Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Responsable du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H
Médecin traitant	*Nom:……..* *Adresse du centre hospitalier:…….…..* *……* *…….……..* *Coordonnées: ……..* *Contact en cas d'urgence: ……..* *Coordonnées en cas de question relative au programme:* *…….. ……...* *Coordonnées du Responsable/Service de Protection des Données de l'hôpital:* *.....…….....…..*

Ce document comporte trois parties : (I) les informations nécessaires dont vous avez besoin pour prendre votre décision, votre consentement éclairé (II) et (III) les informations complémentaires.

I. Les informations nécessaires à votre décision de participer au programme médical d'urgence sebelipase alfa (Kanuma®).

INTRODUCTION

Le médecin propose que votre enfant participe à un programme médical d'urgence qui lui permettra de recevoir un traitement par la sebelipase alfa (Kanuma®), un médicament pas encore remboursé pour le traitement de sa maladie, le déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D).

Avant de vous décider sur la participation de votre enfant à ce « programme médical d'urgence » (ci-après dénommé « programme »), nous voulons vous donner quelques précisions sur ce que cela signifie sur le plan organisationnel, les avantages éventuels et les risques. De cette façon, vous pouvez prendre une décision en fonction d'informations complètes. C'est ce qu'on appelle le "consentement éclairé".
Nous vous demandons de lire attentivement les pages suivantes et de discuter de toute question avec votre médecin ou son représentant. Vous pouvez prendre votre temps et en discuter avec votre médecin, vos amis et votre famille avant de prendre votre décision.

SI VOTRE ENFANT PARTICIPEE A CE PROGRAMME, VOUS DEVEZ PRENDRE CONNAISSANCE DE CE QUI SUIT:

- Ce programme a été évalué et approuvé par un comité d'éthique indépendant et par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de la Santé (AFMPS), ainsi que par le comité GATM (Global Access to Medical Product) d'Alexion (comité interne à Alexion qui évalue de tel programme)
- La participation de votre enfant est volontaire et doit rester libre de toute contrainte. Elle nécessite la signature d'un document exprimant votre consentement. Même après l'avoir signé, votre enfant peut arrêter de participer au programme en informant le médecin. Votre décision de ne pas ou de ne plus participer au programme n'aura aucun impact sur la qualité des soins de votre enfant ni sur vos relations avec le médecin.

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

OBJECTIFS ET DESCRIPTION DU PROGRAMME

Le médecin propose que votre enfant participe à un programme médical d'urgence qui lui donnera accès au traitement sebelipase alfa (Kanuma®) car votre enfant souffre d'un déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D) et son médecin estime qu'il/elle doit continuer à bénéficier d'un traitement par sebelipase alfa.
Le LAL-D est une maladie caractérisée par une diminution ou une perte marquée de l'activité de l'enzyme appelée lipase acide lysosomale (LAL) qui aide à décomposer les graisses dans le corps afin qu'elles ne s'accumulent pas dans l'organisme.
Le déficit en LAL est une maladie génétique qui entraîne des lésions hépatiques, des taux élevés de cholestérol dans le sang et d'autres complications dues à une accumulation de certains types de graisses (esters de cholestérol et triglycérides).

Comment fonctionne KANUMA ?
Ce médicament est une thérapie enzymatique substitutive. Cela signifie qu'il remplace l'enzyme LAL manquante ou déficiente chez les patients atteints d'un déficit en LAL. Il agit en diminuant l'accumulation de graisse qui provoque des complications médicales, dont un retard de croissance, des lésions hépatiques et des complications cardiaques. Il améliore également les taux de graisse dans le sang, y compris les taux élevés de LDL (mauvais cholestérol) et de triglycérides.

La sebelipase alfa (Kanuma®) a été approuvée en août 2015 par l'Agence européenne des médicaments (EMA) et par l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) en Belgique, mais n'est actuellement pas disponible dans le commerce sur le marché belge.

Votre enfant recevra Kanuma dans le cadre d'un programme médical d'urgence mis en place par Alexion.

QU'EST-CE QU'UN «PROGRAMME D'URGENCE MÉDICALE»?

Le but d'un programme médical d'urgence est de mettre à la disposition d'un ou plusieurs patients souffrant d'une maladie chronique ou grave un médicament qui n'est pas encore disponible sur le marché, et qui ne peuvent pas être traités de manière adéquate avec les traitements actuellement disponibles.

Votre médecin a reçu l'accord d'Alexion et du comité d'éthique et répond également à toutes les exigences légales nécessaires pour traiter votre enfant par sebelipase alfa dans le cadre de ce programme.

La sebelipase alfa (Kanuma®) sera fournie gratuitement - via le programme Alexion GATM - sur une base individuelle jusqu'à ce qu'elle soit remboursée en Belgique pour le traitement de la LAL-D ou jusqu'à ce que le médecin décide d'arrêter votre traitement par la sebelipase alfa. Le programme peut également être arrêté par Alexion.

FIN DU PROGRAMME:

Votre enfant peut poursuivre le traitement aussi longtemps que le médecin pense qu'il en bénéficie. Le traitement peut être arrêté, même sans votre consentement, si la maladie s'aggrave, s'il s'avère que votre enfant ne tolère pas le médicament en raison d'effets indésirables graves, si votre enfant ne suit pas les instructions du traitement. Si de nouvelles informations montrent qu'il/elle ne bénéficie plus du traitement, celui-ci sera arrêté. Il est également possible que le médecin cesse de participer au programme parce qu'il pense que c'est meilleur pour la santé de votre enfant.

Il peut également arriver que le comité d'éthique ou les autorités compétentes qui ont initialement approuvé le programme interrompent ce programme.

Le programme peut également être arrêté par Alexion. En cas de retrait définitif ou de rejet de la demande de remboursement, le programme médical d'urgence peut être fermé.

Le programme sera dans tous les cas arrêté lorsque la sebelipase alpha (Kanuma®) sera remboursée en Belgique.

ET SI MON ENFANT PARTICIPE?

Si vous décidez de laisser participer votre enfant, il vous sera demandé de signer le formulaire de consentement éclairé. Vous recevrez une copie signée de ce formulaire pour le conserver.

PARTICIPATION VOLONTAIRE ET RETRAIT DE VOTRE CONSENTEMENT

Votre décision de laisser participer votre enfant à ce programme est entièrement volontaire. Même si vous décidez de commencer le traitement, vous êtes libre d'arrêter le traitement à tout moment. Vous n'avez pas à donner de raison à cela. Votre décision d'arrêter le traitement est appelée «retrait du consentement». Veuillez informer le médecin de cette décision. Votre décision d'arrêter ce traitement n'affectera pas votre relation et la relation de votre enfant avec le médecin.

Le médecin peut également décider d'arrêter le traitement s'il pense qu'il n'est plus bénéfique pour votre enfant ou si il ne suit pas les directives données pour participer à ce programme médical d'urgence.

APERÇU DU PROGRAMME:

Si vous décidez de laisser participer votre enfant il sera d'abord soumis à un processus de sélection pour déterminer son admissibilité au programme. Si il est considéré comme apte au programme après le processus de sélection, il serez inscrit au programme et le traitement commencera.

Tout en participant à ce programme médical d'urgence, votre enfant sera étroitement surveillé par son médecin traitant et le personnel médical. L'initiation et le déroulement du traitement relèvent de la seule responsabilité du médecin traitant.

La demande de renouvellement du médicament doit être effectuée conformément à la procédure GATM.

ADMINISTRATION DE SEBELIPASE ALFA (KANUMA®):

Le médecin ou l'infirmière administrera Kanuma® à votre enfant sous forme de perfusion dans une veine. Le médicament doit être préparé avant d' être administré.

Le traitement par Kanuma® doit être supervisé par un professionnel de la santé expérimenté dans le traitement des patients présentant un déficit en LAL, d'autres troubles métaboliques ou une maladie hépatique chronique. Kanuma® doit être administré par un professionnel de la santé qualifié qui peut gérer les urgences médicales.

La dose dépend de votre poids corporel de votre enfant..

Nourrissons (âgés de moins de 6 mois) : Chez les patients ayant présenté des signes et symptômes de la maladie lorsqu'ils étaient nourrissons, la dose initiale recommandée est de 1 mg/kg une fois par semaine. Des ajustements posologiques pourront être envisagés en fonction de la réponse de votre enfant au traitement.

Enfants et adultes : La dose recommandée est de 1 mg par kg de poids corporel une fois toutes les deux semaines par perfusion en goutte-à-goutte dans une veine.

Chaque perfusion durera environ 1 à 2 heures. Votre enfant devra être surveillé par son médecin ou son infirmier/ère pendant une heure après la perfusion. Le traitement par KANUMA doit être instauré dès le plus jeune âge et il est destiné à un usage à long terme.

DESCRIPTION DES RISQUES

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde. Les effets secondaires suivants peuvent survenir pendant ce programme.

Des effets indésirables ont été observés pendant ou peu de temps après l'administration du médicament aux patients (réactions à la perfusion). Les effets indésirables les plus graves peuvent inclure une réaction allergique avec des symptômes comprenant une difficulté à respirer, une respiration rapide, une fréquence cardiaque rapide, une gêne thoracique, un léger gonflement des paupières, des yeux rouges, un écoulement nasal, des bouffées vasomotrices, de l'urticaire, des démangeaisons, une diarrhée, une pâleur, une respiration sifflante, une diminution du taux d'oxygène dans le sang, des rougeurs cutanées et une irritabilité.
Si votre enfant présente des symptômes de ce type, adressez-vous immédiatement à votre médecin. Si vous-même ou votre enfant présentez une réaction à la perfusion, des médicaments supplémentaires peuvent vous être administrés, à vous ou à votre enfant, pour la traiter ou éviter de nouvelles réactions. Votre médecin peut interrompre la perfusion intraveineuse de KANUMA en cas de réaction sévère à la perfusion, et commencer à vous administrer un traitement médical adapté.

Les effets indésirables très fréquents (pouvant affecter au moins 1 personne sur 10) rapportés chez des nourrissons (âgés de 1 à 6 mois) sont :
- Hypersensibilité (irritabilité, agitation, vomissements, urticaire, eczéma, démangeaisons, pâleur et hypersensibilité médicamenteuse), réactions allergiques sévères (réactions anaphylactiques)
- Gonflement des paupières
- Fréquence cardiaque rapide
- Difficulté à respirer
- Diarrhée, vomissements
- Éruption cutanée, éruption cutanée en relief
- Fièvre
- Diminution du taux d'oxygène dans le sang, pression artérielle augmentée, respiration rapide, développement de protéines dans le sang

Les effets indésirables très fréquents (pouvant affecter au moins 1 personne sur 10) rapportés chez des enfants et adolescents (âgés de 4 à 18 ans) et des adultes sont :
- Sensations vertigineuses
- Maux d'estomac, diarrhée
- Fatigue, fièvre

Les effets indésirables fréquents (pouvant affecter jusqu'à 1 personne sur 10) signalés chez des enfants et adolescents (âgés de 4 à 18 ans) et des adultes sont :
- Réaction allergique sévère (réaction anaphylactique), hypersensibilité (frissons, eczéma, oedème laryngé, nausées, démangeaisons et urticaire)
- Fréquence cardiaque rapide
- Rougeur cutanée, pression artérielle basse
- Difficulté respiratoire
- Ballonnement de l'estomac
- Éruption cutanée, peau rouge et gonflée
- Gêne thoracique, réaction au site de perfusion

La fréquence, le type et la sévérité des réactions indésirables sont similaires chez l'enfant et l'adulte.

Si vous ou votre enfant avez des questions sur les effets secondaires possibles du médicament ou sur les procédures effectuées au cours de ce programme, veuillez en parler à votre médecin.

Que se passe-t-il si de nouvelles informations deviennent disponibles ?
Dans certains cas, de nouvelles informations sur le médicament peuvent devenir disponibles. Si cela arrive, le médecin vous en informera et vous parlera de votre volonté à continuer le traitement pour votre enfant.
- Au cas où vous décideriez de continuer le traitement, on vous demandera de signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement.
- Si vous décidez d'arrêter le traitement, le médecin s'assurera que votre enfant continue à être traité de la meilleure manière possible, et cela n'aura aucune influence sur votre relation avec votre médecin.

De plus, votre médecin peut déterminer, sur base de ces nouvelles informations, s'il est dans l'intérêt de votre enfant de stopper le traitement. Si cela arrive, il/elle vous en expliquera les raisons et s'assurera également que votre enfant continuie à être traité de la meilleure manière possible.
Si de nouvelles informations voient le jour, Alexion, les autorités compétentes ou le comité d'éthique peuvent également décider d'interrompre ce programme médical d'urgence.

Coûts associés à la participation de votre enfant

Alexion fournira la sebelipase alpha (Kanuma®) gratuitement pendant toute la durée de ce programme médical d'urgence. Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s'avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.
Vous ne recevrez aucune compensation financière pour la participation de votre enfant à ce programme.

Évaluation par un comité d'éthique

Ce programme a été évalué par un comité d'éthique indépendant et par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de la Santé (AFMPS). Ces deux évaluations ont été effectuées pour s'assurer que les personnes participant à ce programme sont protégées contre tout préjudice.
En aucun cas vous ne devez prendre l'évaluation du comité d'éthique et l'avis favorable de l'AFMPS comme une incitation à participer à ce programme médical d'urgence.

Contact

Si vous avez besoin d'informations complémentaires, mais aussi en cas de problèmes ou si vous êtes inquiet, vous pouvez contacter votre médecin traitant. Les coordonnées se trouvent à la page 1 du présent formulaire de consentement.

En dehors des heures de consultation, vous devez vous présenter aux urgences de votre hôpital et mentionner que votre enfant participe à ce programme. Son dossier contiendra des informations utiles pour le médecin de garde concernant le programme.

