# ICF

Programme medical d'urgence

Consentement éclairé du patient

Informations sur le traitement des données à caractère personnel

Programme médical d'urgence avec le médicament Pedmarqsi® (qui contient du thiosulfate de sodium) pour la prévention de l'ototoxicité induite par la chimiothérapie à base de cisplatine chez les patients âgés de 1 mois à 18 ans atteints de tumeurs solides localisées et non métastatiques.

**Informations destinées aux parents ou responsables légaux**

**d'un patient âgé de 1 mois à 18 ans.**

**Responsable du programme :**

**Norgine nv/sa**
MC Square Leuven
Philipssite 5 bus 1
3001 Leuven Belgium

Contact person: Kris Gellynck, medical manager, Norgine
Tel: +3216392729|Mobile: +32485807461
E-mail: kgellynck@norgine.com

Médecin traitant : Nom : ……

Adresse du centre hospitalier : ……

……..

Téléphone : …….

Contact en cas d'urgence : ……

Ce document comporte trois parties:

- Les informations nécessaires pour vous permettre de prendre votre décision
- Des informations relatives au traitement des données personnelles de votre enfant
- Le document de consentement éclairé

Le médecin spécialiste en charge du traitement de votre enfant propose que votre enfant participe à un programme médical d'urgence qui lui permettra de recevoir un traitement avec du thiosulfate de sodium en prévention de la toxicité auditive induite par la chimiothérapie à base de cisplatine.

Le but d'un programme médical d'urgence est de mettre à la disposition d'un ou plusieurs patients souffrant d'une maladie grave, un médicament qui n'est pas encore disponible en Belgique pour des

patients qui ne peuvent pas être traités de manière adéquate avec les traitements actuellement disponibles.

Avant d'accepter que votre enfant reçoive ce traitement, il est important de lire et de comprendre les explications suivantes relatives au médicament. Si vous avez des questions concernant le médicament, attendez d'avoir obtenu une réponse à toutes vos questions avant de décider que ce traitement ne soit administré ou pas à votre enfant

Ce traitement s'inscrit dans le cadre d'un programme médical d'urgence afin de mettre Pedmarqsi® à disposition des jeunes patients en prévention de l'ototoxicité induite par la chimiothérapie à base de cisplatine chez les patients âgés de 1 mois à 18 ans atteints de tumeurs solides localisées et non métastatiques.

Pedmarqsi® (qui contient le thiosulfate de sodium) est un médicament qui a été approuvé par l'Agence Européenne des Médicaments (EMA) depuis le 26 mai 2023. Ce médicament n'est pas encore disponible en Belgique.

Le médecin traitant votre enfant pense que ce médicament peut présenter un avantage pour le traitement de votre enfant. Néanmoins, il n'y a aucune garantie qu'il tirera un bénéfice de sa participation à ce programme.

Avant que vous ne preniez une décision, nous vous invitons à prendre connaissance de ses implications en termes d'avantages et risques éventuels, afin que vous puissiez prendre cette décision en toute connaissance de cause. Ceci s'appelle donner un "consentement éclairé".

Veuillez lire attentivement ces quelques pages d'information et poser toutes les questions que vous souhaitez à votre médecin.

# 1 Informations

Si votre enfant participe à ce programme, vous devez savoir que :

- Ce programme est mis en œuvre après évaluation et approbation par un comité d'éthique indépendant et par l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS, agence belge).
- La participation de votre enfant à ce programme est volontaire et doit rester libre de toute contrainte. Elle nécessite la signature de ce document exprimant votre consentement. Même après l'avoir signé, vous pouvez arrêter la participation de votre enfant à tout moment en informant votre médecin. Votre décision de ne pas ou de ne plus participer au programme n'aura aucun impact sur la qualité des soins prodigués à votre enfant ni sur vos relations avec votre médecin.
- Les données recueillies dans le cadre de la participation de votre enfant à ce programme sont confidentielles et l'anonymat de votre enfant et de vous même est garanti.
- Le médicament concerné par le programme est fourni gratuitement.
- Vous pouvez toujours contacter votre médecin ou un membre de son équipe si vous avez besoin d'informations complémentaires.
- Pour la sécurité de votre enfant, il est souhaitable que votre médecin généraliste si vous en avez un ou d'autres médecins spécialistes en charge de la santé de votre enfant soient

informés de sa participation à ce programme. Nous vous demanderons de confirmer votre accord mais respecterons votre éventuelle volonté de ne pas les informer.

## 1.1 Informations sur le médicament

Pedmarqsi® est un médicament qui contient du thiosulfate de sodium. Dans des études cliniques, le thiosulfate de sodium a montré une efficacité dans la réduction de la perte auditive engendrée par le cisplatine, un traitement fréquemment utilisé pour traiter les tumeurs solides. En administrant Pedmarqsi® 6 heures après la chimiothérapie à base de cisplatine, ce médicament va diminuer les risques de perte auditive fréquemment observée lorsqu'un jeune patient est traité par une chimiothérapie à base de cisplatine pour des tumeurs solides qui ne se sont pas propagées à d'autres régions du corps.

**Quels sont les avantages potentiels d'un traitement avec Pedmarqsi® ?**

L'utilisation de Pedmarqsi® peut réduire le risque de perte de l'audition souvent observée après une chimiothérapie à base de cisplatine.

**Comment sera administré le traitement par Pedmarqsi® ?**

Avant l'administration de Pedmarqsi®, votre enfant recevra des médicaments antiémétiques pour contribuer à prévenir les vomissements.

