Summarized Information_English

Informations résumées_Français

Samengevatte informatie_Nederlands

Summarized information_English

<table>
<tr><td>Product Name</td><td>Pedmarqsi®, 80mg/ml, solution for infusion</td></tr>
<tr><td>Active substance</td><td>Sodium thiosulfate</td></tr>
<tr><td>Indication and conditions of use</td><td>
<u>Indication</u>
Medical Need Program with Pedmarqsi (sodium thiosulfate) for the "Prevention of ototoxicity induced by cisplatin (CIS) chemotherapy in patients 1 month to < 18 years of age with localized, non-metastatic, solid tumors".
<u>Conditions of use</u>
Pedmarqsi® is provided as a solution for infusion. Each vial of 100 ml contains 8 g of sodium thiosulfate.
The recommended dose of sodium thiosulfate for the prevention of cisplatin-induced ototoxicity is weight based and normalized to body surface area according to the table below.
<table>
<tr><th>Body weight</th><th>Dose (mg/m²)</th><th>Volume (ml/m²)</th></tr>
<tr><td>> 10 kg</td><td>12.8</td><td>160</td></tr>
<tr><td>5 to 10 kg</td><td>9.6</td><td>120</td></tr>
<tr><td>< 5kg</td><td>6.4</td><td>80</td></tr>
</table>
Pre-treatment with antiemetics is recommended to reduce the incidence of nausea and vomiting.
</td></tr>
<tr><td>Conditions, delays and further rules for participation of patients</td><td>
<u>Inclusion criteria</u>
• Patient aged ≥1 month and < 18 years
• Patient should present a localized, non-metastatic, solid tumor
• patients are scheduled to undergo cisplatin containing treatment
• Patient is resident in Belgium
• Patient of childbearing potential must use effective contraceptive method during therapy and at least 6 months after receiving the last dose of sodium thiosulfate
• Patient is not eligible for a clinical trial running with Pedmarqsi or another investigational medicinal product (IMP) in the MNP indication.
• Patient is not eligible for treatment or cannot be adequately treated according to clinical guidelines, because of efficacy and/or safety issues, with an alternative pharmaceutical therapy that is commercially available in Belgium AND that is reimbursed for the MNP indication.
• Patient has been clearly and completely informed by the treating physician prior to enrolment in the program.
</td></tr>
</table>

	• Patient's legal representative has signed the informed consent form (ICF) before treatment begins. <u>Exclusion criteria</u> • Patient has hypersensitivity to the active substance or to any of the excipients (boric acid, chlorohydric acid or sodium hydroxide) • Neonates under the age of 1 month due to the risk of hypernatremia <u>Procedure for patient participation</u> The treating physician must introduce an individual request as well as a copy of the physician declaration form for every patient she/he wishes to include in this medical need program. Pedmarqsi® will be made available by Norgine NV/SA only upon positive advice by the responsible physician on the eligibility of the patient in this medical need program. If the request is accepted, Pedmarqsi® will be provided for the treatment duration as defined by the treating physician. A new request needs to be submitted by the treating physician for a further treatment duration if needed as evaluated by the treating physician. The responsibility of the treatment of a patient with Pedmarqsi® lies with the treating physician.
Duration of the program	This program will start as soon as it is approved by the national competent authorities (AFMPS/FAGG/FAMHP) and after the treating physicians and hospitals pharmacies have been informed about the start of the program. The MNP will run for a duration of 12 months **or** until reimbursement procedure is ended (regardless of the outcome of the reimbursement procedure) whatever comes first. The applicant, Norgine NV/SA, has the right to review the inclusion of new patients whenever there are problems with product availability. The program will be reviewed regularly by Norgine NV/SA, who has the right to stop the program at any time (e.g. in the light of newly emerged scientific data). At the time the program ends, patients participating in the program must switch to the commercially available and reimbursed medicinal product. However, as long as the medicinal product is not commercially available and reimbursed in Belgium for the indication of the program, the applicant shall continue to provide for free the medicinal product to those patients that were already included in the program, according to the modalities of the closed program unless decided otherwise by the competent authority for scientific reasons. The modalities of this program can be adapted upon request from the competent authorities at any time e.g. in case scientific data would necessitate such change.