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Initiateur du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H

II. Consentement éclairé

Partie réservée pour le représentant légal* du patient :

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

- ✓ Que je suis informé sur le programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
- ✓ Je déclare que je suis informé de la nature, but, durée, avantages et risques du programme et que je sais ce que l'on attend de moi. J'ai pris note de la notice d'information (*partie I du présent document*) et les informations complémentaires (*partie III du présent document*)
- ✓ J'ai eu assez de temps pour réfléchir et parler à une personne que j'ai choisi, comme mon médecin de famille ou un membre de ma famille.
- ✓ J'ai pu poser toutes les questions qui me venaient à l'esprit et j'ai reçu une réponse claire à mes questions.
- ✓ Je comprends que ma participation à ce programme est volontaire et que je suis libre d'arrêter de participer à ce programme sans nuire à la relation avec l'équipe médicale.
- ✓ Je comprends que les informations me concernant seront recueillies lors de ma participation à ce programme et que le médecin et le sponsor garantissent la confidentialité de ces informations.
- ✓ J'accepte le traitement de ces données à caractère personnel conformément aux modalités décrites dans la section sur la protection de la confidentialité (partie III du présent document). J'autorise également le transfert et le traitement de ces données cryptées dans des pays autres que la Belgique.
- ✓ J'accepte que le sponsor, le médecin et son équipe, ainsi que d'autres personnes, aient accès à mes données médicales et à mes informations personnelles, comme décrit dans ce formulaire.
- ✓ En signant ce document, j'autorise l'utilisation de mes données personnelles conformément à la loi belge et à l'avis 24/2014 du 2 avril 2014 sur la protection de la vie privée.
- ✓ Je conviens que le médecin et les autres spécialistes responsables de ma santé seront informés de ma participation à ce programme **(veuillez supprimer cette phrase si vous n'êtes pas d'accord).**
- ✓ J'ai reçu une copie de ce document (Parties I, II et II).

_____ Signature du représentant légal

_____ Date de la signature

_____ Signature du patient (si maturité intellectuelle suffisante)

_____ Date de la signature

***Représentant légal**

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

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

Partie réservée au médecin :

*Je soussigné,*_____ (nom et prénom du médecin)

_____ (Numéro INAMI) confirme par la présente que le représentant légal (nom et prénom) _____de mon patient (nom du patient (e) dans son intégralité) _____ ainsi que mon patient (si il est suffisamment mature) sont informés et qu'ils/elles ont donné son consentement pour participer à ce programme.

Signature du médecin: _____ Date: _____

Partie réservée pour le témoin/interprète (si applicable)

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

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

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H

III. Information Complémentaires

Informations complémentaires sur la protection et les droits des parties d'un programme d'urgence médical

Comité d'éthique
Ce programme a été évalué par un comité d'éthique indépendant, le comité d'éthique de l'université de Louvain (UZ Leuven/KU Leuven), qui a émis un avis favorable. Le comité d'éthique a pour tâche de protéger les personnes participant aux programmes. Ils vérifient si vos droits en tant que patient et participant à un programme sont respectés ou, selon les connaissances actuelles, que l'équilibre entre risques et avantages est bénéfique pour les participants, que le programme soit scientifiquement pertinent et éthiquement justifié.
En aucun cas, vous ne devriez considérer l'opinion positive du Comité d'éthique comme une incitation à participer à ce programme.

Participation volontaire
N'hésitez pas à poser des questions avant de signer. Prenez le temps d'en parler avec une personne de confiance si vous le souhaitez.
La participation de votre enfant à ce programme est volontaire et il ne peut y avoir aucune contrainte de quelque manière que ce soit. Cela signifie que vous avez le droit de ne pas le laisser participer à ce programme ou d'arrêter ce programme sans donner de raison, même si vous avez déjà accepté que votre enfant y participe. Votre décision n'affectera en aucun cas la relation avec votre médecin, ni la qualité des soins ultérieurs de votre enfant.
Pour votre sécurité, il est recommandé d'informer votre médecin si vous décidez de ne plus participer à ce programme.
Si vous acceptez de laisser votre enfant participer à ce programme, vous devez signer le formulaire de consentement.
Son médecin signera également ce formulaire et confirmera qu'il vous a fourni les informations nécessaires sur ce programme. Vous recevrez la copie qui vous est destinée.

Frais liés à la participation de votre enfant
Alexion met gratuitement à disposition Kanuma® (Sebelipase alpha) tant que votre enfant participe à ce programme.
Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s'avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.
Vous ne recevrez aucune compensation financière pour la participation de votre enfant à ce programme.

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

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

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

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

- Les données pseudominisées (données du programme)

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

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

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

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

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

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

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

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

- Vos droits

Vous avez le droit de demander au médecin quelles données il a fourni au sponsor et à quelles fins elles sont utilisées dans le cadre de ce programme. Vous avez le droit d'accéder à ces données et de les faire corriger si elles sont incorrectes[1].

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

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

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

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

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

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

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

Protection de la vie privée

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

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch noodprogramma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur
Behandelende arts	*Naam:*……..…….. *Adres van het ziekenhuis:*……..…… ……..…… .....……..……..…… *Contactnummer:* ……..…….. *Noodnummer:* ……..…….. *Contactnummer in geval van vragen in verband met dit programma:* …….. ……..…… *Contactgegevens verantwoordelijke/dienst voor gegevensbescherming van het ziekenhuis:* .....…….....

Dit document bestaat uit 3 delen: de noodzakelijke informatie (I) die u nodig heeft voor het nemen van uw beslissing, uw schriftelijke geïnformeerde toestemming (II) en aanvullende informatie (III).

I. Noodzakelijke informatie voor uw beslissing om deel te nemen aan het medisch noodprogramma sebelipase alfa (Kanuma®).

INLEIDING

U wordt uitgenodigd om deel te nemen aan dit programma, dat u de mogelijkheid biedt - de behandeling met sebelipase alfa (Kanuma®), een nog niet terugbetaald geneesmiddel voor de behandeling van de ziekte lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D) te ontvangen.

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

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

ALS U AAN DIT PROGRAMMA DEELNEEMT, MOET U HET VOLGENDE WETEN:

- Dit programma wordt uitgevoerd na evaluatie en goedkeuring door een ethisch comité en het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) alsook het - Global Access to Medical Product (GATM) comité van Alexion (een intern comité bij de opdrachtgever die intern programma’s als dit evalueert).

- Uw beslissing over al dan niet deelnemen aan dit programma is geheel vrijwillig. Voor deelname is uw ondertekende toestemming nodig. Uw medische zorg zal niet beïnvloed worden als u beslist niet deel te nemen.

- U heeft ook het recht om op gelijk welk moment uw deelname stop te zetten. Uw beslissing om de deelname te stoppen, zal geen enkele invloed hebben op uw verdere behandeling. Gelieve de arts tijdig op de hoogte te stellen (maw voordat u zich terugtrekt uit dit programma). Men kan u vragen terug te keren naar het ziekenhuis voor tests. De veiligheidsgegevens die voorafgaand aan de terugtrekking verzameld werden, kunnen nog steeds gebruikt worden

- Indien u extra informatie wenst, kan u altijd contact opnemen met de arts of een medewerker van zijn/haar team.

DOELSTELLING EN BESCHRIJVING VAN HET PROGRAMMA

U wordt gevraagd om deel te nemen aan een medisch noodprogramma dat u toegang zal verlenen tot een behandeling omdat u lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D) heeft en baat zouden hebben bij een verdere behandeling met sebelipase alfa (Kanuma®). LAL-D is een ziekte die wordt gekenmerkt door een genetisch defect, wat leidt tot een duidelijke afname of verlies van werking van het lysosomale zure lipase (LAL)-enzym.

LAL-deficiëntie leidt tot leverbeschadiging, hoge cholesterol in het bloed en andere complicaties als gevolg van een opstapeling van bepaalde soorten vetten (cholesterylesters en triglyceriden).

Hoe werkt Kanuma ?
Dit geneesmiddel is een enzymvervangende therapie. Dit wil zeggen dat het het ontbrekende of beschadigde LAL-enzym vervangt bij patiënten met LAL-deficiëntie. De werking van dit geneesmiddel vindt plaats door het verlagen van de opstapeling van vet wat medische complicaties veroorzaakt, waaronder verminderde groei, leverbeschadiging en hartcomplicaties. Het verbetert ook de bloedwaarden van vetten, waaronder verhoogde LDL (slechte cholesterol) en triglyceriden.

Sebelipase alfa (Kanuma®) werd in augustus 2015 goedgekeurd door het Europese Agentschap voor Medicijnen (EMA) en door het Federaal Agentschap voor medicijnen en gezondheidsprodukten (FAMHP) in België maar is, op dit moment, commercieel nog niet beschikbaar op de belgische markt.
U zal sebelipase alfa krijgen in het kader van een medisch noodprogramma en wordt geleverd door Alexion.

WAT IS EEN “MEDISCH NOODPROGRAMMA”?

Het doel van een medisch noodprogramma is een geneesmiddel dat nog niet beschikbaar is op de markt om een specifieke ziekte te behandelen, beschikbaar te maken voor één of meer patiënten die lijden aan een chronische of ernstige ziekte en die onvoldoende kunnen behandeld worden met de huidige beschikbare behandelingsopties.

Uw arts heeft goedkeuring van Alexion en van de Ethische Commissie gekregen en voldoet ook aan alle wettelijke eisen die nodig zijn om u te kunnen behandelen met sebelipase alfa in het kader van dit programma.
Sebelipase alfa (Kanuma®) zal gratis geleverd worden - via het Alexion GATM programma - op individuele basis tot het terugbetaald wordt in België voor de behandeling van LAL-D of totdat uw arts beslist om uw behandeling met sebelipase alfa te stoppen. Het programma kan ook stop gezet worden door Alexion.

BEËINDIGING VAN HET PROGRAMMA:

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, 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.Het is ook mogelijk dat de arts de deelname aan het programma stopzet omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor uw gezondheid.
Het kan eveneens gebeuren dat het ethisch comité of de bevoegde autoriteiten die aanvankelijk goedkeuring hadden gegeven voor het programma het programma stopzet.
Het programma kan ook door Alexion stopgezet worden. In geval van definitieve terugtrekking of afwijzing van de terugbetalingsaanvraag kan het medische noodprogramma afgesloten worden.
Het programma wordt in ieder geval gestopt wanneer sebelipase alpha (Kanuma®) terugbetaald wordt in België.

WAT ALS IK DEELNEEM?

Als u beslist tot deelname, zal men u vragen om het formulier voor geïnformeerde toestemming te ondertekenen. U ontvangt een ondertekende kopie van dit formulier om te bewaren.

Vrijwillige deelname en intrekking van uw toestemming
Uw beslissing tot deelname aan dit programma is geheel vrijwillig. Zelfs als u besluit om met de behandeling te starten, bent u vrij om op eender welk moment de behandeling te stoppen. U hoeft hiervoor geen reden te geven. Uw beslissing om de behandeling te stoppen wordt “intrekking van toestemming” genoemd. Gelieve deze

beslissing aan uw arts te laten weten. Uw beslissing om deze behandeling te stoppen zal de relatie met uw arts niet beïnvloeden.
Ook uw arts kan beslissen om uw behandeling stop te zetten als hij/zij denkt dat u daar baat bij heeft of als u de gegeven richtlijnen voor deelname aan dit medisch noodprogramma niet opvolgt.

PROGRAMMAOVERZICHT:

Als u beslist om deel te nemen, zal u eerst een screeningproces ondergaan om te bepalen of u in aanmerking komt voor het programma. Als u na het screeningproces geschikt geacht wordt voor het programma, zal u in het programma worden ingeschreven en zal de behandeling beginnen.
Tijdens uw deelname aan dit medisch noodprogramma wordt u van dichtbij opgevolgd door uw behandelde arts en het medisch personeel. De start en het verloop van de behandeling vallen volledig onder de verantwoordelijkheid van de behandelde arts.

Aanvraag tot verlenging van de medicatie dient te gebeuren in overeenstemming met de GATM procedure..

TOEDIENING SEBELIPASE ALFA:

Uw arts of verpleegkundige zal u Kanuma® geven via een infusie in een ader. Het geneesmiddel moet worden verdund voordat u het toegediend krijgt.

Behandeling met Kanuma® moet onder toezicht staan van een beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met LAL-deficiëntie, andere metabole stoornissen of chronische leveraandoeningen. Kanuma® moet worden toegediend door een opgeleide beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg die medische noodgevallen kan behandelen.

De dosis die u krijgt, is gebaseerd op uw lichaamsgewicht.

De aanbevolen dosering bij volwassenen is 1 mg per kg lichaamsgewicht eenmaal per twee weken via een druppelinfuus in een ader.

Elke infusie duurt ongeveer 1 tot 2 uur. Het is mogelijk dat uw arts of verpleegkundige u gedurende nog een uur na de infusie opvolgt. Kanuma® moet op een zo jong mogelijke leeftijd worden gestart en is bedoeld voor langdurig gebruik.

SCHEMA VAN PROGRAMMABEOORDELINGEN:

Als u beslist om deel te nemen aan het programma, zullen de volgende uiteengezette procedures uitgevoerd worden:

ALGEMENE RISICO'S EN ONGEMAKKEN

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. Het is mogelijk dat tijdens dit programma de volgende bijwerkingen zich voordoen.

Bijwerkingen zijn waargenomen terwijl patiënten het geneesmiddel toegediend kregen of kort erna (reacties op de infusie). De ernstigste bijwerkingen kunnen bestaan uit een allergische reactie (zeer vaak waargenomen [kunnen meer dan 1 op de 10 personen treffen] bij zuigelingen jonger dan 6 maanden, of vaak [kunnen maximaal 1 op de 10 personen treffen] bij kinderen en volwassenen) met symptomen, waaronder ademhalingsproblemen, snelle ademhaling, snelle hartslag, ongemakkelijk gevoel op de borstkas, milde zwelling van de oogleden, rode ogen, loopneus, opvlieger, netelroos, jeuk, diarree, bleekheid, piepende ademhaling, minder zuurstof in het bloed, rode huid en prikkelbaarheid.
Als u een dergelijke symptomen heeft, neem dan onmiddellijk contact op met een arts. Als u een reactie op de infusie heeft, is het mogelijk dat u bijkomende geneesmiddelen krijgt om latere reacties te behandelen of helpen te voorkomen. Als de reactie op de infusie ernstig is, is het mogelijk dat uw arts de infusie met KANUMA in de ader stopzet en een geschikte medische behandeling begint.