Pedmarqsi® est une solution administrée par perfusion intraveineuse (goutte-à-goutte dans une veine) par un médecin ou un/e infirmier/ère. Cette perfusion intraveineuse est généralement administrée au moyen d'un tube inséré dans une veine de la poitrine : c'est ce qu'on appelle une ligne centrale. La perfusion est administrée pendant 15 minutes. Le traitement débute 6 heures après la fin de l'administration de cisplatine.

La dose de ce médicament est déterminée en fonction de la surface du corps (surface corporelle) exprimée en $m^2$, qui est calculée à partir de la taille et du poids de votre enfant. La dose recommandée pour les patients pesant 10 kg ou plus est de 12,8 g par $m^2$; des doses plus faibles sont administrées aux patients pesant moins de 10 kg. Votre médecin déterminera la dose qui convient à votre enfant.

Pedmarqsi® sera administré dès le premier cycle de traitement et pendant toute la durée du traitement par cisplatine.

**Si votre enfant a reçu plus de Pedmarqsi qu'il n'aurait dû**

Étant donné que la dose est établie et vérifiée par des professionnels de santé, il est peu probable que votre enfant reçoive une quantité incorrecte de médicament. En cas de surdosage, votre enfant pourrait présenter des nausées, des vomissements, des modifications du taux de sodium, de phosphate ou de potassium dans le sang, des modifications de la pression artérielle ou une acidose métabolique (sang trop acide) pouvant entraîner nausées, vomissements, somnolence et essoufflement. Votre médecin pourra prescrire à votre enfant un traitement symptomatique pour prendre en charge ces effets indésirables.

Si vous avez d'autres questions sur l'utilisation de ce médicament, demandez plus d'informations à votre médecin ou à votre infirmier/ère.

**Votre enfant ne doit jamais utiliser Pedmarqsi** :

- S'il est allergique au thiosulfate de sodium ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament (acide borique, eau pour préparations injectables et acide chlorhydrique et hydroxyde de sodium pour l'ajustement du pH)

- S'il s'agit d'un bébé de moins de 1 mois.

**Avertissements et précautions**

Adressez-vous à votre médecin ou infirmier/ère avant que votre enfant ne reçoive Pedmarqsi® si votre enfant :

- a présenté une réaction allergique telle qu'une éruption cutanée, de l'urticaire ou des difficultés à respirer après une dose antérieure de thiosulfate de sodium;
- présente une allergie connue à des substances chimiques appelées sulfites — cela peut signifier que votre enfant êtes davantage susceptible d'avoir une réaction allergique à ce médicament;
- a une fonction rénale insuffisante ou une maladie rénale grave;
- a besoin d'un régime pauvre en sel en raison d'un autre problème de santé.

**Tests et contrôles supplémentaires**

Si votre enfant participe au programme médical d'urgence, le médecin pourra effectuer des tests et contrôles avant, pendant et après le traitement avec Pedmarqsi®. Il pourra également, adapter le traitement de votre enfant si nécessaire.

**Autres médicaments et Pedmarqsi®**

Informez votre médecin ou pharmacien si votre enfant prend, a récemment pris ou pourrait prendre tout autre médicament.

**Contraception, grossesse et allaitement**

La patiente ne sera pas autorisée à participer à ce programme si elle est enceinte, souhaite être enceinte ou allaite.

Si votre enfant êtes enceinte (ou pourrait l'être) ou allaite, elle ne doit pas prendre ce médicament. Ce médicament n'est administré qu'après une chimiothérapie à base de cisplatine; le cisplatine peut nuire au bébé. Discutez avec votre médecin de la nécessité d'une contraception pendant le traitement et pendant les 6 mois qui suivent la dernière injection de Pedmarqsi®.

Ce médicament contient de l'acide borique, qui peut altérer la fertilité lorsqu'il est administré de manière chronique.

**Quels sont les effets indésirables éventuels ?**

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

*Effets indésirables graves*

Si votre enfant présente une réaction allergique sévère à ce médicament, accompagnée de symptômes tels qu'une éruption cutanée, la sensation d'avoir la poitrine qui se serre, une respiration sifflante, un

essoufflement ou une sensation de froid, informez-en immédiatement un médecin ou un/e infirmier/ère.

*Autres effets indésirables*

Les autres effets indésirables observés avec ce médicament sont généralement légers. Votre enfant pourrait présenter les effets indésirables suivants :

Très fréquents (pouvant toucher plus d'une personne sur 10) :

- Envie de vomir (nausées)
- Vomissements
- Diminution du taux de phosphate ou de potassium observé dans les analyses sanguines
- Augmentation du taux de sodium observé dans les analyses sanguines

Fréquent (pouvant toucher plus d'une personne sur 100)

- Augmentation ou diminution de la pression artérielle
- Diminution du taux de calcium observé dans les analyses sanguines
- Acidose métabolique (sang trop acide) pouvant provoquer nausées, vomissements, somnolence et essoufflement

Déclaration des effets secondaires

Si votre enfant ressent un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin ou votre infirmier/ère. Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans cette notice. Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement via le système national de déclaration décrit sur le site de l'Agence Fédérale pour les Médicaments et les Produits de Santé (AFMPS). En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

## 1.2 Informations sur la participation de votre enfant

Le programme est appelé programme médical d'urgence parce que les patients qui choisissent d'y participer peuvent obtenir accès à de nouveaux traitements et à de nouveaux schémas thérapeutiques lorsqu'il existe des preuves que les patients peuvent bénéficier de ces traitements, avant qu'ils ne soient commercialement disponibles et remboursés en Belgique.

**Votre enfant est-il obligé de participer ?**

Non. Sa participation est un choix entièrement volontaire et libre. Si vous décidez de ne pas participer ou de quitter le programme médical d'urgence à tout moment, cela n'affectera pas ses soins médicaux habituels. Si vous choisissez de participer, vous pouvez arrêter de participer à ce programme médical d'urgence à tout moment en informant votre médecin, même après avoir signé le formulaire du consentement éclairé. Le médecin en charge de votre enfant pourra vous expliquer les autres options de soins disponibles.

