Afdrukken op een formulier met
briefhoofd van het ziekenhuis

Patiëntenbijsluiter en geïnformeerde toestemmingsformulier

Een programma voor gebruik bij schrijnende gevallen met sotatercept voor volwassenen met pulmonale arteriële hypertensie (PAH) met WHO functionele klasse (FC) II/III of IV

Verantwoordelijke **Verantwoordelijke arts**	Merck Sharp & Dohme LLC, een dochteronderneming van Merck & Co. Inc., Rahway, NJ 07065 VS Dr. Laurent Viérin
Behandelend arts **Adres** **Contactpersoon**	

Dit geïnformeerde toestemmingsformulier bestaat uit twee delen:

1. Informatieblad voor de patiënt (met informatie over het protocol)
2. Toestemmingsformulier (dat u moet ondertekenen als u wilt deelnemen)

Uw behandelend arts heeft u het advies gegeven om deel te nemen aan een "compassionate use"-programma waarbij u sotatercept krijgt, een innovatief medicijn dat is goedgekeurd in de VS en de EU. Om u te helpen beslissen of u wel of niet wilt deelnemen, dient u het programma te begrijpen en wat het voor u inhoudt. U dient het doel, de procedures, de voordelen en risico's van het programma te kennen, evenals de verwachte ongemakken en de voorzorgen die genomen zullen worden, zodat u een geïnformeerde beslissing kunt maken over deelname. Dit proces wordt 'geïnformeerde toestemming' genoemd. Neem de tijd om de onderstaande informatie zorgvuldig te lezen en te bespreken met anderen. Vraag het uw arts als er iets is dat niet duidelijk is of als u meer informatie wilt.

Als u besluit om deel te nemen aan dit programma, vragen wij u het geïnformeerde toestemmingsformulier te ondertekenen. U ontvangt een kopie van het getekend formulier.

Wat is het doel van het programma?

Uw arts heeft verzocht dat sotatercept aan u beschikbaar wordt gesteld via het Compassionate Use-programma, zodat hij/zij u sotatercept kan verstrekken onder zijn/haar zorg en toezicht voordat het in België in de handel verkrijgbaar is. Uw arts heeft dit gedaan omdat hij/zij van mening is dat behandeling met sotatercept gunstig kan zijn voor u.

Waarom bent u uitgenodigd om deel te nemen?

U bent uitgenodigd om deel te nemen aan dit Compassionate Use-programma omdat u:

- Een bepaald type pulmonale arteriële hypertensie (PAH) hebt . De arts kan dit uitleggen.
- Al meerdere medicijnen krijgt om uw PAH te behandelen
- Minimaal 18 jaar oud bent

Er kunnen redenen zijn waarom u niet aan dit programma kunt deelnemen. De arts zal deze met u bespreken.

Hoeveel mensen nemen deel aan dit programma?

Wereldwijd zullen tot 1500 mensen in dit programma met sotatercept worden behandeld. Patiënten die in aanmerking komen, zullen continu in dit programma worden opgenomen totdat sotatercept in hun land goedgekeurd en commercieel beschikbaar is voor de behandeling van pulmonale arteriële hypertensie.

Hoelang zal u deelnemen aan dit programma?

U zal aan het programma deelnemen zolang uw voordelen van de behandeling opwegen tegen de risico's, dit rekening houdend met het feit dat een behandeling met sotatercept ook mogelijke risico's inhoudt wat zou kunnen resulteren in het stopzetten van de behandeling, of totdat Sotatercept goedgekeurd is door de lokale gezondheidsinstanties en gecommercialiseerd is in België.

De duur van uw behandeling hangt ook af van hoe u erop reageert. U kan sotatercept ontvangen als deel van dit programma zolang uw arts denkt dat u er voordeel bij heeft. De behandeling kan echter ook stopgezet worden, in overleg met u, in de volgende gevallen:

- Als uw ziekte verergert,
- Als blijkt dat u het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen,
- Als blijkt dat u zwanger bent of borstvoeding geeft, of de intentie hebt om zwanger te worden,
- Als u de richtlijnen van de behandeling niet opvolgt,
- Als nieuwe informatie aangeeft dat u niet langer voordeel heeft bij de behandeling,
- Als u uw toestemming niet geheel vrij en bewust kunt geven, of
- Als uw arts beslist dat het beter is voor u om de behandeling te stoppen.

Als de behandeling vroegtijdig wordt stopgezet, zal uw arts ervoor zorgen dat u verder wordt behandeld op de best mogelijke manier.

Welke behandeling krijgt u?

Sotatercept wordt om de 3 weken toegediend als een onderhuidse injectie in uw arm, been of buik. De injectie bevat sotatercept gemengd met water.

Bij elk bezoek kunt u maximaal 2 injecties sotatercept krijgen. De exacte hoeveelheid

sotatercept die u krijgt, hangt af van uw gewicht en de testresultaten van uw bloed. De arts zal dit met u bespreken. U blijft uw huidige PAH-medicijnen innemen volgens de instructies van uw arts.

Wat gebeurt er met u tijdens het programma?

Voorafgaand aan de eerste injectie met sotatercept en vóór elke dosisinjectie om de 3 weken ondergaat u een bloedonderzoek voor veiligheidstests in het laboratorium om de hoeveelheid sotatercept die u moet krijgen, aan te passen.

Voor die bloedonderzoeken bedraagt de geschatte hoeveelheid afgenomen bloed 24 ml. Hoewel de totale hoeveelheid ingezameld bloed afhangt van hoelang u aan het programma deelneemt, wordt verwacht dat de totale hoeveelheid ingezameld bloed in het eerste jaar gemiddeld 196 ml, in het tweede en derde jaar 90 ml, en in het vierde jaar 106 ml bedraagt. Ter vergelijking: dit totale volume is minder dan de helft van het bloedvolume dat wordt verzameld als u één keer bloed doneert.

Als u een vruchtbare vrouw bent (d.w.z. niet postmenopauzaal of operatief gesteriliseerd), moet uw arts bevestigen dat u niet zwanger bent door middel van een zwangerschapstest, voordat u mag starten met sotatercept en vóór elke injectie.

U wordt ook gevraagd of u akkoord gaat met het delen van informatie met Clinigen en MSD over uw medische geschiedenis en klinische beoordelingen tijdens de behandeling vóór aanvang van het programma met sotatercept.

Uw verantwoordelijkheden in dit programma.

Als u besluit om deel te nemen aan dit programma, is het belangrijk dat u instemt met het volgende:

- U mag tijdens uw deelname aan dit programma niet deelnemen aan klinische studies.
- U moet nauwkeurige en volledige informatie verstrekken over uw medische geschiedenis en uw huidige toestand.
- U moet het medisch team op de hoogte stellen van alle andere geneesmiddelen (inclusief kruidenmedicijnen, vitamines, vaccinaties en vrij verkrijgbare geneesmiddelen) die u gebruikt en van alle medische behandelingen die u voor en tijdens het programma krijgt. U mag bepaalde geneesmiddelen niet innemen of bepaalde medische behandelingen niet ondergaan (bijv. bepaalde vaccinaties) zonder toestemming van uw arts tijdens het programma, of tot 30 dagen na de laatste dosis van sotatercept.
- U moet uw arts op de hoogte stellen van elke nieuwe bijwerking, verwonding of symptoom die/dat u ervaart. U moet de arts ook op de hoogte brengen van eventuele veranderingen in uw huidige medische toestand. Deze informatie moet tussen de bezoeken door aan de arts worden gemeld via de contactnummers aan het einde van deze patiënteninformatiefolder.
- Mannelijke en vrouwelijke deelnemers van een vruchtbare leeftijd die zwanger kunnen worden en seksueel actief zijn met een niet-gesteriliseerde partner, moeten ermee instemmen zeer effectieve anticonceptiemethoden te gebruiken vanaf de

screeningsdatum van het programma tot 4 maanden na de laatste dosis van de programma-interventie; het staken van de anticonceptie na dit tijdstip moet met de verantwoordelijke arts worden besproken. Zwangere vrouwen of vrouwen die borstvoeding geven mogen zich niet voor dit programma inschrijven. Mannelijke deelnemers mogen geen sperma doneren vanaf het moment van inschrijving tot 3 maanden na de toediening van de programma-interventies.

Als u besluit deel te nemen aan dit programma, hebt u het recht om op elk moment te stoppen. Als u besluit niet deel te nemen of als u besluit op een later tijdstip niet langer deel te nemen aan het programma, zal er geen boete worden opgelegd of zal u geen voordelen verliezen waarop u anders recht zou hebben.

