

[Summarized Information: English](#)

[Informations Résumés: Français](#)

[Samengevatte Informatie: Nederlands](#)

Summarized Information: English

Product Name:	Sparsentan																	
Active Substance:	Sparsentan																	
Indication and Conditions of use:	<p>Indication: Treatment with sparsentan in adults with primary immunoglobulin A nephropathy (IgAN) with a urine protein excretion > 1g/day.</p> <p>Conditions of use: Sparsentan will be provided as a tablet (200 mg and 400 mg) for oral administration. The starting dose of sparsentan is 200 mg/day for the first two weeks, which can then be doubled (to 400 mg/day) based on tolerability. Doses may be modified at any time for safety or tolerability reasons at the physician's discretion. Patients will be instructed to swallow the tablets whole, and not to open, break, chew, crush, or split the tablet prior to taking.</p> <p>Program Treatment Administered:</p> <table border="1"> <tr> <td>Study treatment name</td> <td>Sparsentan</td> </tr> <tr> <td>Dosage formulation</td> <td>Tablet</td> </tr> <tr> <td>Unit dose strength(s)</td> <td>200 mg and 400mg</td> </tr> <tr> <td>Dosage level(s)</td> <td>The starting dose of sparsentan is 200 mg/day for the first two weeks, which can then be doubled (to 400 mg/day) based on tolerability</td> </tr> <tr> <td>Route of administration</td> <td>Oral</td> </tr> <tr> <td>Sourcing</td> <td>Vifor (International) AG will provide program treatment for individual participant distribution free of charge.</td> </tr> <tr> <td>Packaging and labeling</td> <td>Program treatment will be provided in 30 count bottles. Each bottle will be labeled as required per country requirement</td> </tr> <tr> <td>Ingredients</td> <td> Sparsentan Tablets: <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Silicified microcrystalline cellulose - Colloidal silicon dioxide - Lactose anhydrous - Sodium starch glycolate - Magnesium stearate - Coating, Opadry II White </td> </tr> </table>		Study treatment name	Sparsentan	Dosage formulation	Tablet	Unit dose strength(s)	200 mg and 400mg	Dosage level(s)	The starting dose of sparsentan is 200 mg/day for the first two weeks, which can then be doubled (to 400 mg/day) based on tolerability	Route of administration	Oral	Sourcing	Vifor (International) AG will provide program treatment for individual participant distribution free of charge.	Packaging and labeling	Program treatment will be provided in 30 count bottles. Each bottle will be labeled as required per country requirement	Ingredients	Sparsentan Tablets: <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Silicified microcrystalline cellulose - Colloidal silicon dioxide - Lactose anhydrous - Sodium starch glycolate - Magnesium stearate - Coating, Opadry II White
	Study treatment name	Sparsentan																
Dosage formulation	Tablet																	
Unit dose strength(s)	200 mg and 400mg																	
Dosage level(s)	The starting dose of sparsentan is 200 mg/day for the first two weeks, which can then be doubled (to 400 mg/day) based on tolerability																	
Route of administration	Oral																	
Sourcing	Vifor (International) AG will provide program treatment for individual participant distribution free of charge.																	
Packaging and labeling	Program treatment will be provided in 30 count bottles. Each bottle will be labeled as required per country requirement																	
Ingredients	Sparsentan Tablets: <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Silicified microcrystalline cellulose - Colloidal silicon dioxide - Lactose anhydrous - Sodium starch glycolate - Magnesium stearate - Coating, Opadry II White 																	
Conditions, Delays & Further Rules for	<p>Inclusion criteria</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. The patient is not eligible for a clinical trial running with sparsentan or another Investigational Medicinal Product (IMP) in IgAN. 2. The 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 																	

<p>Participation of Patients:</p>	<p>pharmaceutical therapy that is commercially available in Belgium AND that is reimbursed for IgAN.</p> <ol style="list-style-type: none"> 3. The patient has biopsy-proven IgA nephropathy. The biopsy may have been performed at any time in the past. 4. The patient has been on a stable dose that is the patients maximum tolerated dose of angiotensin-converting enzyme inhibitor (ACEI) and/or angiotensin receptor blocker (ARB) therapy for at least 3 months. 5. The patient has estimated glomerular filtration rate ≥ 30 mL/min/1.73m² at eligibility review. 6. The patient has a urine protein/creatinine ratio (UP/C) ≥ 0.75 g/g or urine protein excretion value ≥ 1.0 g/day. 7. The patient has a mean seated blood pressure $\geq 100/60$ and $\leq 160/100$ mm Hg. 8. The patient is aged ≥ 18 years. 9. Women of childbearing potential (WOCBP) must use effective methods of contraception from at least 1 month prior to treatment, during treatment, and for 1 month after stopping treatment with Sparsentan. Patients must use an effective form of contraception and have a negative serum or urine pregnancy test at eligibility review. <p>Exclusion criteria</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. The patient has IgA nephropathy secondary to another condition (eg, systemic lupus erythematosus, liver cirrhosis) or Henoch-Schonlein purpura. 2. The patient is currently enrolled in an interventional clinical trial. 3. The patient would require regular concomitant use of any of the following medications: <ol style="list-style-type: none"> a. Treatment with inhibitors of the renin-angiotensin-aldosterone and/or endothelin systems b. Strong CYP3A inhibitors c. Strong CYP3A inducers d. Potassium-sparing drugs 4. The patient has undergone any organ transplantation. 5. The patient has a documented history of heart failure (New York Heart Association Class II-IV) and/or previous hospitalization for heart failure or unexplained dyspnea, orthopnea, paroxysmal nocturnal dyspnea, or ascites. 6. The patient has clinically significant cerebrovascular disease (transient ischemic attack or stroke) and/or coronary artery disease (hospitalization for myocardial infarction or unstable angina, new onset of angina with positive functional tests, coronary angiogram revealing stenosis, or a coronary revascularization procedure) within 6 months prior to eligibility review. 7. The patient has jaundice, hepatitis, or known hepatobiliary disease (excluding asymptomatic cholelithiasis), or alanine aminotransferase and/or aspartate aminotransferase >2 times the upper limit of normal range at eligibility review. 8. The patient has a hematocrit value $< 27\%$ (0.27 L/L) or hemoglobin value < 9 g/dL (90 g/L) at eligibility review. 9. The patient has a potassium value of > 5.5 mEq/L (5.5 mmol/L) at eligibility review.
-----------------------------------	---

