

Product Name	Jakavi
Active substance	INCB018424/INC424/Ruxolitinib phosphate
Indication and conditions of use	<p>Medical Need Program with ruxolitinib for the treatment of Corticosteroid-refractory chronic graft vs. host disease after allogeneic stem cell transplantation, for pediatric patients &lt;12 years old who cannot be adequately treated with commercially available alternatives.</p> <p>Ruxolitinib will be administered orally at a dose of 5 mg twice per day (Ruxolitinib will be provided as 5mg or 10mg tablets). Ruxolitinib should be taken at the same time each day, approximately 12 hours apart (morning and night) without regards to food. Tablets should be swallowed whole, and not crushed or chewed.</p> <p>For patients who do not tolerate this dosing, dose interruptions and/or reductions are recommended in order to allow patients to continue the study treatment.</p>
Conditions, delays and further rules for participation of patients	<p><b>Inclusion criteria:</b></p> <p>Patients eligible for inclusion in this program must meet all of the following criteria:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Pediatric patients less than 12 years old</li> <li>2. Written informed consent, according to local guidelines, signed by the patients and / or by the parents or legal guardian prior to treatment.</li> <li>3. Able to swallow tablets</li> <li>4. Have undergone alloSCT from any donor source (matched unrelated donor, sibling, haploidentical) using bone marrow, peripheral blood stem cells, or cord blood. Recipients of non-myeloablative, myeloablative, and reduced intensity conditioning are eligible</li> <li>5. Evident myeloid and platelet engraftment: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Absolute neutrophil count (ANC) &gt; 1000/mm<sup>3</sup></li> </ul> <p style="text-align: center;">AND</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• platelet count &gt; 25,000/ mm<sup>3</sup></li> </ul> </li> <li>6. Clinically diagnosed cGvHD staging of moderate to severe according to NIH Consensus Criteria (Jagasia 2015) prior to treatment: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Moderate cGvHD: At least one organ (not lung) with a score of 2, 3 or more organs involved with a score of 1 in each organ, or lung score of 1</li> <li>• Severe cGvHD: at least 1 organ with a score of 3, or lung score of 2 or 3</li> </ul> </li> <li>7. Confirmed diagnosis of <b>corticosteroid refractory cGvHD defined</b> per 2014 NIH consensus criteria (Martin 2015) irrespective of the concomitant use of a calcineurin inhibitor, as follows: <ul style="list-style-type: none"> <li>• A lack of response or disease progression after administration of</li> </ul> </li> </ol>

	<p>minimum prednisone 1 mg/kg/day for at least 1 week          OR</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Disease persistence without improvement despite continued treatment with prednisone at &gt;0.5 mg/kg/day or 1 mg/kg/every other day for at least 4 weeks</li> </ul> <p>OR</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Increase to prednisolone dose to &gt;0.25 mg/kg/day after two unsuccessful attempts to taper the dose</li> </ul> <p>-</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>8. The patient is not eligible for a clinical trial running with ruxolitinib and/or a clinical trial running in GvHD.</li> <li>9. The patient cannot be satisfactorily treated with the approved and commercially available alternative treatments, in accordance with clinical guidelines, because of efficacy and/or safety issues.</li> <li>10. The patient is in immediate risk of dying or for whom the risk of non-treatment is higher than the inherent risks of the treatment with ruxolitinib</li> </ol> <p><b>Exclusion criteria:</b></p> <p>Patients eligible for this program must not meet any of the following criteria at Screening:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Any concurrent severe and/or uncontrolled medical conditions which, in the opinion of the physician, could pose a significant risk to the subject</li> <li>2. Presence of severely impaired renal function defined by serum creatinine &gt; 2 mg/dL (&gt;176.8µmol/L), renal dialysis requirement, or have estimated creatinine clearance &lt;30 ml/min measured or calculated by Cockcroft Gault equation (confirmed within 48 hours prior to treatment start).</li> <li>3. Patient is receiving treatment with medications that interfere with coagulation or platelet function including, but not limited to, heparin, or warfarin sodium (Coumadin®). Use of low molecular weight heparin is allowed. In patients in whom aspirin is indicated for secondary cardiovascular disease prevention, aspirin daily dose must not exceed 150 mg/day.</li> <li>4. Patient is receiving fluconazole at daily doses higher than 200 mg.</li> <li>5. Known allergies, hypersensitivity, or intolerance to ruxolitinib or any of its excipients</li> </ol> <p>The requesting physician must introduce an unsolicited request to Novartis for every patient he wishes to include in the program and complete the declaration form. The physician must also sign the protocol signature page. The patient's parents/legal representative have/has to give his/her consent by signing the informed consent form. The responsible physician of the medical department of Novartis Belgium checks the completeness and feasibility of the application and gives a reasoned advice about the eligibility of the patient for this treatment and inclusion in this program. The product</p>
--	---