Zeer vaak voorkomende (komen voor bij meer dan 1 op de 10 personen) bijwerkingen gemeld bij zuigelingen (1 tot 6 maanden oud) zijn:

- Overgevoeligheid (prikkelbaarheid, opgewondenheid, braken, netelroos, eczeem, jeuk, bleekheid en overgevoeligheid voor het geneesmiddel), ernstige allergische reacties (anafylactische reacties)
- Zwelling van de oogleden

- Snelle hartslag
- Ademhalingsproblemen
- Diarree, braken
- Huiduitslag, huiduitslag met zwelling
- Koorts
- Minder zuurstof in het bloed, hoge bloeddruk, snelle ademhaling, ontstaan van bloedeiwitten

Zeer vaak voorkomende (komen voor bij 1 op de 10 personen of meer) bijwerkingen gemeld bij kinderen en jongeren (4 tot 18 jaar oud) en volwassenen zijn:

- Duizeligheid
- Buikpijn, diarree
- Vermoeidheid, koorts

Vaak voorkomende (komen voor bij niet meer dan 1 op de 10 personen) bijwerkingen gemeld bij kinderen en jongeren (4 tot 18 jaar oud) en volwassenen zijn:

- Ernstige allergische reactie (anafylactische reactie), overgevoeligheid (koude rillingen, eczeem, gezwollen keel, misselijkheid, jeuk en netelroos)
- Snelle hartslag
- Rode huid, lage bloeddruk
- Kortademigheid
- Opgeblazen buik
- Huiduitslag, rode gezwollen huid
- Ongemakkelijk gevoel op de borstkas, reactie op de plaats van de infusie

Frequentie, type en ernst van bijwerkingen bij kinderen zijn vergelijkbaar met die bij volwassenen.

Als u vragen heeft over de mogelijke bijwerkingen van het medicijn of de procedures die tijdens dit programma worden uitgevoerd, neem dan contact op met uw arts.

MELDING VAN NIEUWE INFORMATIE

In sommige gevallen kan het zijn dat er nieuwe informatie beschikbaar is over het geneesmiddel dat u krijgt. Als dit gebeurt, zal uw arts u inlichten en met u bespreken of u de behandeling wenst verder te zetten. Sebelipase alpha (Kanuma®) is onderhevig aan additionele monitoring door het EMA.

- Als u beslist om de behandeling verder te zetten, zal u gevraagd worden om een nieuwe, aangepaste versie van dit toestemmingsformulier te ondertekenen.
- Als u beslist om de behandeling stop te zetten, zal uw arts er voor zorgen dat u verder wordt behandeld op de best mogelijke manier; dit zal de relatie met uw arts/oncoloog niet beïnvloeden.

Bovendien zou uw arts kunnen bepalen, gebaseerd op de nieuwe informatie, dat het beter is voor u om de behandeling te stoppen. Als dit gebeurt, zal hij/zij de redenen hiervoor aan u uitleggen en er voor zorgen dat u verder wordt behandeld op de best mogelijke manier.
Indien er nieuwe informatie beschikbaar is, kunnen Alexion, de regelgevende instanties of de ethische commissie ook beslissen om dit medisch noodprogramma stop te zetten.

Kosten geassocieerd met uw deelname

Alexion biedt Sebelipase alpha (Kanuma®) gratis aan gedurende de looptijd van dit medisch noodprogramma. Alle andere procedures, testen en medicatie die mogelijks noodzakelijk zijn voor dit programma zijn onderhevig aan de huidige terugbetalingscriteria.

U zal geen financiële compensatie ontvangen voor uw deelname aan dit programma.

Evaluatie door de ethische commissie

Dit programma is geëvalueerd door een onafhankelijke ethische commissie en door het federale agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG) om ervoor te zorgen dat de deelnemers aan dit programma beschermd worden tegen schade.

De evaluatie door de onafhankelijk ethische commissie en de goedkeuring door het FAGG mogen in geen enkel geval dienen als motivatie om deel te nemen aan dit medisch noodprogramma.

Contact

Als u bijkomende informatie wenst, maar ook ingeval van problemen of als u zich zorgen maakt, kan u contact opnemen met uw behandelende arts. Contactgegevens vindt u op pagina 1 van dit toestemmingsformulier.

Buiten de consultatie-uren moet u zich aanmelden op de spoedafdeling van uw ziekenhuis en vermelden dat u deelneemt aan dit programma. Uw dossier zal nuttige informatie bevatten voor de dienstdoende arts met betrekking tot het programma.

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch noodprogramma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

II. Geïnformeerde toestemming

Deel enkel bestemd voor de patiënt:

Hierbij bevestig ik, ondergetekende (naam & voornaam) _____

- ✓ Dat ik ben ingelicht over het 'Medical Need Programma met sebelipase alfa voor de behandeling van patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D), om de manifestaties van de ziekte te behandelen.
- ✓ Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over de aard, het doel, de duur, de eventuele voordelen en risico's van de het programma en dat ik weet wat van mij wordt verwacht. Ik heb kennis genomen van het informatiedocument (*Deel I van dit document*) en de aanvullende informatie (*Deel III van dit document*)
- ✓ Ik heb voldoende tijd gehad om na te denken en om te praten met een door mij gekozen persoon, zoals mijn huisarts of een familielid.
- ✓ Ik heb alle vragen kunnen stellen die bij me opkwamen en ik heb een duidelijk antwoord gekregen op onze vragen.
- ✓ Ik begrijp dat mijn deelname aan dit programma vrijwillig is en dat ik vrij ben deelname aan dit programma stop te zetten zonder dat dit de relatie schaadt met het therapeutisch team dat instaat voor mijn gezondheid.
- ✓ Ik begrijp dat er tijdens deelname aan dit programma gegevens over mij zullen worden verzameld en dat de arts en de opdrachtgever de vertrouwelijkheid van deze gegevens verzekeren.
- ✓ Ik stem in met de verwerking van deze persoonlijke gegevens volgens de modaliteiten die zijn beschreven in de rubriek over het verzekeren van de vertrouwelijkheid *(Deel III van dit document).* Ik geef ook toestemming voor de overdracht naar en verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.
- ✓ Ik aanvaard dat de opdrachtgever, de arts en zijn/haar team, evenals andere personen, toegang hebben tot mijn medische gegevens en persoonlijke informatie, zoals beschreven in dit informatieformulier.
- ✓ Met de ondertekening van dit document geef ik de toestemming dat mijn persoonlijke gegevens worden gebruikt in overeenstemming met de Belgische wetgeving en het advies 24/2014 van 2 april 2014 betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.
- ✓ Ik ga ermee akkoord dat de huisarts en andere specialisten die voor mijn gezondheid instaan op de hoogte worden gesteld van mijn deelname aan dit programma ***(gelieve deze zin te schrappen indien u niet akkoord gaat).***
- ✓ Ik heb een exemplaar ontvangen van dit document (Deel I, II en II).

Handtekening patiënt: _____

Datum: _____

Deel enkel bestemd voor de arts :

Ik, ondergetekende, _____ (naam en voornaam) _____ (R.I.Z.I.V nummer) bevestig hierbij dat ik mijn patiënt (naam van de patiënt(e) voluit) _____ heb ingelicht en dat hij / zij zijn / haar toestemming heeft gegeven om deel te nemen aan dit programma.

Handtekening arts: _____ Datum: _____

Deel enkel bestemd voor de Getuige / Tolk (indien van toepassing)

Ik, ondergetekende, _____ (naam en voornaam) met kwalificatie _____ bevestig hierbij dat ik tijdens het volledige proces van informatieverstrekking aan de patiënt (naam & voornaam) _____ aanwezig ben geweest en ik bevestig dat de informatie over de doelstellingen en procedures van het programma op adequate wijze is verstrekt, dat patiënt het programma naar alle waarschijnlijkheid heeft begrepen en dat de toestemming tot deelname aan het programma uit vrije wil is gegeven.

Handtekening getuige / tolk : _____ Datum: _____

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch noodprogramma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

III. Aanvullende informatie

Aanvullende informatie over de bescherming en de rechten van deelnemers aan een medisch noodprogramma

Ethisch comité
Dit programma werd geëvalueerd door een onafhankelijk Ethisch Comité, nl. Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven, dat een gunstig advies heeft uitgebracht. Het ethische comité heeft als taak de personen die aan programma's deelnemen te beschermen. Ze controleren of uw rechten als patiënt en als deelnemer aan een programma gerespecteerd worden, of - uitgaande van de huidige kennis - de balans tussen risico's en voordelen gunstig is voor de deelnemers, of het programma wetenschappelijk relevant en ethisch verantwoord is.
U dient het positief advies van het Ethische Comité in geen geval te beschouwen als een aansporing om deel te nemen aan dit programma.

Vrijwillige deelname
Aarzel niet om alle vragen te stellen die bij u opkomen voordat u tekent. Neem de tijd om er over te praten met een vertrouwenspersoon indien u dat wenst.
Uw deelname aan dit programma is vrijwillig en er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Dit betekent dat u het recht heeft om niet deel te nemen aan dit programma of om met dit programma te stoppen, zonder dat u hiervoor een reden hoeft te geven, zelfs al hebt u eerder toegestemd om aan dit programma deel te nemen. Uw beslissing zal in geen geval uw relatie met uw arts beïnvloeden, noch de kwaliteit van uw verdere verzorging.
Voor uw veiligheid is het wel aanbevolen om uw arts op de hoogte te stellen indien u beslist om uw deelname aan dit programma stop te zetten.
Indien u aanvaardt om aan dit programma deel te nemen, moet u het toestemmingsformulier ondertekenen.
Uw arts zal dit formulier ook ondertekenen en zal zo bevestigen dat hij u de noodzakelijke informatie over dit programma heeft gegeven. U zal het voor u bestemde exemplaar ontvangen.

Kosten in verband met uw deelname
De opdrachtgever stelt Kanuma® (sebelipase alfa) gratis ter beschikking zolang u deelneemt aan dit programma.
U en uw ziekteverzekering zullen verder de kosten blijven dragen van onderzoeken, procedures en andere geneesmiddelen die deel uitmaken van uw standaard medische verzorging.
Er zal geen vergoeding worden toegekend door de opdrachtgever in geval van een eventueel letsel of kosten als gevolg van uw deelname aan het programma.

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

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

  Deze gegevens hebben betrekking op uw huidige klinische situatie maar ook op een deel van uw achtergrond, de resultaten van onderzoeken die werden uitgevoerd voor de behandeling van uw gezondheid volgens de geldende zorgstandaard en uiteraard de resultaten van onderzoeken zoals voorgeschreven door het protocol. U hebt het recht om aan de arts-onderzoeker te vragen welke gegevens hij/zij over u heeft verzameld en waarvoor ze worden gebruikt in het kader van dit programma.

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

- Uw gepseudonimiseerde gegevens (gegevens voor het programma)

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

U heeft het recht om aan de arts te vragen welke gegevens hij/zij overgemaakt heeft aan de opdrachtgever en waarvoor ze gebruikt worden in het kader van dit programma. U hebt het recht om deze gegevens in te kijken en om verbeteringen te laten aanbrengen indien ze foutief zouden zijn.
Uw arts is verplicht om deze verzamelde gegevens vertrouwelijk te behandelen. Om uw anonimiteit te beschermen zal, bij elke overdracht van uw gegevens aan de opdrachtgever, uw identiteit worden vervangen met uw identificatiecode van dit programma. De overgedragen persoonlijke gegevens omvatten geen combinatie van elementen waarmee het mogelijk is u te identificeren. De arts-onderzoeker en zijn/haar team zullen daarom de enige personen zijn die een verband kunnen leggen tussen de gegevens die gedurende dit programma worden overgedragen en uw medisch dossier.

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

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

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

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

- Uw rechten

U heeft het recht om aan de arts te vragen welke gegevens hij/zij overgemaakt heeft aan de opdrachtgever en waarvoor ze gebruikt worden in het kader van dit programma. U hebt het recht om deze gegevens in te kijken en om verbeteringen te laten aanbrengen indien ze foutief zouden zijn[1].

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

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

Volgens de AVG hebt u een aantal rechten rond de verwerking van uw gegevens. Indien u hierover verdere vragen hebt, kan u hiervoor steeds terecht bij uw arts-onderzoeker.
Ook de functionaris voor gegevensbescherming van het onderzoekcentrum, staat ter uwer beschikking. Hierbij vindt u zijn/haar contactgegevens: <naam functionaris>>, <<naam, adres van ziekenhuis>>, België.
Tot slot heeft u ook het recht om een klacht in te dienen over hoe uw informatie wordt behandeld. Dit kan u doen bij de Belgische toezichthoudende instantie die verantwoordelijk is voor het handhaven van de wetgeving rond gegevensbescherming:

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

Bescherming van de persoonlijke levenssfeer

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

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

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Responsable du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H
Médecin traitant	*Nom:……..* *Adresse du centre hospitalier:…….….* *……* *……..……..* *Coordonnées: ……..* *Contact en cas d'urgence: ……..* *Coordonnées en cas de question relative au programme:* *…….. ……...* *Coordonnées du Responsable/Service de Protection des Données de l'hôpital:* *.....…….....…..*

Ce document comporte trois parties : (I) les informations nécessaires dont vous avez besoin pour prendre votre décision, votre consentement éclairé (II) et (III) les informations complémentaires.