De même, le médecin peut mettre un terme au traitement s'il/elle estime que c'est dans l'intérêt de votre enfant.

**Que se passera-t-il si je décide que mon enfant peut participer à ce programme ?**

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

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

**Qu'advient-il si de nouvelles informations sont disponibles ?**

Il est possible que de nouvelles informations sur le traitement ou le médicament avec lequel votre enfant va être traité deviennent disponibles. Le cas échéant, votre médecin vous en informe et examine avec votre enfant s'il/elle souhaite poursuivre le traitement. Si votre enfant souhaite poursuivre le traitement, vous êtes invité(e) à signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement de manière libre et éclairée. Si vous décidez d'interrompre le traitement de votre enfant, votre médecin veillera à ce qu'il continue d'être traité de la meilleure façon qui soit.

Par ailleurs, il est possible que votre médecin décide, sur la base des nouvelles informations, qu'il est dans l'intérêt de votre enfant d'arrêter le traitement. Il/elle en expliquera les raisons et veillera également à ce que votre enfant continue d'être traité(e) de la meilleure façon qui soit.

**Quelle sera la durée du traitement**

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

Il est également possible que le médecin cesse de participer au programme parce qu'il pense que c'est meilleur pour la santé de votre enfant. Il peut également arriver que le comité d'éthique ou les autorités compétentes qui ont initialement approuvé le programme interrompent ce programme.

Le programme peut également être arrêté par Norgine NV/SA. En cas de retrait définitif ou de rejet de la demande de remboursement, le programme médical d'urgence peut être fermé. Le programme sera dans tous les cas arrêté lorsque Pedmarqsi® sera remboursé en Belgique ou après une durée de 18 mois, selon l'événement qui arrivera en premier.

**Quels seront les coûts associés à la participation au programme ?**

La société Norgine NV/SA fournira le traitement Pedmarqsi® gratuitement pendant toute la durée de ce programme médical d'urgence.

Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s'avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.

Vous ne recevrez aucune compensation financière pour la participation de votre enfant à ce programme.

**Qui puis-je contacter si j'ai besoin d'information ou d'aide ?**

Si vous avez d'autres questions au sujet du programme médical d'urgence ou le traitement administré à votre enfant, vous pouvez contacter votre médecin traitant ou l'infirmière/er responsable.

| Nom | Docteur xxx | Infirmier/ière |
|---|---|---|
| N° de téléphone | | |
| Adresse mail | | |

## 2 Informations relatives au traitement des données personnelles

La participation de votre enfant à ce programme signifie que vous acceptez que le médecin collecte des informations le concernant.

Ces informations peuvent comprendre :

- Des informations qui identifient directement votre enfant, telles que son nom, adresse, numéro de téléphone, adresse e-mail, date et lieu de naissance, numéro de carte d'identité.
- Des informations personnelles sensibles, telles que les antécédents médicaux de votre enfant, les données de son traitement dans le cadre de ce programme, ses données démographiques (par exemple, âge et sexe) et autres informations sensibles nécessaires pour ce programme.
- Les données issues des examens et analyses d'échantillons biologiques (tels que du sang ou de l'urine) et les images (telles que les radiographies, CT-scans et photographies médicales). Elles peuvent également inclure des informations génétiques.

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

Votre médecin partagera des données personnelles nécessaires à ce programme avec Norgine NV/SA sous forme pseudo-anonymisée (appelées « données codées »), ce qui signifie que Norgine NV/SA ne pourra faire aucun lien avec l'identité de votre enfant sur base de ces données.

**Comment Norgine utilise les données codées ?**

Les données codées que votre médecin va fournir à Norgine NV/SA sont la date de naissance, le sexe et poids de votre enfant, et des informations concernant son état de santé afin de :

- Déterminer si votre enfant est éligible pour participer au programme et recevoir le traitement
- Fournir le traitement pour votre enfant et gérer le programme
- Monitorer et rapporter la sécurité du programme en interne et en externe (par exemple aux autorités)
- Faire des analyses statistiques relatives à la participation au programme
- Pour répondre aux obligations légales et aux procédures internes telles que les obligations comptables ou d'archivage.

Norgine NV/SA

**Les données codées sont-elles partagées ?**

Norgine NV/SA peut avoir à partager vos données codées avec des parties tierces impliquées dans l'exécution du programme aux fins décrites ci-dessus et tel que permis par la loi. Ces tierces parties sont tenues de gérer vos données codées tel que décrit dans ce document et selon les lois en vigueur. Ces tierces parties peuvent être situées en dehors de la Belgique, notamment aux Etats-Unis, ou dans des pays n'offrant pas le même niveau de protection des données privées que la Belgique. Norgine NV/SA utilise des systèmes de contrôles appropriés afin de s'assurer que toute donnée est transférée internationalement en accord avec les lois en vigueur en Europe. Toute information complémentaire peut être obtenue par email à office@first-privacy.com.

**Comment les données codées de votre enfant seront protégées ?**

Les informations personnelles de votre enfant seront traitées conformément aux lois relatives à la protection des données en vigueur. Ces droits vous sont garantis par le règlement général européen sur la protection des données du 27 avril 2016 (en application depuis le 25 mai 2018) et par la loi belge du 30 juillet 2018 relative à la protection de la vie privée à !'égard des traitements de données à caractère personnel et par la loi belge du 22 août 2002 relative aux droits du patient.

Le centre sera le contrôleur des données des informations personnelles de votre enfant et Norgine NV/SA sera le contrôleur des données des informations codées de votre enfant.