	<p>will only be made available when the responsible physician of Novartis Belgium gives a positive advice about the admissibility of the patient in the program.</p> <p>Total duration between the request and delivery of the medication will be approximately 5 working days.</p>
Duration of the program	<p>Ruxolitinib will be provided free of charge by Novartis Pharma on an individual patient basis following the criteria stated in this program from the set-up of the medical need program until the product will be commercially available in Belgium in the envisaged indication or until, in the clinical judgement of the treating physician, the patient is no longer benefiting from continuation of the treatment, whichever is sooner.</p> <p>Novartis Pharma can end this program at any time. Inclusion in this program will end when drug reimbursement is obtained or when Novartis Pharma decides to discontinue this program in case of reimbursement refusal for this indication or in the light of newly emerged scientific data. Patients who are included in this program until that time and do not meet reimbursement criteria or in case when drug reimbursement is not obtained will be further treated with ruxolitinib according to the protocol and the regulatory environment. The treating physician can also decide according to his clinical judgment to discontinue treatment if the patient is no longer benefiting from continuation of the treatment. The patient can also decide at any time to end his participation.</p>
Conditions of distribution	<p>The requesting physician must introduce an unsolicited request to Novartis for every patient he wishes to include in the program and complete the declaration form. The physician must also sign the protocol signature page. The patient has to give his/her consent by signing the informed consent form.</p> <p>The responsible physician of the medical department of Novartis Belgium checks the completeness and feasibility of the application and gives a reasoned advice about the eligibility of the patient for this treatment and inclusion in this program. The product will only be made available when the responsible physician of Novartis Belgium gives a positive advice about the admissibility of the patient in the program.</p> <p>Total duration between the request and delivery of the medication to the hospital pharmacy will be approximately 5 working days.</p>
Responsible of the program	<p><b>Responsible physician for this program</b>          Novartis Innovative Medicines          Dr. Sandra Amaral, MD          Medical Director Novartis          Medialaan 40 bus 1          B-1800 Vilvoorde          Belgium          Tel: +32 (0)2 246 16 11  <a href="mailto:sandramargarida.amaral@novartis.com">sandramargarida.amaral@novartis.com</a></p> <p><b>Responsible of the program</b>          Novartis Innovative Medicines</p>