Conditions of distribution	The treating physician is responsible for managing patient care appropriately according to local standards and as per MNP guidance. - The treating physician checks ongoing clinical trials that could be suitable for the patients and checks the inclusion and exclusion criteria of the MNP. - The treating physician submits an unsolicited motivated request to the responsible physician, in written or electronic, by completing a patient access form provided by Norgine NV/SA, to supply Pedmarqsi® for an individual patient. - The responsible physician verifies the inclusion/exclusion criteria and the treating physician's motivation for enrolling the patient into the MNP and provides an answer to the treating physician within five (5) working days after receipt of all the required information. - In case of a positive opinion, the responsible physician sends his/her agreement to the responsible of the program who will make Pedmarqsi® available to the treating physician through the hospital pharmacist within maximum 10 days. - At the time of treatment request, a patient identifier will be assigned to the enrolled patient. This identifier needs to be used for all communication and AE reporting. - At each request for additional medication, the treating physician should agree that the benefit to the patient still outweighs the risk, before requesting further medication. Resupply will be requested, using coded patient identification number, through the same procedure as described above.
Responsible of the program	Physician responsible of the program (evaluating and approving individual requests for treatment) Prof. dr. Jutte Van Der Werff Ten Bosch Pediatrician / pediatric oncologist ZAS Paola (Child hospital), Lindendreef 1, 2020 Antwerpen RIZIV/INAMI-number: 10909233698 Tel: +32(0)32802228 E-mail: jutte.vanderwerfftenbosch@zas.be Responsible of the program (keeping a central registry including suspicions of unexpected serious adverse events, delivery of medication, logistics, etc.) Norgine nv/sa

<table>
<tr><td></td><td>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</td></tr>
<tr><td>Modalities for the disposal</td><td>All unused medication should be returned to Norgine NV/SA or destroyed in an appropriate facility as soon as possible after the patient’s discontinuation from the MNP. Medication provided for an individual patient request under the MNP should be used for that specific patient only.</td></tr>
<tr><td>The information for registration of suspected unexpected serious adverse reactions</td><td>In the event of a serious adverse event or suspected unexpected serious adverse reaction (SUSAR), whether or not associated with the medicine of the program, the treating physician will notify Norgine NV/SA within 24 hours of being made aware of the event using the provided Adverse event reporting form.

The physician may be asked to provide follow-up information about the reported event.
<table>
<tr><th>System organ class</th><th>Undesirable effect</th><th>Frequency</th></tr>
<tr><td>Immune system disorders</td><td>Hypersensitivity</td><td>Very common (11%)</td></tr>
<tr><td rowspan="5">Metabolism and nutrition disorders</td><td>Hypokalaemia</td><td>Very common (21%)</td></tr>
<tr><td>Hypernatraemia</td><td>Very common (19%)</td></tr>
<tr><td>Hypophosphataemia</td><td>Very common (18%)</td></tr>
<tr><td>Metabolic acidosis</td><td>Common (3%)</td></tr>
<tr><td>Hypocalcaemia</td><td>Common (7%)</td></tr>
<tr><td rowspan="2">Vascular disorders</td><td>Hypertension</td><td>Common (2%)</td></tr>
<tr><td>Hypotension</td><td>Common (2%)</td></tr>
<tr><td rowspan="2">Gastrointestinal disorders</td><td>Vomiting</td><td>Very common (44%)</td></tr>
<tr><td>Nausea</td><td>Very common (23%)</td></tr>
</table>
The most serious adverse reaction is hypersensitivity, observed at a frequency of ≥ 1 case per 10 patients (11%). The most commonly reported adverse reactions with a frequency of ≥ 1 case per 10 patients are vomiting (44%), nausea (23%), hypernatraemia (19%), hypophosphataemia (18%) and hypokalaemia (21%).