**Quels sont mes droits en matière de protection des données ?**

Vous disposez à tout moment du droit général d'accéder aux informations personnelles de votre enfant et, si ces dernières s'avèrent incorrectes, de demander leur rectification.

Toute demande d'accès à vos informations personnelles ou de modification de ces dernières doit être adressée à votre médecin traitant.

Ces droits sont garantis par les lois en vigueur concernant la protection de la vie privée et le traitement des données à caractère personnel, ainsi que par la loi du 22 août 2002 relative aux droits du patient.

Vous avez également le droit d'introduire une plainte concernant le mode de traitement des données de votre enfant auprès de l'autorité Belge de contrôlé chargée de veiller au respect de la législation sur la protection des données : Autorité de protection des données (APD) - Rue de la Presse 35 - 1000 Bruxelles - e-mail: contact@apd-gba.be - Site web: www.autoriteprotectiondonnees.be.

# 3 Consentement éclairé

**Partie destinée aux parents ou représentant légal de l'enfant**

Mon médecin traitant a proposé un traitement avec le thiosulfate de sodium (Pedmarqsi®) pour mon enfant.

Je déclare avoir été informé(e) sur la nature du programme, son but, sa durée, les éventuels bénéfices et risques et ce que l'on attend de moi.

J'ai pris connaissance du document d'information et de l'entièreté de ce document.

J'ai eu suffisamment de temps pour y réfléchir et en parler avec une personne de mon choix comme mon médecin généraliste ou un membre de ma famille.

J'ai eu l'occasion de poser toutes les questions qui me sont venues à l'esprit et j'ai obtenu une réponse satisfaisante à mes questions.

J'ai compris que la participation de mon enfant à ce programme est volontaire et qu'il est libre de mettre fin à sa participation sans que cela ne modifie nos relations avec l'équipe thérapeutique en charge de sa santé.

J'ai compris que des données le concernant seront utilisées et que son médecin et le promoteur du programme se portent garant de la confidentialité de ces données.

Je consens au traitement des données personnelles de mon enfant selon les modalités décrites dans la rubrique traitant des garanties de confidentialité. Je donne également mon accord au transfert et au traitement de ces données dans d'autres pays que la Belgique.

J'accepte / n'accepte pas (*biffer la mention inutile*) que le médecin généraliste de mon enfant ou d'autres médecins spécialistes en charge de sa santé soient informés de sa participation à ce programme.

J'ai reçu une copie de l'information au participant et du consentement éclairé.

Je consens de mon plein gré à la participation de mon enfant à ce programme.

| **Nom et prénom du patient*** | **Date** | **Signature** |
|---|---|---|
| | | |

*: si maturité intellectuelle suffisante

Les représentants légaux du patient

| **Nom et prénom et lien avec le patient** | **Date** | **Signature** |
|---|---|---|
| | | |
| **Nom et prénom et lien avec le patient** | **Date** | **Signature** |
| | | |

**<u>En cas de présence d'un témoin ou un interprète :</u>**

J'ai été présent durant l'entièreté du processus d'information au patient et je confirme que l'information sur les objectifs et procédures du programme a été fournie de manière adéquate, que le participant et/ou son représentant légal a apparemment compris le programme et que le consentement à participer a été donné librement.

**Nom, prénom et qualification du témoin / interprète** :

**Date et signature du témoin / interprète** :

**<u>Partie destinée au médecin spécialiste traitant</u>**

Je soussigné (nom/prénom) ……médecin, confirme avoir fourni oralement au patient et/ou à son représentant légal les informations nécessaires sur le programme et lui avoir fourni un exemplaire du document d'information. Je confirme qu'aucune pression n'a été exercée pour que le patient et/ou son représentant légal accepte de participer et que je suis prêt à répondre à toutes les questions supplémentaires, le cas échéant. Je confirme travailler en accord avec les principes éthiques énoncés dans la dernière version de la "Déclaration d'Helsinki", des "Bonnes pratiques Cliniques" et du règlement européen 536/2014, relatif aux expérimentations sur la personne humaine.

**Date et signature du médecin traitant :**

Medisch noodprogramma

Geïnformeerde toestemming van de patiënt

Informatie over het beheer van persoonlijke gegevens

Medisch noodprogramma met het geneesmiddel Pedmarqsi® (dat natriumthiosulfaat bevat) voor de preventie van ototoxiciteit die wordt veroorzaakt door chemotherapie met cisplatine bij patiënten in de leeftijd van 1 maand tot 18 jaar met gelokaliseerde, niet-gemetastaseerde solide tumoren.

**Informatie voor de ouders of de wettelijke vertegenwoordiger van een patiënt in de leeftijd van 1 maand tot 18 jaar.**

Verantwoordelijk van het programma:

**Norgine nv**
MC Square Leuven
Philipssite 5 bus 1
3001 Leuven Belgium
Contact person: Kris Gellynck, medical manager, Norgine
Tel: +3216392729 | Mobile: +32485807461
E-mail: kgellynck@norgine.com

Behandelende arts: Naam: ……

Adres van het ziekenhuis: ……

……..

Telefoon: …….

Contact in spoedgeval: ……

Dit document bestaat uit drie delen:

- Noodzakelijk Informatie om uw beslissing te nemen
- Informatie over het beheer van persoonlijke gegevens van uw kind
- Het document voor de geïnformeerde toestemming

De behandelende arts van uw kind stelt voor om deel te nemen aan een medisch noodprogramma waardoor uw kind behandeld kan worden met natriumthiosulfaat voor de preventie van ototoxiciteit die wordt veroorzaakt door chemotherapie met cisplatine.