	<p>Dr. Aurélie Casier, MD          Medialaan 40 bus 1          B-1800 Vilvoorde          Belgium          Tel: +32 (0)2 246 16 11  <a href="mailto:aurelie.casier@novartis.com">aurelie.casier@novartis.com</a></p> <p><b>Contact person in case of questions</b>          Novartis Innovative Medicines          Dr. Aurélie Casier, MD          Medialaan 40 bus 1          B-1800 Vilvoorde          Belgium          Tel: +32 (0)2 246 16 11  <a href="mailto:aurelie.casier@novartis.com">aurelie.casier@novartis.com</a></p>
<p>Modalities for the disposal</p>	<p>Any unused medication needs to be returned to Novartis Pharma or destroyed in an appropriate facility as soon as possible after the patient's discontinuation from the Medical Need Program. The medication delivered for an individual patient request in the context of the Medical Need Program can only be used for that particular patient.</p>
<p>The information for registration of suspected unexpected serious adverse reactions</p>	<p>To ensure patient safety, every AE, regardless of causality assessment, occurring after the patient has provided informed consent and until 30 days after the patient has stopped program participation must be reported to Novartis after learning of its occurrence within the timeframe appropriate for the program.          Every SAE must be reported to Novartis within 24 hours of learning of its occurrence.          Any AEs or SAEs experienced after this 30-day period should only be reported to Novartis if the treating physician suspects a causal relationship to Jakavi.          The very common (affect more than 1 in 10 patients) side-effects of ruxolitinib observed in patients with myelofibrosis or polycythemia vera, have included anemia, neutropenia or thrombocytopenia, bruising, urinary tract infection, hypercholesterolemia or hypertriglyceridemia, dizziness, headache, weight gain and abnormal liver function test results.</p>

Nom du médicament	Jakavi
Nom de la substance active	INCB018424/INC424/Ruxolitinib phosphate
Indication et conditions d'utilisation	<p>Programme de Besoin Médical pour le Ruxolitinib, dans le traitement de la maladie du greffon contre l'hôte chronique, après greffe allogénique de cellules souches réfractaire aux corticostéroïdes, pour les patients pédiatriques de moins de 12 ans qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce.</p> <p>Ruxolitinib sera administré par voie orale, à la dose de 5mg deux fois par jour (Ruxolitinib sera fourni en comprimés de 5mg ou 10mg). Ruxolitinib doit être pris à la même heure chaque jour, à environ 12 heures d'intervalle (matin et soir) sans se soucier de la nourriture. Les comprimés doivent être avalés entiers, et pas écrasé ou maché.</p> <p>Pour les patients qui ne tolèrent pas cette dose, des interruptions de dose et/ou des réductions sont recommandées pour permettre aux patients de continuer le traitement.</p>
Conditions, délais et modalités dans lesquelles les patients sont admis dans le programme	<p><b>Critères d'inclusion :</b></p> <p>Les patients admissibles à ce programme doivent répondre à tous les critères suivants:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Patients pédiatriques de moins de 12 ans</li> <li>2. Consentement éclairé écrit, selon les directives locales, signé par les patients et/ou par les parents ou le tuteur légal avant le traitement</li> <li>3. Capable d'avaler des comprimés</li> <li>4. Avoir subi une alloSCT de toute source de donneur (donneurs apparentés ou non apparentés, fratrie, haplo-identique) utilisant la moelle osseuse, les cellules souches du sang périphérique, ou le sang de cordon. Les receveurs de conditionnement non myéloablatif, myéloablatif et à intensité réduite sont éligibles</li> <li>5. Prise de greffe myéloïde et plaquettaire évidente : <ul style="list-style-type: none"> <li>• Nombre absolu de neutrophiles (NAN) &gt; 1000/mm<sup>3</sup></li> </ul> <p>ET</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Numération plaquettaire &gt; 25,000/ mm<sup>3</sup></li> </ul> </li> <li>6. cGvHD cliniquement diagnostiquée aux stades modérés à sévères selon les Critères Consensus NIH (Jagasia 2015) avant le traitement: <ul style="list-style-type: none"> <li>• cGvHD modéré : au moins un organe (pas le poumon) avec un score de 2 ou 3, ou plus d'organes impliqués avec un score de 1 pour chaque organe, ou un score de 1 pour le poumon</li> <li>• cGvHD sévère : au moins 1 organe avec un score de 3, ou score pulmonaire de 2 ou 3</li> </ul> </li> <li>7. Diagnostic confirmé de <b>cGvHD réfractaire aux corticostéroïdes</b> définis par les Critères Consensus NIH 2014 (Martin 2015) indépendamment de l'utilisation concomitante d'un inhibiteur de calcineurine, comme suit :</li> </ol>

