreedt/verlies van kracht
- Duizeligheid
- Moeite om helder te denken

Een bijniercrisis kan gepaard gaan met een lage bloeddruk en/of een lage bloedsuikerspiegel en treedt meestal op wanneer een kind onder lichamelijke stress staat, zoals door een ziekte, operatie of verwonding. Een bijniercrisis kan worden voorkomen/behandeld door tijdens de acute stress steroïdevervanging toe te dienen in 'stressdoseringen'. Voor patiënten die vamorolone gebruiken moet hydrocortison worden gebruikt voor een stressdosering.

Als uw zoon een van de bovengenoemde symptomen vertoont, moet zijn behandelende arts op de hoogte worden gebracht. Ook als uw zoon een chirurgische ingreep moet ondergaan, een ernstig letsel heeft of ziek wordt (zoals een infectie) tijdens zijn deelname aan dit programma, dient u de behandelende arts van uw zoon onmiddellijk op de hoogte te brengen, zodat hij/zij u raad kan geven om het risico op ongewenste effecten ten gevolge van mogelijke bijnierinsufficiëntie zo klein mogelijk te houden.

Stoppen met vamorolone kan gevaarlijk zijn omdat het ook een bijniercrisis kan veroorzaken. Als uw zoon vamorolone om welke reden ook langer dan 24 uur (twee gemiste doses) niet inneemt, moet u zo spoedig mogelijk contact opnemen met de behandelende arts voor advies. Als het nodig is dat uw zoon stopt met het nemen van het medicijn, stop er dan niet abrupt mee. De behandelende arts zal u adviseren over hoe er veilig met het medicijn kan worden gestopt.

U krijgt een noodkaart met daarop de richtlijnen voor symptomen en behandeling van bijnierinsufficiëntie en bijniercrisis.

GEWICHTSTOENAME

Vamorolone kan de eetlust van uw zoon vergroten en daarom zijn gewicht verhogen, voornamelijk in de eerste maanden van de behandeling. In de klinische studies kwam gewichtstoename vaker voor bij mensen die de hogere doses vamorolone, 6 mg/kg/dag, innamen.

VERHOOGD RISICO OP INFECTIES

Vamorolone kan, net als glucocorticoïden, de natuurlijke weerstand tegen nieuwe infecties verminderen. Deze infecties kunnen ernstig en soms fataal zijn. In de klinische studies liet vamorolone geen verhoogd risico op infectie zien. Er zijn echter meer gegevens nodig om het risico op infectie te kunnen karakteriseren.

VACCINATIE

Aan uw zoon mogen geen levende of verzwakte vaccins worden gegeven tijdens de behandeling met vamorolone. Er kunnen andere typen vaccins worden gebruikt, maar de vaccinatie respons kan door

vamorolone worden gewijzigd.

EFFECTEN OP HET OOG

Steroïden kunnen cataract (de lens van het oog die geleidelijk ondoorzichtig wordt) of glaucoom (een verhoogde druk in de oogbol) veroorzaken. Met vamorolone zijn tot op heden geen gevallen waargenomen, maar deze risico's kunnen niet volledig worden uitgesloten.

RISICO OP VERLIES VAN VERTROUWELIJKHEID

De vertrouwelijkheid van alle gegevens zal worden gewaarborgd in overeenstemming met de Algemene verordening gegevensbescherming van de Europese Unie (AVG of GDPR). Eventuele ongewenste voorvallen die worden gemeld tijdens de behandeling van uw zoon met vamorolone, zullen voor analyse worden geregistreerd in een beveiligde database. Uw zoon wordt alleen geïdentificeerd met een programma-ID-nummer om de vertrouwelijkheid te beschermen. Hoewel dit onwaarschijnlijk is, bestaat er een risico op verlies van vertrouwelijkheid.

Bewaar de medicatie thuis buiten het bereik van kinderen of anderen die het etiket misschien niet kunnen lezen of begrijpen. Laat niemand anders dan uw zoon de behandeling innemen.

Het is mogelijk dat de artsen tijdens de behandeling van uw zoon nieuwe inzichten krijgen in de risico's van de behandeling. Als dit gebeurt, zullen zij u hierover inlichten. U kunt dan beslissen of u in dit programma wilt blijven of niet. Er kan u gevraagd worden om een nieuw toestemmingsformulier te ondertekenen dat de nieuwe informatie bevat als u besluit dat uw zoon de behandeling blijft voortzetten.

Vermijd gedurende het programma de volgende geneesmiddelen en raadpleeg de behandelende arts van uw zoon als iemand u aanraadt een van deze medicatietypes in te nemen, voordat u hiermee start:

- levende vaccins of levende verzwakte vaccins
- geneesmiddelen uit de groep van de mineralocorticoïdereceptoren (bv. spironolacton en eplerenon)
- chronische systemische corticosteroïden (tenzij indien nodig voor stressdosering)
- andere immuunonderdrukkende medicijnen.