Het doel van een medisch noodprogramma is om aan één of meer patiënten die lijden aan een ernstige ziekte een geneesmiddel ter beschikking te stellen dat nog niet beschikbaar is in België voor patiënten die niet adequaat kunnen worden behandeld met de behandelingen die momenteel beschikbaar zijn.

Vooraleer u deze behandeling voor uw kind aanvaardt is het belangrijk dat u de volgende uitleg over het geneesmiddel leest en begrijpt. Als u vragen hebt over het geneesmiddel, wacht dan totdat u een

antwoord op al uw vragen heeft gekregen voordat u beslist of deze behandeling wel of niet aan uw kind wordt toegediend.

Deze behandeling maakt deel uit van een medisch noodprogramma om Pedmarqsi® beschikbaar te stellen aan jonge patiënten ter preventie van ototoxiciteit die wordt veroorzaakt door chemotherapie met cisplatine bij patiënten in de leeftijd van 1 maand tot 18 jaar met gelokaliseerde, niet-gemetastaseerde solide tumoren.

Het geneesmiddel Pedmarqsi® (dat natriumthiosulfaat bevat) werd reeds goedgekeurd door het Europees geneesmiddelenagentschap (EMA; European Medicine Agency) sinds 26 mei 2023. Dit geneesmiddel is nog niet beschikbaar in België.

De behandelende arts van uw kind denkt dat dit geneesmiddel een voordeel kan bieden voor de behandeling van uw kind. Niettemin, is er geen enkele garantie dat hij/ze voordeel zal hebben van zijn/haar deelname aan dit programma.

Vooraleer u een beslissing neemt, nodigen wij u uit om over de implicaties in termen van voordelen en mogelijke risico's te lezen, zodat u een weloverwogen beslissing kan nemen. Dit wordt het geven van een «geïnformeerde toestemming» of «informed consent» genoemd.

Lees aandachtig de volgende paar pagina's met informatie en stel al uw vragen aan uw arts.

# 1 Informatie

Als uw kind aan dit programma deelneemt, dient u het volgende te weten:

- Dit programma wordt opgestart na evaluatie en goedkeuring door een onafhankelijk ethisch comité en door het federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG, Belgisch agentschap).
- De deelname van uw kind is vrijwillig, er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Voor deelname is uw ondertekende toestemming nodig. Ook nadat u hebt getekend, kan u op elk moment de arts laten weten dat u de deelname van uw kind wilt stopzetten. Uw beslissing om al dan niet (verder) deel te nemen aan het programma zal geen enkele negatieve invloed hebben op de kwaliteit van de zorgen aan uw kind noch op uw relatie met de behandelende arts.
- De gegevens die in het kader van de deelname van uw kind aan dit programma worden verzameld, zijn vertrouwelijk en de anonimiteit van uw kind en uzelf wordt verzekerd.
- De betrokken medicatie van het programma wordt gratis verstrekt.
- Indien u extra informatie wenst, kan u altijd contact opnemen met de arts of een medewerker van zijn of haar team.
- Het wenselijk is voor de veiligheid van uw kind dat uw huisarts, als u er een hebt, of andere specialisten die instaan voor de gezondheid van uw kind, worden geïnformeerd over zijn/haar deelname aan dit programma. We zullen u vragen uw toestemming te bevestigen, maar zullen rekening houden met uw voorkeur hen niet te informeren, indien van toepassing.

## 1.1 Informatie over het geneesmiddel

Pedmarqsi® is een geneesmiddel dat natriumthiosulfaat bevat. In klinische onderzoek, is aangetoond dat natriumthiosulfaat effectief is in het verminderen van gehoorverlies veroorzaakt door cisplatine, een behandeling die vaak wordt gebruikt om vaste tumoren te behandelen. Door Pedmarqsi® 6 uur na chemotherapie op basis van cisplatine toe te dienen, vermindert dit geneesmiddel het risico op gehoorverlies dat vaak wordt waargenomen wanneer een jonge patiënt wordt behandeld met chemotherapie op basis van cisplatine voor solide tumoren die niet zijn uitgezaaid naar andere delen van het lichaam.

**Wat zijn de mogelijke voordelen van behandeling met Pedmarqsi® ?**

Pedmarqsi® kan het risico op gehoorverlies verminderen dat vaak optreedt na chemotherapie op basis van cisplatine.

**Hoe wordt Pedmarqsi® toegediend?**

Voordat uw kind dit geneesmiddel krijgt toegediend, worden er geneesmiddelen gegeven tegen misselijkheid om overgeven te voorkomen.

Dit geneesmiddel heeft de vorm van een oplossing die door een arts of verpleegkundige als infusie (indruppeling) in een ader wordt toegediend. Dit gebeurt meestal via een buisje in een ader in de borst. Dit wordt een centrale lijn genoemd. De infusie duurt ongeveer 15 minuten. De behandeling wordt zes uur na afloop van de toediening van een dosis cisplatine gestart.

De dosering van dit geneesmiddel wordt bepaald op basis van grootte (lichaamsoppervlak) in m2, berekend op basis van lengte en gewicht. De aanbevolen dosis voor personen met een gewicht van 10 kg of meer is 12,8 g per m2; personen met een gewicht van minder dan 10 kg krijgen een lagere dosis. Uw arts zal berekenen welke dosis geschikt is voor u of uw kind.

Pedmarqsi® zal worden toegediend vanaf de eerste behandelingscyclus en voor de duur van de cisplatinebehandeling.

**Heeft uw kind te veel van dit middel gekregen?**

Aangezien de dosis wordt berekend en gecontroleerd door professionele zorgverleners, is het onwaarschijnlijk dat u of uw kind de verkeerde hoeveelheid krijgt toegediend. In geval van overdosering kan u of uw kind last krijgen van misselijkheid, overgeven, schommelingen in de concentraties natrium, fosfaat of kalium in het bloed, een veranderende bloeddruk of zuur bloed (metabole acidose), wat kan leiden tot misselijkheid, overgeven, slaperigheid en kortademigheid. Uw arts kan u of uw kind een symptomatische behandeling voor deze bijwerkingen geven.