Wat moet u weten over sotatercept en mogelijke bijwerkingen?

Wat is er bekend over sotatercept?

Sotatercept is een nieuw geneesmiddel dat wordt ontwikkeld om mensen te helpen met twee longaandoeningen : pulmonale arteriële hypertensie (PAH) en pulmonale hypertensie (PH) geassocieerd met een linker hartaandoening. Sotatercept wordt gemaakt van twee eiwitten die in ons lichaam voorkomen. De ene heet activinereceptor type IIA en de andere heet humaan immunoglobuline G1.

Op 25 februari 2025 hebben ongeveer 1743 mensen deelgenomen aan onderzoeken naar sotatercept om te zien hoe goed het werkt en of het veilig is voor verschillende groepen mensen. Deze groepen bestonden uit 102 gezonde vrijwilligers en 286 mensen met bloedarmoede (laag aantal rode bloedcellen) veroorzaakt door verschillende soorten ziekten. Sotatercept wordt niet langer onderzocht voor de behandeling van bloedarmoede. Een andere groep van ongeveer 1305 deelnemers met PAH en PH geassocieerd met linker hartziekte kregen om de drie weken sotatercept of een placebo in meerdere doses variërend tot 0,7mg/kg.

Welke bijwerkingen kan sotatercept veroorzaken?

Sotatercept wordt toegediend via een onderhuidse injectienaald. Zoals bij elke injectie kunt u roodheid, blauwe plekken of lichte zwelling krijgen op de plaats waar de injectie werd gegeven. Het kan zijn dat u wat pijn voelt wanneer de naald wordt ingebracht of nadien. Hoewel het niet vaak voorkomt, is het mogelijk dat u flauwvalt of een infectie krijgt op de plaats waar de naald is ingebracht.

De volgende bijwerkingen werden gemeld bij mensen met PAH en PH geassocieerd met linker hartziekte die sotatercept hebben gekregen. Deze bijwerkingen kunnen al dan niet verband houden met sotatercept:

- Neusbloedingen
- Telangiëctasieën (kleine rode, draadachtige patronen van bloedvaten op de huid)
- Toename van rode bloedcellen, hemoglobine en hematocriet (hoger aandeel rode bloedcellen in de bloedbaan die het risico op verstopping van bloedvaten kunnen verhogen)
- Hoofdpijn

- Immunogeniciteit (het vermogen van medicijnen om het immuunsysteem in het lichaam te stimuleren of op gang te brengen)
- Laag aantal bloedplaatjes (laag aantal bloedcellen die betrokken zijn bij het vormen van bloedstolsels, wat het risico op bloedingen kan verhogen)
- Diarree
- Duizeligheid
- Moe voelen
- Misselijkheid
- Verlaging van het kaliumgehalte in het bloed
- Zwelling in de ledematen
- Huiduitslag
- Verhoogde bloeddruk/hypertensie
- Urineweginfectie
- Opvliegers
- Verstopte neus
- Pijn in de ledematen
- Overgeven
- Bloedend tandvlees
- Gevoel van fysieke zwakte of minder kracht
- Verdoofd gevoel of tintelingen van de huid
- Spierkrampen
- Rugpijn
- Koorts
- Uitdroging (dehydratie)
- Ernstige bloedingen (vb. bloed in stoelgang of braaksel of intracraniale bloeding)
- Intrapulmonale rechts-links shunt (een aandoening waarbij bloed de normale route door de longen omzeilt door verwijde kleine bloedvaten. Dit kan leiden tot minder zuurstof in de bloedbaan)

Sotatercept werd getest in proefdieren zoals het vereist is alvorens het geneesmiddel te onderzoeken in mensen. Dierstudies voorspellen niet altijd wat er zal gebeuren wanneer sotatercept aan mensen wordt toegediend. De volgende nevenwerkingen, vastgesteld bij dieren, zijn mogelijks relevant voor mensen:

- Embryofoetale toxiciteit (vermogen om schade toe te brengen of toxisch te zijn voor de ongeboren baby tijdens een zwangerschap)
- Verminderde vruchtbaarheid (moeilijkheden of problemen ondervinden om zwanger te worden)

Reproductieve risico's:

De risico’s van sotatercept voor een ongeboren kind of zuigeling zijn op dit moment niet bekend. Sotatercept kan schadelijk zijn voor het ongeboren kind. Bij ratten werden vertragingen in de ontwikkeling van de foetus (verminderd foetusgewicht en vertraging in de botvorming) waargenomen. Tijdens onderzoeken bij ratten was er schade aan de testikels, evenals een afname van het aantal zaadcellen en de beweging van het sperma, die al dan niet omkeerbaar is. Bijkomende veranderingen die bij ratten en konijnen werden waargenomen, waren onder meer problemen om zwanger te worden en miskramen. Omdat deze effecten niet bij mensen zijn onderzocht, kunnen

vergelijkbare risico's voor deelnemers aan het programma niet worden uitgesloten. De eventuele langetermijneffecten van sotatercept op de vruchtbaarheid zijn onbekend. U dient zich ervan bewust te zijn dat uw vermogen om in de toekomst een kind te verwekken of zwanger te worden, hierdoor kan worden beïnvloed.

Vrouwen

Als u zwanger bent, een kind borstvoeding geeft of van plan bent zwanger te worden, kunt u niet aan dit programma deelnemen. Als u een vrouw bent die mogelijk zwanger kan worden (van vruchtbare leeftijd), moet u akkoord gaan met het gebruik van zeer effectieve vormen van anticonceptie en een barrièremethode zoals een condoom of pessarium, of moet u zich onthouden van seksuele betrekkingen tijdens deelname aan het programma.

Enkele zeer effectieve methoden voor anticonceptie zijn onder meer:

- Hormonale anticonceptie (bijvoorbeeld de anticonceptiepil, injectie, implantaat, pleister voor transdermaal gebruik of vaginale ring).
- Koperspiraaltje (IUD)
- Tubaligatie (het afbinden van uw eileiders).
- Een partner die een vasectomie onderging.

Als u al een anticonceptiemethode gebruikt, moet u met uw arts bespreken of uw huidige anticonceptiemethode aanvaardbaar is tijdens dit programma.

Terwijl u aan dit programma deelneemt, mag u geen borstvoeding geven of bloed of eicellen doneren.

Als u zwanger wordt of vermoedt dat u zwanger bent terwijl u dit programma volgt, moet u dit onmiddellijk aan de arts melden. De behandeling met sotatercept zal worden stopgezet. De arts blijft contact met u opnemen om het verloop van de zwangerschap te controleren tot aan het einde van de zwangerschap of eventueel langer.

Mannen

Tijdens deelname aan dit programma mag u niet proberen een kind te verwekken, noch sperma doneren.

Het risico voor het ongeboren kind bij vrouwen die zwanger kunnen worden en van wie de mannelijke partner sotatercept krijgt, is op dit moment niet bekend. Tijdens deelname aan het programma moeten mannelijke deelnemers ermee instemmen een latex condoom of niet-latex condoom te gebruiken dat NIET is gemaakt van natuurlijk (dierlijk) membraan, tijdens elk seksueel contact met een vrouw die zwanger kan worden of een zwangere vrouw, zelfs als u een succesvolle vasectomie hebt ondergaan.

Als uw vrouwelijke partner zwanger wordt terwijl u dit programma volgt of als u seksueel contact hebt met een zwangere vrouw zonder condooms te gebruiken, moet u dit onmiddellijk aan de arts melden. De arts kan vragen stellen over het verloop en de uitkomst van de zwangerschap en toestemming vragen om deze informatie te delen met MSD om het inzicht in de veiligheid van het geneesmiddel te vergroten. Uw partner hoeft geen informatie over de zwangerschap te verstrekken, tenzij zij zelf besluit dat

zij dat wil.

Bestaan er allergische reacties aan sotatercept?

Zoals bij elk geneesmiddel is het mogelijk dat u allergisch bent voor sotatercept. De meest gerapporteerde symptomen geassocieerd met allergische reacties zijn:

- Huiduitslag
- Koorts
- Jeuk
- Spierpijn
- Duizeligheid
- Beklemming op de borst
- Flauwvallen
- Kortademigheid/moeilijkheden met de ademhaling
- Misselijkheid
- Hoest
- Blozen in het gezicht
- Netelroos

In zeldzame gevallen kan een ernstigere allergische reactie optreden, die de dood tot gevolg kan hebben. Bijkomende symptomen van een ernstige allergische reactie kunnen zijn:

- Zwelling van het gezicht, de lippen, keel en tong
- Lage bloeddruk
- Bewustzijnsverlies

Als een van deze symptomen optreedt, neem dan onmiddellijk contact op met uw arts.