If available, audiologic test results from the patient (using coded patient identification number) at the start of the program as well as the end of the program should be provided to the responsible physician.</td></tr>
</table>

Informations résumées_Français

<table>
<tr><td>Nom du medicament</td><td>Pedmarqsi®, 80mg/ml, solution pour perfusion</td></tr>
<tr><td>Nom de la substance active</td><td>Thiosulfate de sodium</td></tr>
<tr><td>Indication et conditions d’utilisation</td><td>
<u>Indication</u>

Programme medical d'urgence avec Pedmarqsi® (thiosulfate de sodium) dans l'indication: "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".

<u>Conditions d'utilisation</u>

Pedmarqsi® se présente en solution pour perfusion. Chaque flacon de 100 ml contient 8 g de thiosulfate de sodium.

La dose recommandée de thiosulfate de sodium pour la prévention de l’ototoxicité induite par le cisplatine est basée sur le poids et normalisée à la surface corporelle selon le tableau ci-dessous:
<table>
<tr><th>Poids corporel</th><th>Dose (mg/m²)</th><th>Volume (ml/m²)</th></tr>
<tr><td>> 10 kg</td><td>12.8</td><td>160</td></tr>
<tr><td>5 to 10 kg</td><td>9.6</td><td>120</td></tr>
<tr><td>< 5kg</td><td>6.4</td><td>80</td></tr>
</table>

Un traitement préalable par antiémétiques est recommandé pour réduire l’incidence des nausées et des vomissements.
</td></tr>
<tr><td>Conditions, délais et modalités selon lesquels les patients sont admis dans le programme</td><td>
<u>Critères d'inclusion</u>
• Patient âgé de ≥1 mois à < 18 ans
• Patient qui présente une tumeur solide localisée et non métastatique
• Les patients doivent suivre un traitement à base de cisplatine
• Patient qui réside en Belgique
• La patiente en âge de procréer doit utiliser une méthode contraceptive efficace pendant le traitement et jusqu'à 6 mois après la dernière dose de thiosulfate de sodium
• Le patient n'est pas éligible à un essai clinique en cours avec Pedmarqsi® et/ou à un essai clinique en cours dans l'indication envisagée de ce programme.
</td></tr>
</table>

	• Le patient n'est pas éligible pour un traitement ou ne peut pas être traité de manière adéquate selon les directives cliniques, en raison de problèmes d'efficacité et/ou de sécurité, avec une thérapie pharmaceutique alternative commercialement disponible en Belgique ET remboursée pour l'indication du MNP. • Le patient ou son représentant légal a été clairement et complètement informé par le médecin traitant concernant le Medical Need Program et a signé le formulaire de consentement éclairé avant l'inclusion dans ce MNP. <u>Critères d'exclusion</u> • Le patient présente une hypersensibilité à la substance active ou à l'un des excipients (acide borique, acide chlorhydrique, hydroxyde de sodium). • Les nouveau-nés de moins de 1 mois sont exclus du programme en raison du risque d'hypernatrémie. <u>Procédure</u> Le médecin traitant doit introduire une demande individuelle ainsi qu'une copie du formulaire de déclaration du médecin pour chaque patient qu'il souhaite inclure dans ce programme médical d'urgence. Pedmarqsi® ne sera mis à disposition par Norgine NV/SA que sur avis positif du médecin responsable quant à l'éligibilité du patient à ce programme. Si la demande est acceptée, Pedmarqsi® sera fourni pour une période de traitement telle que définie par le médecin traitant. Une nouvelle demande devra être soumise par le médecin traitant pour un traitement supplémentaire, si nécessaire selon l'évaluation du médecin traitant. La responsabilité du traitement d'un patient avec Pedmarqsi® incombe au médecin traitant.
Durée	Ce programme débutera dès qu'il aura été approuvé par les autorités nationales compétentes (AFMPS/FAGG/FAMHP) et après que les médecins traitants et les pharmacies hospitalières auront été informés du début du programme. Le MNP aura une durée de 12 mois ou jusqu'à la fin de la procédure de remboursement (quelle que soit l'issue de la procédure de remboursement), selon l'événement survenu en premier. Le demandeur, Norgine NV/SA, a le droit de revoir l'inclusion de nouveaux patients en cas de problèmes de disponibilité du produit. Le programme sera revu régulièrement par Norgine NV/SA, qui a le droit d'y mettre fin à tout moment (par exemple, à la lumière de nouvelles données