- Un manque de réponse ou progression de la maladie après l'administration minimum de prednisone de 1 mg/kg/jour pendant au moins 1 semaine  
OU
- Persistance de la maladie sans amélioration malgré un traitement continu avec la prednisone à une dose > 0,5 mg/kg/jour ou 1 mg/kg/ tous les deux jours pendant au moins 4 semaines  
OU
- Augmentation de la dose de prednisolone à > 0,25 mg/kg/jour après deux tentatives infructueuses de baisse progressive de la dose

8. Le patient n'est pas éligible pour une étude clinique en cours avec le ruxolitinib et/ou une étude clinique en cours concernant la GvHD.
9. Le patient ne peut pas être traité de manière satisfaisante avec les traitements alternatifs disponibles, approuvé et commercialisés, conformément aux recommandations cliniques, à cause de problèmes d'efficacité et/ou de sécurité.
10. Le patient court un risque immédiat de mourir ou pour qui le risque de non-traitement est plus élevé que les risques inhérents au traitement par le ruxolitinib

**Critères d'exclusion :**

Les patients admissibles à ce programme ne doivent répondre à aucun des critères suivants lors de la sélection :

1. Toute condition médicale concurrente sévère et/ou non contrôlée qui, selon le médecin, pourrait engendrer un risque significatif pour le sujet.
2. Présence d'altération sévère de la fonction rénale définie par la créatinine sérique > 2 mg/dl (> 176.8 µmol/l), la nécessité de dialyse rénale, ou clairance de la créatinine estimée <30 ml/min mesurée ou calculée par l'équation de Cockcroft Gault (confirmée dans les 48h avant le commencement du traitement).
3. Patient recevant un traitement avec des médicaments qui interfèrent avec la coagulation ou la fonction plaquettaire, y compris, mais sans s'y limiter, l'héparine ou la warfarine sodique (Coumadin<sup>®</sup>). L'utilisation d'héparine de faible poids moléculaire est autorisée. Chez les patients chez qui l'aspirine est indiquée pour la prévention des maladies cardiovasculaires secondaires, la dose quotidienne d'aspirine ne doit pas dépasser 150 mg/jour.
4. Patient recevant du fluconazole à des doses quotidiennes supérieures à 200 mg.
5. Allergies connues, hypersensibilité ou intolérance au ruxolitinib ou à l'un de ses excipients.

Le médecin demandeur doit présenter une demande non sollicitée à Novartis pour chaque patient qu'il souhaite inclure dans le programme et remplir le formulaire de déclaration. Le médecin doit également signer la page signature du protocole. Les parents/le représentant légal du patient doivent/doit donner son consentement en signant le formulaire de consentement éclairé.

Le médecin responsable du service médical de Novartis Belgium vérifie l'exhaustivité et la faisabilité de la demande et donne un avis raisonné sur l'admissibilité du patient pour ce traitement et l'inclusion dans ce programme. Le produit ne sera disponible que lorsque le médecin responsable de Novartis Belgium donnera un avis positif sur l'admissibilité du patient dans le programme.

La durée totale entre la demande et la livraison du médicament sera d'environ 5 jours ouvrables.