U dient met uw arts te praten over eventuele bijwerkingen die u ervaart terwijl u aan het programma deelneemt. Dit is geen volledige lijst van alle bijwerkingen die kunnen optreden, omdat er risico's of bijwerkingen van sotatercept kunnen zijn die onbekend zijn of op dit moment niet kunnen worden voorspeld.

In sommige gevallen kunnen bijwerkingen ernstig zijn en lang aanhouden. Soms gaan ze nooit meer weg.

Andere risico's:

Als een arts buiten dit programma u medicijnen voorschrijft voor een andere aandoening, of als u vrij verkrijgbare medicijnen of vitamines gebruikt, moet u de arts hiervan op de hoogte stellen. Dit is belangrijk omdat de interactie van sommige medicijnen ernstige bijwerkingen kan veroorzaken.

Wat zijn de mogelijke nadelen of risico's van deelname?

Het is mogelijk dat de symptomen van uw aandoening tijdens het programma niet

verbeteren of zelfs verergeren. Behandeling met sotatercept kan ook risico's voor uw toekomstige gezondheid met zich meebrengen die we op dit moment nog niet kennen.

Wat gebeurt er als het programma wordt stopgezet?

Als u aan de programmavereisten voldoet en bent ingeschreven, blijft u opgenomen in dit programma zolang de voordelen van de behandeling overwegen op de risico's. Sotatercept wordt tijdens dit programma gratis verstrekt door MSD totdat sotatercept goedgekeurd en gecommercialiseerd is in België.

Wat als er nieuwe informatie over sotatercept beschikbaar komt?

Soms komt er nieuwe informatie over het geneesmiddelenprogramma beschikbaar. U zal tijdig op de hoogte gebracht worden als er relevante nieuwe informatie beschikbaar komt die een invloed kan hebben op uw bereidheid om deel te nemen aan het programma. Als dit zich voordoet, zal uw dokter zo snel mogelijk contact met u opnemen, en met u bespreken of u verder moet gaan met het programma. Als u besluit om niet verder te gaan, zal uw arts de nodige regelingen treffen voor uw gebruikelijke zorg. Als u besluit om verder te gaan met dit programma, vragen wij u om een nieuw geïnformeerde toestemmingsformulier te ondertekenen.

Als er nieuwe informatie beschikbaar komt, kan uw arts uw deelname zonder uw toestemming stopzetten. Als dit zich voordoet, zullen de redenen worden toegelicht en worden regelingen getroffen voor uw gebruikelijke zorg.

Wat gebeurt er als ik wil stoppen met het programma?

U kan de deelname aan het programma op elk ogenblik stopzetten zonder een reden op te geven. Dit zal geen gevolgen hebben voor uw toekomstige behandeling of uw relatie met uw arts. Laat het uw arts onmiddellijk weten als u stopt met deelname.Het kan zijn dat u om toestemming wordt gevraagd om later door uw arts te worden benaderd om minimale aanvullende gegevens over uw aandoening te verzamelen.

Zal uw deelname aan dit programma vertrouwelijk blijven en hoe zal uw gevoelige gezondheidsinformatie gebruikt worden?

Uw arts zal gevoelige informatie over uw gezondheid verzamelen, registreren en gebruiken voor de doeleinden van dit programma. U w persoonlijke informatie die tijdens het programma wordt verzameld, kan uw gevoelige informatie over uw lichamelijke of geestelijke gezondheid of aandoening omvatten, evenals gezondheidsinformatie over u in medische dossiers en andere persoonlijke informatie zoals uw naam, adres, telefoonnummer, geboortedatum en geslacht. Uw privacy en uw persoonlijke gegevens zullen worden beschermd met maatregelen die in overeenstemming zijn met de in uw land geldende voorschriften voor de bescherming van uw persoonlijke gegevens. Alle informatie over u die tijdens dit programma wordt verzameld, blijft vertrouwelijk (GDPR en wet van 30 juli 2018).

Tijdens het programma kunnen uw verzamelde persoonsgegevens, inclusief uw medische dossiers, worden bekendgemaakt aan Clinigen en MSD en hun vertegenwoordigers die bij het programma assisteren. Uw medische dossiers worden alleen in het ziekenhuis (of in de praktijk van uw arts) ingezien om de informatie te controleren en de gevolgde procedures van het programma te verifiëren, zonder uw vertrouwelijkheid te schenden.

De arts, het personeel en MSD doen er alles aan om ervoor te zorgen dat u niet

geïdentificeerd kan worden op basis van de persoonlijke informatie over uw gezondheid. Bij het versturen van uw gegevens naar MSD wordt gebruik gemaakt van een code in plaats van uw naam. Dit noemen we 'gecodeerde' gegevens of informatie. In gepubliceerde rapporten over dit programma en andere wetenschappelijke publicaties en presentaties wordt u niet bij naam genoemd. De code zal geen enkele persoonlijke identificatie of combinatie van persoonlijke identificatie bevatten.

De informatie uit het programma kan worden gepubliceerd of verzonden naar regelgevende instanties of zorgverzekeraars in uw land of andere landen waar wettelijke goedkeuring of betaling voor de medicatie vereist is. Uw identiteit wordt niet vrijgegeven zonder uw toestemming, tenzij dit noodzakelijk is in het vitale belang van uw veiligheid. Geen enkele informatie is volledig veilig. De kans bestaat dat mensen uw informatie krijgen zonder dat MSD hen deze informatie geeft en er kan misbruik van worden gemaakt. MSD heeft strikte procedures voorzien om dit te helpen voorkomen.

Door dit toestemmingsformulier te ondertekenen, geeft u toestemming voor het verzamelen, verwerken en gebruiken van uw gecodeerde persoonsgegevens voor dit programma zoals hierboven beschreven. U geeft ook toestemming om de verwerking van uw persoonsgegevens of een deel daarvan door te geven aan personen en organisaties buiten uw land, waar de wetgeving inzake de bescherming van persoonsgegevens minder streng kan zijn.

U heeft bepaalde rechten met betrekking tot uw gegevens:

- U heeft het recht om uw gegevens te controleren, in te zien en om een kopie van uw persoonsgegevens te ontvangen. Hierdoor kunt u verifiëren welke persoonsgegevens worden verwerkt.
- U heeft het recht om uw gegevens te laten verwijderen. Hierdoor kunt u uw persoonsgegevens definitief laten wissen.
- U heeft het recht om correctie te vragen als deze gegevens niet correct zijn. Hierdoor kunt u onjuiste gegevens die verwerkt zouden worden, corrigeren.
- U heeft het recht om de verwerking van uw gegevens te beperken. Hierdoor kunt u onder bepaalde omstandigheden het gebruik van uw persoonsgegevens bevriezen.
- U heeft het recht om u te verzetten tegen de verwerking van uw persoonsgegevens. Hierdoor kunt u elke verdere verwerking van uw persoonsgegevens stopzetten.
- U heeft het recht uw toestemming voor de verwerking van uw persoonsgegevens op elk moment in te trekken. De persoonsgegevens die al verzameld zijn vóór uw terugtrekking blijven echter bewaard om vertekening van de onderzoeksresultaten te voorkomen.

Deze rechten kunnen beperkt worden omdat ze de verwezenlijking van de specifieke doeleinden van het programma mogelijks zouden kunnen verhinderen of ernstig schaden, met inbegrip van het vertekenen van de resultaten in het programma. Zo kan bijvoorbeeld persoonlijke informatie met betrekking tot een bijwerking die werd ervaren tijdens het programma niet worden gewist.

Om gebruik te maken van deze rechten neemt u contact op met uw arts.

Uw arts kan uw huisarts vertellen dat u aan het programma deelneemt en hem of haar om

medische informatie over u vragen.

U kunt uw toestemming om uw gezondheidsinformatie te gebruiken en bekend te maken op elk moment intrekken. U doet dit door een schriftelijke kennisgeving aan uw arts te sturen.

Toestemming om gevoelige informatie over uw gezondheid te gebruiken en bekend te maken voor het programma.