Neem contact op met de behandelende arts van uw zoon als u niet zeker weet of een medicijn dat aan uw zoon werd voorgeschreven door een andere arts dan de behandelende arts, mag worden ingenomen

terwijl hij vamorolone neemt.

Zal mijn zoon meteen baat hebben bij de behandeling?

Uw zoon kan al dan niet baat hebben bij deze behandeling, of deze behandeling kan zijn toestand verslechteren. Zorg ervoor dat u eventuele vragen over de voordelen bespreekt met de behandelende arts, om u ervan te vergewissen of dit de juiste behandeling is voor uw zoon.

Wat zijn de mogelijke voordelen?

Uw zoon kan mogelijke voordelen hebben van vamorolone. Mogelijke voordelen zijn een verbetering in spierkracht en -functie en een groei die niet wordt belemmerd zoals wel het geval is bij het gebruik van corticosteroïden. Deze mogelijke voordelen zijn gebaseerd op bevindingen van eerdere studies naar vamorolone bij jongens met DMD. Op basis van deze informatie is het mogelijk dat uw zoon enige verbetering zal ondervinden van vamorolone door deel te nemen aan dit programma in vergelijking met wanneer hij geen steroïden zou innemen of wanneer hij prednison zou innemen.

Het is onbekend of de inname van vamorolone gedurende meer dan 24 weken de sterkte en/of functie verder zal verbeteren.

Hoewel de deelname van uw zoon aan dit programma mogelijk geen direct voordeel oplevert, kunnen anderen mogelijk voordeel halen uit de informatie die de artsen verkrijgen tijdens de behandeling van uw zoon.

Word ik vergoed voor mijn tijd en moeite?

U krijgt geen financiële vergoeding aangeboden omdat uw zoon deze behandeling krijgt.

Wat zijn de andere opties van mijn zoon?

Als u besluit om het gebruik van vamorolone niet voort te zetten, is er andere zorg beschikbaar voor uw zoon. De behandelende arts van uw zoon kan prednison of deflazacort voorschrijven, of niets.

Als uw zoon deze behandeling volgt, is het mogelijk dat hij niet kan deelnemen aan studies. U moet dit bespreken met de behandelende arts van uw zoon. Mogelijk wilt u andere programmaopties onderzoeken op websites zoals clinicaltrials.gov.

Hoe worden de privégegevens van mijn zoon beschermd die u tijdens dit programma verzamelt?

Uw programmalocatie zal alle gegevens die tijdens dit programma werden verkregen, geheimhouden voor zover dit wettelijk verplicht is. Waar mogelijk zal er in plaats van de naam van uw zoon een nummer

worden gebruikt om de documenten van uw zoon te identificeren die naar de fabrikant van het geneesmiddel, Santhera, of de regelgevende instanties gaan. De naam van uw zoon en andere identificerende informatie zal niet worden weergegeven als we informatie over de behandeling presenteren of publiceren.

Medische dossiers

Kopieën van het toestemmingsformulier dat u ondertekent, worden in het medisch dossier van uw zoon geplaatst.

De behandelende arts van uw zoon kan informatie over zijn behandeling ontdekken die kan helpen bij zijn verzorging, bijvoorbeeld de resultaten van testen of procedures. Deze resultaten zullen in het medisch dossier van uw zoon worden gezet. Iedereen die toegang heeft tot het medisch dossier van uw zoon, zal ook toegang hebben tot alle informatie die daar wordt ondergebracht. De vertrouwelijkheid van de informatie in het medisch dossier van uw zoon is wettelijk beschermd.

Als u besluit om uw zoon met vamorolone door te laten gaan, is het belangrijk ook de andere zorgverleners van uw zoon hiervan op de hoogte te stellen. Het is belangrijk dat elke arts die uw zoon behandelt, weet dat uw zoon een behandeling volgt in het kader van een compassionate use programma en dat eventuele ongerustheid over de veiligheid moet worden gemeld aan de behandelende arts.

Kosten

Alle aspecten van de zorg voor uw zoon, met inbegrip van consultaties, urine- en bloedonderzoeken en medische handelingen, zullen worden verstrekt als onderdeel van de standaard klinische zorg. Santhera zal vamorolone gratis ter beschikking stellen tijdens dit compassionate use programma. Santhera zal u vergoeden voor reiskosten, verblijf, voeding en andere directe kosten in verband met de bezoeken van uw zoon aan de kliniek volgens de Vergoedingsrichtlijnen.