	<p>10. The patient has a history of serious side effect or allergic response to any Angiotensin II antagonist or ERA including sparsentan or has a hypersensitivity to any of the excipients in sparsentan.</p> <p>11. The female patient is pregnant, plans to become pregnant during the course of the program, or is breastfeeding.</p> <p>12. The patient, in the opinion of the physician, is unable to adhere to the requirements of the program, including the ability to swallow sparsentan tablets whole.</p> <p>Additionally, prior to considering a patient for enrolment in the Compassionate Use Program (CUP), the following websites must be consulted for relevant clinical trials: www.clinicaltrials.gov and www.clinicaltrialsregister.eu.</p>
<p>Duration of the Program:</p>	<p>The program will start as soon as the Compassionate Use Program (CUP) is authorized by the authorities.</p> <p>Sparsentan will be provided by the sponsor to patients eligible to enter the program, from the set-up of the CUP until sparsentan becomes commercially available in Belgium, provided that there is a continued unmet medical need (i.e. there are no suitable commercially available products in Belgium which are reimbursed).</p> <p>Vifor (International) AG reserves the right to discontinue the program if the benefit-risk balance is no longer favorable based on lack of efficacy and/or safety considerations or for reasons of marketing authorisation decline. Participants may choose to discontinue treatment at any time.</p> <p>At the time the program ends patients who participate in the program must switch to the commercially available medicinal product. However, as long as the medicinal product is not commercially available in Belgium for the indication of the program the applicant will continue to provide the medicinal product to those patients already included in the program, according to the modalities of the closed program unless otherwise decided by the competent authority for scientific reasons.</p>
<p>Conditions of Distribution:</p>	<p>The treating physician will check ongoing clinical trials for which the participant may be eligible, and also check the inclusion/exclusion criteria in sections 7.1 and 7.2 of the Compassionate Use protocol for this CUP. The physician should use appropriate clinical judgment when deciding if sparsentan is a suitable therapy for the patient. If so, the physician will contact Bionical Emes to initiate access via the CUP. The physician will be required to complete a 'Patient Access Form' via the Bionical Emes online portal (www.yourpatientaccess.com); in this form the physician will complete the eligibility criteria for the specific patient and submit this to Bionical Emes.</p> <p>The request by the treating physician will be medically reviewed by the sponsor within 2 business days and the request is then automatically sent to the responsible physician or his delegate to verify the inclusion/exclusion criteria and the treating physician's motivation for enrolling this patient within 2 business days. Before approving a patient, further information relating to the treatment request may be required which should be provided by the treating physician to allow for assessment of the case. If the patient does not meet the defined eligibility criteria for the program the case may be rejected. The treating physician is informed of the outcome of the assessment.</p> <p>Once the patient is approved, Bionical Emes will make sparsentan available to the patient through the pharmacist within a maximum of five business days.</p>