Het is de verantwoordelijkheid van Clinigen om ervoor te zorgen dat uw persoonsgegevens hetzelfde niveau van bescherming krijgen wanneer ze worden overgedragen naar een ander land dat mogelijk niet dezelfde wetten heeft die uw gegevens beschermen. Clinigen zal uw persoonsgegevens niet verwerken indien dit een groot risico inhoudt voor uw rechten en/of vrijheden als individu. Clinigen en MSD kunnen uw gezondheidsgegevens overdragen naar landen buiten de Europese Economische Ruimte (EER). De Europese en nationale wetgeving inzake gegevensbescherming stellen eisen aan dergelijke overdrachten om gelijkwaardige garanties te bieden met betrekking tot de normen voor de bescherming van persoonsgegevens. Clinigen en MSD verzekeren een degelijk niveau van bescherming op basis van goedgekeurde overdrachtsmechanismen, zoals standaardclausules betreffende gegevensbescherming. U kunt altijd contact opnemen met de arts voor meer informatie over dergelijke overdrachten en een kopie van de passende of geschikte voorzorgsmaatregelen.

De informatie die over uw gezondheid verzameld kan worden door uw arts, kan uw naam, adres, telefoonnummer of andere feiten bevatten die de gezondheidsinformatie als de uwe kunnen identificeren. Dit omvat informatie in uw medisch dossier en informatie die tijdens het programma is gecreëerd of verzameld. Deze informatie kan uw medische voorgeschiedenis, resultaten van lichamelijk onderzoek en laboratoriumtests bevatten, alsmede bepaalde gezondheidsinformatie die op een bepaalde aandoening duidt of daarop betrekking heeft. Sommige van deze tests zijn mogelijk al uitgevoerd als onderdeel van uw normale zorg.

Door dit toestemmingsformulier te ondertekenen, geeft u uw arts toestemming om uw gevoelige gezondheidsinformatie te gebruiken teneinde een behandeling met sotatercept beschikbaar te maken. Deelname aan het programma betekent dat uw arts en het personeel de volgende partijen toestemming geven om uw persoonlijke gezondheidsinformatie in te zien om ervoor te zorgen dat het programma correct wordt uitgevoerd:

• Overheids- en wettelijke instanties over de hele wereld op hun verzoek, als ze bevoegd zijn om deze persoonsgegevens te vragen zoals:

- bevoegde gezondheidsinstanties in uw thuisland en in andere Europese en niet-Europese landen.

• Ethische commissies die toezicht houden op het onderzoek en mensen die door de ethische commissie zijn aangesteld

• MSD en instanties die voor of met MSD werken, groepen of individuen gecontracteerd door MSD, en dienstverleners zoals

- Clinigen en haar vertegenwoordigers, binnen of buiten de VS

- leveranciers

- laboratoria
- uw arts, inclusief zijn of haar medewerkers, alsook mensen buiten het personeel maar onder verantwoordelijkheid van uw arts
- auditors
- bedrijven die persoonsgegevens verwerken namens en voor MSD (de zogenaamde 'verwerkers'), bijv. IT-dienstverleners enz.
- monitors
- dochterbedrijven van MSD in uw thuisland en in andere Europese en niet-Europese landen

• Externe onderzoekers of onderzoeksinstellingen

MSD kan uw gecodeerde informatie delen met onderzoekspartners en dienstverleners die assisteren in het programma en de resultaten analyseren. De programmagegevens kunnen ook worden gedeeld met gezondheidsinstanties en beoordelingscommissies.

U hebt het recht om uw dossier in te zien en een kopie ervan te ontvangen zolang uw arts deze informatie heeft.

U kunt op elk moment uw toestemming intrekken, maar u dient uw arts hiervan schriftelijk op de hoogte te stellen. Stuur uw schriftelijke kennisgeving van opzegging naar het aan het begin van dit document vermelde adres.

Als u zich terugtrekt uit het programma en uw toestemming intrekt, zal geen nieuwe informatie voor de doeleinden van dit programma worden verzameld en doorgegeven aan MSD, tenzij de informatie betrekking heeft op een bijwerking die verband houdt met de behandeling met sotatercept. Als er een bijwerking optreedt, kan uw hele medische dossier worden bekeken. Alle informatie die al voor het programma is verzameld en alle nieuwe informatie over een bijwerking die verband houdt met het programma zullen naar Clinigen worden gestuurd.

Als u zich uit het programma terugtrekt, maar uw toestemming mbt het verwerken van uw persoonsgegevens niet intrekt, kunnen nieuwe gevoelige gezondheidsgegevens worden verzameld totdat dit programma eindigt.

Deze toestemming heeft geen vervaldatum. Indien u deze toestemming niet schriftelijk intrekt, blijft zij voor onbepaalde tijd van kracht. Uw beslissing om uw toestemming in te trekken of om niet deel te nemen zal niet leiden tot boetes of tot het verliezen van andere voordelen waarop u anders recht zou hebben.

Hoelang worden uw persoonsgegevens bewaard?

Uw gegevens worden door het ziekenhuis en Clinigen opgeslagen volgens de plaatselijke richtlijnen. U kunt uw gegevens inzien zolang dit niet technisch onmogelijk is gemaakt door het wissen van uw identificatienummers en/of door het wissen van de wachtwoorden die nodig zijn voor het decoderingsproces. Bevraag uw arts hierover.

Wat moet u doen als u een vraag heeft?

Als u een vraag, zorg of klacht heeft over enig onderdeel van dit programma, neem dan contact op met uw arts, die zijn of haar best zal doen om u te helpen.

Als u vragen heeft over het gebruik van uw gegevens, kunt u contact opnemen met MSD Belgium BV/SRL via dataprivacy.be@msd.com of +32 2 373 42 11.
U kan bijkomende informatie vinden over hoe MSD in het algemeen omgaat met persoonlijke gegevens op https://www.msdprivacy.com/be/en/.

Het programma is beoordeeld en goedgekeurd door het Ethisch Committee van UZ Leuven.

Als u last hebt van enige bijwerkingen of ander lichamelijk letsel, of als u vragen hebt over het programma of over sotatercept, kunt u contact opnemen met:

Naam van de arts:
_____

Telefoonnummer(s) overdag:
_____

24-uurs contactnummer(s):
_____

Dank u voor uw aandacht en voor het overwegen van deelname aan het programma.

Afdrukken op een formulier met briefhoofd van het ziekenhuis

Formulier voor geïnformeerde toestemming van de patiënt

Verantwoordelijke	
Adres **behandelend** **arts** **Contactpersoon**	

Ik bevestig het volgende:

- Ik heb het informatieblad voor bovengenoemd programma gelezen en begrepen en heb voldoende tijd gehad om over deelname na te denken.
- Ik ben tevreden met de antwoorden op al mijn vragen.
- Ik stem er vrijwillig mee in om aan dit programma deel te nemen, de programmaprocedures te volgen en de informatie te verstrekken die de dokter, verpleegkundigen of andere personeelsleden van mij vragen.
- Ik begrijp dat het mij vrij staat mij op elk moment uit dit programma terug te trekken zonder opgaaf van reden en zonder dat dit gevolgen heeft voor mijn medische zorg of rechten.
- Ik ontvang een gedateerde en ondertekende kopie van dit informatieblad en toestemmingsformulier om zelf te bewaren.
- Ik ga ermee akkoord dat als mijn arts niet mijn huisarts is, mijn huisarts op de hoogte mag worden gebracht van mijn deelname aan dit programma en om medische informatie over mij mag worden gevraagd.
- Ik ga ermee akkoord dat regelmatig bloedstalen worden afgenomen zoals beschreven in het protocol om mijn veiligheid te controleren (hemoglobine en bloedplaatjes) en indien nodig zwangerschap uit te sluiten. Ik stem ermee in dat mijn persoonsgegevens worden verzameld en gebruikt als onderdeel van dit programma en:
  - alleen geïdentificeerd worden met mijn patiënt-identificatienummer.
  - beoordeeld, verwerkt en bekendgemaakt worden aan MSD en Clinigen en haar gemachtigde vertegenwoordigers voor de in het programma beschreven doeleinden.
  - beoordeeld of gecontroleerd worden door daartoe bevoegde organisaties.
  - gepubliceerd en verzonden worden aan regelgevende instanties of zorgverzekeraars in mijn land of andere landen.
  - indien nodig, worden overgebracht naar een land waar de wetten ter bescherming van mijn persoonsgegevens minder streng kunnen zijn.

Door dit document te ondertekenen, verklaar ik mij akkoord met deelname aan dit programma, zoals uiteengezet in dit informatieblad en toestemmingsformulier.

