

NOTICE D'INFORMATION DESTINEE AUX PARENTS/TUTEURS

**Cher
Parent/tuteur,**

PTC Therapeutics a mis en œuvre un Programme Médical d'Urgence (Medical Need Program, MNP) pour les patients éligibles ayant complétés l'étude clinique de phase 019 (An Open-Label Study for Previously Treated Ataluren (PTC124) Patients with Nonsense Mutation Dystrophinopathy) ou 020e (a phase 3 extension study of ataluren (PTC124) in patients with nonsense mutation dystrophinopathy) et désigné le **Professeur Nathalie Goemans, MD PhD, neuro-pédiatre à l'Hôpital Universitaire de Leuven (Investigateur Principal de l'étude 019 et 020E pour la Belgique)** comme Médecin Responsable du MNP, chargé de vérifier l'éligibilité des patients.

Le médecin de votre enfant vous a donné cette invitation parce qu'il a complété l'étude l'étude 019 ou 020E, parce qu'il pense qu'il remplit les conditions pour participer au MNP et parce qu'un traitement par TRANSLARNA™ (ataluren) pourrait lui être bénéfique.

Votre enfant devrait pouvoir participer au MNP si vous le souhaitez mais avant de prendre votre décision de participer ou non, il est important que vous compreniez pourquoi ce MNP est mené et ce que cela impliquera pour votre enfant. Ce formulaire d'Information au patient et de Déclaration de consentement vous donne des renseignements sur le MNP pour vous aider à prendre votre décision. Veuillez, s'il vous plaît, prendre le temps de le lire attentivement. Pour participer, vous devez signer la Déclaration de consentement qui se trouve à la fin de ce formulaire.

Important

Il se peut que ce formulaire d'Information au patient et de Déclaration de consentement contienne des informations que vous ne comprenez pas. Veuillez, s'il vous plaît, demander à votre médecin de vous expliquer chaque mot ou information que vous ne comprenez pas ou si vous souhaitez obtenir davantage de renseignements.

Qu'est-ce qu'un " Programme Médical d'Urgence (Medical Need Program, MNP) ?

Dans un MNP, les médicaments, qui ne sont pas encore autorisés à la vente en Belgique, peuvent être mis gratuitement, à la disposition d'un groupe de patients qui, comme vous, selon l'évaluation clinique et l'opinion de votre médecin, pourraient en bénéficier. Un MNP n'est possible que si le médicament est donné à des patients atteints d'une maladie pouvant conduire à un handicap grave ou pouvant représenter une menace pour la vie et pour laquelle il n'existe pas de médicament autorisé traitant cette maladie de façon satisfaisante. Le médicament doit aussi soit être en cours d'étude dans un essai clinique, soit faire l'objet d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (demande de permission pour la commercialisation).

Traitement par TRANSLARNA™ (ataluren)

Qu'est-ce que Translarna et dans quel cas est-il utilisé ?

TRANSLARNA™ est un médicament qui contient la substance active ataluren.

TRANSLARNA™ est utilisé pour traiter la dystrophie musculaire de Duchenne causée par un défaut génétique particulier qui affecte la fonction musculaire normale.

TRANSLARNA™ est utilisé pour traiter les patients âgés de 5 ans et plus, qui sont capables de marcher.

Avant de commencer le traitement avec TRANSLARNA™, vous ou votre enfant aurez un test sanguin fait par votre médecin pour confirmer que votre maladie peut être traitée par ce médicament.

Comment le TRANSLARNA™ agit-il ?

La dystrophie musculaire de Duchenne est causée par des modifications génétiques entraînant une anomalie dans une protéine du muscle appelée dystrophine, dont les muscles ont besoin pour fonctionner correctement. TRANSLARNA™ permet la production de dystrophine et aide les muscles à fonctionner correctement.

Déroutement du Programme Médical d'Urgence (Medical Need Program, MNP)?

Une fois que vous aurez signé le Formulaire de Déclaration de Consentement, votre médecin soumettra par écrit au Médecin Responsable du programme, une demande d'autorisation pour vous inclure dans le MNP-TRANSLARNA en Belgique. Pour permettre au Professeur Nathalie Goemans d'approuver votre participation, le médecin de votre enfant lui enverra également une copie d'un document prouvant votre identité et une copie de votre Formulaire de Déclaration de Consentement signé. Le Professeur Goemans et votre médecin conserveront cette demande d'autorisation de participation ainsi que vos données personnelles pendant 10 ans.