<p>Durée</p>	<p>Ruxolitinib sera fourni gratuitement par Novartis Pharma sur une base individuelle de patients suivant les critères énoncés dans ce programme, à partir de la mise en place du programme de besoin médical et jusqu'à ce que le produit soit commercialisé en Belgique, dans l'indication prévue ou selon ce qui se produit en premier, jusqu'à ce que le patient ne bénéficie plus de la continuation du traitement, selon le jugement clinique du médecin traitant.</p> <p>Novartis Pharma peut mettre fin à ce programme à tout moment. L'inclusion dans ce programme prendra fin lorsque le remboursement du médicament sera obtenu ou lorsque Novartis Pharma décidera d'interrompre ce programme en cas de refus de remboursement pour cette indication ou à la lumière des données scientifiques nouvellement émergées. Les patients qui sont inclus dans ce programme jusqu'à ce moment-là et qui ne satisfont pas aux critères de remboursement ou au cas où le remboursement de ce médicament n'est pas obtenu, seront toujours traités avec le ruxolitinib selon le protocole et l'environnement réglementaire. Le médecin traitant peut également décider en fonction de son jugement clinique d'interrompre le traitement, si le patient ne bénéficie plus de la poursuite du traitement. Le patient peut également décider à tout moment de mettre fin à sa participation.</p>
<p>Conditions de distribution</p>	<p>Le médecin demandeur doit présenter une demande non sollicitée à Novartis pour chaque patient qu'il souhaite inclure dans le programme et remplir le formulaire de déclaration. Le médecin doit également signer la page signature du protocole. Le patient doit donner son consentement en signant le formulaire de consentement éclairé.</p> <p>Le médecin responsable du service médical de Novartis Belgium vérifie l'exhaustivité et la faisabilité de la demande et donne un avis raisonné sur l'admissibilité du patient pour ce traitement et l'inclusion dans ce programme. Le produit ne sera disponible que lorsque le médecin responsable de Novartis Belgium donnera un avis positif sur l'admissibilité du patient dans le programme.</p> <p>La durée totale entre la demande et la livraison du médicament à la pharmacie de l'hôpital sera d'environ 5 jours ouvrables.</p>



<p>Responsable</p>	<p><b>Médecin responsable du programme</b> Novartis Innovative Medicines Dr. Sandra Amaral, MD Medical Director Novartis Medialaan 40 bus 1 B-1800 Vilvoorde Belgium Tel: +32 (0)2 246 16 11 <a href="mailto:sandramargarida.amaral@novartis.com">sandramargarida.amaral@novartis.com</a></p> <p><b>Responsable du programme</b> Novartis Innovative Medicines Dr. Aurélie Casier, MD Medialaan 40 bus 1 B-1800 Vilvoorde Belgium Tel: +32 (0)2 246 16 11 <a href="mailto:aurelie.casier@novartis.com">aurelie.casier@novartis.com</a></p> <p><b>Personne à contacter en cas de questions</b> Novartis Innovative Medicines Dr. Aurélie Casier, MD Medialaan 40 bus 1 B-1800 Vilvoorde Belgium Tel: +32 (0)2 246 16 11 <a href="mailto:aurelie.casier@novartis.com">aurelie.casier@novartis.com</a></p>
<p>Modalités selon lesquelles les médicaments non-utilisés sont traités</p>	<p>Tout médicament inutilisé doit être retourné à Novartis Pharma ou détruit dans un établissement approprié dès que possible après l'interruption du patient du programme de besoin médical. Le médicament délivré pour une demande individuelle de patient dans le cadre du programme de besoin médical ne peut être utilisé que pour ce patient particulier.</p>
<p>Données pour l'enregistrement des suspicions d'effets indésirables graves</p>	<p>Pour garantir la sécurité des patients, chaque EI, indépendamment de l'évaluation de la cause, qui se produit après la signature du consentement par le patient et jusqu'à 30 jours après que le patiente a cessé de participer au programme, doit impérativement être signalé à Novartis dès prise de connaissance dans le délai prévu pour le programme. Chaque effet EIG doit être signalé à Novartis dans les 24 heures suivant la découverte de sa survenue. Tout EI ou EIG s'étant manifesté après cette période de 30 jours ne doit être signalé à Novartis que si le médecin suspecte une relation de causalité avec Jakavi. Les effets secondaires très fréquents (affectant plus de 1 patient sur 10) du ruxolitinib observés chez les patients atteints de myélofibrose ou de</p>

	polycythémie vraie ont inclus : anémie, neutropénie ou thrombocytopenie, ecchymoses, infections des voies urinaires, hypercholestérolémie ou hypertriglycéridémie, vertiges, maux de tête, gain de poids et résultats anormaux des tests de la fonction hépatique.
--	--