I. Les informations nécessaires à votre décision de participer au programme médical d'urgence sebelipase alfa (Kanuma®).

INTRODUCTION

Votre médecin vous propose de participer à un programme médical d'urgence qui vous permet de recevoir un traitement par la sébelipase alfa (Kanuma®), un médicament pas encore remboursé pour le traitement de la maladie de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D).

Avant de vous décider de participer à ce « programme médical d'urgence » (ci-après dénommé « programme »), nous voulons vous donner quelques précisions sur ce que cela signifie sur le plan organisationnel, les avantages éventuels et les risques. De cette façon, vous pouvez prendre une décision en fonction d'informations complètes. C'est ce qu'on appelle le "consentement éclairé".
Nous vous demandons de lire attentivement les pages suivantes et de discuter de toute question avec votre médecin ou son représentant. Vous pouvez prendre votre temps et en discuter avec votre médecin, vos amis et votre famille avant de prendre votre décision.

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

- Ce programme a été évalué et approuvé par un comité d'éthique indépendant et par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de la Santé (AFMPS), ainsi que par le comité GATM (Global Access to Medical Product) d'Alexion (comité interne à Alexion qui évalue de tel programme)
- Votre participation est volontaire et doit rester libre de toute contrainte. Elle nécessite la signature d'un document exprimant votre consentement. Même après l'avoir signé, vous pouvez arrêter de participer au programme en informant le médecin. Votre décision de ne pas ou de ne plus participer au programme n'aura aucun impact sur la qualité de vos soins ni sur vos relations avec le médecin.
- Les données récoltées dans le cadre de votre participation à ce programme seront traitées de manière strictement confidentielle par votre médecin. Alexion ne recueillera en aucun cas des données qui permettent de vous identifier.

- Vous pouvez toujours contacter le médecin ou un membre de son équipe si vous avez besoin d'informations complémentaires.
- La firme Alexion fournira gratuitement sebelipase alfa (Kanuma®), jusqu'à ce qu'il soit remboursé en Belgique pour le traitement de la LAL-D - ou jusqu'à ce que votre médecin décide d'arrêter votre traitement par sebelipase alfa ou jusqu'à ce que ce programme soit arrêté.

OBJECTIFS ET DESCRIPTION DU PROGRAMME

Votre médecin vous propose de participer à un programme médical d'urgence qui vous donnera accès au traitement sebelipase alfa (Kanuma®) car vous souffrez d'un déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D) et votre médecin estime que vous devez continuer à bénéficier d'un traitement par sebelipase alfa.
Le LAL-D est une maladie caractérisée par une diminution ou une perte marquée de l'activité de l'enzyme appelée lipase acide lysosomale (LAL) qui aide à décomposer les graisses dans le corps afin qu'elles ne s'accumulent pas dans l'organisme.
Le déficit en LAL est une maladie génétique qui entraîne des lésions hépatiques, des taux élevés de cholestérol dans le sang et d'autres complications dues à une accumulation de certains types de graisses (esters de cholestérol et triglycérides).

Comment fonctionne KANUMA ?
Ce médicament est une thérapie enzymatique substitutive. Cela signifie qu'il remplace l'enzyme LAL manquante ou déficiente chez les patients atteints d'un déficit en LAL. Il agit en diminuant l'accumulation de graisse qui provoque des complications médicales, dont un retard de croissance, des lésions hépatiques et des complications cardiaques. Il améliore également les taux de graisse dans le sang, y compris les taux élevés de LDL (mauvais cholestérol) et de triglycérides.

La sebelipase alfa (Kanuma®) a été approuvée en août 2015 par l'Agence européenne des médicaments (EMA) et par l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) en Belgique, mais n'est actuellement pas disponible dans le commerce sur le marché belge.

Vous recevrez Kanuma dans le cadre d'un programme médical d'urgence mis en place par Alexion.

QU'EST-CE QU'UN «PROGRAMME D'URGENCE MÉDICALE»?

Le but d'un programme médical d'urgence est de mettre un médicament qui n'est pas encore disponible sur le marché à la disposition d'un ou plusieurs patients souffrant d'une maladie chronique ou grave, et qui ne peuvent pas être traités de manière adéquate avec les traitements actuellement disponibles.

Votre médecin a reçu l'accord d'Alexion et du comité d'éthique et répond également à toutes les exigences légales nécessaires pour vous traiter par sebelipase alfa dans le cadre de ce programme.

La sebelipase alfa (Kanuma®) sera fournie gratuitement - via le programme Alexion GATM - sur une base individuelle jusqu'à ce qu'elle soit remboursée en Belgique pour le traitement de la LAL-D ou jusqu'à ce que votre médecin décide d'arrêter votre traitement par la sebelipase alfa. Le programme peut également être arrêté par Alexion.

FIN DU PROGRAMME:

Vous pouvez poursuivre le traitement aussi longtemps que votre médecin pense que vous en bénéficiez. Le traitement peut être arrêté, même sans votre consentement, si votre maladie s'aggrave, s'il s'avère que vous ne pouvez pas tolérer le médicament en raison d'effets indésirables graves, si vous ne suivez pas les instructions du traitement. Si de nouvelles informations montrent que vous ne bénéficiez plus du traitement, celui-ci sera arrêté. Il est également possible que le médecin cesse de participer au programme parce qu'il pense que c'est meilleur pour votre santé.

Il peut également arriver que le comité d'éthique ou les autorités compétentes qui ont initialement approuvé le programme interrompent le programme.

Le programme peut également être arrêté par Alexion. En cas de retrait définitif ou de rejet de la demande de remboursement, le programme médical d'urgence peut être fermé.

Le programme sera dans tous les cas arrêté lorsque la sebelipase alpha (Kanuma®) sera remboursée en Belgique.

ET SI JE PARTICIPE?

Si vous décidez de participer, il vous sera demandé de signer le formulaire de consentement éclairé. Vous recevrez une copie signée de ce formulaire pour le conserver.

PARTICIPATION VOLONTAIRE ET RETRAIT DE VOTRE CONSENTEMENT

Votre décision de participer à ce programme est entièrement volontaire. Même si vous décidez de commencer le traitement, vous êtes libre d'arrêter le traitement à tout moment. Vous n'avez pas à donner de raison à cela. Votre décision d'arrêter le traitement est appelée «retrait du consentement». Veuillez informer votre médecin de cette décision. Votre décision d'arrêter ce traitement n'affectera pas votre relation avec votre médecin.

Votre médecin peut également décider d'arrêter votre traitement s'il pense qu'il vous sera bénéfique ou si vous ne suivez pas les directives données pour participer à ce programme médical d'urgence.

APERÇU DU PROGRAMME:

Si vous décidez de participer, vous serez d'abord soumis à un processus de sélection pour déterminer votre admissibilité au programme. Si vous êtes considéré comme apte au programme après le processus de sélection, vous serez inscrit au programme et le traitement commencera.

Tout en participant à ce programme médical d'urgence, vous serez étroitement surveillé par votre médecin traitant et le personnel médical. L'initiation et le déroulement du traitement relèvent de la seule responsabilité du médecin traitant.

La demande de renouvellement du médicament doit être effectuée conformément à la procédure GATM.

ADMINISTRATION DE SEBELIPASE ALFA (KANUMA®):

Votre médecin ou votre infirmière vous administrera Kanuma® sous forme de perfusion dans une veine. Le médicament doit être préparé avant de vous être administré.

Le traitement par Kanuma® doit être supervisé par un professionnel de la santé expérimenté dans le traitement des patients présentant un déficit en LAL, d'autres troubles métaboliques ou une maladie hépatique chronique. Kanuma® doit être administré par un professionnel de la santé qualifié qui peut gérer les urgences médicales.

La dose que vous recevez dépend de votre poids corporel.

La dose recommandée chez l'adulte est de 1 mg par kg de poids corporel toutes les deux semaines sous forme de goutte-à-goutte dans une veine.

Chaque perfusion dure environ 1 à 2 heures. Votre médecin ou votre infirmière peut vous surveiller pendant une heure supplémentaire après la perfusion. Kanuma® doit être débuté le plus tôt possible et est destiné à une utilisation à long terme.

DESCRIPTION DES RISQUES

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde. Les effets secondaires suivants peuvent survenir pendant ce programme.
Des effets indésirables ont été observés pendant ou peu de temps après l'administration du médicament aux patients (réactions à la perfusion). Les effets indésirables les plus graves peuvent inclure une réaction allergique avec des symptômes comprenant une difficulté à respirer, une respiration rapide, une fréquence cardiaque rapide, une gêne thoracique, un léger gonflement des paupières, des yeux rouges, un écoulement nasal, des bouffées vasomotrices, de l'urticaire, des démangeaisons, une diarrhée, une pâleur, une respiration sifflante, une diminution du taux d'oxygène dans le sang, des rougeurs cutanées et une irritabilité.
Si vous présentez des symptômes de ce type, adressez-vous immédiatement à votre médecin. Si vous présentez une réaction à la perfusion, des médicaments supplémentaires peuvent vous être administrés pour la

traiter ou éviter de nouvelles réactions. Votre médecin peut interrompre la perfusion intraveineuse de KANUMA en cas de réaction sévère à la perfusion, et commencer à vous administrer un traitement médical adapté.

Les effets indésirables très fréquents (pouvant affecter au moins 1 personne sur 10) rapportés chez des nourrissons (âgés de 1 à 6 mois) sont :

- Hypersensibilité (irritabilité, agitation, vomissements, urticaire, eczéma, démangeaisons, pâleur et hypersensibilité médicamenteuse), réactions allergiques sévères (réactions anaphylactiques)
- Gonflement des paupières
- Fréquence cardiaque rapide
- Difficulté à respirer
- Diarrhée, vomissements
- Éruption cutanée, éruption cutanée en relief
- Fièvre
- Diminution du taux d'oxygène dans le sang, pression artérielle augmentée, respiration rapide, développement de protéines dans le sang

Les effets indésirables très fréquents (pouvant affecter au moins 1 personne sur 10) rapportés chez des enfants et adolescents (âgés de 4 à 18 ans) et des adultes sont :

- Sensations vertigineuses
- Maux d'estomac, diarrhée
- Fatigue, fièvre

Les effets indésirables fréquents (pouvant affecter jusqu'à 1 personne sur 10) signalés chez des enfants et adolescents (âgés de 4 à 18 ans) et des adultes sont :

- Réaction allergique sévère (réaction anaphylactique), hypersensibilité (frissons, eczéma, oedème laryngé, nausées, démangeaisons et urticaire)
- Fréquence cardiaque rapide
- Rougeur cutanée, pression artérielle basse
- Difficulté respiratoire
- Ballonnement de l'estomac
- Éruption cutanée, peau rouge et gonflée
- Gêne thoracique, réaction au site de perfusion

La fréquence, le type et la sévérité des réactions indésirables sont similaires chez l'enfant et l'adulte.

Si vous avez des questions sur les effets secondaires possibles du médicament ou sur les procédures effectuées au cours de ce programme, veuillez en parler à votre médecin.

<u>Que se passe-t-il si de nouvelles informations deviennent disponibles ?</u>

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

- Au cas où vous décideriez de continuer le traitement, on vous demandera de signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement.
- Si vous décidez d'arrêter le traitement, votre médecin s'assurera que vous continuiez à être traité de la meilleure manière possible, et cela n'aura aucune influence sur votre relation avec votre médecin.

De plus, votre médecin peut déterminer, sur base de ces nouvelles informations, s'il est dans votre intérêt de stopper le traitement. Si cela arrive, il/elle vous en expliquera les raisons et s'assurera également que vous continuiez à être traité de la meilleure manière possible.
Si de nouvelles informations voient le jour, Alexion, les autorités compétentes ou le comité d'éthique peuvent également décider d'interrompre ce programme médical d'urgence.

<u>Coûts associés à votre participation</u>

Alexion fournira la sebelipase alpha (Kanuma®) gratuitement pendant toute la durée de ce programme médical d'urgence. Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s'avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.
Vous ne recevrez aucune compensation financière pour votre participation à ce programme.

Évaluation par un comité d'éthique

Ce programme a été évalué par un comité d'éthique indépendant et par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de la Santé (AFMPS). Ces deux évaluations ont été effectuées pour s'assurer que les personnes participant à ce programme sont protégées contre tout préjudice.
En aucun cas vous ne devez prendre l'évaluation du comité d'éthique et l'avis favorable de l'AFMPS comme une incitation à participer à ce programme médical d'urgence.

Contact

Si vous avez besoin d'informations complémentaires, mais aussi en cas de problèmes ou si vous êtes inquiet, vous pouvez contacter votre médecin traitant. Les coordonnées se trouvent à la page 1 du présent formulaire de consentement.

En dehors des heures de consultation, vous devez vous présenter aux urgences de votre hôpital et mentionner que vous participez à ce programme. Votre dossier contiendra des informations utiles pour le médecin de garde concernant le programme.

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H

II. Consentement éclairé

Partie réservée pour le patient :

Par la présente, je soussigné (nom et prénom) _____

- ✓ Que je suis informé sur le programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
- ✓ Je déclare que je suis informé de la nature, but, durée, avantages et risques du programme et que je sais ce que l'on attend de moi. J'ai pris note de la notice d'information (*partie I du présent document*) et les informations complémentaires (*partie III du présent document*)
- ✓ J'ai eu assez de temps pour réfléchir et parler à une personne que j'ai choisi, comme mon médecin de famille ou un membre de ma famille.
- ✓ J'ai pu poser toutes les questions qui me venaient à l'esprit et j'ai reçu une réponse claire à mes questions.
- ✓ Je comprends que ma participation à ce programme est volontaire et que je suis libre d'arrêter de participer à ce programme sans nuire à la relation avec l'équipe médicale.
- ✓ Je comprends que les informations me concernant seront recueillies lors de ma participation à ce programme et que le médecin et le sponsor garantissent la confidentialité de ces informations.
- ✓ J'accepte le traitement de ces données à caractère personnel conformément aux modalités décrites dans la section sur la protection de la confidentialité (partie III du présent document). J'autorise également le transfert et le traitement de ces données cryptées dans des pays autres que la Belgique.
- ✓ J'accepte que le sponsor, le médecin et son équipe, ainsi que d'autres personnes, aient accès à mes données médicales et à mes informations personnelles, comme décrit dans ce formulaire.
- ✓ En signant ce document, j'autorise l'utilisation de mes données personnelles conformément à la loi belge et à l'avis 24/2014 du 2 avril 2014 sur la protection de la vie privée.
- ✓ Je conviens que le médecin et les autres spécialistes responsables de ma santé seront informés de ma participation à ce programme **(veuillez supprimer cette phrase si vous n'êtes pas d'accord).**
- ✓ J'ai reçu une copie de ce document (Parties I, II et II).