Si l'enfant participe au MNP-TRANSLARNA en Belgique, il aura le droit de recevoir TRANSLARNA™ lors de vos visites de routine à l'hôpital jusqu'à ce qu'il soit commercialisé en Belgique (à moins que le programme ne soit arrêté pour les raisons expliquées plus loin).

Aucune visite ou examen supplémentaire ne sera demandé pour le MNP.

Votre médecin sera responsable de vous pendant que vous prendrez dans le MNP. Il/Elle s'assurera régulièrement de votre bien-être et sera attentif aux effets secondaires possibles du médicament. Si vous subissez des effets secondaires, des maladies, des blessures ou des problèmes pendant votre traitement, veuillez s'il vous plaît, en informer votre médecin immédiatement. Il/Elle décidera s'il y a lieu de modifier votre traitement avec TRANSLARNA™ et prendra les mesures nécessaires s'il s'agit d'effets secondaires. Dans le cadre de votre traitement habituel, votre médecin vous prescrira des examens de routine qui pourraient inclure des analyses de sang, des mesures du rythme cardiaque et de la fonction respiratoire. Il/Elle vous demandera si vous avez pris des médicaments (dont ceux que vous avez achetés vous-même) ou si vous avez arrêté/changé de médicaments et vous interrogera sur votre état de santé à cette période. Les examens que vous aurez à faire dépendront entièrement de ce que votre médecin jugera nécessaire.

A chaque visite vous recevrez TRANSLARNA™ en quantité suffisante jusqu'à la visite suivante. Veuillez, s'il vous plaît, rapporter tous les comprimés non utilisés à la fin de votre participation au MNP.

Pendant votre participation au MNP vous devrez utiliser une méthode de contraception reconnue. Si votre partenaire tombe enceinte, veuillez s'il vous plaît en avvertir votre médecin immédiatement.

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. Vous pourriez présenter un ou plusieurs des effets indésirables suivants après la prise de TRANSLARNA™ :

Effets indésirables très fréquents (pouvant toucher plus de 1 personne sur 10)

- Vomissements

Effets indésirables fréquents (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10) :

- Diminution de l'appétit
- Taux élevés de triglycérides
- Céphalées
- Nausées
- Perte de poids
- Tension artérielle élevée
- Toux
- Saignement de nez
- Constipation
- Flatulences
- Gêne au niveau de l'estomac
- Douleurs au niveau de l'estomac
- Éruption cutanée
- Douleurs dans les bras ou les jambes
- Douleur thoracique
- Miction involontaire
- Présence de sang dans les urines
- Fièvre

Fréquence indéterminée (la fréquence ne peut pas être estimée sur la base des données disponibles)

- Augmentations des lipides sanguins
- Altérations des tests de la fonction rénale

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

PTC Therapeutics informera le médecin de votre enfant et il/elle vous dira si des changements doivent être apportés au MNP pour protéger sa santé. Dans certains cas, il arrive que de nouvelles informations deviennent disponibles au sujet du médicament avec lequel votre enfant va être traité. Le cas échéant, votre médecin vous en informera et verra avec vous si vous souhaitez poursuivre le traitement.

Dans ce cas, vous êtes invité à signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement. Si vous décidez de mettre un terme au traitement de votre enfant, son médecin

veillera à ce qu'il continue d'être traité de la meilleure façon qui soit.

Par ailleurs, votre médecin peut décider, sur la base de nouvelles informations, qu'il est dans votre intérêt d'arrêter le traitement avec TRANSLARNA™. Il/Elle vous en expliquera les raisons et veillera à ce que vous continuiez d'être traité de la meilleure façon qui soit.

Participation volontaire / Droit d'arrêter le traitement ?

Votre décision pour que votre enfant suive ce traitement est entièrement volontaire. Vous avez le droit de changer d'avis et vous êtes libre de décider d'arrêter la prise de TRANSLARNA™ par votre enfant ou de retirer votre autorisation d'utiliser et de donner l'accès à vos données médicales, à n'importe quel moment. Vous aborderez cette décision avec son médecin, sans avoir à en donner de raison et il pourra être sorti du MNP.

Une fois votre décision prise de terminer à la participation de votre enfant au MNP, vous ne subirez aucun désavantage et votre traitement médical ultérieur n'en sera affecté en aucune manière.