	scientifiques). Au moment où le programme prend fin, les patients qui y participent doivent passer au médicament disponible sur le marché et remboursé. Toutefois, tant que le médicament n'est pas disponible et remboursé en Belgique pour l'indication du programme, le demandeur continue à fournir gratuitement le médicament aux patients qui étaient déjà inclus dans le programme, selon les modalités du programme clôturé, sauf décision contraire de l'autorité compétente pour des raisons scientifiques. Les modalités de ce programme peuvent être adaptées à la demande des autorités compétentes à tout moment, par exemple si des données scientifiques nécessitent un tel changement.
Conditions de distribution	Le médecin traitant est responsable de la gestion appropriée des soins aux patients conformément aux normes locales et aux directives du MNP. - Le médecin traitant vérifie les essais cliniques en cours qui pourraient convenir aux patients et vérifie les critères d'inclusion et d'exclusion du MNP. - Le médecin traitant soumet une demande motivée non sollicitée au médecin responsable, par écrit ou par voie électronique, en remplissant un formulaire d'accès au patient fourni par Norgine NV/SA, afin de fournir Pedmarqsi® à un patient individuel. - Le médecin responsable vérifie les critères d'inclusion/exclusion et la motivation du médecin traitant à inscrire le patient au MNP et donne une réponse au médecin traitant dans les cinq (5) jours ouvrables suivant la réception de toutes les informations requises. - En cas d'avis positif, le médecin responsable transmet son accord au responsable du programme qui mettra Pedmarqsi® à la disposition du médecin traitant par l'intermédiaire du pharmacien de l'hôpital endéans les 10 jours. - Au moment de la demande de traitement, un identifiant sera attribué au patient inscrit. Cet identifiant doit être utilisé pour toutes les communications et les rapports d'effets indésirables. - À chaque demande de médicament supplémentaire, le médecin traitant doit s'assurer que le bénéfice pour le patient l'emporte toujours sur le risque, avant de demander la poursuite du traitement. Le réapprovisionnement sera demandé, en utilisant le numéro d'identification codé du patient, selon la même procédure que celle décrite ci-dessus.
Responsable du program	<u>Médecin responsable du programme</u> (qui évalue et approuve les demandes individuelles de traitement) Prof. dr. Jutte Van Der Werff Ten Bosch Pediatrician / pediatric oncologist ZAS Paola (Child hospital), Lindendreef 1, 2020 Antwerpen RIZIV/INAMI-number: 10909233698

<table>
<tr><td></td><td>Tel: +32(0)32802228

E-mail: jutte.vanderwerfftenbosch@zas.be

<u>Responsable du programme</u> (responsable du registre central, reprenant les suspicions d'événements indésirables graves inattendus, la délivrance des médicaments, les informations logistiques, etc.)

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</td></tr>
<tr><td>Modalités selon lesquelles les médicaments non-utilisés sont traités</td><td>Tous les médicaments non utilisés doivent être retournés à Norgine NV/SA ou détruits dans un établissement approprié dès que possible après l'arrêt du traitement du patient dans le cadre du MNP. Les médicaments fournis pour un patient individuel dans le cadre du MNP ne doivent être utilisés que pour ce patient spécifique.</td></tr>
<tr><td>Données pour l’enregistrement des suspicions d’effets indésirables inattendus graves</td><td>En cas d'événement indésirable grave ou de suspicion d'effet indésirable grave inattendu (SUSAR), associé ou non au médicament du programme, le médecin traitant informera Norgine NV/SA dans les 24 heures suivant la prise de connaissance de l'événement en utilisant le formulaire de déclaration d'événement indésirable fourni.