Responsible for Program:	<p>Vifor (International) AG Rechenstrasse 37, 9014 St. Gallen, Switzerland</p> <p>Phone: +41 58 851 89 39</p> <p>Email: philipp.csomor@viforpharma.com</p> <p>Contact for queries about the program: Bionical Emas: Patient.Access@BionicalEmas.com</p>																										
Modalities of Disposal:	<p>Any unused medication needs to be destroyed on site as soon as possible after the patient's discontinuation from the CUP.</p> <p>The medication delivered for an individual patient request in the context of a CUP can only be used for that particular patient.</p>																										
Information for Registration of Suspected Unexpected Serious Adverse Reactions:	<p>The treating physician will inform Vifor (International) AG using the safety report form at safetyHUB@viforpharma.com within one day i.e., immediately but no later than 24 hours of when he or she becomes aware of all adverse events (AEs), regardless of seriousness and causality assessment, including special situations (i.e. pregnancy exposure). Medication errors, pregnancies and uses outside what is foreseen in the Initial Treatment Guideline, including misuse and abuse of the product, should be forwarded as well to Vifor (International) AG. For all collected AEs, where important or relevant information is missing, active follow-up is undertaken by Vifor (International) AG.</p> <p>As a minimum, the treating physician should report any suspected unexpected serious adverse reaction (SUSAR) to the responsible physician specified in the front page of the CUP protocol. An adverse event form is available on the Bionical Emas "Your Patient Access Portal" (www.yourpatientaccess.com)</p> <p>Reference safety information is in Table 1 below</p> <p>Table 1: SARs for Sparsentan Considered Expected for Safety Reporting Purposes for IgAN</p> <table border="1" data-bbox="325 1451 1410 1939"> <thead> <tr> <th rowspan="3">System Organ Class (MedDRA)</th> <th rowspan="3">Serious Adverse Reactions (SARs)</th> <th colspan="3">Number of subjects exposed (N) = 352</th> </tr> <tr> <th>All SARs</th> <th>Fatal SARs</th> <th>Life threatening SARs</th> </tr> <tr> <th>n (%)</th> <th>n (%)</th> <th>n (%)</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Metabolism and nutrition disorders</td> <td>Hyperkalaemia</td> <td>2 (0.6%)</td> <td>0</td> <td>0</td> </tr> <tr> <td>Nervous system disorders</td> <td>Syncope</td> <td>2 (0.6%)</td> <td>0</td> <td>0</td> </tr> <tr> <td>Renal and urinary disorders</td> <td>Acute kidney injury</td> <td>2 (0.6%)</td> <td>0</td> <td>0</td> </tr> </tbody> </table>	System Organ Class (MedDRA)	Serious Adverse Reactions (SARs)	Number of subjects exposed (N) = 352			All SARs	Fatal SARs	Life threatening SARs	n (%)	n (%)	n (%)	Metabolism and nutrition disorders	Hyperkalaemia	2 (0.6%)	0	0	Nervous system disorders	Syncope	2 (0.6%)	0	0	Renal and urinary disorders	Acute kidney injury	2 (0.6%)	0	0
System Organ Class (MedDRA)	Serious Adverse Reactions (SARs)			Number of subjects exposed (N) = 352																							
				All SARs	Fatal SARs	Life threatening SARs																					
		n (%)	n (%)	n (%)																							
Metabolism and nutrition disorders	Hyperkalaemia	2 (0.6%)	0	0																							
Nervous system disorders	Syncope	2 (0.6%)	0	0																							
Renal and urinary disorders	Acute kidney injury	2 (0.6%)	0	0																							

Informations Résumés: Français

Nom du médicament:	Sparsentan																	
Nom de la substance active:	Sparsentan																	
Indication et conditions d'utilisation :	<p>Indication :</p> <p>Traitement avec le sparsentan chez des adultes atteints de néphropathie à immunoglobulines A (NlgA) primaire avec une excrétion urinaire de protéine > 1g/jour.</p>																	
	<p>Conditions d'utilisation :</p> <p>Le sparsentan sera fourni sous forme de comprimé (200 mg et 400 mg) pour administration par voie orale. La dose initiale de sparsentan est de 200 mg/jour pendant les deux premières semaines, qui peut ensuite être doublée (à 400 mg/jour) en fonction de la tolérance. Les doses peuvent être modifiées à tout moment pour des raisons de sécurité d'emploi ou de tolérance, à la discrétion du médecin. Il sera demandé aux patients d'avaler les comprimés en entier et de ne pas les ouvrir, casser, mâcher, écraser ou diviser avant de les prendre.</p>																	
	<p>Traitement du programme administré :</p> <table border="1"> <tr> <td>Nom du traitement à l'étude</td> <td>Sparsentan</td> </tr> <tr> <td>Forme pharmaceutique</td> <td>Comprimé</td> </tr> <tr> <td>Dosage(s) unitaire(s)</td> <td>200 mg et 400 mg</td> </tr> <tr> <td>Niveau(x) de dose</td> <td>La dose initiale de sparsentan est de 200 mg/jour pendant les deux premières semaines, qui peut ensuite être doublée (à 400 mg/jour) en fonction de la tolérance.</td> </tr> <tr> <td>Voie d'administration</td> <td>Orale</td> </tr> <tr> <td>Approvisionnement</td> <td>Vifor (International) AG fournira, sans frais, le traitement du programme qui sera distribué à chaque participant individuellement.</td> </tr> <tr> <td>Conditionnement et étiquetage</td> <td>Le traitement du programme sera fourni dans des flacons de 30 comprimés. Chaque flacon sera étiqueté conformément aux exigences du pays</td> </tr> <tr> <td>Ingrédients</td> <td> Comprimés de sparsentan : <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Cellulose microcristalline silicifiée - Dioxyde de silicium colloïdal - Lactose anhydre - Glycolate d'amidon sodique - Stéarate de magnésium - Enrobage, Opadry II blanc </td> </tr> </table>		Nom du traitement à l'étude	Sparsentan	Forme pharmaceutique	Comprimé	Dosage(s) unitaire(s)	200 mg et 400 mg	Niveau(x) de dose	La dose initiale de sparsentan est de 200 mg/jour pendant les deux premières semaines, qui peut ensuite être doublée (à 400 mg/jour) en fonction de la tolérance.	Voie d'administration	Orale	Approvisionnement	Vifor (International) AG fournira, sans frais, le traitement du programme qui sera distribué à chaque participant individuellement.	Conditionnement et étiquetage	Le traitement du programme sera fourni dans des flacons de 30 comprimés. Chaque flacon sera étiqueté conformément aux exigences du pays	Ingrédients	Comprimés de sparsentan : <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Cellulose microcristalline silicifiée - Dioxyde de silicium colloïdal - Lactose anhydre - Glycolate d'amidon sodique - Stéarate de magnésium - Enrobage, Opadry II blanc
Nom du traitement à l'étude	Sparsentan																	
Forme pharmaceutique	Comprimé																	
Dosage(s) unitaire(s)	200 mg et 400 mg																	
Niveau(x) de dose	La dose initiale de sparsentan est de 200 mg/jour pendant les deux premières semaines, qui peut ensuite être doublée (à 400 mg/jour) en fonction de la tolérance.																	
Voie d'administration	Orale																	
Approvisionnement	Vifor (International) AG fournira, sans frais, le traitement du programme qui sera distribué à chaque participant individuellement.																	
Conditionnement et étiquetage	Le traitement du programme sera fourni dans des flacons de 30 comprimés. Chaque flacon sera étiqueté conformément aux exigences du pays																	
Ingrédients	Comprimés de sparsentan : <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Cellulose microcristalline silicifiée - Dioxyde de silicium colloïdal - Lactose anhydre - Glycolate d'amidon sodique - Stéarate de magnésium - Enrobage, Opadry II blanc 																	