Naam geneesmiddel	Jakavi
Naam actieve substantie	INCB018424/INC424/Ruxolitinib fosfaat
Indicatie en gebruiksvoorwaarden	<p>Medisch noodprogramma met ruxolitinib voor de behandeling van corticosteroïden-refractaire chronische graft-versus-host-ziekte na een allogene stamceltransplantatie, voor pediatrische patiënten jonger dan 12 jaar die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven.</p> <p>Ruxolitinib zal oraal worden toegediend in een dosis van 5 mg tweemaal daags (Ruxolitinib zal worden verstrekt als 5 mg of 10 mg tabletten). Ruxolitinib moet elke dag op hetzelfde tijdstip worden ingenomen, ongeveer 12 uur na elkaar ('s ochtends en' s avonds), ongeacht het voedsel. Tabletten moeten heel worden doorgeslikt en mogen niet worden geplet of gekauwd.</p> <p>Voor patiënten die deze dosering niet verdragen, worden dosisonderbrekingen en/of -verlagingen aanbevolen om patiënten in staat te stellen de onderzoeksbehandeling voort te zetten.</p>
Voorwaarden, termijnen en nadere regelen waaronder patiënten worden toegelaten	<p><b>Inclusiecriteria:</b></p> <p>Patiënten die in aanmerking komen voor opname in dit programma moeten aan alle volgende criteria voldoen:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1. Pediatrische patiënten jonger dan 12 jaar</li> <li>2. Schriftelijke geïnformeerde toestemming, volgens lokale richtlijnen, ondertekend door de patiënten en/of door de ouders of wettelijke voogd voorafgaand aan de behandeling.</li> <li>3. Kan tabletten inslikken</li> <li>4. AlloSCT hebben ondergaan van elke donor (gematchte niet-verwante donor, broer of zus, haploidentiek) met beenmerg, perifere bloedstamcellen of navelstrengbloed. Ontvangers van niet-myeloablatieve, myeloablatieve en verminderde intensiteitsconditionering komen in aanmerking</li> <li>5. Evident myeloïde en plaatjes-engraftment: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Absoluut aantal neutrofielen (ANC) &gt; 1000/mm<sup>3</sup></li> <li>EN</li> <li>• aantal bloedplaatjes &gt; 25.000/mm<sup>3</sup></li> </ul> </li> <li>6. Klinisch vastgestelde cGvHD matig tot ernstig volgens NIH Consensuscriteria (Jagasia 2015) voorafgaand aan de behandeling: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Matige cGvHD: minstens één orgaan (geen long) met een score van 2, 3 of meer organen die betrokken zijn bij een score van 1 in elk orgaan, of longscore van 1</li> <li>• Ernstige cGvHD: minstens 1 orgaan met een score van 3, of een longscore van 2 of 3</li> </ul> </li> <li>7. Bevestigde diagnose van <b>corticosteroïden-refractaire cGvHD</b> gedefinieerd per 2014 NIH consensuscriteria (Martin 2015), ongeacht</li> </ol>

het gelijktijdig gebruik van een calcineurineremmer, als volgt:

- Een gebrek aan respons of ziekteprogressie na toediening van minimaal prednison 1mg/kg/dag gedurende ten minste 1 week OF
  - blijvende ziekte zonder verbetering ondanks voortgezette behandeling met prednison bij > 0,5 mg/kg/dag of 1 mg/kg/elke andere dag gedurende tenminste 4 weken OF
  - Verhoging van prednisolon dosis tot > 0,25 mg/kg/dag na twee niet-geslaagde pogingen om de dosis te verminderen
8. De patiënt komt niet in aanmerking voor een klinische studie met ruxolitinib en/of een klinische studie met GvHD.
  9. De patiënt kan niet op afdoende wijze worden behandeld met de goedgekeurde en in de handel verkrijgbare alternatieve behandelingen, in overeenstemming met klinische richtlijnen, vanwege werkzaamheid en/of veiligheidskwesties.
  10. De patiënt loopt onmiddellijk het risico om te overlijden of voor wie het risico van niet-behandeling groter is dan de inherente risico's van de behandeling met ruxolitinib