Heeft u nog andere vragen over het gebruik van dit geneesmiddel? Neem dan contact op met uw arts of verpleegkundige.

**Wanneer mag uw kind dit middel niet gebruiken? –**

- Als uw kind allergisch is voor natriumthiosulfaat of een van de stoffen in dit geneesmiddel (boorzuur, water voor injectie, zoutzuur en natriumhydroxide voor pH-aanpassing)
- Als uw kind jonger is dan 1 maand.

**Wanneer moet u of uw kind extra voorzichtig zijn met dit middel?**

Neem contact op met een arts of verpleegkundige voordat u of uw kind Pedmarqsi® krijgt toegediend als u of het kind:

- in het verleden een allergische reactie heeft gehad, zoals huiduitslag, netelroos of ademhalingsproblemen, na de toediening van een dosis natriumthiosulfaat;
- een bekende allergie heeft voor chemische stoffen die sulfieten worden genoemd, aangezien dit kan betekenen dat het kind grotere kans loopt op een allergische reactie op dit geneesmiddel;
- slecht werkende nieren heeft of lijdt aan een ernstige nierziekte;
- vanwege een andere medische aandoening een zoutarm dieet moet volgen.

**Aanvullende controletests**

Als uw kind aan dit medische noodprogramma deelneemt, zal uw arts vóór, tijdens en na de behandeling met Pedmarqsi® controletests laten uitvoeren. Hij kan ook de behandeling van uw kind indien nodig aanpassen.

**Gebruikt uw kind nog andere geneesmiddelen?**

Gebruikt uw kind naast Pedmarqsi® nog andere geneesmiddelen, heeft uw kind dat kortgeleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat uw kind in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of verpleegkundige.

**Zwangerschap en borstvoeding**

De patiënt mag niet deelnemen aan dit programma als ze zwanger is, zwanger wil worden of indien ze borstvoeding geeft.

Dit geneesmiddel mag niet worden toegediend als uw kind zwanger is, zwanger denkt te zijn, of borstvoeding geeft. Dit geneesmiddel wordt alleen toegediend na chemotherapie met cisplatine en cisplatine kan de babyschade toebrengen. Bespreek met uw arts of er tijdens de behandeling en gedurende zes maanden na de laatste injectie van Pedmarqsi® voorbehoedsmiddelen moeten worden gebruikt.

Dit geneesmiddel bevat boorzuur, dat bij chronisch gebruik de vruchtbaarheid kan aantasten.

**Mogelijke bijwerkingen**

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddelbijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

*Ernstige bijwerkingen*

Als uw kind een ernstige allergische reactie op dit geneesmiddel vertoont met symptomen zoals huiduitslag, een beklemd gevoel op de borstkas, een piepende ademhaling, kortademigheid of een koud gevoel, moet onmiddellijk een arts of verpleegkundige worden gewaarschuwd.

*Andere bijwerkingen*

De andere bijwerkingen die bij dit geneesmiddel optreden, zijn meestal licht van aard. Tot de bijwerkingen die u of uw kind kan ondervinden, behoren onder meer:

Zeer vaak (komen voor bij meer dan 1 op de 10 gebruikers)

- Misselijkheid

- Overgeven
- Verlaagd fosfaat- of kaliumgehalte waargenomen bij bloedonderzoek
- Verhoogde natriumspiegel waargenomen bij bloedonderzoek

Vaak (komen voor bij meer dan 1 op de 100 gebruikers)

- Verhoogde of verlaagde bloeddruk
- Verminderd calciumgehalte waargenomen bij bloedonderzoek
- Zuur bloed (metabole acidose), wat kan leiden tot misselijkheid, overgeven, slaperigheid en kortademigheid

Het melden van bijwerkingen

Krijgt u last van bijwerkingen, neem dan contact op met uw arts of verpleegkundige. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in deze bijsluiter staan. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden via het nationale meldsysteem zoals vermeld op de website van het federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG, Belgisch agentschap). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

## 1.2 Informatie over de deelneming van uw kind aan dit programma

Dit programma wordt een medisch noodprogramma genoemd, omdat patiënten die ervoor kiezen deel te nemen, eerder toegang kunnen krijgen tot nieuwe behandelingen en nieuwe behandelingsregimes, als er aanwijzingen zijn dat patiënten baat kunnen hebben bij behandelingen, voordat deze commercieel beschikbaar zijn en worden terugbetaald in België.

**Is uw kind verplicht om deel te nemen?**

Nee. Zijn/haar deelname is volledig een eigen, vrijwillige keuze. Als u ervoor kiest om niet deel te nemen of het medisch noodprogramma op eender welk moment te verlaten, zal dit geen invloed hebben op de gebruikelijke medische zorg. Als u ervoor kiest om deel te nemen, kunt u op elk moment stoppen met deelname aan dit medisch noodprogramma door uw arts hiervan op de hoogte te stellen, zelfs na de tekening van dit document. De behandelende arts van uw kind kan u uitleggen welke andere opties er voor hem/haar beschikbaar zijn

Uw arts kan op elk moment beslissen de behandeling stop te zetten, als hij of zij van mening is dat dit in het belang van uw kind is.

**Wat gebeurt er als uw kind aan dit programma zal deelnemen?**

Als u beslist om deel te nemen, zal uw kind eerst een screeningproces ondergaan om te bepalen of uw kind in aanmerking komt voor het programma. Als uw kind na het screeningproces geschikt geacht wordt voor het programma, zal uw kind in het programma worden ingeschreven en zal de behandeling beginnen.