<p>Conditions, délais et modalités selon lesquels les patients sont admis dans le programme :</p>	<p>Critères d'inclusion</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Le patient n'est pas éligible à un essai clinique mené avec du sparsentan ou un autre médicament expérimental (PME) dans la NlgA. 2. Le patient n'est pas éligible au traitement ou ne peut pas être traité de manière adéquate selon les directives cliniques, en raison de problèmes d'efficacité et/ou de sécurité d'emploi, avec une thérapie pharmaceutique alternative qui est disponible dans le commerce en Belgique ET qui est remboursée pour la NlgA. 3. Le patient présente une néphropathie à IgA confirmée par biopsie. La biopsie peut avoir été réalisée à tout moment par le passé. 4. Le patient reçoit une dose stable correspondant à la dose maximale tolérée d'inhibiteur de l'enzyme de conversion de l'angiotensine (IECA) et/ou de traitement par antagoniste des récepteurs de l'angiotensine (ARA) depuis au moins 3 mois par les patients. 5. Le patient présente un taux de filtration glomérulaire estimé ≥ 30 ml/min/1,73 m² lors de l'examen de l'éligibilité. 6. Le patient présente un rapport protéine/créatinine urinaire (RP/C) $\geq 0,75$ g/g ou une valeur d'excrétion de protéine urinaire $\geq 1,0$ g/jour. 7. Le patient a une tension artérielle moyenne en position assise $\geq 100/60$ et $\leq 160/100$ mmHg. 8. Le patient est âgé de ≥ 18 ans. 9. Les femmes en âge de procréer (FAP) doivent utiliser des méthodes de contraception efficaces à partir d'au moins 1 mois avant le traitement, pendant le traitement et pendant 1 mois après l'arrêt du traitement par sparsentan. Les patientes doivent utiliser une méthode de contraception efficace et présenter un test de grossesse sérique ou urinaire négatif lors de l'examen de l'éligibilité. <p>Critères d'exclusion</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Le patient présente une néphropathie à IgA secondaire à une autre affection (p. ex., lupus érythémateux disséminé, cirrhose du foie) ou à un purpura de Henoch-Schonlein. 2. Le patient est actuellement inclus dans un essai clinique interventionnel. 3. Le patient aurait besoin d'une utilisation concomitante régulière de l'un des médicaments suivants : <ol style="list-style-type: none"> e. Traitement par inhibiteurs des systèmes rénine-angiotensine-aldostérone et/ou endothéline f. Inhibiteurs puissants du CYP3A g. Inducteurs puissants du CYP3A h. Médicaments épargneurs de potassium 4. Le patient a subi une greffe d'organe. 5. Le patient a des antécédents documentés d'insuffisance cardiaque (de classe II-IV selon la New York Heart Association) et/ou a déjà été hospitalisé pour une insuffisance cardiaque ou une dyspnée inexpliquée, une orthopnée, une dyspnée paroxystique nocturne ou une ascite. 6. Le patient présente une maladie vasculaire cérébrale cliniquement significative (attaque ischémique transitoire ou accident vasculaire cérébral) et/ou une maladie coronarienne (hospitalisation pour infarctus du myocarde ou angor instable, apparition d'un angor avec tests fonctionnels positifs, angiographie coronarienne
---	---