Le médecin peut être invité à fournir des informations de suivi sur l'événement signalé.
<table>
<tr><th>Classe de systèmes d’organes</th><th>Effet indésirable</th><th>Fréquence</th></tr>
<tr><td>Affections du système immunitaire</td><td>Hypersensibilité</td><td>Très fréquent (11%)</td></tr>
<tr><td rowspan="5">Troubles du métabolisme et de la nutrition</td><td>Hypokaliémie</td><td>Très fréquent (21%)</td></tr>
<tr><td>Hypernatrémie</td><td>Très fréquent (19%)</td></tr>
<tr><td>Hypophosphatémie</td><td>Très fréquent (18%)</td></tr>
<tr><td>Acidose métabolique</td><td>Fréquent (3%)</td></tr>
<tr><td>Hypocalcémie</td><td>Fréquent (7%)</td></tr>
<tr><td rowspan="2">Affections vasculaires</td><td>Hypertension</td><td>Fréquent (2%)</td></tr>
<tr><td>Hypotension</td><td>Fréquent (2%)</td></tr>
<tr><td rowspan="2">Affections gastrointestinales</td><td>Vomissements</td><td>Très fréquent (44%)</td></tr>
<tr><td>Nausées</td><td>Très fréquent (23%)</td></tr>
</table>
L'effet indésirable le plus grave est l'hypersensibilité, observée à une fréquence ≥ 1 cas pour 10 patients (11 %). Les effets indésirables les plus fréquemment</td></tr>
</table>

	rapportés avec une fréquence ≥ 1 cas pour 10 patients sont les vomissements (44%), les nausées (23%), l'hypernatrémie (19%), l'hypophosphatémie (18%) et l'hypokaliémie (21%). Si disponibles, les résultats des tests audiologiques du patient (en utilisant le numéro d'identification codé du patient) au début et à la fin du programme seront fournis au médecin responsable.

Samengevatte informatie_Nederlands

<table>
<tr><td>Naam geneesmiddel</td><td>Pedmarqsi 80 mg/ml, oplossing voor infusie</td></tr>
<tr><td>Naam actieve substantie</td><td>Natriumthiosulfaat</td></tr>
<tr><td>Indicatie en gebruiksvoorwaarden</td><td>
<u>Indicatie</u>

Medisch noodprogramma met Pedmarqsi® in de volgende indicatie: " 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".

<u>Gebruiksvoorwaarden</u>

Pedmarqsi is verstrekt als oplossing voor infusie.

Elke flacon van 100 ml bevat 8 g natriumthiosulfaat.

De aanbevolen dosis natriumthiosulfaat ter voorkoming van door cisplatine geïnduceerde ototoxiciteit hangt af van het lichaamsgewicht van de patiënt en is genormaliseerd naar lichaamsoppervlak overeenkomstig onderstaande tabel:
<table>
<tr><th>Lichaamsgewicht</th><th>Dosering (mg/m²)</th><th>Volume (ml/m²)</th></tr>
<tr><td>> 10 kg</td><td>12.8</td><td>160</td></tr>
<tr><td>5 to 10 kg</td><td>9.6</td><td>120</td></tr>
<tr><td>< 5kg</td><td>6.4</td><td>80</td></tr>
</table>
Om de kans op misselijkheid en braken te verkleinen wordt voorafgaande behandeling met antiemetica aanbevolen.
</td></tr>
<tr><td>Voorwaarden, termijnen en nadere regelen waaronder patiënten worden toegelaten</td><td>
<u>Inclusiecriteria</u>

Patiënt in de leeftijd van 1 maand tot 18 jaar
Patiënt vertoont een gelokaliseerde, niet-gemetastaseerde solide tumor
Patiënten moeten een behandeling ondergaan die cisplatine bevat
Patiënt die in België woont
Vruchtbare patiënt moet een effectieve anticonceptiemethode gebruiken tijdens de behandeling en ten minste 6 maanden na ontvangst van de laatste dosis natriumthiosulfaat
De patiënt komt niet in aanmerking voor een lopende klinische studie met Pedmarqsi® of een ander onderzoeksgeneesmiddel voor de MNP-indicatie.