Stopzetten van de behandeling

U hebt op elk moment het recht om te beslissen de behandeling van uw zoon stop te zetten zonder gevolgen. Er kunnen ernstige bijwerkingen optreden als uw zoon plotseling met het innemen van vamorolone stopt. Het medicijn moet geleidelijk worden afgebouwd onder toezicht van de behandelende arts. Voor de veiligheid van uw zoon moet u de behandelende arts van uw zoon op de hoogte brengen en zijn/haar advies opvolgen over hoe met de behandeling moet worden gestopt.

De behandelende arts heeft ook het recht om de behandeling van uw zoon zonder uw toestemming te

stoppen, om welke reden ook, in het bijzonder als hij/zij denkt dat dit in het belang is van uw zoon of als u bezwaar zou maken tegen eventuele toekomstige wijzigingen in het behandelplan.

Hoe wordt de vertrouwelijkheid van mij/mijn zoon gewaarborgd?

Wij zullen de gegevens van dit programma vertrouwelijk behandelen. Klinische gegevens worden minstens zo lang bewaard als vereist wordt door de plaatselijke wetgeving, de institutionele voorschriften of de relevante regelgevende instanties, afhankelijk van wat het langst duurt.

De volgende entiteiten kunnen de medische dossiers raadplegen (in zeldzame gevallen met inbegrip van de identificerende informatie van uw zoon) om na te gaan of de klinische zorg correct wordt uitgevoerd en wij ons aan de wet houden en de kinderen in het programma beschermen: regelgevende instanties zoals de US Food and Drug Administration (FDA), het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), het MHRA of andere regelgevende instanties, Santhera of vertegenwoordigers van Santhera die optreden namens Santhera en het ziekenhuis waar uw zoon wordt behandeld.

Contactgegevens

Neem contact op met _____ [contactperso(n)en van het behandelteam] op _____ [telefoonnummer(s)]:

- als u vragen hebt over vamorolone,
- als u vermoedt dat uw zoon een verwonding heeft opgelopen die verband houdt met de behandeling of slecht heeft gereageerd op vamorolone, of
- als u vragen, zorgen of klachten hebt over de behandeling van uw zoon.

VRIJWILLIGE TOESTEMMING:

De bovenstaande informatie werd aan mij uitgelegd en al mijn huidige vragen werden beantwoord. Ik begrijp dat ik word aangemoedigd om op elk moment vragen te stellen, en dat die vragen in de toekomst zullen worden beantwoord door een gekwalificeerde persoon of door de behandelende arts(en) die vermeld staat (staan) op de eerste pagina van dit toestemmingsdocument, via

_____ het (de) opgegeven telefoonnummer(s). Ik begrijp dat ik altijd mag verzoeken dat mijn vragen, ongerustheid of klachten worden behandeld door de behandelende arts.

Ik begrijp dat ik recht heb op toegang tot de informatie in het medisch dossier van mijn zoon. Door dit formulier te ondertekenen, geef ik toestemming dat mijn zoon met vamorolone wordt behandeld in het kader van een compassionate use programma en geef ik toestemming om bijwerkingen en ernstige ongewenste voorvallen zo nodig te delen met de leverancier van het geneesmiddel.

Naam (drukletters) van de proefpersoon (kind)

Aangezien het hierboven genoemde kind jonger is dan 16 jaar, begrijp ik dat het niet aan dit compassionate use programma mag deelnemen zonder mijn toestemming. Door dit formulier te ondertekenen, geef ik daarom mijn toestemming voor zijn deelname. Ik begrijp de voordelen en risico's. Ik weet dat ik mijn zoon op elk moment kan laten stoppen met het programma en dat mijn zoon dan nog steeds de gebruikelijke medische zorg zal krijgen. Ik geef geen van de wettelijke rechten van mijn zoon op door dit geïnformeerde toestemmingsformulier te ondertekenen. Er zal een ondertekende kopie van dit toestemmingsformulier aan mij worden bezorgd.

Naam van de ouder of voogd (drukletters)

Relatie met de proefpersoon (kind)

Handtekening van de ouder of voogd

Datum

CERTIFICERING VAN GEÏNFORMEERDE TOESTEMMING:

Ik verklaar hierbij dat ik de aard en het doel van dit compassionate use programma heb uitgelegd aan de bovengenoemde perso(o)n(en) en dat ik de mogelijke voordelen en risico's van de behandeling heb besproken. Alle vragen die de persoon (personen) heeft (hebben) over de behandeling en de follow-up werden beantwoord, en wij zullen altijd klaarstaan om toekomstige vragen te beantwoorden wanneer ze worden gesteld.

Naam van de persoon die de toestemming verkrijgt, in drukletters

Functie

Handtekening van de persoon die de toestemming verkrijgt

Datum