Mijn naam (of de naam van mijn vertegenwoordiger):

Ondertekend (door mij of mijn vertegenwoordiger):

Datum:

Naam van de getuige:

Handtekening van de getuige:

Datum:

Arts/Bevoegde gedelegeerde:

- ✓ Ik heb het programma volledig en zorgvuldig uitgelegd aan de hierboven genoemde persoon en bevestig dat, voor zover ik weet, hij/zij duidelijk de aard, de risico's en de voordelen van deelname aan dit programma begrijpt.
- ✓ Ik bevestig dat ik hem/haar alle gelegenheid heb gegeven om vragen te stellen over het programma, en dat ik alle vragen die hij/zij stelde correct en naar mijn beste vermogen heb beantwoord.
- ✓ Ik bevestig dat hij/zij niet gedwongen is om zijn/haar toestemming te geven, en dat hij/zij zijn/haar toestemming vrijelijk en vrijwillig heeft gegeven.
- ✓ Ik bevestig dat hij/zij een kopie van dit informatieblad en toestemmingsformulier heeft ontvangen.

Mijn naam:

Handtekening:

Datum:

Naam van patiënt in blokletters

Geboortedatum van de patiënt

Toestemming voor het verzamelen, verwerken en gebruiken van persoonsgegevens

Door hieronder te tekenen, ga ik ermee akkoord dat:

(1) Mijn persoonsgegevens, met inbegrip van gevoelige persoonsgegevens, kunnen worden verzameld, gebruikt en gearchiveerd ten behoeve van de uitvoering van het programma zoals beschreven in dit geïnformeerde toestemmingsformulier (ICF).

(2) Mijn persoonsgegevens, met inbegrip van gevoelige persoonsgegevens, kunnen worden doorgegeven aan en gedeeld met andere bedrijven (Clinigen), zowel binnen als buiten de Europese Economische Ruimte (EER), ook met landen die mogelijk niet hetzelfde niveau van gegevensbescherming hebben als de EER.

Deze toestemming is geldig tenzij ik van gedachten verander en een schriftelijke kennisgeving aan de behandelend arts verstrek.

_____

Volledige naam van de patiënt (blokletters)

_____ _____

Handtekening van de patiënt Datum (dd/mm/jjjj)

Impression sur papier à en-tête de
l'hôpital

Fiche d'information et formulaire de consentement du patient

Un programme d'utilisation compassionnelle du sotatercept pour les adultes atteints d'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) de la classe fonctionnelle (CF) II/III ou IV selon l'OMS

Personne responsable **Médecin responsable**	Merck Sharp & Dohme LLC, une filiale de Merck & Co. Inc., Rahway, NJ 07065 États-Unis Dr Laurent Viérin
Médecin traitant **Adresse** **Contact**	

Ce formulaire de consentement éclairé comprend deux parties :

1. Note d'information au patient (pour vous informer sur le protocole)
2. Formulaire de consentement (à signer si vous le choisissez)

Votre médecin traitant vous a recommandé de participer à un programme d'utilisation compassionnelle dans lequel vous recevrez du sotatercept, un médicament innovant approuvé aux États-Unis et dans l'UE. Pour vous aider à décider si vous souhaitez ou non participer, vous devez comprendre le programme et ce qu'il implique pour vous. Pour prendre une décision éclairée quant à la participation à ce programme, vous devez connaître le but du programme, les procédures, les bénéfices et les risques liés au programme, les inconforts anticipés et les précautions qui seront prises. Ce processus s'appelle « le consentement éclairé ». Veuillez prendre le temps de lire les informations suivantes attentivement et d'en discuter avec d'autres personnes. Veuillez demander à votre médecin si quelque chose n'est pas clair ou si vous souhaitez obtenir plus d'informations.

Si vous décidez que vous souhaitez participer à ce programme, il vous sera demandé de signer le formulaire de consentement éclairé. Vous recevrez une copie du formulaire signé à conserver.

Quel est le but du programme ?

Votre médecin a demandé que le sotatercept soit mis à votre disposition dans le cadre du programme d'utilisation compassionnelle afin qu'il puisse vous fournir du sotatercept dans le cadre de ses soins et sa surveillance avant sa commercialisation en Belgique. Votre médecin a fait cela car il estime qu'un traitement par le sotatercept pourrait vous être bénéfique.

Pourquoi avez-vous été invité(e) à participer ?

Vous avez été invité(e) à participer à ce programme d'utilisation compassionnelle parce que vous :

- Souffrez d'un type particulier d'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP).

Le médecin peut expliquer cela.

- Vous recevez déjà plusieurs médicaments pour traiter votre HTAP.
- Vous êtes âgé(e) d'au moins 18 ans.

Il peut y avoir des raisons pour lesquelles vous ne pouvez pas participer à ce programme. Le médecin en discutera avec vous.

Combien de personnes participeront à ce programme ?

Jusqu'à 1 500 personnes dans le monde seront traitées par sotatercept dans le cadre de ce programme. Les patients éligibles seront continuellement inclus dans ce programme jusqu'à ce que le sotatercept soit approuvé et commercialisé pour le traitement de l'hypertension artérielle pulmonaire dans leur pays.

Combien de temps durera votre participation à ce programme ?

Vous participerez à ce programme aussi longtemps que vos bénéfices l'emportent sur les risques liés à l'utilisation du sotatercept, étant donné que le sotatercept présente également des risques potentiels qui pourraient entraîner l'arrêt de ce programme, ou jusqu'à ce qu'il soit approuvé par vos autorités sanitaires locales et disponible dans le commerce dans votre pays.

La durée du traitement va dépendre également de votre réponse à celui-ci. Vous pouvez recevoir sotatercept dans le cadre de ce programme aussi longtemps que votre médecin estime que vous en bénéficiez. Cependant, le traitement peut être arrêté, en concertation avec vous, dans les cas suivants :

- Si votre maladie empire,
- S'il s'avère que vous ne tolérez pas le traitement à cause d'effets indésirables graves,
- Si vous êtes enceinte ou allaitez, ou si vous avez l'intention de tomber enceinte,
- Si vous ne suivez pas les instructions liées au traitement,
- Si de nouvelles informations indiquent que le traitement ne vous est plus bénéfique,
- Si vous ne pouvez pas donner votre consentement de manière totalement libre et éclairée, ou
- Si votre médecin estime qu'il est dans votre intérêt d'arrêter le traitement.

Après l'arrêt de votre traitement, votre médecin s'assurera que vous continuiez à être traité de la meilleure manière possible.

Quel traitement allez-vous recevoir ?

Le sotatercept est administré par injection (piqûre) sous la peau du bras, de la jambe ou du ventre toutes les 3 semaines. La piqûre comprend du sotatercept mélangé à de l'eau.

Vous pouvez recevoir jusqu'à 2 injections de sotatercept à chaque visite. La quantité exacte de sotatercept que vous recevrez dépendra de votre poids et des résultats des tests sanguins. Le médecin vous en parlera. Vous continuerez à prendre vos médicaments actuels contre l'HTAP selon les instructions de votre médecin.

Que vous arrivera-t-il pendant le programme ?

Vous effectuerez une prise de sang avant la première injection de sotatercept pour des analyses biologiques de sécurité et avant chaque injection de dose toutes les 3 semaines, pour ajuster la quantité de sotatercept que vous devriez recevoir.

Pour ces analyses de sang, la quantité estimée de sang prélevé est de 24 ml. Bien que la quantité totale de sang prélevée dépende de la durée de votre participation au programme, on s'attend à ce qu'en moyenne la quantité totale de sang prélevée soit de 196 ml au cours de la première année, de 90 ml au cours des deuxième et troisième années, et de 106 ml au cours de la quatrième année. À titre de comparaison, ce volume total est inférieur à la moitié du volume de sang prélevé lors d'un don de sang unique.

Si vous êtes une femme en capacité de procréer (c'est-à-dire non ménopausée ou non stérilisée chirurgicalement), votre médecin doit confirmer que vous n'êtes pas enceinte en effectuant un test de grossesse avant de pouvoir commencer le sotatercept et avant chaque injection.

Il vous sera également demandé si vous acceptez de partager des informations avec Clinigen et MSD sur vos antécédents médicaux et les évaluations cliniques pendant le traitement par sotatercept avant de commencer le programme.

Vos responsabilités pour ce programme

Si vous décidez de participer à ce programme, il est important que vous acceptiez ce qui suit :

- Vous ne devez participer à aucune étude/essai clinique pendant que vous participez à ce programme.
- Vous devez fournir des informations exactes et complètes sur vos antécédents médicaux et votre état actuel.
- Vous devez informer l'équipe médicale de tous les autres médicaments (y compris les médicaments à base de plantes médicinales, les vitamines, les vaccins et les médicaments en vente libre) que vous prenez et les traitements médicaux que vous recevez avant et pendant le programme. Vous ne pouvez pas prendre certains médicaments ou recevoir certains traitements médicaux (p. ex. certaines vaccinations) sans l'autorisation de votre médecin pendant le programme, ou jusqu'à 30 jours après la dernière dose de sotatercept.