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

_____ Signature du patient

_____ Date de la signature

Partie réservée au médecin :

*Je soussigné,*_____ (nom et prénom du médecin)

_____ (Numéro INAMI) confirme par la présente

que mon patient (nom du patient (e) dans son intégralité)

_____ est informé et qu'il/elle a donné son

consentement pour participer à ce programme.

Signature du médecin: _____ Date: _____

Partie réservée pour le témoin/interprète (si applicable)

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

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

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H

III. Information Complémentaires

Informations complémentaires sur la protection et les droits des parties d'un programme d'urgence médical

Comité d'éthique
Ce programme a été évalué par un comité d'éthique indépendant, le Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven, qui a émis un avis favorable. Le comité d'éthique a pour tâche de protéger les personnes participant aux programmes. Ils vérifient si vos droits en tant que patient et participant à un programme sont respectés ou, selon les connaissances actuelles, que l'équilibre entre risques et avantages est bénéfique pour les participants, que le programme soit scientifiquement pertinent et éthiquement justifié.
En aucun cas, vous ne devriez considérer l'opinion positive du Comité d'éthique comme une incitation à participer à ce programme.

Participation volontaire
N'hésitez pas à poser des questions avant de signer. Prenez le temps d'en parler avec une personne de confiance si vous le souhaitez.
Votre participation à ce programme est volontaire et il ne peut y avoir aucune contrainte de quelque manière que ce soit. Cela signifie que vous avez le droit de ne pas participer à ce programme ou d'arrêter ce programme sans donner de raison, même si vous avez déjà accepté de participer à ce programme. Votre décision n'affectera en aucun cas votre relation avec votre médecin, ni la qualité de vos soins ultérieurs.
Pour votre sécurité, il est recommandé d'informer votre médecin si vous décidez de ne plus participer à ce programme.
Si vous acceptez de participer à ce programme, vous devez signer le formulaire de consentement.
Votre médecin signera également ce formulaire et confirmera qu'il vous a fourni les informations nécessaires sur ce programme. Vous recevrez la copie qui vous est destinée.

Frais liés à votre participation
Alexion met gratuitement à disposition Kanuma® (Sebelipase alpha) tant que vous participez à ce programme.
Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s'avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.
Vous ne recevrez aucune compensation financière pour votre participation à ce programme.

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

- Vos informations médicales à partir desquelles votre identité peut être établie ("dossier patient")

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

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

- Vos données pseudominisées (données du programme)

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

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

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

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

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

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

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

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

- Vos droits

  Vous avez le droit de demander au médecin quelles données il a fourni au sponsor et à quelles fins elles sont utilisées dans le cadre de ce programme. Vous avez le droit d'accéder à ces données et de les faire corriger si elles sont incorrectes[1].

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

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

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

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

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

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

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

Protection de la vie privée

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

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch noodprogramma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethische Comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur
Behandelende arts	*Naam:*……..…….. *Adres van het ziekenhuis:*……....…… ……...…… .....……..……....…… *Contactnummer:* ……..…….. *Noodnummer:* ……..…….. *Contactnummer in geval van vragen in verband met dit programma:* ……..……..…… *Contactgegevens verantwoordelijke/dienst voor gegevensbescherming van het ziekenhuis:* .....…….....

Dit document bestaat uit 3 delen: de noodzakelijke informatie (I) die je nodig hebt voor het nemen van uw beslissing, uw schriftelijke geïnformeerde toestemming (II) en aanvullende informatie (III).

I. Noodzakelijke informatie voor uw beslissing om deel te nemen aan het programma sebelipase alfa.

INLEIDING

Je wordt uitgenodigd om deel te nemen aan dit programma, waardoor je een geneesmiddel voor de behandeling van je ziekte lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D) kan krijgen. Dit geneesmiddel is sebelipase alfa (Kanuma®). Je arts denkt dat je baat zou hebben bij een verdere behandeling met sebelipase alfa (Kanuma®).

In dit document leggen we je uit wat dat betekent.
Je bent volledig vrij te beslissen of je deelneemt of niet.
Je ouders krijgen ook informatie en een formulier voor toestemming. Zij zullen rekening houden met je wens om al dan niet deel te nemen aan dit programma.

Je mag alles bespreken met je arts, je ouders, je familie of vrienden voordat je beslist. Je mag altijd bijkomende vragen stellen.

Als je beslist niet deel te nemen, zal dat de zorg die je nu krijgt van je arts niet beïnvloeden.

Ook als je eerst beslist om wel deel te nemen, maar later beslist te stoppen om gelijk welke reden, zal dat de zorg die je nu krijgt van je arts niet beïnvloeden.

Dit programma werd goedgekeurd door het Belgisch agentschap voor geneesmiddelen (FAGG) en een Ethische Commissie, een onafhankelijke groep mensen die nagaat of een programma zoals dit de rechten, veiligheid en welzijn van de deelnemers voldoende beschermt.

Je moet dit document ondertekenen als je beslist deel te nemen. Je krijgt een ondertekende kopij mee van het volledige document.

DOELSTELLING EN BESCHRIJVING VAN HET PROGRAMMA

Je lijdt aan lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D). Dit is een ziekte die wordt gekenmerkt door een genetisch defect, waardoor een bepaald enzym (LAL-enzym) minder wordt aangemaakt of een minder goede werking heeft.. Dit heeft tot gevolg dat er vetten worden opgestapeld in de lever, milt en darmwand. Dit kan leiden tot lever, milt en nieraandoeningen alsook een verhoogd risico op een cardiovasculaire aandoening.
Het geneesmiddel sebelipase alfa vervangt dit enzym dat helpt bij het afbreken van vetten in het lichaam zodat deze niet opgestapeld worden in het lichaam.
Sebelipase alfa (Kanuma®) is nog niet terugbetaald in Belgie voor de behandeling van LAL-D. Maar het mag beschikbaar gemaakt worden op individuele basis tot het terugbetaling. De firma Alexion zal het product gratis ter bechikking stellen gedurende het programma.

BEËINDIGING VAN HET PROGRAMMA:

Het programma kan stopgezet worden door de regelgevende authoriteieten, het ethisch comité, je arts of de firma Alexion.
Je eigen deelname kan ook stopgezet worden, met of zonder je toestemming.
Dit zal gebeuren enkel wanneer uw verdere deelname gevaarlijk voor je kan zijn, omdat je ernstige nevenwerkingen hebt of er iets veranderd in uw toestand waardoor deelnemen gevaarlijk kan zijn.

PROGRAMMAOVERZICHT:

Als je beslist deel te willen nemen, zal de arts bekijken of je in aanmerking komt voor het programma.
Pas daarna zal de behandeling beginnen.

TOEDIENING SEBELIPASE ALFA:

Sebelipase alfa (Kanuma®) wordt uitsluitend intraveneus toegediend en wordt enkel toegediend door een beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met LAL-deficiëntie, andere metabole stoornissen of chronische leveraandoeningen.

De aanbevolen dosis bij adolesscenten (12-18 jaar) is 1 mg/kg toegediend in de vorm van een intraveneuze infusie eenmaal om de twee weken.
Elke infusie duurt ongeveer 1 tot 2 uur. Het is mogelijk dat uw arts of verpleegkundige uw kind gedurende nog een uur na de infusie opvolgt.

ALGEMENE RISICO'S EN ONGEMAKKEN

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. Het is mogelijk dat tijdens dit programma de volgende bijwerkingen zich voordoen.

Bijwerkingen zijn waargenomen terwijl patiënten het geneesmiddel toegediend kregen of kort erna (reacties op de infusie). De ernstigste bijwerkingen kunnen bestaan uit een allergische reactie met symptomen, waaronder ademhalingsproblemen, snelle ademhaling, snelle hartslag, ongemakkelijk gevoel op de borstkas, milde zwelling van de oogleden, rode ogen, loopneus, opvlieger, netelroos, jeuk, diarree, bleekheid, piepende ademhaling, minder zuurstof in het bloed, rode huid en prikkelbaarheid.
Als je een dergelijke symptomen heeft, neem dan onmiddellijk contact op met een arts. Als je een reactie op de infusie hebt, is het mogelijk dat je bijkomende geneesmiddelen krijgt om latere reacties te behandelen of helpen te voorkomen. Als de reactie op de infusie ernstig is, is het mogelijk dat jou arts de infusie met KANUMA in de ader stopzet en een geschikte medische behandeling begint.

Zeer vaak voorkomende (komen voor bij meer dan 1 op de 10 personen) bijwerkingen gemeld bij zuigelingen (1 tot 6 maanden oud) zijn:

- Overgevoeligheid (prikkelbaarheid, opgewondenheid, braken, netelroos, eczeem, jeuk, bleekheid en overgevoeligheid voor het geneesmiddel), ernstige allergische reacties (anafylactische reacties)
- Zwelling van de oogleden
- Snelle hartslag
- Ademhalingsproblemen
- Diarree, braken
- Huiduitslag, huiduitslag met zwelling
- Koorts

- Minder zuurstof in het bloed, hoge bloeddruk, snelle ademhaling, ontstaan van bloedeiwitten

Zeer vaak voorkomende (komen voor bij 1 op de 10 personen of meer) bijwerkingen gemeld bij kinderen en jongeren (4 tot 18 jaar oud) en volwassenen zijn:

- Duizeligheid
- Buikpijn, diarree
- Vermoeidheid, koorts

Vaak voorkomende (komen voor bij niet meer dan 1 op de 10 personen) bijwerkingen gemeld bij kinderen en jongeren (4 tot 18 jaar oud) en volwassenen zijn:

- Ernstige allergische reactie (anafylactische reactie), overgevoeligheid (koude rillingen, eczeem, gezwollen keel, misselijkheid, jeuk en netelroos)
- Snelle hartslag
- Rode huid, lage bloeddruk
- Kortademigheid
- Opgeblazen buik
- Huiduitslag, rode gezwollen huid
- Ongemakkelijk gevoel op de borstkas, reactie op de plaats van de infusie

Frequentie, type en ernst van bijwerkingen bij kinderen zijn vergelijkbaar met die bij volwassenen. Als je vragen hebt over mogelijke bijwerkingen van het geneesmiddel of over de procedures die tijdens het verloop van dit programma uitgevoerd worden, neem dan contact op met jouw arts.

MELDING VAN NIEUWE INFORMATIE

Het is mogelijk dat er tijdens het verloop van dit programma belangrijke nieuwe informatie over sebelipase alfa beschikbaar wordt. Men zal je hiervan op de hoogte brengen. Als het programma verandert, kan men je vragen een nieuw toestemmingsformulier te ondertekenen, als je wenst verder deel te nemen aan het programma.

CONTACT

Als je bijkomende informatie wenst, maar ook ingeval van problemen of als je zich zorgen maakt, kan je contact opnemen met de behandelende arts. Contactgegevens vind je op pagina 1 van dit instemmingsformulier.

Buiten de consultatie-uren moet je je aanmelden op de spoedafdeling van jouw ziekenhuis en vermelden dat je deelneemt aan dit programma. Jouw dossier zal nuttige informatie bevatten voor de dienstdoende arts met betrekking tot het programma.

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch noodprogramma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethische Commissie	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

II. Geïnformeerde instemming voor adolescent (leeftijd 12 -18 jaar) in aanvulling op toestemming door ouders of voogd

Deel enkel bestemd voor de patiënt:

Hierbij bevestig ik, ondergetekende (naam & voornaam) _____,patiënt

- ✓ Dat ik volledig ben ingelicht over het programma
- ✓ Dat ik de voordelen en risico's begrijp
- ✓ Dat ik alle vragen heb kunnen stellen en dat deze duidelijk beantwoord werden
- ✓ Dat ik begrijp dat er bepaalde gegevens over mij worden verzameld (*zie deel III*)
- ✓ Dat ik vrijwillig deelneem aan dit programma, en dat ik, indien ik dat wens, op elk moment kan stoppen.

Handtekening patiënt :_____

Datum: _____

Deel enkel bestemd voor de arts :

Ik, ondergetekende, _____ (naam en voornaam) _____ (R.I.Z.I.V nummer) bevestig hierbij dat ik de patiënt (naam van de patiënt(e) voluit) _____ en heb ingelicht en dat hij (zij) zijn (haa) toestemming heeft gegeven om deel te nemen aan dit programma.

Handtekening arts: _____ Datum: _____

Deel enkel bestemd voor de Getuige / Tolk (indien van toepassing)

Ik, ondergetekende, _____ (naam en voornaam) met kwalificatie _____ bevestig hierbij dat ik tijdens het volledige proces van informatieverstrekking aan de patiënt (naam & voornaam) _____ aanwezig ben geweest en ik bevestig dat de informatie over de doelstellingen en procedures van het programma op adequate wijze is verstrekt, dat de patiënt het programma naar alle waarschijnlijkheid heeft begrepen en dat de toestemming tot deelname aan het programma uit vrije wil is gegeven.

Handtekening getuige / tolk : _____ Datum: _____

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch noodprogramma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethische Commissie	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

III. Aanvullende informatie

Aanvullende informatie over de bescherming en de rechten van deelnemers aan een medisch noodprogramma

Ethische Comité
Dit programma werd geëvalueerd door een onafhankelijk Ethische Comité, nl. Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven, dat een gunstig advies heeft uitgebracht. Je dient het positief advies van het Ethische Comité in geen geval te beschouwen als een aansporing om deel te nemen aan dit programma.