</td></tr>
</table>

	• De patiënt komt niet in aanmerking voor behandeling of kan, om wille van werkzaamheids- en/of veiligheidsproblemen, niet adequaat worden behandeld volgens de klinische richtlijnen, met een alternatieve farmaceutische therapie die in België commercieel beschikbaar is EN die wordt terugbetaald voor de MNP indicatie. • Patiënten of hun wettelijke vertegenwoordiger (s) moeten schriftelijke geïnformeerde toestemming geven voordat zij zich inschrijven voor dit programma. <u>Exclusiecriteria</u> • Patiënt is allergisch voor natriumthiosulfaat of een van de stoffen in dit geneesmiddel (boorzuur, water voor injectie, zoutzuur en natriumhydroxide) • Patiënt is jonger dan 1 maand wegens het risico op hypernatriëmie. <u>Procedure</u> De behandelende arts moet een individuele aanvraag en een kopie van het formulier met de doktersverklaring indienen voor elke patiënt die hij/zij wenst op te nemen in dit medisch noodprogramma. Pedmarqsi® zal door Norgine NV/SA alleen beschikbaar worden gesteld na positief advies van de verantwoordelijke arts over het in aanmerking komen van de patiënt in dit programma. Als de aanvraag wordt aanvaard, zal Pedmarqsi® worden verstrekt voor de behandelingsperiode zoals bepaald door de behandelende arts. Een nieuw verzoek moet worden ingediend door de behandelende arts voor een verdere behandelingsperiode indien nodig volgens de beoordeling van de behandelend arts. De verantwoordelijkheid voor de behandeling van een patiënt met Pedmarqsi® ligt bij de behandelende arts.
Looptijd	Dit programma gaat van start zodra het is goedgekeurd door de bevoegde nationale autoriteiten (AFMPS/FAGG/FAMHP) en nadat de behandelende artsen en ziekenhuisapotheken op de hoogte zijn gebracht van de start van het programma. Het MNP duurt 12 maanden of tot het einde van de terugbetalingsprocedure (ongeacht het resultaat van de terugbetalingsprocedure), afhankelijk van wat zich het eerst voordoet. De aanvrager, Norgine NV/SA, heeft het recht om de opname van nieuwe patiënten te herzien in geval van problemen met de beschikbaarheid van het product. Het programma zal regelmatig worden herzien door Norgine NV/SA, die het recht heeft om het programma op elk moment stop te zetten (bv. in het licht van nieuwe wetenschappelijke gegevens). Op het moment dat het programma

	eindigt, moeten patiënten die deelnemen aan het programma overschakelen op het commercieel beschikbare en terugbetaalde geneesmiddel. Zolang het geneesmiddel echter niet commercieel beschikbaar en terugbetaald is in België voor de indicatie van het programma, blijft de aanvrager het geneesmiddel gratis verstrekken aan de patiënten die al deelnamen aan het programma, volgens de modaliteiten van het afgesloten programma, tenzij de bevoegde autoriteit om wetenschappelijke redenen anders beslist. De modaliteiten van dit programma kunnen op verzoek van de bevoegde autoriteiten op elk moment worden aangepast, bv. als wetenschappelijke gegevens een dergelijke wijziging noodzakelijk maken.
Distributievoorwaarden	De behandelende arts is verantwoordelijk voor het beheer van de patiëntenzorg volgens de lokale normen en volgens de richtlijnen van dit MNP. - De behandelende arts controleert lopende klinische onderzoeken die geschikt zouden kunnen zijn voor de patiënten en controleert de in- en exclusiecriteria van het MNP. - De behandelende arts dient een ongevraagd gemotiveerd verzoek in bij de verantwoordelijke arts, schriftelijk of elektronisch, door een door Norgine NV/SA verstrekt formulier voor patiënttoegang in te vullen, om Pedmarqsi® te leveren voor een individuele patiënt. - De verantwoordelijke arts verifieert de inclusie-/exclusiecriteria en de motivatie van de behandelende arts om de patiënt in te schrijven in het MNP en geeft binnen vijf (5) werkdagen na ontvangst van alle vereiste informatie een antwoord aan de behandelende arts. - In geval van een positief advies stuurt de verantwoordelijke arts zijn/haar akkoord naar de verantwoordelijke van het programma die Pedmarqsi® via de ziekenhuisapotheker ter beschikking stelt van de behandelende arts binnen 10 dagen. - Op het moment dat de behandeling wordt aangevraagd, wordt een patiëntidentificatie toegewezen aan de ingeschreven patiënt. Deze identificatie moet worden gebruikt voor alle communicatie en AE-rapportage. - Bij elk verzoek om aanvullende medicatie moet de behandelend arts overeenkomen dat het voordeel voor de patiënt nog steeds opweegt tegen het risico, voordat verdere medicatie wordt aangevraagd. Heraanvulling wordt aangevraagd met gebruik van het gecodeerde patiëntidentificatienummer via dezelfde procedure als hierboven beschreven.