- Vous devez informer votre médecin de tout nouvel effet secondaire, lésions ou symptôme que vous ressentez. Vous devez également informer le médecin de tout changement de votre état de santé actuel. Ces informations doivent être communiquées au médecin entre les visites en utilisant les numéros de contact à la fin de cette fiche d'information au patient.
- Les participants de sexe masculin et féminin en âge de procréer qui sont sexuellement actifs avec un partenaire non stérilisé doivent accepter d'utiliser des méthodes de contraception hautement efficaces à partir de la date d'inclusion dans le programme jusqu'à 4 mois après la dernière dose de l'intervention du programme ; l'arrêt de la contraception après ce point doit être discuté avec le médecin responsable. Il est interdit aux femmes enceintes ou allaitantes de s'inscrire à ce programme. Les participants de sexe masculin ne sont pas autorisés à donner du sperme à partir du moment de l'inscription jusqu'à 3 mois après l'administration des interventions du programme.

Si vous choisissez de participer à ce programme, vous avez le droit de vous arrêter à tout moment. Si vous décidez de ne pas participer ou si vous décidez de cesser de participer au programme à une date ultérieure, il n'y aura aucune pénalité ou perte d'avantages auxquels vous auriez autrement droit.

Que devez-vous savoir sur le sotatercept et ses effets indésirables potentiels ?

Que sait-on du sotatercept ?

Le sotatercept est un nouveau médicament en cours de développement pour aider les personnes atteintes de deux affections pulmonaires, l'hypertension artérielle pulmonaire (HTAP) et l'hypertension pulmonaire (HTP) associée à une cardiopathie gauche. Le sotatercept est fabriqué à partir de deux protéines présentes dans l'organisme : le récepteur de l'activine de type IIA et l'immunoglobuline humaine G1.

Au 25 février 2025, environ 1 743 personnes ont participé à des études visant à évaluer l'efficacité et la sécurité d'emploi du sotatercept chez différents groupes de personnes. Ces groupes comprenaient 102 volontaires sains et 286 personnes souffrant d'anémie (faible nombre de globules rouges) causée par différentes maladies. Le sotatercept n'est plus étudié pour le traitement de l'anémie. Un autre groupe d'environ 1 305 participants atteints d'HTAP et d'HTP associée à une cardiopathie gauche a reçu du sotatercept ou un placebo à doses multiples allant jusqu'à 0,7 mg/kg toutes les trois semaines.

Quels effets secondaires le sotatercept pourrait-il provoquer ?

Sotatercept est administré par injection sous la peau. Comme pour toute injection, les participants peuvent présenter des rougeurs, des ecchymoses ou un léger gonflement au site d'injection. Les participants peuvent ressentir une certaine douleur lorsque l'aiguille est insérée ou après. Bien que cela n'arrive pas souvent, il est possible que les participants s'évanouissent ou contractent une infection à l'endroit où l'aiguille a été insérée.

Les effets secondaires suivants ont été observés chez des personnes atteintes d'HTAP et d'HTP associées à une cardiopathie gauche ayant reçu du sotatercept. Ils peuvent ou non être associés au sotatercept :

- Saignements de nez
- Télangiectasie (petits vaisseaux sanguins rouges et filiformes sur la peau)
- Augmentation du nombre de globules rouges, d'hémoglobine et d'hématocrite (proportion plus élevée de globules rouges dans le sang pouvant augmenter le risque d'obstruction des vaisseaux sanguins)
- Maux de tête
- Immunogénicité (capacité d'un médicament à stimuler ou à activer le système immunitaire)
- Faible taux de plaquettes (faible nombre de fragments de cellules sanguines impliqués dans la formation de caillots sanguins, ce qui peut augmenter le risque de saignement)
- Diarrhée
- Vertiges
- Fatigue
- Nausées
- Diminution du taux de potassium dans le sang
- Gonflement des membres
- Éruption cutanée
- Augmentation de la tension artérielle/hypertension
- Infection urinaire
- Bouffées de chaleur
- Congestion nasale
- Douleurs aux extrémités
- Vomissements
- Saignement des gencives
- Sensation de faiblesse physique ou de perte de force
- Sensation d'engourdissement ou de picotements cutanés
- Spasmes musculaires
- Douleurs dorsales
- Fièvre
- Déshydratation
- Saignements importants (par exemple, sang dans les selles ou les vomissements, ou sang dans le crâne)
- Shunt intrapulmonaire droit-gauche (maladie où le sang contourne le chemin normal à travers les poumons en raison de la dilatation de minuscules vaisseaux sanguins. Cela peut entraîner une diminution de l'oxygène dans le sang)

Sotatercept a été testé sur des animaux de laboratoire comme requis avant d'être testé sur des humains. Les études animales ne prédisent pas toujours ce qui se passera lorsque le sotatercept sera administré à l'homme. Les effets secondaires suivants qui peuvent être pertinents pour les humains ont été observés dans des études animales :

 Toxicité Embryo-Fœtale (possibilité de nuire ou d'être toxique pour le bébé à naître pendant la grossesse)

 Altération de la fertilité (difficultés ou difficultés à tomber enceinte)

Risques pour la reproduction

Les risques liés au sotatercept pour un enfant à naître ou un nourrisson allaité ne sont pas connus à l'heure actuelle. Le sotatercept peut être nocif pour l'enfant à naître. Des retards dans le développement fœtal (diminution du poids fœtal et retards dans la formation osseuse) ont été observés chez le rat. Au cours des études menées chez le rat, des lésions testiculaires ont été constatées, ainsi qu'une diminution du nombre et du mouvement des spermatozoïdes, qui peuvent être réversibles ou non. Des changements supplémentaires observés chez les rats et les lapins comprenaient des difficultés à tomber enceinte et des fausses couches. Puisque ces effets n'ont pas été étudiés chez l'homme, des risques similaires pour les participants au programme ne peuvent être exclus. Les effets à long terme du sotatercept sur la fertilité, le cas échéant, sont inconnus. Vous devez être conscient que votre capacité à engendrer un enfant ou à tomber enceinte à l'avenir pourrait être affectée.

Femmes

Si vous êtes enceinte, si vous allaitez un enfant ou si vous envisagez de devenir enceinte, vous ne pouvez pas participer à ce programme. Si vous êtes une femme susceptible de devenir enceinte (en âge de procréer), vous devez accepter d'utiliser des formes de contraception très efficaces et une méthode barrière telle qu'un préservatif ou un diaphragme ou vous abstenir de tout rapport sexuel pendant votre participation au programme.

Certaines méthodes de contrôle des naissances très efficaces comprennent :

• La contraception hormonale (par exemple, pilule contraceptive, injection, implant, dispositif transdermique ou anneau vaginal).

• Dispositif intra-utérin (DIU).

• Ligature des trompes (attacher vos trompes).

• Un partenaire ayant subi une vasectomie.

Si vous utilisez déjà une méthode contraceptive, vous devriez demander à votre médecin si votre méthode contraceptive actuelle est acceptable pendant ce programme.

Pendant que vous participez à ce programme, vous ne devez pas allaiter un enfant (allaiter) ni donner du sang ou des ovules.

Si vous tombez enceinte ou pensez l'être pendant que vous suivez ce programme, vous devez en informer immédiatement le médecin. Le traitement par sotatercept sera arrêté. Le médecin continuera à vous contacter pour vérifier l'évolution de la grossesse jusqu'à la fin de la grossesse, voire plus.

Hommes

Vous ne devez pas tenter de concevoir un enfant ni donner de sperme pendant que vous participez à ce programme.

Le risque pour l'enfant à naître chez les femmes en âge de procréer dont le partenaire masculin reçoit du sotatercept est inconnu à l'heure actuelle. Lors de leur participation au programme, les participants masculins doivent accepter d'utiliser un préservatif en latex ou sans latex NON fait de membrane naturelle (animale), lors de tout contact

sexuel avec une femme en âge de procréer ou une femme enceinte, même si vous avez subi une vasectomie réussie.

Si votre partenaire féminine tombe enceinte pendant que vous participez à ce programme ou si vous avez des contacts sexuels avec une femme enceinte sans utiliser de préservatifs, vous devez en informer immédiatement le médecin. Le médecin peut poser des questions sur l'évolution et l'issue de la grossesse et demander la permission si ces informations peuvent être partagées avec MSD afin de mieux comprendre la sécurité du médicament. Votre partenaire ne sera pas tenue de fournir des informations sur la grossesse à moins qu'elle ne décide de le faire.