	<p>révélant une sténose ou procédure de revascularisation coronarienne) dans les 6 mois précédant l'examen d'éligibilité.</p> <ol style="list-style-type: none"> 7. Le patient présente une jaunisse, une hépatite ou une maladie hépatobiliaire connue (à l'exclusion de la cholélithiase asymptomatique) ou une alanine aminotransférase et/ou une aspartate aminotransférase > 2 fois la limite supérieure de la normale lors de l'examen de l'éligibilité. 8. Le patient présente une valeur d'hématocrite < 27 % (0,27 l/l) ou une valeur d'hémoglobine < 9 g/dl (90 g/l) lors de l'examen de l'éligibilité. 9. Le patient présente une valeur de potassium > 5,5 mEq/l (5,5 mmol/l) lors de l'examen de l'éligibilité. 10. Le patient a des antécédents d'effet secondaire grave ou de réponse allergique à un antagoniste de l'angiotensine II ou à un antagoniste des récepteurs de l'endothéline (ARE), y compris le sparsentan, ou présente une hypersensibilité à l'un des excipients du sparsentan. 11. La patiente est enceinte, prévoit de devenir enceinte au cours du programme ou allaite. 12. Le patient, selon l'avis du médecin, n'est pas en mesure de respecter les exigences du programme, notamment la capacité à avaler les comprimés de sparsentan en entier. <p>En outre, avant d'envisager l'inclusion d'un patient dans le programme d'usage compassionnel (PUC), les sites Internet suivants doivent être consultés pour les essais cliniques pertinents : www.clinicaltrials.gov et www.clinicaltrialsregister.eu.</p>
Durée:	<p>Le programme débutera dès que le programme d'usage compassionnel (PUC) sera autorisé par les autorités.</p> <p>Le sparsentan sera fourni par le promoteur aux patients éligibles pour participer au programme, depuis la mise en place du PUC jusqu'à ce que le sparsentan soit commercialisé en Belgique, à condition qu'il existe un besoin médical continu non satisfait (c.-à-d. qu'il n'y a pas de produits disponibles commercialement adaptés en Belgique qui sont remboursés).</p> <p>Vifor (International) AG se réserve le droit d'interrompre le programme si le rapport bénéfice/risque n'est plus favorable compte tenu du manque d'efficacité et/ou de sécurité d'emploi ou pour des raisons de refus de l'autorisation de mise sur le marché. Les participants peuvent choisir d'interrompre le traitement à tout moment.</p> <p>À la fin du programme, les patients qui participent au programme devront passer au médicament disponible dans le commerce. Toutefois, tant que le médicament n'est pas commercialisé en Belgique pour l'indication du programme, le demandeur continuera à fournir le médicament aux patients déjà inclus dans le programme, conformément aux modalités du programme fermé, sauf décision contraire de l'autorité compétente pour des raisons scientifiques.</p>
Conditions de distribution :	<p>Le médecin traitant vérifiera les essais cliniques en cours pour lesquels le participant peut être éligible et vérifiera également les critères d'inclusion/exclusion dans les sections 7.1 et 7.2 du protocole d'usage compassionnel pour ce PUC. Le médecin doit faire preuve d'un jugement clinique approprié pour décider si le sparsentan est un traitement approprié pour le patient. Le cas échéant, le médecin contactera Bionical Emes pour initier l'accès au médicament par l'intermédiaire du PUC. Le médecin devra remplir un « Formulaire d'accès du patient » (Patient Access Form) sur le portail Bionical Emes en ligne</p>

	<p>(www.yourpatientaccess.com) ; dans ce formulaire, il remplira les critères d'éligibilité pour le patient en question et le soumettra à Bionical Emas.</p> <p>La demande du médecin traitant sera examinée médicalement par le promoteur dans un délai de 2 jours ouvrables et la demande sera ensuite automatiquement envoyée au médecin responsable ou à son délégué pour vérifier les critères d'inclusion/exclusion et la motivation du médecin traitant à inclure ce patient dans un délai de 2 jours ouvrables.</p> <p>Avant d'approuver un patient, d'autres informations relatives à la demande de traitement peuvent être requises, lesquelles doivent être fournies par le médecin traitant pour permettre l'évaluation du cas. Si le patient ne répond pas aux critères d'éligibilité définis pour le programme, le cas peut être rejeté. Le médecin traitant sera informé des résultats de l'évaluation.</p> <p>Une fois le patient approuvé, Bionical Emas mettra le sparsentan à la disposition du patient par l'intermédiaire du pharmacien dans un délai maximum de cinq jours ouvrables.</p>
<p>Responsable:</p>	<p>Vifor (International) AG Rechenstrasse 37, 9014 St. Gallen, Suisse</p> <p>Téléphone : +41 58 851 89 39</p> <p>E-mail : philipp.csomor@viforpharma.com</p> <p><u>Personne à contacter pour toute question concernant le programme :</u> Bionical Emas: Patient.Access@BionicalEmas.com</p>
<p>Modalités selon lesquelles les médicaments non-utilisés sont traités:</p>	<p>Tout médicament non utilisé doit être détruit au centre dès que possible après l'interruption de la participation du patient au PUC.</p> <p>Le médicament délivré pour une demande de patient individuel dans le cadre du PUC ne peut être utilisé que pour ce patient particulier.</p>

Données pour l'enregistrement des suspicions d'effets indésirables graves:

Le médecin traitant informera Vifor (International) AG en utilisant le formulaire de rapport de sécurité d'emploi à l'adresse safetyHUB@viforpharma.com dans un délai d'un jour, c.-à-d. immédiatement, mais au plus tard 24 heures après avoir pris connaissance de tous les événements indésirables (EI), indépendamment de l'évaluation de la gravité et de la causalité, y compris les situations particulières (c.-à-d. exposition à la grossesse). Les erreurs de médication, les grossesses et les utilisations en dehors de ce qui est prévu dans les Directives de traitement initial, y compris le mésusage et l'abus du produit, doivent également être transmises à Vifor (International) AG. Pour tous les EI recueillis, lorsqu'il manque des informations importantes ou pertinentes, un suivi actif sera effectué par Vifor (International) AG.

Au minimum, le médecin traitant doit signaler toute suspicion d'effet indésirable grave inattendu (SUSAR) au médecin responsable indiqué en première page du protocole du PUC. Un formulaire des événements indésirables est disponible sur le Bionical Emas « Your Patient Access Portal » (www.yourpatientaccess.com)

Les informations de référence sur la sécurité d'emploi figurent dans le Tableau 1 ci-dessous.