Vrijwillige deelname
Aarzel niet om alle vragen te stellen die bij je opkomen voordat je tekent. Neem de tijd om er over te praten met een vertrouwenspersoon indien je dat wenst.
Deelname aan dit programma is vrijwillig en er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Dit betekent dat je het recht hebt om niet deel te nemen aan dit programma of om met dit programma te stoppen, zonder dat je hiervoor een reden hoeft te geven, zelfs al heb je eerder toegestemd om aan dit programma deel te nemen. Uw beslissing zal in geen geval de relatie met uw behandelende arts beïnvloeden, noch de kwaliteit van de verdere verzorging.

Kosten in verband met je deelname
De opdrachtgever stelt Kanuma® (sebelipase alfa) gratis ter beschikking zolang je deelneemt aan dit programma.
Jij en je ziekteverzekering zullen verder de kosten blijven dragen van onderzoeken, procedures en andere geneesmiddelen die deel uitmaken van jou standaard medische verzorging.
Er zal geen vergoeding worden toegekend door de opdrachtgever in geval van een eventueel letsel of kosten als gevolg van deelname aan het programma.

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

- Jou medische gegevens waaruit je identiteit kan worden afgeleid (“patiëntendossier”)

  Deze gegevens hebben betrekking op uw huidige klinische situatie maar ook op een deel van uw achtergrond, de resultaten van onderzoeken die werden uitgevoerd voor de behandeling van uw gezondheid volgens de geldende zorgstandaard en uiteraard de resultaten van onderzoeken zoals voorgeschreven door het protocol. U hebt het recht om aan de arts-onderzoeker te vragen welke gegevens hij/zij over u heeft verzameld en waarvoor ze worden gebruikt in het kader van dit programma.

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

- Jou gepseudonimiseerde gegevens (gegevens voor het programma)

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

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

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

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

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

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

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

- Jou rechten

Je heeft het recht om aan de arts te vragen welke gegevens hij/zij overgemaakt heeft aan de opdrachtgever en waarvoor ze gebruikt worden in het kader van dit programma. Je hebt het recht om deze gegevens in te kijken en om verbeteringen te laten aanbrengen indien ze foutief zouden zijn[1].

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

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

Volgens de AVG hebt je een aantal rechten rond de verwerking van uw gegevens. Indien u hierover verdere vragen hebt, kan u hiervoor steeds terecht bij uw arts-onderzoeker.
Ook de functionaris voor gegevensbescherming van het onderzoekcentrum, staat ter uwer beschikking. Op pagina 1 van dit document vindt u zijn/haar contactgegevens.
Tot slot heeft u ook het recht om een klacht in te dienen over hoe uw informatie wordt behandeld. Dit kan u doen bij de Belgische toezichthoudende instantie die verantwoordelijk is voor het handhaven van de wetgeving rond gegevensbescherming:

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

Bescherming van de persoonlijke levenssfeer

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

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

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Responsable du programme	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H
Médecin traitant	*Nom:……...* *Adresse du centre hospitalier:…….….* *……* *……..……..* *Coordonnées: ……..* *Contact en cas d'urgence: ……..* *Coordonnées en cas de question relative au programme:* *…….. ……...* *Coordonnées du Responsable/Service de Protection des Données de l'hôpital:* *.....…….....…..*

Ce document se compose de 3 parties: les informations nécessaires (I) dont tu as besoin pour prendre ta décision, ton consentement éclairé écrit (II) et des informations complémentaires (III).

I. Informations nécessaires à ta décision de participer au programme sebelipase alfa.

INTRODUCTION

Ton médecin te propose de participer à ce programme, qui te permettra de recevoir un médicament pour le traitement du déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D). Ce médicament est la sébélipase alfa (Kanuma®). Ton médecin pense que tu dois continuer à bénéficier de ce traitement.

Dans ce document, nous expliquons ce que cela signifie.

Tu es totalement libre de décider de participer ou non.

Tes parents recevront également des informations et un formulaire de consentement. Ils prendront en compte ton souhait de participer ou non à ce programme.

Tu peux en discuter avec ton médecin, tes parents, ta famille ou tes amis avant de te décider. Tu pourras toujours poser des questions supplémentaires.

Si tu décides de ne pas participer, cela n'affectera pas les soins que tu reçois actuellement de ton médecin.

Même si tu décides d'abord de participer, mais que par la suite tu décides d'arrêter pour n'importe quelle raison, cela n'affectera pas les soins que tu reçois actuellement de ton médecin.

Ce programme a été approuvé par l'agence Belge des médicaments (AFMPS) et un comité d'éthique, un groupe de personnes indépendant qui vérifie si un programme comme celui-ci protège adéquatement les droits, la sécurité et le bien-être des participants.

Tu dois signer ce document si tu décides de participer. Tu recevras une copie signée de l'ensemble du document.

OBJET ET DESCRIPTION DU PROGRAMME

Tu as un déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D). Il s'agit d'une maladie caractérisée par une anomalie génétique qui entraîne le manque d'une certaine enzyme (enzyme LAL) ce qui provoque une accumulation de graisses dans le foie, la rate et la paroi intestinale. Cela peut entraîner des maladies du foie, de la rate et des reins ainsi qu'un risque accru de maladie cardiovasculaire.

Le médicament sebelipase alfa remplace cette enzyme qui aide à décomposer les graisses dans le corps afin qu'elles ne s'accumulent pas dans l'organisme.

La sébelipase alfa (Kanuma®) n'a pas encore été remboursée en Belgique pour le traitement de la LAL-D. Mais il peut être distribué sur une base individuelle jusqu'au remboursement. La société Alexion fournira le produit gratuitement pendant le programme.

FIN DU PROGRAMME:

Le programme peut être interrompu par les autorités réglementaires, le comité d'éthique, ton médecin ou la société Alexion.

Ta propre participation peut également être interrompue, avec ou sans ton autorisation.

Cela ne se produira que lorsque ta participation ultérieure pourrait être dangereuse pour toi parce que tu as des effets secondaires graves ou des changements dans ton état qui rendent la participation dangereuse.

APERÇU DU PROGRAMME:

Si tu décides de participer, le médecin évaluera ton admissibilité au programme.

Ce n'est qu'alors que le traitement commencera.

ADMINISTRATION DE SEBELIPASE ALFA:

La sebelipase alfa (Kanuma®) est administrée uniquement par voie intraveineuse et n'est administrée que par un professionnel de la santé expérimenté dans la prise en charge des patients présentant un déficit en LAL, d'autres troubles métaboliques ou une maladie hépatique chronique.

La dose recommandée chez les adolescents (12-18 ans) est de 1 mg / kg administrée en perfusion intraveineuse une fois toutes les deux semaines.

Chaque perfusion dure environ 1 à 2 heures. Ton médecin ou ton infirmière peut te surveiller pendant une heure supplémentaire après la perfusion.

ALGEMENE RISICO'S EN ONGEMAKKEN

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde. Les effets secondaires suivants peuvent survenir pendant ce programme.
Des effets indésirables ont été observés pendant ou peu de temps après l'administration du médicament aux patients (réactions à la perfusion). Les effets indésirables les plus graves peuvent inclure une réaction allergique avec des symptômes comprenant une difficulté à respirer, une respiration rapide, une fréquence cardiaque rapide, une gêne thoracique, un léger gonflement des paupières, des yeux rouges, un écoulement nasal, des bouffées vasomotrices, de l'urticaire, des démangeaisons, une diarrhée, une pâleur, une respiration sifflante, une diminution du taux d'oxygène dans le sang, des rougeurs cutanées et une irritabilité.

Si tu présentes des symptômes de ce type, informe immédiatement ton médecin. Si tu fais une réaction à la perfusion, des médicaments supplémentaires peuvent t'être administrés, pour la traiter ou éviter de nouvelles réactions. Ton médecin peut interrompre la perfusion intraveineuse de KANUMA en cas de réaction sévère à la perfusion, et commencer à t'administrer un traitement médical adapté.

Les effets indésirables très fréquents (pouvant affecter au moins 1 personne sur 10) rapportés chez des nourrissons (âgés de 1 à 6 mois) sont :

- Hypersensibilité (irritabilité, agitation, vomissements, urticaire, eczéma, démangeaisons, pâleur et hypersensibilité médicamenteuse), réactions allergiques sévères (réactions anaphylactiques)
- Gonflement des paupières
- Fréquence cardiaque rapide
- Difficulté à respirer
- Diarrhée, vomissements
- Éruption cutanée, éruption cutanée en relief
- Fièvre
- Diminution du taux d'oxygène dans le sang, pression artérielle augmentée, respiration rapide, développement de protéines dans le sang

Les effets indésirables très fréquents (pouvant affecter au moins 1 personne sur 10) rapportés chez des enfants et adolescents (âgés de 4 à 18 ans) et des adultes sont :

- Sensations vertigineuses
- Maux d'estomac, diarrhée
- Fatigue, fièvre

Les effets indésirables fréquents (pouvant affecter jusqu'à 1 personne sur 10) signalés chez des enfants et adolescents (âgés de 4 à 18 ans) et des adultes sont :

- Réaction allergique sévère (réaction anaphylactique), hypersensibilité (frissons, eczéma, oedème laryngé, nausées, démangeaisons et urticaire)
- Fréquence cardiaque rapide
- Rougeur cutanée, pression artérielle basse
- Difficulté respiratoire
- Ballonnement de l'estomac
- Éruption cutanée, peau rouge et gonflée
- Gêne thoracique, réaction au site de perfusion

La fréquence, le type et la sévérité des réactions indésirables sont similaires chez l'enfant et l'adulte.

Si tu as des questions sur les effets secondaires possibles du médicament ou sur les procédures effectuées au cours de ce programme, parles-en à ton médecin.

NOTIFICATION DE NOUVELLES INFORMATIONS

De nouvelles informations importantes sur la sebelipase alfa peuvent devenir disponibles au cours de ce programme. Tu en seras informé. Si le programme change, tu devras peut-être signer un nouveau formulaire de consentement si tu souhaites continuer à participer au programme.

Contact

Si tu as besoin d'informations complémentaires, mais aussi en cas de problèmes ou si tu es inquiet, tu peux contacter ton médecin traitant. Les coordonnées se trouvent à la page 1 du présent formulaire de consentement.

En dehors des heures de consultation, tu dois te présenter aux urgences de ton hôpital et mentionner que tu participes à ce programme. Tondossier contiendra des informations utiles pour le médecin de garde concernant le programme.

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H

II. Consentement éclairé pour les adolescents (âgés de 12 à 18 ans) en plus du consentement des parents ou du tuteur

Partie réservée pour le patient :

Par la présente, je soussigné (nom et prénom) _____

- ✓ Que j'ai été pleinement informé du programme
- ✓ Que je comprends les avantages et les risques
- ✓ Que j'ai pu poser toutes les questions et qu'elles ont été clairement répondues
- ✓ Que je comprends que certaines informations sont collectées à mon sujet (voir Partie III)
- ✓ Que je participe volontairement à ce programme et que je peux m'arrêter à tout moment si je le souhaite

Signature du patient :_____

Datum: _____

Partie réservée au médecin :

*Je soussigné,*_____ (nom et prénom du médecin)

_____ (Numéro INAMI) confirme par la présente que mon patient (nom du patient (e) dans son intégralité)

_____ est informé et qu'il/elle a donné son consentement pour participer à ce programme.

Signature du médecin: _____ Date: _____

Partie réservée pour le témoin/interprète (si applicable)

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

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

Titre du programme:	Programme de besoin médical avec sebelipase alpha (Kanuma®) pour le traitement des patients atteints de déficit en lipase acide lysosomale (LAL-D)
Initiateur du programme SPONSOR	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Comité d'éthique	Comité d'éthique de la recherche UZ/KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 – jours ouvrables de 10H à 11H

III. Information Complémentaires

Informations complémentaires sur la protection et les droits des parties d'un programme d'urgence médical

Comité d'éthique
Ce programme a été évalué par un comité d'éthique indépendant, le comité d'éthique de l'université de Louvain (UZ Leuven/KU Leuven), qui a émis un avis favorable.
En aucun cas, tu dois considérer l'avis positif du Comité d'éthique comme une incitation à participer à ce programme.

Participation volontaire
N'hésite pas à poser des questions avant de signer. Prends le temps d'en parler avec une personne de confiance si tu le souhaites.
Ta participation à ce programme est volontaire et il ne peut y avoir aucune contrainte de quelque manière que ce soit. Cela signifie que tu as le droit de ne pas participer à ce programme ou d'arrêter ce programme sans donner de raison, même si tu as déjà accepté de participer à ce programme. Ta décision n'affectera en aucun cas ta relation avec ton médecin, ni la qualité de tes soins.

Frais liés à ta participation
Alexion met gratuitement à disposition Kanuma® (Sebelipase alpha) tant que tu participes à ce programme.
Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s'avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.
Tu ne recevras aucune compensation financière pour ta participation à ce programme.

Garantie de confidentialité
Ta participation à ce programme signifie que tu acceptes que le médecin collecte des informations te concernant. Certaines informations concernant les effets indésirables que tu as signalés à ton médecin au cours de ta participation à ce programme seront transmises au sponsor (Alexion).

- Tes informations médicales à partir desquelles ton identité peut être établie ("dossier patient")

  Ces données concernent ta situation clinique actuelle mais aussi une partie de tes antécédents, les résultats des examens effectués dans le casdre de ton suivit standard et, bien sûr, les résultats des examens prescrits par le programme. Tu as le droit de demander au médecin quelles données il a recueilli sur toi et à quelles fins elles sont utilisées dans le cadre de ce programme.