Y a-t-il des réactions allergiques au sotatercept ?

Avec tout médicament, il existe un risque de réaction allergique. Les symptômes associés aux réactions allergiques les plus fréquemment rapportés sont :

- Éruption cutanée
- Urticaire
- Démangeaisons
- Étourdissements
- Évanouissements
- Nausées
- Rougeur du visage
- Fièvre
- Douleurs musculaires
- Oppression thoracique
- Essoufflement/difficulté à respirer
- Toux

Dans de rares cas, une réaction allergique plus grave peut survenir et entraîner la mort. Des symptômes supplémentaires peuvent inclure :

- Gonflement du visage, des lèvres, de la gorge et de la langue
- Pression artérielle basse
- Perte de conscience

Si l'un de ces symptômes apparaît, veuillez contacter immédiatement votre médecin.

Vous devez parler à votre médecin de tous les effets indésirables ressentis pendant que vous participez au programme. Il ne s’agit pas d’une liste complète de tous les effets indésirables pouvant survenir, car il peut y avoir des risques ou des effets indésirables du sotatercept qui sont inconnus ou ne peuvent pas être prédits à l’heure actuelle.

Dans certains cas, les effets indésirables peuvent être graves et durer longtemps. Parfois, ils ne disparaissent jamais.

Autres risques :

Si un médecin autre que celui de ce programme vous prescrit des médicaments pour une autre maladie, ou si vous prenez des médicaments ou des vitamines en vente libre, vous devez en informer le médecin. Ceci est important car l'interaction de certains médicaments peut provoquer des effets indésirables graves.

Quels sont les éventuels inconvénients ou risques liés à la participation ?

Il est possible que les symptômes de votre état ne s'améliorent pas pendant le programme ou qu'ils puissent même s'aggraver. Le traitement par sotatercept peut également impliquer des risques pour votre santé future que nous ne connaissons pas actuellement.

Que se passe-t-il lorsque le programme s'arrête ?

Si vous remplissez les conditions du programme et êtes inclus(e), vous participerez à ce programme aussi longtemps que vos avantages l'emportent sur les risques qui en découlent. Le sotatercept sera fourni pris en charge par MSD pendant le programme jusqu'à ce qu'il soit approuvé et commercialisé en Belgique.

Et si de nouvelles informations sur le sotatercept devenaient disponibles ?

Parfois, de nouvelles informations sur le médicament du programme sont reçues. Vous serez informé(e) en temps voulu si de nouvelles informations pertinentes deviennent disponibles et qui pourraient affecter votre volonté de continuer à participer au programme. Le cas échéant, votre médecin vous contactera dès que possible et discutera de l'opportunité de poursuivre le programme. Si vous décidez de ne pas continuer, votre médecin prendra les dispositions nécessaires pour que vos soins se poursuivent. Si vous décidez de poursuivre le programme, vous devrez peut-être signer un nouveau formulaire de consentement éclairé.

De plus, si de nouvelles informations deviennent disponibles, votre médecin peut interrompre votre participation sans votre consentement. Le cas échéant, les raisons seront expliquées et des dispositions seront prises pour que vos soins se poursuivent.

Que se passera-t-il si vous ne souhaitez pas poursuivre le programme ?

Vous pouvez arrêter de participer au programme à tout moment sans donner de raison. Cela n'affectera pas votre futur traitement ou votre relation avec votre médecin. Si vous arrêtez de participer, veuillez en informer immédiatement votre médecin. Votre médecin peut vous demander la permission d'être contacté(e) plus tard pour collecter un minimum de données supplémentaires sur votre état.

Votre participation à ce programme restera-t-elle confidentielle et comment vos données de santé personnelles sensibles seront-elles utilisées ?

Votre médecin collectera, enregistrera et utilisera les données de santé personnelles sensibles vous concernant aux fins du programme. Les données personnelles collectées au cours du programme peuvent inclure vos données de santé personnelles sensibles concernant votre condition physique ou mentale, et des informations de santé vous concernant contenues dans vos dossiers médicaux et d'autres informations personnelles telles que votre nom, adresse, numéro de téléphone, date de naissance et sexe. Votre vie privée et vos données personnelles seront protégées en utilisant des mesures qui suivent les exigences applicables dans votre pays pour la

protection de vos données personnelles. Toutes les informations vous concernant collectées au cours de ce programme resteront confidentielles (RGPD et loi du 30 juillet 2018).

Pendant le programme, vos données personnelles recueillies, y compris vos dossiers médicaux, peuvent être divulguées à Clinigen et MSD et à ses représentants qui participent au programme. Vos dossiers médicaux ne seront examinés qu'à l'hôpital (ou au cabinet du médecin) afin de vérifier l'exactitude des informations et l'observance des procédures du programme, sans compromettre votre confidentialité.

Le médecin, le personnel et MSD mettront tout en œuvre pour garantir que les données personnelles de santé envoyées à MSD ne vous identifieront pas. Au lieu de votre nom, les données envoyées à MSD utiliseront un code. C'est ce que l'on appelle des données ou informations « codées ». Vous ne serez pas identifié(e) par votre nom dans les rapports publiés sur ce programme ou dans toute autre publication ou présentation scientifique. Le code ne contiendra aucun identifiant personnel ou combinaison d'identifiants personnels.

Les informations du programme peuvent être publiées ou envoyées aux autorités réglementaires ou aux assureurs maladie de votre pays ou d'autres pays où l'approbation réglementaire ou le paiement pour le médicament est requis. Votre identité ne sera divulguée qu'avec votre permission, sauf si cela est nécessaire pour les intérêts vitaux de votre sécurité. Aucune information n'est totalement sécurisée. Il est possible que des personnes obtiennent vos informations sans que MSD ne les leur donne et qu'elles soient utilisées à mauvais escient. MSD a mis en place des procédures strictes pour éviter cela.

En signant ce formulaire de consentement, vous consentez à la collecte, au traitement et à l'utilisation de vos données personnelles codées pour ce programme comme décrit dans le document. Vous consentez également au traitement de vos données personnelles ou de toute partie de celles-ci à être transférées à des personnes et des organisations en dehors de votre pays, où les lois sur la protection des données personnelles peuvent être moins strictes.

Vous disposez de certains droits concernant vos informations :

- D'inspecter, d'accéder et de recevoir une copie de vos données. Cela vous permet de vérifier quelles données personnelles sont traitées.
- De faire effacer vos données. Cela vous permet de faire supprimer définitivement vos données personnelles.
- De demander une correction si elles sont incorrectes. Cela vous permet de rectifier des données inexactes qui seraient traitées.
- De restreindre le traitement de vos données. Cela vous permet sous certaines conditions de geler l'utilisation de vos données personnelles.
- De vous opposer au traitement de vos données personnelles. Cela vous permet d'arrêter tout traitement ultérieur de vos données personnelles.
- De retirer votre consentement au traitement des données personnelles. Cependant, les données personnelles collectées avant le retrait seront conservées pour éviter de fausser les résultats du programme.

Ces droits pourraient être limités parce qu'ils rendraient probablement impossible ou nuiraient sérieusement à la réalisation des objectifs spécifiques du programme, y compris en faussant les résultats du programme. Par exemple, les informations personnelles liées à un événement indésirable collectées pendant la participation au

programme ne peuvent pas être supprimées.

Pour exercer l'un de ces droits, veuillez contacter le Médecin.

Votre médecin peut informer votre médecin de famille de votre participation au programme et lui demander des informations médicales vous concernant.

Vous pouvez révoquer ou retirer votre autorisation d'utiliser et de divulguer vos informations de santé à tout moment. Pour ce faire, contactez votre médecin par écrit.

Consentement à utiliser et à divulguer des données personnelles de santé sensibles pour le programme

Il est de la responsabilité de Clinigen de s'assurer que vos données personnelles bénéficient d'un niveau de protection égal lorsqu'elles sont transférées vers un autre pays qui peut ne pas avoir les mêmes lois qui protègent vos données. Clinigen ne traitera pas vos données personnelles si cela présente un risque élevé pour vos droits et/ou libertés en tant qu'individu. Clinigen et MSD pourront transférer vos données de santé vers des pays en dehors de l'EEE. Les législations européenne et nationale sur la protection des données exigent que de tels transferts garantissent des garanties équivalentes concernant les normes de protection des données personnelles. Clinigen et MSD garantissent un niveau de protection adéquat sur la base de mécanismes de transfert approuvés, y compris des clauses standard de protection des données.

Vous pouvez toujours contacter le médecin pour obtenir plus d'informations sur ces transferts et une copie des garanties appropriées ou appropriées.