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

Que se passe-t-il au terme du TRANSLARNA-MNP?

La durée du traitement dépendra de la réponse de votre enfant à TRANSLARNA™. Votre médecin peut arrêter le traitement de votre enfant sans votre consentement, s'il le juge nécessaire. Par exemple sa maladie s'aggrave, s'il apparaît qu'il ne tolère pas le médicament en raison d'effets secondaires graves, s'il ne se conforme pas aux instructions relatives au traitement, si de nouvelles informations indiquent qu'il ne tire plus un bénéfice du traitement ou si, du fait de certaines circonstances, vous ne pouvez donner votre consentement de manière libre et éclairée. Il est également possible que PTC Therapeutics ou l'AFMPS doivent arrêter le MNP. Dans tous les cas, vous serez informé des raisons de l'arrêt du MNP ou de la raison pour laquelle vous en êtes soustrait. Tous les efforts seront faits pour vous assurer la meilleure sécurité et la disponibilité du traitement le plus approprié à votre état de santé.

Le MNP sera de toute façon arrêté lorsque TRANSLARNA™ sera commercialisé en Belgique.

Indemnité

Par définition, le MNP prévoit que PTC Therapeutics fournisse TRANSLARNA™ gratuitement dans le MNP-TRANSLARNA tant que ce programme est autorisé par l'AFMPS et jusqu'à ce que TRANSLARNA™ soit commercialisé. Toutes autres interventions et autres examens médicaux ainsi que les autres médicaments nécessaires ne sont pas pris en charge par PTC Therapeutics et votre indemnisation continuera selon les critères habituels de remboursement.

De même, par définition le MNP prévoit que PTC Therapeutics ne paye ni votre médecin ni l'hôpital pour s'occuper de ce MNP.

Evaluation d'éthique médicale

Le comité d'éthique indépendant Commissie Medische Ethiek, UZ Leuven a examiné le présent document, les objectifs et la proposition de déroulement du traitement par TRANSLARNA™ et a émis un avis favorable pour le déroulement du MNP-TRANSLARNA en Belgique.

Questions

Si vous ou vos proches avez des questions concernant le traitement, ou en cas de lésion liée au traitement avec TRANSLARNA™, vous devez prendre contact avec le médecin de votre

enfant. Si vous faites appel à un service d'aide médicale urgente ou si vous devez être hospitalisé, signalez au médecin traitant que vous suivez un traitement à base de TRANSLARNA™ (ataluren).

Ne signez pas ce formulaire de consentement avant d'avoir eu l'occasion de poser vos questions et d'obtenir une réponse satisfaisante à toutes vos questions.

FORMULAIRE DE DECLARATION DE CONSENTEMENT

Utilisation de TRANSLARNA™ (ataluren) pour le traitement de patients atteints de Dystrophie Musculaire de Duchenne (DMD) et ayant complété l'étude 019 OU 020E dans le cadre d'un Programme pour Usage Compassionnel

Le médecin traitant de mon enfant a proposé un traitement avec TRANSLARNA™ (ataluren).

Il/Elle a expliqué le traitement de manière détaillée, de même que les effets, effets secondaires et risques potentiels connus ayant trait au médicament que mon enfant va recevoir.

Il/Elle m'a clairement informé que je suis libre de refuser le traitement et que je peux arrêter le traitement que prend mon enfant à tout moment, sans avoir à donner de motif et sans préjudice pour mon traitement médical.

J'ai lu le document d'information au parent/tuteur et j'en ai compris le contenu. J'ai eu l'occasion de poser toutes les questions qui me paraissaient utiles et j'ai obtenu une réponse satisfaisante à toutes mes questions.

Je vais recevoir un exemplaire du document d'information au parent/tuteur, ainsi que du présent formulaire de Déclaration de consentement éclairé.

JE CONSENS DE MON PLEIN GRÉ QUE MON ENFANT PRENNE LE TRAITEMENT TRANSLARNA™ (ATALUREN) ET À PARTICIPER AU MNP-TRANSLARNAEN BELGIQUE.

Nom (en majuscules) du Représentant légal, si besoin	Signature du représentant, si besoin	Date
--	--------------------------------------	------

Nom (en majuscules) du médecin	Signature du médecin	Date
--------------------------------	----------------------	------

Formulaire d'assentiment destiné aux enfants pour le programme MNP- TRANSLARNA (5 à 10 ans)

Programme MNP-TRANSLARNA: MNP (Medical Need Program) avec TRANSLARNA (ataluren)

dans le traitement de la myopathie de Duchenne avec mutation non-sens du gène de la dystrophine

chez les patients ambulants et âgés de 5 ans et plus.