Verantwoordelijke van het programma	Verantwoordelijke arts (die individuele verzoeken om behandeling beoordeelt en goedkeurt) Prof. dr. Jutte Van Der Werff Ten Bosch Pediatrician / pediatric oncologist ZAS Paola (Child hospital), Lindendreef 1, 2020 Antwerpen RIZIV/INAMI-number: 10909233698 Tel: +32(0)32802228 E-mail: jutte.vanderwerfftenbosch@zas.be Verantwoordelijk van het programma (die een centraal register bijhoudt, inclusief vermoedens van onverwachte ernstige bijwerkingen, levering van medicatie, logistiek, enz.) 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
Modaliteiten voor de behandeling van niet-gebruikt geneesmiddel	Alle ongebruikte medicatie moet zo snel mogelijk nadat de patiënt stopt met het MNP worden teruggestuurd naar Norgine NV/SA of worden vernietigd in een geschikte faciliteit. Medicatie die wordt verstrekt voor een individuele patiëntaanvraag onder het MNP mag alleen voor die specifieke patiënt worden gebruikt.
Gegevens voor de registratie van vermoedens van onverwachte ernstige bijwerkingen	In geval van een ernstig bijwerking of vermoedelijke onverwachte ernstige bijwerking (SUSAR), al dan niet geassocieerd met het geneesmiddel van het programma, zal de behandelende arts Norgine NV/SA binnen 24 uur nadat hij/zij op de hoogte is gebracht van het voorval, op de hoogte stellen via het verstrekte formulier voor bijwerkingenrapportage. De arts kan gevraagd worden om follow-up informatie te geven over de gemelde bijwerking.

Systeem/orgaanklasse	Bijwerking	Frequentie
Immuunsysteemaandoeningen	Overgevoeligheid	Zeer vaak (11%)
Voedings- en stofwisselingsstoornissen	Hypokaliëmie	Zeer vaak (21%)
	Hypernatriëmie	Zeer vaak (19%)
	Hypofosfatemie	Zeer vaak (18%)
	Metabole acidose	Vaak (3%)
	Hypocalciëmie	Vaak (7%)
Vascular disorders	Hypertensie	Vaak (2%)
	Hypotensie	Vaak (2%)
Gastrointestinal disorders	Braken	Zeer vaak (44%)
	Misselijkheid	Zeer vaak (23%)

De ernstigste bijwerking is overgevoeligheid, waargenomen met een frequentie van ≥ 1 geval per 10 patiënten (11%). De meest gemelde bijwerkingen met een frequentie van ≥ 1 geval per 10 patiënten zijn braken (44%), misselijkheid (23%), hypernatriëmie (19%), hypofosfatemie (18%) en hypokaliëmie (21%).

Indien beschikbaar, zullen de resultaten van de audiologische tests van de patiënt (met gebruik van het gecodeerde identificatienummer van de patiënt) aan het begin en aan het einde van het programma worden verstrekt aan de verantwoordelijke arts.