Tableau 1 : RIG pour le sparsentan considérées comme attendues aux fins de signalement de la sécurité d'emploi pour la NIgA

Classe de systèmes d'organes (MedDRA)	Réactions Indésirables Graves (RIG)	Nombre de sujets exposés (N) = 352		
		Toutes les RIG	RIG fatales	RIG mettant en jeu le pronostic vital
		n (%)	n (%)	n (%)
Troubles du métabolisme et de la nutrition	Hyperkaliémie	2 (0,6 %)	0	0
Affections du système nerveux	Syncope	2 (0,6 %)	0	0
Affections du rein et des voies urinaires	Lésion rénale aiguë	2 (0,6 %)	0	0

Samengevatte Informatie: Nederlands

Naam geneesmiddel:	Sparsentan																
Naam actieve substantie:	Sparsentan																
Indicatie en gebruiksvoorwaarden:	<p>Indicatie: Behandeling van volwassenen met primaire immunoglobuline A-nefropathie (IgAN) met een eiwituitscheiding in de urine > 1 g perdag met sparsentan.</p> <p>Gebruiksvoorwaarden: Sparsentan wordt verstrekt als een tablet (200 mg en 400 mg) voor orale toediening. De aanvangsdosis sparsentan is 200 mg/dag gedurende de eerste twee weken, die vervolgens kan worden verdubbeld (tot 400 mg/dag) op basis van verdraagbaarheid. De doses kunnen op elk moment worden aangepast om veiligheidsredenen of om verdraagbaarheidsredenen, naar het oordeel van de arts. De patiënten krijgen de instructie om de tabletten in hun geheel door te slikken en de tablet niet te openen, te breken, te kauwen, te pletten of te splitsen voordat deze wordt ingenomen.</p> <p>Programma toegediende behandeling:</p> <table border="1"> <tr> <td>Naam van de studiebehandeling</td> <td>Sparsentan</td> </tr> <tr> <td>Doseringsformulering</td> <td>Tablet</td> </tr> <tr> <td>Sterkte(s) dosiseenheid</td> <td>200 mg en 400 mg</td> </tr> <tr> <td>Doseringsniveau(s)</td> <td>De aanvangsdosis sparsentan is 200 mg/dag gedurende de eerste twee weken, die vervolgens kan worden verdubbeld (tot 400 mg/dag) op basis van verdraagbaarheid.</td> </tr> <tr> <td>Toedieningswijze</td> <td>Oraal</td> </tr> <tr> <td>Sourcing</td> <td>Vifor (International) AG biedt gratis programmabehandeling voor individuele deelnemersdistributie</td> </tr> <tr> <td>Verpakking en etikettering</td> <td>De programmabehandeling wordt verstrekt in 30 flesjes. Elk flesje wordt geëtiketteerd volgens de vereisten van het land</td> </tr> <tr> <td>Bestanddelen</td> <td>Sparsentan tabletten: <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Gesiliciseerde microkristallijne cellulose - Colloïdaal siliciumdioxide - Lactose watervrij - Natriumzetmeelglycolaat - Magnesiumstearaat - Coating, Opadry II wit </td> </tr> </table>	Naam van de studiebehandeling	Sparsentan	Doseringsformulering	Tablet	Sterkte(s) dosiseenheid	200 mg en 400 mg	Doseringsniveau(s)	De aanvangsdosis sparsentan is 200 mg/dag gedurende de eerste twee weken, die vervolgens kan worden verdubbeld (tot 400 mg/dag) op basis van verdraagbaarheid.	Toedieningswijze	Oraal	Sourcing	Vifor (International) AG biedt gratis programmabehandeling voor individuele deelnemersdistributie	Verpakking en etikettering	De programmabehandeling wordt verstrekt in 30 flesjes. Elk flesje wordt geëtiketteerd volgens de vereisten van het land	Bestanddelen	Sparsentan tabletten: <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Gesiliciseerde microkristallijne cellulose - Colloïdaal siliciumdioxide - Lactose watervrij - Natriumzetmeelglycolaat - Magnesiumstearaat - Coating, Opadry II wit
	Naam van de studiebehandeling	Sparsentan															
Doseringsformulering	Tablet																
Sterkte(s) dosiseenheid	200 mg en 400 mg																
Doseringsniveau(s)	De aanvangsdosis sparsentan is 200 mg/dag gedurende de eerste twee weken, die vervolgens kan worden verdubbeld (tot 400 mg/dag) op basis van verdraagbaarheid.																
Toedieningswijze	Oraal																
Sourcing	Vifor (International) AG biedt gratis programmabehandeling voor individuele deelnemersdistributie																
Verpakking en etikettering	De programmabehandeling wordt verstrekt in 30 flesjes. Elk flesje wordt geëtiketteerd volgens de vereisten van het land																
Bestanddelen	Sparsentan tabletten: <ul style="list-style-type: none"> - Sparsentan - Gesiliciseerde microkristallijne cellulose - Colloïdaal siliciumdioxide - Lactose watervrij - Natriumzetmeelglycolaat - Magnesiumstearaat - Coating, Opadry II wit 																

Voorwaarden, termijnen en nadere regels waaronder patiënten worden toegelaten:

Inclusiecriteria

1. De patiënt komt niet in aanmerking voor een klinische studie met sparsentan of een ander experimenteel geneesmiddel (IMP) in IgAN.
2. De patiënt komt niet in aanmerking voor behandeling of kan niet adequaat worden behandeld volgens de klinische richtlijnen, vanwege problemen met de werkzaamheid en/of veiligheid, met een andere farmaceutische therapie die commercieel beschikbaar is in België EN die wordt vergoed voor IgAN.
3. De patiënt heeft IgA-nefropathie die met een biopsie is bewezen. De biopsie kan op elk moment in het verleden zijn uitgevoerd.
4. De patiënt heeft gedurende ten minste 3 maanden een stabiele dosis gekregen die de maximaal verdragen dosis van de angiotensineconverterend-enzymremmer (ACEI) en/of angiotensinereceptorblokker (ARB) van de patiënt is.
5. De patiënt heeft een geschatte glomerulaire filtratiesnelheid ≥ 30 ml/min/1,73m² bij het beoordelen van geschiktheid.
6. De patiënt heeft een eiwit/creatinine-verhouding (UP/C) in urine $\geq 0,75$ g/g of een eiwituitscheidingswaarde in urine $\geq 1,0$ g/dag.
7. De patiënt heeft een gemiddelde bloeddruk in zittende houding $\geq 100/60$ en $\leq 160/100$ mmHg.
8. De patiënt is ≥ 18 jaar oud.
9. Vrouwen in de vruchtbare leeftijd (WOCBP) moeten effectieve anticonceptiemethoden gebruiken vanaf ten minste 1 maand vóór de behandeling, tijdens de behandeling en gedurende 1 maand na het stoppen van de behandeling met sparsentan. Patiënten moeten een effectieve vorm van anticonceptie gebruiken en een negatieve zwangerschapstest, op serum of urine, hebben bij de beoordeling van de geschiktheid.

Exclusiecriteria

1. De patiënt heeft IgA-nefropathie secundair aan een andere aandoening (bijv. systemische lupus erythematoses, levercirrose) of Henoch-Schonlein purpura.
2. De patiënt is momenteel ingeschreven in een interventionele klinische studie.
3. De patiënt zou regelmatig gelijktijdig gebruik van een van de volgende geneesmiddelen nodig hebben:
 - i. Behandeling met remmers van de renine-angiotensine-aldosteron- en/of endothelinesystemen
 - j. Sterke CYP3A-remmers
 - k. Sterke CYP3A-inductoren
 - l. Kaliumsparende geneesmiddelen
4. De patiënt heeft een orgaantransplantatie ondergaan.
5. De patiënt heeft een gedocumenteerde voorgeschiedenis van hartfalen (New York Heart Association klasse II-IV) en/of eerdere ziekenhuisopname voor hartfalen of onverklaarbare dyspneu, orthopneu, paroxysmale nachtelijke dyspneu of ascites.
6. De patiënt heeft klinisch significante cerebrovasculaire ziekte (transiënte ischemische aanval of beroerte) en/of coronaire hartziekte (ziekenhuisopname voor myocardinfarct of instabiele angina, nieuw optreden van angina met positieve functionele tests, coronair angiogram waaruit stenose blijkt, of een coronaire revascularisatieprocedure) binnen 6 maanden voorafgaand aan de geschiktheidsbeoordeling.

	<p>7. De patiënt heeft geelzucht, hepatitis of bekende hepatobiliaire ziekte (met uitzondering van asymptomatische cholelithiasis), of alanine-aminotransferase en/of aspartaataminotransferase > 2 keer de bovengrens van normaal bij het beoordelen van geschiktheid.</p> <p>8. De patiënt heeft een hematocrietwaarde < 27% (0,27 l/l) of hemoglobinewaarde < 9 g/dl (90 g/l) bij de beoordeling van geschiktheid.</p> <p>9. De patiënt heeft een kaliumwaarde van > 5,5 mEq/l (5,5 mmol/l) bij de beoordeling van geschiktheid.</p> <p>10. De patiënt heeft een voorgeschiedenis van ernstige bijwerking of allergische reactie op een angiotensine II-antagonist of ERA, waaronder sparsentan, of heeft een overgevoeligheid voor een van de hulpstoffen in sparsentan.</p> <p>11. De vrouwelijke patiënt is zwanger, is van plan zwanger te worden tijdens het programma of geeft borstvoeding.</p> <p>12. De patiënt is naar het oordeel van de arts niet in staat om zich aan de vereisten van het programma te houden, waaronder het vermogen om sparsentan-tabletten in hun geheel door te slikken.</p> <p>Daarnaast moet, voordat een patiënt wordt overwogen voor registratie aan het Compassionate use Program (CUP), de volgende websites worden geraadpleegd voor relevante klinische studies: www.clinicaltrials.gov en www.clinicaltrialsregister.eu.</p>
Looptijd	<p>Het programma start zodra het CUP geautoriseerd is door de autoriteiten.</p> <p>Sparsentan zal door de opdrachtgever worden verstrekt aan patiënten die in aanmerking komen om deel te nemen aan het programma, vanaf de start van de CUP totdat sparsentan in de handel verkrijgbaar wordt in België, op voorwaarde dat er een blijvende onvervulde medische behoefte is (d.w.z. er zijn geen geschikte in de handel verkrijgbare producten in België die worden vergoed).</p> <p>Vifor (International) AG behoudt zich het recht om het programma stop te zetten als de baten-risicoverhouding niet langer gunstig is op basis van gebrek aan werkzaamheid en/of gebrek aan veiligheidsoverwegingen of vanwege het weigeren van de vergunning voor het in de handel brengen. De deelnemers kunnen op elk moment kiezen om de behandeling stop te zetten.</p> <p>Op het moment dat het programma eindigt, moeten patiënten die aan het programma deelnemen, overstappen op het in de handel verkrijgbare geneesmiddel. Echter, zolang het geneesmiddel in België niet in de handel verkrijgbaar is voor de indicatie van het programma, zal de aanvrager het geneesmiddel blijven verstrekken aan de patiënten die al in het programma zijn opgenomen, volgens de modaliteiten van het gesloten programma, tenzij door de bevoegde autoriteit om wetenschappelijke redenen anders wordt besloten.</p>
Distributievoorwaarden:	<p>De behandelend arts zal lopende klinische studies controleren waarvoor de deelnemer mogelijk in aanmerking komt, en ook de inclusie-/exclusiecriteria controleren in rubriek 7.1 en 7.2 van het Compassionate Use protocol voor dit CUP. De arts moet het juiste klinisch oordeel gebruiken bij de beslissing of sparsentan een geschikte behandeling is voor de patiënt. Als dat het geval is, neemt de arts contact op met Bionical Emas om toegang te starten via het CUP. De arts is verplicht om een 'Patient Access Form' in te vullen via het online portaal (www.yourpatientaccess.com); van Bionical Emas. In dit</p>