**Exclusiecriteria:**

Patiënten die in aanmerking komen voor dit programma, mogen tijdens Screening niet aan een van de volgende criteria voldoen:

1. Simultane ernstige en/of ongecontroleerde medische aandoeningen die, naar de mening van de arts, een aanzienlijk risico voor de patiënt kunnen vormen
2. Aanwezigheid van ernstig verminderde nierfunctie gedefinieerd door serumcreatinine > 2 mg/dL (> 176,8 µmol/L), nood aan nierdialyse, of geschatte creatinineklaring <30ml/min gemeten of berekend door Cockcroft Gault-vergelijking (bevestigd binnen 48 uren voor aanvang van de behandeling).
3. De patiënt krijgt een behandeling met medicijnen die de stolling of bloedplaatjesfunctie verstoren, waaronder, maar niet beperkt tot, heparine of warfarin-natrium (Coumadin®). Gebruik van heparine met laag molecuulgewicht is toegestaan. Bij patiënten bij wie aspirine geïndiceerd is voor secundaire cardiovasculaire ziektepreventie, mag de dagelijkse dosis van aspirine de 150 mg/dag niet overschrijden.
4. De patiënt krijgt fluconazol in dagelijkse doses van meer dan 200 mg.
5. Bekende allergieën, overgevoeligheid of intolerantie voor ruxolitinib of voor één van de hulpstoffen

De arts moet een ongevraagd verzoek indienen bij Novartis voor elke patiënt die hij in het programma wil opnemen en het aangifteformulier invullen. De arts moet ook de handtekeningpagina van het protocol ondertekenen. De ouders/wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt moeten/moet zijn/haar toestemming geven door het informed consent-formulier te ondertekenen.

De verantwoordelijke arts van de medische afdeling van Novartis België

	<p>controleert de volledigheid en haalbaarheid van de aanvraag en geeft advies over de geschiktheid van de patiënt voor deze behandeling en opname in dit programma. Het product zal alleen beschikbaar worden gesteld wanneer de verantwoordelijke arts van Novartis België een positief advies geeft over de toelaatbaarheid van de patiënt in het programma.</p> <p>De totale duur tussen het verzoek en de levering van ruxolitinib zal ongeveer 5 werkdagen zijn.</p>
Looptijd	<p>Ruxolitinib wordt door Novartis Pharma op individuele basis gratis verstrekt volgens de criteria vermeld in dit programma vanaf het opzetten van het medische noodprogramma, totdat het product in België in de beoogde indicatie commercieel verkrijgbaar zal zijn of totdat, in de Klinisch oordeel van de behandelende arts, geniet de patiënt niet langer van de voortzetting van de behandeling, welke van beide het vroegst is.</p> <p>Novartis Pharma kan dit programma op elk moment beëindigen. De opname in dit programma eindigt wanneer terugbetaling wordt verkregen of wanneer Novartis Pharma besluit dit programma te beëindigen in geval van weigering van terugbetaling voor deze indicatie of in het licht van nieuw opgedane wetenschappelijke gegevens. Patiënten die tot dat moment in dit programma zijn opgenomen en die niet voldoen aan de terugbetalingscriteria of in het geval dat terugbetaling niet wordt verkregen, worden verder behandeld met ruxolitinib volgens het protocol en de regelgeving. De behandelende arts kan ook op basis van zijn klinisch oordeel besluiten de behandeling te staken als de patiënt niet langer baat heeft bij voortzetting van de behandeling. De patiënt kan ook op elk moment beslissen om zijn deelname te beëindigen.</p>
Distributievoorwaarden	<p>De verzoekende arts moet een ongevraagd verzoek indienen bij Novartis voor elke patiënt die hij in het programma wil opnemen en het aangifteformulier invullen. De arts moet ook de handtekeningpagina van het protocol ondertekenen. De patiënt moet zijn/haar toestemming geven door het informed consent-formulier te ondertekenen.</p> <p>De verantwoordelijke arts van de medische afdeling van Novartis België controleert de volledigheid en haalbaarheid van de aanvraag en geeft een met redenen omkleed advies over de geschiktheid van de patiënt voor deze behandeling en opname in dit programma. Het product zal alleen beschikbaar worden gesteld wanneer de verantwoordelijke arts van Novartis Belgium een positief advies geeft over de toelaatbaarheid van de patiënt in het programma.</p> <p>De totale duur tussen het verzoek en de levering van het medicijn in de apotheek van het ziekenhuis zal ongeveer 5 werkdagen zijn.</p>
Verantwoordelijke	<p><b>Verantwoordelijke arts voor dit programma</b>          Novartis Innovative Medicines          Dr. Sandra Amaral, MD          Medisch directeur Novartis          Medialaan 40 bus 1          B-1800 Vilvoorde          België          Tel: +32 (0)2 246 16 11  <a href="mailto:sandramargarida.amaral@novartis.com">sandramargarida.amaral@novartis.com</a></p> <p><b>Verantwoordelijk voor het programma</b></p>