Les informations sur votre santé qui pourront être collectées par votre médecin incluent également votre nom, adresse, numéro de téléphone ou d'autres faits qui pourraient identifier les informations de santé comme les vôtres. Cela comprend les informations contenues dans votre dossier médical et les informations créées ou collectées au cours du programme. Ces informations peuvent inclure vos antécédents médicaux, vos examens physiques et vos résultats de tests de laboratoire, ainsi que certaines informations sur la santé indiquant ou liées à une condition particulière. Certains de ces tests peuvent avoir été effectués dans le cadre de vos soins réguliers.

En signant ce formulaire de consentement, vous autorisez votre médecin à utiliser vos données de santé personnelles sensibles pour fournir un traitement par sotatercept. Participer au programme signifie que votre médecin et le personnel autorisent les parties suivantes à consulter vos données personnelles de santé afin de garantir que le programme se déroule correctement :

Les autorités gouvernementales ou judiciaires du monde entier, à leur demande, si elles sont en droit de demander les données personnelles telles que :

- les autorités sanitaires compétentes de votre pays d'origine, ainsi que dans d'autres pays de l'UE et hors UE,
- Comités d'éthique qui supervisent la recherche et personnes désignées par le comité de protection des personnes,
- MSD et ceux qui travaillent pour ou avec MSD, les groupes ou les individus engagés par MSD et les prestataires de services tels que :
- Clinigen et ses représentants, à l'intérieur et à l'extérieur des États-Unis
- fournisseurs

- laboratoires
- votre médecin, y compris son personnel ainsi que les personnes extérieures au personnel mais sous la responsabilité de votre médecin
- auditeurs
- les sociétés qui traitent des données personnelles au nom et pour le compte de MSD (appelées « sous-traitants »), par ex. prestataires de services informatiques, etc.
- moniteurs
- sociétés du groupe MSD dans votre pays d'origine et dans d'autres pays de l'UE et hors UE
- Chercheurs ou institutions de recherche externes

MSD pourra partager vos informations codées avec des partenaires de recherche et des prestataires de services qui participent au programme et analysent les résultats. Les données du programme peuvent également être partagées avec les autorités sanitaires et les commissions d'examen.

Vous avez le droit de voir et d'obtenir une copie de vos dossiers aussi longtemps que votre médecin dispose de ces informations.

Vous pourrez choisir de retirer votre consentement à tout moment, mais vous devez en informer le médecin par écrit. Envoyez votre avis de retrait par écrit à l'adresse indiquée au début de ce document.

Si vous vous retirez du programme et retirez votre consentement, aucune nouvelle information ne sera collectée et transmise à MSD aux fins du programme, sauf si les informations concernent un effet secondaire lié au traitement par sotatercept. Si un effet secondaire survient, l'ensemble de votre dossier médical peut être examiné. Toutes les informations qui ont déjà été collectées pour le programme et toute nouvelle information sur un effet secondaire lié au programme seront envoyées à Clinigen.

Si vous vous retirez du programme mais que vous ne retirez pas votre consentement relatif aux données personnelles, de nouvelles données de santé personnelles sensibles peuvent être collectées jusqu'à la fin de ce programme.

Ce consentement n'a pas de date d'expiration. Si vous ne retirez pas ce consentement, il restera en vigueur indéfiniment. Votre décision de retirer votre consentement ou de ne pas participer n'entraînera aucune pénalité ou perte d'autres avantages auxquels vous avez droit.

Combien de temps vos données personnelles seront-elles conservées ?

Vos données seront stockées par l'hôpital et Clinigen conformément aux directives locales. Vous pouvez vérifier vos données personnelles tant que cela n'a pas été rendu techniquement impossible par la suppression de vos identifiants et/ou la suppression des mots de passe nécessaires au processus de décodage. Veuillez contacter votre médecin si vous souhaitez en savoir plus à ce sujet.

Et si vous avez une question ?

Si vous avez une question, une préoccupation ou une plainte concernant une partie de ce programme, vous devez demander à en parler à votre médecin, qui fera de son mieux pour vous aider.

Si vous avez la moindre question relative au traitement de vos données, vous pouvez contacter MSD Belgium BV/SRL par courriel à dataprivacy.be@msd.com ou par téléphone : +32 2 373 42 11.

Vous pouvez trouver des informations supplémentaires sur la manière dont MSD traite généralement les données personnelles sur https://www.msdprivacy.com/be/en/

Le programme a été examiné et approuvé par le comité d'éthique de l'UZ Leuven.

Si vous souffrez d'effets indésirables ou d'autres lésions physiques, ou si vous avez des questions sur le programme ou le sotatercept, veuillez contacter :

Nom du médecin :

_____

Numéro(s) de téléphone de jour :

_____

Numéro(s) de contact 24 heures sur 24 :

_____

Merci d'avoir lu ceci et d'avoir envisagé de participer au programme.

Impression sur papier à en-tête de l'hôpital

Formulaire de consentement éclairé du patient

Personne responsable	
Médecin traitant **Adresse** **Contact**	

Je confirme ce qui suit :

- J'ai lu et compris la note d'information du programme ci-dessus et j'ai eu suffisamment de temps pour réfléchir à une éventuelle participation.
- Je suis satisfait(e) des réponses apportées à toutes mes questions.
- J'accepte de mon plein gré de participer à ce programme, de suivre les procédures du programme et de fournir les informations que le médecin, les infirmières ou d'autres membres du personnel me demandent.
- Je comprends que je suis libre de me retirer de ce programme à tout moment sans donner de raison et sans que mes soins médicaux ou mes droits ne soient affectés.
- Je recevrai une copie signée et datée de cette note d'information et du formulaire de consentement à conserver.
- J'accepte le fait que si mon médecin n'est pas mon médecin de famille, mon médecin de famille peut être informé de ma participation à ce programme et demander des informations médicales à mon sujet.
- J'accepte que des échantillons de sang réguliers soient prélevés comme décrit dans le protocole pour surveiller ma sécurité (hémoglobine et plaquettes sanguins) et exclure une grossesse si nécessaire.
- J'accepte que mes données personnelles soient collectées et utilisées dans le cadre de ce programme et à être :
  - identifiées uniquement avec mon numéro d'identification de patient.
  - examinées, traitées et divulguées à MSD et à Clinigen et à ses représentants autorisés aux fins décrites dans le protocole du programme.
  - examinées ou auditées par des organisations dûment autorisées.
  - publiées et envoyées aux autorités réglementaires ou aux assureurs maladie de mon pays ou d'autres pays ; et
  - transférées si nécessaire vers n'importe quel pays, où les lois protégeant mes données personnelles peuvent être moins strictes.

En signant ce document, j'accepte de participer à ce programme, comme indiqué dans cette note d'information et formulaire de consentement.

Mon nom (ou le nom de mon représentant) :

Signature (par moi ou mon représentant) : Date :

Nom du témoin :

Signature du témoin : Date :

Médecin/Personne désignée autorisée :

- ✓ J'ai entièrement et soigneusement expliqué le programme à la personne nommée ci-dessus et je confirme qu'à ma connaissance, elle comprend clairement la nature, les risques et les avantages de participer à ce programme.
- ✓ Je confirme que je lui ai donné toutes les chances de poser des questions sur le programme et que j'ai répondu à toutes les questions qu'il/elle a posées correctement et au mieux de mes capacités.
- ✓ Je confirme qu'elle n'a pas été contrainte de donner son consentement et qu'elle a donné son consentement librement et volontairement.
- ✓ Je confirme qu'elle a reçu une copie de cette fiche d'information et du formulaire de consentement.

Mon nom :

Signature : Date :

Nom en majuscules du patient Date de naissance du patient

Consentement à la collecte, au traitement et à l'utilisation des données personnelles

En signant ci-dessous, j'accepte ce qui suit :

(1) Mes données personnelles, y compris les données personnelles sensibles, peuvent être collectées, utilisées et archivées aux fins de l'exécution du programme tel que décrit dans le présent formulaire de consentement éclairé (FCE).

(2) Mes données personnelles, y compris les données personnelles sensibles, peuvent être transférées et partagées avec d'autres sociétés (Clinigen) à la fois à au sein/hors de l'Espace économique européen (EEE), y compris vers des pays qui peuvent ne pas avoir le même niveau de protection des données que l'EEE.

Ce consentement est valide à moins que je ne change d'avis et que je fournisse un avis écrit au médecin traitant.

_____

Nom complet du patient (en caractères d'imprimerie)

_____ _____

Signature du patient Date (jj/mm/aaaa)

Date (jj/mm/aaaa)