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

- Tes données pseudominisées (données du programme)

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

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

Ton médecin est obligé de traiter ces données collectées de manière confidentielle. Pour protéger ton anonymat, chaque fois que tes données sont transferées au sponsor, ton identité sera remplacée par ton code d'identification dans ce programme. Les données personnelles transférées n'incluent pas une combinaison d'éléments permettant de t'identifier. Le médecin et son équipe seront donc les seules personnes pouvant faire le lien entre les données transférées au cours de ce programme et ton dossier médical.

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

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

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

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

Tu peux discuter de ces renseignements en toute confidentialité avec ton médecin de famille ou avec des membres de ta famille ou des amis au cours de discussions sur le système des soins de santé ou pour t'aider à décider de participer ou non à ce programme.

- Tes droits

Tu as le droit de demander au médecin quelles données il a fourni au sponsor et à quelles fins elles sont utilisées dans le cadre de ce programme. Tu as le droit d'accéder à ces données et de les faire corriger si elles sont incorrectes[1].

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

Contacte ton médecin si tu as des questions concernant le traitement de tes données personnelles ou une demande d'accès à tes données personnelles.

Selon le RGPD, tu disposes de plusieurs droits relatifs au traitement de tes données. Si tu as d'autres questions à ce sujet, tu peux toujours t'adresser au médecin de l'étude.

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

Enfin, tu as également le droit d'introduire une plainte sur la manière dont tes informations sont traitées. Tu peux le faire auprès de l'instance belge de contrôle qui est responsable du respect de la législation relative à la protection des données :

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

Protection de la vie privée

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

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

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch noodprogramma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur
Behandelende arts	*Naam:*……..…….. *Adres van het ziekenhuis:*……..…… ……..…… .....……..……..…… *Contactnummer:* ……..…….. *Noodnummer:* ……..…….. *Contactnummer in geval van vragen in verband met dit programma:* ……..……..…… *Contactgegevens verantwoordelijke/dienst voor gegevensbescherming van het ziekenhuis:* .....…….....

Dit document bestaat uit 3 delen: de noodzakelijke informatie (I) die u nodig heeft voor het nemen van uw beslissing, uw schriftelijke geïnformeerde toestemming (II) en aanvullende informatie (III).

I. Noodzakelijke informatie voor uw beslissing om deel te nemen (6 pagina's) aan het medisch noodprogramma Sebelipase alfa.

INLEIDING

Uw kind wordt uitgenodigd om deel te nemen aan dit programma, dat uw kind de mogelijkheid biedt - de behandeling met sebelipase alfa (Kanuma®), een geneesmiddel voor de behandeling van de ziekte lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D) te ontvangen. Sebelipase alfa (Kanuma®) is nog niet terugbetaald in Belgie.

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

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

ALS UW KIND AAN DIT PROGRAMMA DEELNEEMT, MOET U HET VOLGENDE WETEN:

- Dit programma wordt uitgevoerd na evaluatie en goedkeuring door een ethisch comité en het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) alsook het - Global Access to Medical Product (GATM) comité van Alexion (een intern comité bij de opdrachtgever die intern programma's als dit evalueert).
- Uw beslissing over al dan niet deelnemen aan dit programma is geheel vrijwillig. Voor deelname van uw kind is uw ondertekende toestemming nodig. De medische zorg van uw kind zal niet beïnvloed worden als u beslist uw kind niet te laten deelnemen.
- U heeft ook het recht om op gelijk welk moment de deelname van uw kind stop te zetten. Uw beslissing om de deelname te stoppen, zal geen enkele invloed hebben op uw kind's verdere behandeling. Gelieve de arts tijdig op de hoogte te stellen (maw voordat u zich terugtrekt uit dit programma). Men kan u vragen terug te keren

naar het ziekenhuis voor tests. De veiligheidsgegevens die voorafgaand aan de terugtrekking verzameld werden, kunnen nog steeds gebruikt worden

- Indien u extra informatie wenst, kan u altijd contact opnemen met de arts of een medewerker van zijn/haar team.

DOELSTELLING EN BESCHRIJVING VAN HET PROGRAMMA

Uw kind wordt gevraagd om deel te nemen aan een medisch noodprogramma dat uw kind toegang zal verlenen tot een behandeling omdat uw kind lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D) heeft en baat zouden hebben bij een verdere behandeling met sebelipase alfa (Kanuma®). LAL-D is een ziekte die wordt gekenmerkt door een genetisch defect, wat leidt tot een duidelijke afname of verlies van werking van het lysosomale zure lipase (LAL)-enzym. Hierdoor ontstaat lysosomale stapeling van cholesterylesters en triglyceriden.
In de lever leidt deze stapeling tot hepatomegalie; toegenomen vetgehalte in de lever; verhoging van transaminasen, wat duidt op een chronisch leverletsel, en progressie tot fibrose, cirrose; Lipidenstapeling in de darmwand leidt tot malabsorptie en groeifalen. Dyslipidemie komt vaak voor met verhoogde LDL en triglyceriden en lage HDL, gepaard gaand met een verhoogd vetgehalte in de lever en verhoogde transaminase. Behalve een leveraandoening lopen patiënten met LAL-deficiëntie een verhoogd risico op een cardiovasculaire aandoening en versnelde atherosclerose (slagaderziekte)

Sebelipase alfa (Kanuma®) vervangt het enzym, dat ontbreekt bij patiënten met LAL-D, dat helpt bij het afbreken van vetten in het lichaam zodat deze niet geaccumuleerd worden in het lichaam.

Sebelipase alfa (Kanuma®) werd in augustus 2015 goedgekeurd door het Europese Agentschap voor Medicijnen (EMA) maar is, op dit moment, commercieel nog niet beschikbaar op de belgische markt.
Uw kind zal sebelipase alfa (Kanuma®)krijgen in het kader van een medisch noodprogramma en wordt geleverd door Alexion.

WAT IS EEN “MEDISCH NOODPROGRAMMA”?

Het doel van een medisch noodprogramma is een geneesmiddel dat nog niet beschikbaar is op de markt om een specifieke ziekte te behandelen, beschikbaar te maken voor één of meer patiënten die lijden aan een chronische of ernstige ziekte en die onvoldoende kunnen behandeld worden met de huidige beschikbare behandelingsopties.

De arts van uw kind heeft goedkeuring van Alexion en van de Ethische Commissie gekregen en voldoet ook aan alle wettelijke eisen die nodig zijn om uw kind te kunnen behandelen met sebelipase alfa in het kader van dit programma.
Sebelipase alfa (Kanuma®) zal gratis geleverd worden -via het Alexion GATM programma - op individuele basis tot het terugbetaald wordt in België voor de behandeling van LAL-D of totdat de behandelende arts beslist om de behandeling van uw kind met sebelipase alfa te stoppen. Het programma kan ook stop gezet worden door Alexion.

BEËINDIGING VAN HET PROGRAMMA:

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, 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.Het is ook mogelijk dat de arts de deelname aan het programma stopzet omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor uw gezondheid.
Het kan eveneens gebeuren dat het ethisch comité of de bevoegde autoriteiten die aanvankelijk goedkeuring hadden gegeven voor het programma het programma stopzet.
Het programma kan ook door Alexion stopgezet worden. In geval van definitieve terugtrekking of afwijzing van de terugbetalingsaanvraag kan het medische noodprogramma afgesloten worden.

Het programma wordt in ieder geval gestopt wanneer sebelipase alpha (Kanuma®) terugbetaald wordt in België.

WAT ALS MIJN KIND DEELNEEMT?

Als u beslist tot deelname van uw kind, zal men u vragen om het formulier voor geïnformeerde toestemming te ondertekenen. U ontvangt een ondertekende kopie van dit formulier om te bewaren.

Vrijwillige deelname en intrekking van uw toestemming
Uw beslissing om uw kind te laten deelnemen is geheel vrijwillig. Zelfs als u besluit om met de behandeling te starten, bent u vrij om op eender welk moment de behandeling van uw kind te stoppen. U hoeft hiervoor geen reden te geven. Uw beslissing om de behandeling te stoppen wordt “intrekking van toestemming” genoemd. Gelieve deze beslissing aan uw arts te laten weten. Uw beslissing om deze behandeling te stoppen zal de relatie met uw arts niet beïnvloeden.
Ook uw arts kan beslissen om uw behandeling stop te zetten als hij/zij denkt dat u daar baat bij heeft of als u de gegeven richtlijnen voor deelname aan dit medisch noodprogramma niet opvolgt.

PROGRAMMAOVERZICHT:

Als u beslist om uw kind te laten deelnemen, zal uw kind eerst een screeningproces ondergaan om te bepalen of uw kind in aanmerking komt voor het programma. Als uw kind na het screeningproces geschikt geacht wordt voor het programma, zal uw kind in het programma worden ingeschreven en zal de behandeling beginnen.
Tijdens zijn/haar deelname aan dit medisch noodprogramma wordt uw kind van dichtbij opgevolgd door de behandelde arts en het medisch personeel. De start en het verloop van de behandeling vallen volledig onder de verantwoordelijkheid van de behandelde arts.

Aanvraag tot verlenging van de medicatie dient te gebeuren in overeenstemming met de GATM procedure.

TOEDIENING SEBELIPASE ALFA:

Uw arts of verpleegkundige zal uw kind Kanuma® geven via een infusie in een ader. Het geneesmiddel moet worden verdund voordat uw kind het toegediend krijgt.

Behandeling met Kanuma® moet onder toezicht staan van een beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg die ervaring heeft met de behandeling van patiënten met LAL-deficiëntie, andere metabole stoornissen of chronische leveraandoeningen. Kanuma® moet worden toegediend door een opgeleide beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg die medische noodgevallen kan behandelen.

De dosis die uw kind krijgt, is gebaseerd op het lichaamsgewicht van uw kind.

Zuigelingen (< 6 maanden oud) : Voor patiënten die tekenen en symptomen hebben van de ziekte wanneer ze een zuigeling zijn, is de aanbevolen startdosering 1 mg/kg eenmaal per week. Dosisaanpassingen kunnen worden overwogen op basis van hoe goed uw kind op de behandeling reageert.

Kinderen en volwassenen : De aanbevolen dosering is 1 mg per kg lichaamsgewicht eenmaal per twee weken via een druppelinfuus in een ader.

Elke infusie duurt ongeveer 1 tot 2 uur. Het is mogelijk dat uw arts of verpleegkundige uw kind gedurende nog een uur na de infusie opvolgt. Kanuma® moet op een zo jong mogelijke leeftijd worden gestart en is bedoeld voor langdurig gebruik.

ALGEMENE RISICO'S EN ONGEMAKKEN

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. Het is mogelijk dat tijdens dit programma de volgende bijwerkingen zich voordoen.
Bijwerkingen zijn waargenomen terwijl patiënten het geneesmiddel toegediend kregen of kort erna (reacties op de infusie). De ernstigste bijwerkingen kunnen bestaan uit een allergische reactie met symptomen, waaronder ademhalingsproblemen, snelle ademhaling, snelle hartslag, ongemakkelijk gevoel op de borstkas, milde zwelling van de oogleden, rode ogen, loopneus, opvlieger, netelroos, jeuk, diarree, bleekheid, piepende ademhaling, minder zuurstof in het bloed, rode huid en prikkelbaarheid.
Als uw kind een dergelijke symptomen heeft, neem dan onmiddellijk contact op met een arts. Als uw kind een reactie op de infusie heeft, is het mogelijk dat uw kind bijkomende geneesmiddelen krijgt om latere reacties te behandelen of helpen te voorkomen. Als de reactie op de infusie ernstig is, is het mogelijk dat uw arts de infusie met KANUMA in de ader stopzet en een geschikte medische behandeling begint.

Zeer vaak voorkomende (komen voor bij meer dan 1 op de 10 personen) bijwerkingen gemeld bij zuigelingen (1 tot 6 maanden oud) zijn:

- Overgevoeligheid (prikkelbaarheid, opgewondenheid, braken, netelroos, eczeem, jeuk, bleekheid en overgevoeligheid voor het geneesmiddel), ernstige allergische reacties (anafylactische reacties)

- Zwelling van de oogleden
- Snelle hartslag
- Ademhalingsproblemen
- Diarree, braken
- Huiduitslag, huiduitslag met zwelling
- Koorts
- Minder zuurstof in het bloed, hoge bloeddruk, snelle ademhaling, ontstaan van bloedeiwitten

Zeer vaak voorkomende (komen voor bij 1 op de 10 personen of meer) bijwerkingen gemeld bij kinderen en jongeren (4 tot 18 jaar oud) en volwassenen zijn:

- Duizeligheid
- Buikpijn, diarree
- Vermoeidheid, koorts

Vaak voorkomende (komen voor bij niet meer dan 1 op de 10 personen) bijwerkingen gemeld bij kinderen en jongeren (4 tot 18 jaar oud) en volwassenen zijn:

- Ernstige allergische reactie (anafylactische reactie), overgevoeligheid (koude rillingen, eczeem, gezwollen keel, misselijkheid, jeuk en netelroos)
- Snelle hartslag
- Rode huid, lage bloeddruk
- Kortademigheid
- Opgeblazen buik
- Huiduitslag, rode gezwollen huid
- Ongemakkelijk gevoel op de borstkas, reactie op de plaats van de infusie

Frequentie, type en ernst van bijwerkingen bij kinderen zijn vergelijkbaar met die bij volwassenen.

Melding van nieuwe informatie

In sommige gevallen kan het zijn dat er nieuwe informatie beschikbaar is over het geneesmiddel dat u krijgt. Als dit gebeurt, zal uw arts u inlichten en met u bespreken of u de behandeling wenst verder te zetten. Sebelipase alpha (Kanuma®) is onderhevig aan additionele monitoring door het EMA.

- Als u beslist om de behandeling verder te zetten, zal u gevraagd worden om een nieuwe, aangepaste versie van dit toestemmingsformulier te ondertekenen.
- Als u beslist om de behandeling stop te zetten, zal uw arts er voor zorgen dat u verder wordt behandeld op de best mogelijke manier; dit zal de relatie met uw arts/oncoloog niet beïnvloeden.