	<p>Novartis Innovative Medicines          Dr. Aurélie Casier, MD          Medialaan 40 bus 1          B-1800 Vilvoorde          België          Tel: +32 (0) 2 246 16 11  <a href="mailto:aurelie.casier@novartis.com">aurelie.casier@novartis.com</a></p> <p><b>Contactpersoon in geval van vragen</b>          Novartis Innovative Medicines          Dr. Aurélie Casier, MD          Medialaan 40 bus 1          B-1800 Vilvoorde          België          Tel: +32 (0) 2 246 16 11  <a href="mailto:aurelie.casier@novartis.com">aurelie.casier@novartis.com</a></p>
<p>Modaliteiten voor de behandeling van niet-gebruikt geneesmiddel</p>	<p>Ongebruikt medicijn moet worden teruggebracht naar Novartis Pharma of worden vernietigd in een geschikte faciliteit, zo snel mogelijk nadat de patiënt uit het medische noodprogramma is gestopt. De medicatie die wordt afgeleverd voor een individueel patiëntverzoek in het kader van het medische noodprogramma kan alleen voor die specifieke patiënt worden gebruikt.</p>
<p>Gegevens voor de registratie van vermoedens van onverwachte bijwerkingen</p>	<p>Om de veiligheid van de patiënt te waarborgen, moet elke AE, ongeacht de oorzakelijkheidsbeoordeling, dat plaats vindt nadat de patiënt geïnformeerde toestemming heeft gegeven en tot 30 dagen nadat de patiënt de deelname aan het programma heeft stopgezet, moet Novartis worden ingelicht nadat het zich heeft voorgedaan binnen de tijdsspanne die bruikbaar is voor het programma. Elke SAE moet binnen 24 uur na het vernemen van het voorval aan Novartis worden gemeld.</p> <p>Eventuele AEs of SAE's die na deze periode van 30 dagen worden ervaren, moeten alleen worden gerapporteerd aan Novartis als de behandelende arts een causaal verband met Jakavi vermoedt.</p> <p>De zeer vaak voorkomende (bij meer dan 1 op de 10 patiënten) bijwerkingen van ruxolitinib waargenomen bij patiënten met myelofibrose of polycythemia vera, omvatten anemie, neutropenie of trombocytopenie, blauwe plekken, urineweginfectie, hypercholesterolemie of hypertriglyceridemie, duizeligheid, hoofdpijn, gewichtstoename en abnormale leverfunctietestresultaten.</p>