	<p>formulier zal de arts de geschiktheidscriteria voor de specifieke patiënt invullen en deze indienen bij Bionical Emas._</p> <p>Het verzoek van de behandelend arts wordt binnen 2 werkdagen medisch beoordeeld door de opdrachtgever en het verzoek wordt dan automatisch naar de verantwoordelijke arts of zijn afgevaardigde gestuurd om de inclusie-/exclusiecriteria en de motivatie van de behandelend arts om deze patiënt binnen 2 werkdagen te registreren te verifiëren. Voordat een patiënt wordt goedgekeurd, kan nadere informatie met betrekking tot het behandelingsverzoek nodig zijn die door de behandelend arts moet worden verstrekt om de beoordeling van de casus mogelijk te maken. Als de patiënt niet voldoet aan de gedefinieerde geschiktheidscriteria voor het programma, kan de casus worden afgewezen. De behandelend arts wordt geïnformeerd over de uitkomst van de beoordeling. Zodra de patiënt is goedgekeurd, stelt Bionical Emas sparsentan binnen maximaal vijf werkdagen beschikbaar aan de patiënt via de apotheker.</p>
<p>Verantwoordelijke:</p>	<p>Vifor (International) AG Rechenstrasse 37, 9014 St. Gallen, Switzerland Telefoon: +41 58 851 89 39 E-mail: philipp.csomor@viforpharma.com</p> <p><u>Contactpersoon voor vragen over het programma:</u> Bionical Emas: Patient.Access@BionicalEmas.com</p>
<p>Modaliteiten voor de behandeling van niet-gebruikt geneesmiddel:</p>	<p>Ongebruikte medicatie moet zo snel mogelijk na stopzetting van het CUP door de patiënt in het centrum worden vernietigd.</p> <p>De geneesmiddelen die voor een individuele patiëntaanvraag wordt geleverd in het kader van het CUP kan alleen voor die specifieke patiënt worden gebruikt.</p>

Gegevens voor de registratie van vermoedens van onverwachte bijwerkingen:

De behandelend arts zal Vifor (International) AG binnen één dag informeren via het veiligheidsrapportageformulier op safetyHUB@viforpharma.com, d.w.z. onmiddellijk maar niet later dan 24 uur nadat hij of zij zich bewust wordt van een bijwerking of bijwerkingen (AE's), ongeacht de beoordeling van ernst en causaliteit, inclusief speciale situaties (d.w.z. blootstelling aan zwangerschap). Medicatiefouten, zwangerschappen en gebruik buiten wat voorzien is in de eerste behandelingsrichtlijn, waaronder verkeerd gebruik en misbruik van het product, moeten ook worden doorgestuurd naar Vifor (International) AG. Voor alle verzamelde bijwerkingen waarvoor belangrijke of relevante informatie ontbreekt, wordt actieve follow-up uitgevoerd door Vifor (International) AG.

De behandelend arts dient minimaal elke vermoede onverwachte ernstige bijwerking (SUSAR) te melden aan de verantwoordelijke arts die op de voorpagina van het CUP-protocol staat vermeld. Een bijwerkingenformulier is beschikbaar op het Bionical Emas "Your Patient Access Portal" (www.yourpatientaccess.com)

Referentieveiligheidsinformatie staat in tabel 1 hieronder.

Tabel 1: Serious Adverse Reactions (SAR's) voor sparsentan worden verwacht voor veiligheidsrapportagedoeleinden voor IgAN

Systeem/orgaanklasse (MedDRA)	SAR's	Aantal blootgestelde proefpersonen (n) = 352		
		Alle SAR's	Fatale SAR's	Levensbedreigende SAR's
		n (%)	n (%)	n (%)
Voedings- en stofwisselingsstoornissen	Hyperkaliëmie	2 (0,6%)	0	0
Zenuwstelselaandoeningen	Syncope	2 (0,6%)	0	0
Nier- en urinewegaandoeningen	Acuut nierletsel	2 (0,6%)	0	0