Tijdens de deelname aan dit medisch noodprogramma wordt uw kind van dichtbij opgevolgd door de behandelende arts en het medisch personeel. De start en het verloop van de behandeling vallen volledig onder de verantwoordelijkheid van de behandelende arts.

**Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar is?**

Mogelijks komt er nieuwe informatie beschikbaar over de behandeling of het geneesmiddel waarmee uw kind zal worden behandeld. Als dit gebeurt, dan licht uw arts u hierover in en overlegt met u of u de behandeling wenst voort te zetten. Indien dit het geval is, dan wordt u verzocht op een vrij en geïnformeerde manier een nieuwe, aangepaste versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen. Als u beslist de behandeling te stoppen, dan zal uw arts ervoor zorgen dat uw kind op de beste manier verder begeleid wordt.

Daarnaast is het mogelijk dat uw arts op basis van de nieuwe informatie bepaalt dat het in het belang van uw kind is om de behandeling stop te zetten. Hij/zij zal de redenen hiervoor uitleggen en ervoor zorgen dat uw kind op de beste manier verder behandeld wordt.

**Beëindiging van het programma**

Uw kind kan de behandeling verder zetten zolang de behandelende arts meent dat hij/ze baat heeft bij de behandeling. De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien de ziekte verergert, indien blijkt dat uw kind het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, indien uw kind zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt. Indien uit nieuwe informatie blijkt dat uw kind geen voordeel meer haalt uit de behandeling, dan zal deze stopgezet worden.

Het is ook mogelijk dat de arts de deelname aan het programma stopzet omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor de gezondheid van uw kind. Het kan eveneens gebeuren dat het ethisch comité of de bevoegde autoriteiten die aanvankelijk goedkeuring hadden gegeven voor het programma het programma stopzet.

Het programma kan ook door Norgine NV/SA stopgezet worden. In geval van definitieve terugtrekking of afwijzing van de terugbetalingsaanvraag kan het medische noodprogramma afgesloten worden. Het programma wordt in ieder geval gestopt wanneer Pedmarqsi® terugbetaald wordt in België of na een duur van 18 maanden, afhankelijk van wat zich het eerst voordoet.

**Wat zijn de kosten voor deelname?**

Norgine NV/SA zal Pedmarqsi® gratis vertsrekken voor de duur van dit medische noodhulpprogramma.

Alle andere procedures, testen en medicatie die mogelijks noodzakelijk zijn voor dit programma zijn onderhevig aan de huidige terugbetalingscriteria.

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

Toute autre intervention médicale, ainsi que les examens ou médicaments s’avérant nécessaires au cours de ce programme seront soumis aux critères de remboursement habituels.

**Contact**

Indien u aanvullende informatie nodig heeft over dit programma of de toegediend behandeling, kan u contact opnemen met uw behandelende arts of de verantwoordelijke verpleegkundige.

| Naam | Dokter xxx | Verpleegkundige |
|---|---|---|
| Telefoonnummer | | |
| Email adres | | |

## 2 Informatie over het beheer van persoonlijke gegevens van uw kind

De deelname van uw kind aan dit programma, betekent dat u ermee akkoord gaat dat de arts gegevens over uw kind verzamelt.

Deze informatie omvat onder meer:

- Informatie waarmee men uw kind rechtstreeks kan identificeren zoals zijn/haar naam, adres, telefoonnummer, emailadres, geboortedatum en –plaats en identiteitskaartnummer.
- Gevoelige persoonlijke informatie zoals medische voorgeschiedenis, gegevens uit de behandeling van uw kind in het kader van dit programma, demografische gegevens (bijvoorbeeld, leeftijd en geslacht) en andere gevoelige informatie die nodig is voor dit programma.
- Gegevens van tests en analyses van biologische stalen (zoals bloed of urine) en beeldvorming (zoals radiografieën, CT-scans en medische foto's). Dit kan ook genetische informatie omvatten.

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

Uw arts zal de persoonlijke gegevens van uw kind die voor dit programma noodzakelijk zijn met Norgine NV/SA delen in pseudo-geanonimiseerde vorm ("gecodeerde gegevens" genoemd), wat betekent dat Norgine NV/SA op basis van deze gegevens geen enkele link met de identiteit van uw kind kan maken.

**Hoe gebruikt Norgine uw gecodeerde gegevens?**

De gecodeerde gegevens die uw arts aan Norgine NV/SA zal bezorgen zijn het geboortejaar van uw kind, geslacht en gewicht en informatie over zijn/haar gezondheidstoestand om:

- Te bepalen of uw kind in aanmerking komt voor deelname aan het programma en een behandeling te krijgen
- De behandeling te bezorgen en het programma te beheren
- Het intern en extern (bijvoorbeeld aan de autoriteiten) bewaken en rapporteren van de veiligheid van het programma
- Het uitvoeren van statistische analyses gerelateerd aan de deelname van het programma

- Aan wettelijke verplichtingen en interne procedures te voldoen zoals boekhoudkundige- of archiveringsvereisten.

**Het delen van uw gecodeerde gegevens**

Norgine NV/SA kan de gecodeerde gegevens van uw kind delen met derden die betrokken zijn bij de uitvoering van het programma voor de hierboven beschreven doeleinden en zoals toegestaan door de wet. Deze externe partijen zijn verantwoordelijk voor het beheer van de gecodeerde gegevens zoals beschreven in dit document en in overeenstemming met de toepasselijke wetgeving.