Bovendien zou uw arts kunnen bepalen, gebaseerd op de nieuwe informatie, dat het beter is voor u om de behandeling te stoppen. Als dit gebeurt, zal hij/zij de redenen hiervoor aan u uitleggen en er voor zorgen dat u verder wordt behandeld op de best mogelijke manier.
Indien er nieuwe informatie beschikbaar is, kunnen Alexion, de regelgevende instanties of de ethische commissie ook beslissen om dit medisch noodprogramma stop te zetten.

Kosten geassocieerd met uw deelname

Alexion biedt Sebelipase alpha (Kanuma®) gratis aan gedurende de looptijd van dit medisch noodprogramma. Alle andere procedures, testen en medicatie die mogelijks noodzakelijk zijn voor dit programma zijn onderhevig aan de huidige terugbetalingscriteria.

U zal geen financiële compensatie ontvangen voor uw deelname aan dit programma.

Evaluatie door de ethische commissie

Dit programma is geëvalueerd door een onafhankelijke ethische commissie en door het federale agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG) om ervoor te zorgen dat de deelnemers aan dit programma beschermd worden tegen schade.

De evaluatie door de onafhankelijk ethische commissie en de goedkeuring door het FAGG mogen in geen enkel geval dienen als motivatie om deel te nemen aan dit medisch noodprogramma.

Contact

Als u bijkomende informatie wenst, maar ook ingeval van problemen of als u zich zorgen maakt, kan u contact opnemen met uw behandelende arts. Contactgegevens vindt u op pagina 1 van dit toestemmingsformulier.

Buiten de consultatie-uren moet u zich aanmelden op de spoedafdeling van uw ziekenhuis en vermelden dat u deelneemt aan dit programma. Uw dossier zal nuttige informatie bevatten voor de dienstdoende arts met betrekking tot het programma.
Uw dossier zal nuttige informatie bevatten voor de dienstdoende arts met betrekking tot het programma.

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch nood programma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

II. Geïnformeerde toestemming

Deel enkel bestemd voor de wettelijke vertegenwoordig(st)er* van de patiënt:

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

- ✓ Dat ik ben ingelicht over het Medisch Nood Programma met sebelipase alfa voor de behandeling van patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D).
- ✓ Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over de aard, het doel, de duur, de eventuele voordelen en risico's van de het programma en dat ik weet wat van mij en mijn kind wordt verwacht. Ik heb kennis genomen van het informatiedocument (*Deel I van dit document*) en de aanvullende informatie (*Deel III van dit document*)
- ✓ Ik heb voldoende tijd gehad om na te denken en om te praten met een door mij gekozen persoon, zoals mijn huisarts of een familielid.
- ✓ Ik heb alle vragen kunnen stellen die bij me opkwamen en ik heb een duidelijk antwoord gekregen op mijn vragen.
- ✓ Ik begrijp dat de deelname aan dit programma vrijwillig is en dat ik vrij ben deelname aan dit programma stop te zetten zonder dat dit de relatie schaadt met het therapeutisch team dat instaat voor de gezondheid van mijn kind.
- ✓ Ik begrijp dat er tijdens deelname aan dit programma gegevens over mijn kind zullen worden verzameld en dat de arts en de opdrachtgever de vertrouwelijkheid van deze gegevens verzekeren.
- ✓ Ik stem in met de verwerking van deze persoonlijke gegevens volgens de modaliteiten die zijn beschreven in de rubriek over het verzekeren van de vertrouwelijkheid *(Deel III van dit document).* Ik geef ook toestemming voor de overdracht naar en verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.
- ✓ Ik aanvaard dat de opdrachtgever, de arts en zijn/haar team, evenals andere personen, toegang hebben tot de medische gegevens en persoonlijke informatie van mijn kind, zoals beschreven in dit informatieformulier.
- ✓ Met de ondertekening van dit document geef ik de toestemming dat de persoonlijke gegevens van mijn kind worden gebruikt in overeenstemming met de Belgische wetgeving en het advies 24/2014 van 2 april 2014 betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.
- ✓ Ik ga ermee akkoord dat de huisarts en andere specialisten die voor de gezondheid van mijn kind instaan op de hoogte worden gesteld van de deelname van mijn kind aan dit programma ***(gelieve deze zin te schrappen indien u niet akkoord gaat).***
- ✓ Ik heb een exemplaar ontvangen van dit document (Deel I, II en II).

Handtekening wettelijk vertegenwoordig(st)er :_____

Datum: _____

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

Datum: _____

***Wettelijke Vertegenwoordiger**
"Bij de minderjarige (< 18 jaar) wordt het recht toe te stemmen tot een deelname aan een experiment uitgeoefend door zijn ouders die het wettelijke gezag over de minderjarige uitoefenen, of, zo die er niet zijn, door de voogd van de minderjarige; de minderjarige wordt betrokken bij de uitoefening van het bewuste recht, rekening houdend met zijn leeftijd en zijn graad van maturiteit. Daartoe ontvangt de minderjarige, voorafgaand aan het experiment, van pedagogisch gekwalificeerd personeel de informatie die is aangepast aan zijn begripsvermogen. De uitdrukkelijke wil van de minderjarige wordt eveneens onderzocht en nageleefd door de onderzoeker, in de mate waarin de minderjarige in staat is zich een oordeel te vormen en de informatie te evalueren wat betreft zijn deelname aan het experiment, zijn weigering eraan deel te nemen, of zijn wens zich terug te trekken. Deze toestemming moet de veronderstelde wil van de minderjarige uitdrukken en kan op elk moment worden ingetrokken zonder dat de minderjarige daardoor enig nadeel ondervindt;" **Bron: Wet van 7 mei 2004 inzake experimenten op de menselijke persoon (Artikel 7).**
"Bij de meerderjarige (≥ 18 jaar) die onder het statuut van verlengde minderjarigheid valt, of onbekwaam is verklaard, wordt het recht toe te stemmen tot een deelname aan een experiment uitgeoefend door zijn ouders of voogd. Bij de meerderjarige [die onbekwaam is toestemming te verlenen voor deelname aan experimenten en] die niet valt onder de bepalingen van vorige lid, wordt het recht om toe te stemmen tot deelname aan een experiment uitgeoefend door een vertegenwoordiger die voorafgaand door betrokkene via een bijzondere schriftelijke volmacht gedateerd en ondertekend door beide partijen, is aangewezen. Zonder dergelijke volmacht wordt het recht toe te stemmen tot deelname aan een experiment uitgeoefend door de samenwonende echtgenoot, de wettelijke samenwonende partner of de feitelijk samenwonende partner. Indien die er niet zijn, wordt het recht toe te stemmen tot deelname aan een experiment in dalende volgorde uitgeoefend door een meerderjarig kind, een ouder, een meerderjarige broer of zus van de betrokkene. In het geval van onenigheid tussen meerderjarige broers of zussen, wordt ervan uitgegaan dat de toestemming niet gegeven is;" **Bron: Wet van 7 mei 2004 inzake experimenten op de menselijke persoon (Artikel 8).**

Deel enkel bestemd voor de arts :

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

Handtekening arts: _____ Datum: _____

Deel enkel bestemd voor de Getuige / Tolk (indien van toepassing)

Ik, ondergetekende, _____ (naam en voornaam) met kwalificatie _____ bevestig hierbij dat ik tijdens het volledige proces van informatieverstrekking aan de wettelijke vertegenwoordiger (naam & voornaam) _____ aanwezig ben geweest en ik bevestig dat de informatie over de doelstellingen en procedures van het programma op adequate wijze is verstrekt, dat de wettelijke vertegenwoordiger het programma naar alle waarschijnlijkheid heeft begrepen en dat de toestemming tot deelname aan het programma uit vrije wil is gegeven.

Handtekening getuige / tolk : _____ Datum: _____

Titel van het programma:	Behandeling met sebelipase alfa in het kader van het medisch noodprogramma voor patiënten met lysosomale zure lipase deficiëntie (LAL-D)
Opdrachtgever van het programma	Alexion Pharma Belgium, Square de Meeûs 37, 1000 Brussel
Ethisch comité	Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven Herestraat 49, 3000 Leuven e-mail : ec@uzleuven.be Tel +32 16 34 86 00 - werkdagen van 10 tot 11 uur

III. Aanvullende informatie

<u>Bijlage 1</u>: Aanvullende informatie over de bescherming en de rechten van deelnemers aan een medisch noodprogramma

Ethisch comité
Dit programma werd geëvalueerd door een onafhankelijk Ethisch Comité, nl. Ethische commissie onderzoek UZ / KU Leuven, dat een gunstig advies heeft uitgebracht. Het ethische comité heeft als taak de personen die aan programma's deelnemen te beschermen. Ze controleren of uw rechten als patiënt en als deelnemer aan een programma gerespecteerd worden, of - uitgaande van de huidige kennis - de balans tussen risico's en voordelen gunstig is voor de deelnemers, of het programma wetenschappelijk relevant en ethisch verantwoord is.
U dient het positief advies van het Ethische Comité in geen geval te beschouwen als een aansporing om deel te nemen aan dit programma.

Vrijwillige deelname
Aarzel niet om alle vragen te stellen die bij u opkomen voordat u tekent. Neem de tijd om er over te praten met een vertrouwenspersoon indien u dat wenst.
Deelname aan dit programma is vrijwillig en er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Dit betekent dat u het recht heeft om niet deel te nemen aan dit programma of om met dit programma te stoppen, zonder dat u hiervoor een reden hoeft te geven, zelfs al hebt u eerder toegestemd om aan dit programma deel te nemen. Uw beslissing zal in geen geval de relatie met de behandelende arts van uw kind beïnvloeden, noch de kwaliteit van de verdere verzorging van uw kind.
Voor de veiligheid van uw kind is het wel aanbevolen om uw arts op de hoogte te stellen indien u beslist om deelname aan dit programma stop te zetten.
Indien u aanvaardt om aan dit programma deel te nemen, moet u de geïnformeerde toestemming (*Deel II van dit document*) ondertekenen.
De behandelende arts zal dit formulier ook ondertekenen en zal zo bevestigen dat hij/zij u de noodzakelijke informatie over dit programma heeft gegeven. U zal het voor u bestemde exemplaar ontvangen.

Kosten in verband met uw deelname
De opdrachtgever stelt Kanuma® (sebelipase alfa) gratis ter beschikking zolang uw kind deelneemt aan dit programma.
U en uw ziekteverzekering zullen verder de kosten blijven dragen van onderzoeken, procedures en andere geneesmiddelen die deel uitmaken van uw standaard medische verzorging.
Er zal geen vergoeding worden toegekend door de opdrachtgever in geval van een eventueel letsel of kosten als gevolg van deelname aan het programma.

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

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

  Deze gegevens hebben betrekking op uw huidige klinische situatie maar ook op een deel van uw achtergrond, de resultaten van onderzoeken die werden uitgevoerd voor de behandeling van uw gezondheid volgens de geldende zorgstandaard en uiteraard de resultaten van onderzoeken zoals voorgeschreven door het protocol. U hebt het recht om aan de arts-onderzoeker te vragen welke gegevens hij/zij over u heeft verzameld en waarvoor ze worden gebruikt in het kader van dit programma.

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

- Uw gepseudonimiseerde gegevens (gegevens voor het programma)

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

  U heeft het recht om aan de arts te vragen welke gegevens hij/zij overgemaakt heeft aan de opdrachtgever en waarvoor ze gebruikt worden in het kader van dit programma. U hebt het recht om deze gegevens in te kijken en om verbeteringen te laten aanbrengen indien ze foutief zouden zijn.
  Uw arts is verplicht om deze verzamelde gegevens vertrouwelijk te behandelen. Om uw anonimiteit te beschermen zal, bij elke overdracht van uw gegevens aan de opdrachtgever, uw identiteit worden vervangen met uw identificatiecode van dit programma. De overgedragen persoonlijke gegevens omvatten geen combinatie van elementen waarmee het mogelijk is u te identificeren. De arts-onderzoeker en zijn/haar team zullen daarom de enige personen zijn die een verband kunnen leggen tussen de gegevens die gedurende dit programma worden overgedragen en uw medisch dossier.
  Uw naam zal ook nooit worden genoemd in het kader van een publicatie of een conferentie.

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

  Ze kunnen ook worden doorgegeven aan andere centra van de opdrachtgever in België en in andere landen waar de normen inzake de bescherming van persoonsgegevens verschillend of minder strikt kunnen zijn. Dit gebeurt dan steeds in gecodeerde vorm zoals hierboven uitgelegd
  Alle informatie met betrekking tot dit programma is vertrouwelijk. Deze informatie is eigendom van de opdrachtgever. We vragen dat u deze informatie niet vrijgeeft. U kan deze informatie in vertrouwen bespreken met uw huisarts of met familieleden of vrienden tijdens gesprekken over uw gezondheidszorg of om u te helpen bij uw beslissing om al dan niet aan dit programma deel te nemen.

- Uw rechten

  U heeft het recht om aan de arts te vragen welke gegevens hij/zij overgemaakt heeft aan de opdrachtgever en waarvoor ze gebruikt worden in het kader van dit programma. U hebt het recht om deze gegevens in te kijken en om verbeteringen te laten aanbrengen indien ze foutief zouden zijn[1].

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

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

  Volgens de AVG hebt u een aantal rechten rond de verwerking van uw gegevens. Indien u hierover verdere vragen hebt, kan u hiervoor steeds terecht bij uw arts-onderzoeker.
  Ook de functionaris voor gegevensbescherming van het onderzoekcentrum, staat ter uwer beschikking. Op pagina 1 van dit document vindt u zijn/haar contactgegevens.
  Tot slot heeft u ook het recht om een klacht in te dienen over hoe uw informatie wordt behandeld. Dit kan u doen bij de Belgische toezichthoudende instantie die verantwoordelijk is voor het handhaven van de wetgeving rond gegevensbescherming:

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

Bescherming van de persoonlijke levenssfeer

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

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