Protocole du programme MNP-TRANSLARNA :

TRANSLARNA_UMN_MNP

Responsable du Programme: PTC Therapeutics,

Médecin Responsable du Programme MNP-

TRANSLARNA: Pr Nathalie GOEMANS (Leuven, Belgique)

Centre : Leuven (Belgium)

1. Qu'est-ce qu'un MNP Translarna ? Pourquoi dois-je participer à cette étude ?

Le MNP Translarna est un moyen qui te permet de continuer à prendre le traitement Translarna pour être soignée de la maladie dont tu souffres. Tu souffres d'une maladie appelée dystrophie musculaire de Duchenne ou myopathie de Duchenne et ton médecin t'a prescrit un médicament. Nous te proposons de participer à ce programme MNP-TRANSLARNA car ton médicament pourrait ralentir l'aggravation de ta maladie. Cette étude déterminera comment tu te sens une fois que le médecin t'a donné le médicament. Ta maman, ton papa ou la personne qui s'occupe de toi ainsi que le médecin de l'étude te donneront plus d'informations.

2. Que dois-je faire ?

Si tu acceptes de participer au programme MNP-TRANSLARNA, on te posera des questions pendant Voici une liste des questions types auxquelles tu devras répondre :

- Ton âge.
- Quel type de médicament ton médecin t'a donné.
- Si tu as été malade auparavant et quel genre de maladie tu as eu.
- Si ton médecin t'a donné d'autres médicaments auparavant.

Tu devras répondre à des questions sur ton médicament et tes activités quotidiennes.

3. Est-ce que au programme MNP-TRANSLARNA?

Ta participation au programme MNP-TRANSLARNA aidera à apprendre des choses qui pourraient aider à combattre cette maladie plus tard.

4. Suis-je obligé(e) de participer au programme MNP-TRANSLARNA ?

Non, tu n'es pas obligé(e) de participer au programme MNP-TRANSLARNA si tu ne le souhaites pas. Tu peux dire « non » et personne ne t'en voudra. Tu peux même changer d'avis plus tard et arrêter ta participation au programme MNP-TRANSLARNA. Tu n'as qu'à le dire à ton médecin Parles-en à ta maman et/ou à ton papa (ou à ton tuteur) avant de décider. Nous demanderons également à ta maman et/ou à ton papa de donner leur permission pour ta participation à cette étude.

5. Puis-je poser des questions ?

Tu peux poser des questions concernant le programme MNP-TRANSLARNA à n'importe quel moment. Si tu oublies de poser une question et que tu y repenses plus tard, tu peux appeler ton docteur ou la lui poser la prochaine fois que tu viendras passer une visite.

**Formulaire d'assentiment destiné aux enfants pour le programme
MNP- TRANSLARNA (5 à 10 ans)**

Programme MNP-TRANSLARNA: MNP (Medical Need Program) avec TRANSLARNA (ataluren) dans le traitement de la myopathie de Duchene avec mutation non-sens du gène de la dystrophine chez les patients ambulants et âgés de 5 ans et plus.

Protocole du programme MNP-TRANSLARNA:
TRANSLARNA_UMN_MNP

Responsable du Programme: PTC Therapeutics,

Médecin Responsable du Programme MNP-TRANSLARNA: Pr Nathalie GOEMANS (Leuven, Belgique)

Centre : Leuven (Belgium)

J'ai posé toutes mes questions et on y a répondu de façon satisfaisante.

Si tu souhaites participer, tu peux écrire ton nom, prénom, âge et date ci-dessous

Nom du patient (en caractères d'imprimerie) Âge du patient

Date

Le médecin ou un membre du personnel qui t'a expliqué cette étude doit également signer ici :

Personne recueillant l'assentiment

Nom de la personne recevant l'assentiment

Rôle ou fonction de la personne recevant

l'Assentiment (en caractères d'imprimerie)

Assentiment

Signature de la personne recevant l'assentiment

Date Assentiment

TRANSLARNA_UMN_MNP_ANNEX VI_PROTOCOL_version 2.0

This document contains information that is confidential and proprietary to PTC Therapeutics

Formulaire d'assentiment destiné aux enfants pour le programme MNP- TRANSLARNA (11 à 17 ans)

Programme MNP-TRANSLARNA: MNP (Medical Need Program) avec TRANSLARNA (ataluren) dans le traitement de la myopathie de Duchene avec mutation non-sens du gène de la dystrophine chez les patients ambulants et âgés de 5 ans et plus.