Deze derde partijen kunnen zich buiten België bevinden, met name in de Verenigde Staten, of in landen die niet hetzelfde niveau van bescherming van privégegevens aanbieden. Norgine NV/SA gebruikt geschikte controlesystemen om ervoor te zorgen dat alle gegevens internationaal worden overgedragen in overeenstemming met de geldende wetgeving in Europa. Alle bijkomende informatie kan per e-mail verkregen worden op office@first-privacy.com

**Het beschermen van uw gecodeerde gegevens**

De persoonlijke informatie van uw kind zal worden behandeld in overeenstemming met de toepasselijke wetgeving inzake gegevensbescherming. Deze rechten worden wettelijk bepaald door de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming van 27 april 2016 (van toepassing sinds 25 mei 2018) en door de Belgische wet van 30 juli 2018 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en de Belgische wet van 22 augustus 2002 betreffende patiëntenrechten.

Het centrum zal de gegevensbeheerder zijn van de persoonlijke informatie en Norgine N

V/SA zal de gegevensbeheerder zijn van de gecodeerde informatie van uw kind.

**Wat zijn mijn rechten op gegevensbescherming?**

U hebt een algemeen recht om de persoonlijke informatie van uw kind op elk gewenst moment te raadplegen en, indien deze informatie onjuist is, om de correctie ervan aan te vragen.

Elk verzoek om toegang tot of wijzigingen van uw persoonlijke informatie dient te worden gericht aan uw behandelende arts.

Deze rechten worden gewaarborgd door de toepasselijke wetgeving inzake de bescherming van de persoonlijke levenssfeer ten opzichte van de verwerking van persoonsgegevens en de wet van 22 augustus 2002 betreffende de rechten van de patiënt.

U hebt het recht om een klacht in te dienen over de manier waarop de gegevens van uw kind worden behandeld, bij de Belgische toezichthoudende autoriteit die verantwoordelijk is voor de handhaving van de wetgeving inzake gegevensbescherming: Gegevensbeschermingsautoriteit (GBA) - Drukpersstraat 35, 1000 Brussel - contact@adp-gba.be. https://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be/.

# 3 Geïnformeerde toestemming

**Deel enkel bestemd voor de ouders en de wettelijk vertegenwoordiger van het kind:**

Mijn behandelende arts heeft een behandeling voorgesteld voor mijn kind met natriumthiosulfaat (Pedmarqsi®).

Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over de aard van het medical need programma, het doel, de duur, mogelijke voordelen en risico's en wat er van mij wordt verwacht.

Ik heb kennisgenomen van de informatie in het document en van het volledige document.

Ik had voldoende tijd om hierover na te denken en erover te praten met een persoon naar keuze zoals mijn huisarts of een familielid.

Ik heb de gelegenheid gekregen om alle vragen te stellen die bij me opkwamen en ik heb een bevredigend antwoord gekregen op mijn vragen.

Ik heb begrepen dat de deelname van mijn kind aan dit programma vrijwillig is en dat hij/ze vrij is om zijn/haar deelname te beëindigen zonder de relatie met het therapeutische team dat verantwoordelijk is voor zijn/haar gezondheid te veranderen.

Ik heb begrepen dat gegevens over mijn kind zullen worden gebruikt en dat zijn/haar arts en de sponsor van het programma de vertrouwelijkheid van deze gegevens zullen garanderen.

Ik stem in met de verwerking van de persoonlijke gegevens van mijn kind op de manier die wordt beschreven in de sectie over vertrouwelijkheidsgaranties. Ik ga ook akkoord met de overdracht en verwerking van deze gegevens in andere landen dan België.

Ik ga akkoord/ niet akkoord (*schrappen wat niet van toepassing is*) dat de huisarts of andere medische specialisten die verantwoordelijk zijn voor de gezondheid van mijn kind worden geïnformeerd over zijn/haar deelname aan dit programma.

Ik heb een kopie van de patiëntinformatie en de geïnformeerde toestemming ontvangen.

Ik geef vrijwillig toestemming voor de deelname van mijn kind aan dit programma.

| **Naam, voornaam van de patiënt*** | **Datum** | **Handtekening van de patiënt** |
|---|---|---|
| | | |

*: indien voldoende intellectuele volwassenheid

De wettelijke vertegenwoordigers van de patiënt

| **Naam, voornaam en link met de patiënt** | **Datum** | **Handtekening** |
|---|---|---|
| | | |
| **Naam, voornaam en link met de patiënt** | **Datum** | **Handtekening** |
| | | |

**Indien een getuige/ tolk aanwezig is:**

Ik ben tijdens het volledige proces van informatieverstrekking aan de patiënt aanwezig geweest en ik bevestig dat de informatie over de doelstellingen en procedures van het programma op adequate wijze is verstrekt, dat de deelnemer en/of de wettelijke vertegenwoordiger het programma heeft begrepen en dat de toestemming tot deelname uit vrije wil is gegeven.

**Naam, voornaam en kwalificatie van getuige/ tolk**:

**Datum en handtekening van getuige/ tolk**:

**Deel enkel bestemd voor de behandelend arts**

Ik, ondergetekende, (naam/ voornaam) ……arts, bevestig hierbij dat ik de patiënt en/of de wettelijke vertegenwoordiger mondeling de nodige informatie over het programma heb verstrekt en hem een kopie van het informatiedocument heb bezorgd. Ik bevestig dat er geen enkele druk op de patiënt en/of de wettelijke vertegenwoordiger is uitgeoefend om deel te nemen en ik ben bereid om op alle eventuele bijkomende vragen te beantwoorden, indien nodig. Ik bevestig dat ik werk in overeenstemming met de ethische beginselen zoals vermeld in de laatste versie van de "Verklaring van Helsinki", de "Goede klinische praktijk" en de Europese verordening 536/2014 inzake experimenten op de menselijke persoon.

**Datum en handtekening van de arts:**