Protocole du programme MNP-TRANSLARNA :
TRANSLARNA_UMN_MNP

Responsable du Programme: PTC Therapeutics,
Médecin Responsable du Programme MNP-TRANSLARNA: Pr Nathalie GOEMANS (Leuven, Belgique)

Centre : Leuven (Belgium)

Introduction

Tu es invité(e) à participer à programme MNP-TRANSLARNA de besoins médical (Medical Need Program – MNP) parce ce que tu as participé à des programmes de recherche actuellement un traitement pour la dystrophie musculaire de Duchenne présentant une mutation non-sens et traité par le médicament Translarna™ (ataluren) fabriqué par le laboratoire PTC therapeutics. Si tu souhaites continuer à prendre ce traitement, nous te proposons de participer au MNP Translarna™.

Avant de décider si tu souhaites ou non participer à cette programme, il est important que tu comprennes pourquoi le programme MNP-TRANSLARNA est mené et ce que cela signifiera pour toi d'y participer. Cette note d'information concernant l'programme MNP-TRANSLARNA peut comprendre des mots ou des phrases que tu ne comprends pas. Lis cette note d'information et pose toutes tes questions, même si elles te paraissent infondées. Ton médecin et son personnel t'expliqueront en quoi consiste cela et répondront à toutes tes questions. Tes parents, ou toute personne responsable de toi légalement, recevront également des informations écrites sur l'programme MNP-TRANSLARNA et devront donner leur autorisation pour que tu puisses participer au programme, si tu décides d'accepter.

Ta participation à ce programme MNP-TRANSLARNA est entièrement volontaire.

Qu'est-ce qu'un " Programme MNP-TRANSLARNA Médical d'Urgence (Medical Need Program, MNP)?

Dans un MNP, les médicaments, qui ne sont pas encore autorisés à la vente en Belgique, peuvent être mis gratuitement, à la disposition d'un groupe de patients qui, comme vous, selon l'évaluation clinique et l'opinion de votre médecin, pourraient en bénéficier. Un MNP n'est possible que si le médicament est

donné à des patients atteints d'une maladie pouvant conduire à un handicap grave ou pouvant représenter une menace pour la vie et pour laquelle il n'existe pas de médicament autorisé traitant cette maladie de façon satisfaisante. Le médicament doit aussi soit être en cours d'étude dans un essai clinique, soit faire l'objet d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (demande de permission pour la commercialisation).

Que dois-je faire ?

Ton médecin, avec ton accord, décidera des traitements administrés dans le cadre de tes soins habituels. Ce programme MNP-TRANSLARNA ne modifiera en rien ta prise en charge et n'interférera pas avec les soins que tu recevrais normalement en dehors d'une participation au programme MNP-TRANSLARNAMNP-Translarna™

Le médecin responsable du programme MNP-TRANSLARNA recueillera les informations médicales habituelles sur l'efficacité du traitement et voir si tu le tolères bien.

Si tu refuses le recueil des informations ci-dessus, tu ne pourras pas participer au programme MNP-TRANSLARNA et c'est tout à fait ton droit.

Ce programme MNP-TRANSLARNA consiste à recueillir des informations auprès de toi et de tes parents après l'administration du médicament. Si tu fais une réaction après la prise du médicament, ton médecin te soignera comme il ferait normalement dans le cadre de ta prise en charge médicale, que tu participes ou non au programme.

Y a-t-il des risques associés à la participation au programme MNP-TRANSLARNAMNP Translarna ?

Étant donné que la participation au programme MNP-TRANSLARNA n'implique pas la prise d'autres médicaments ou de suivre des traitements médicaux, tu ne cours aucun risque pour ta santé en participant à ce programme.

Y a-t-il des avantages à participer à ce programme MNP-TRANSLARNAMNP ?

Tu ne tireras aucun bénéfice direct de ta participation à ce programme, mais les résultats découlant de ce programme MNP-TRANSLARNA pourront aider à mieux comprendre comment les personnes réagissent à ce médicament et à fournir aux prestataires de soins de santé des informations importantes pour le traitement futur de la dystrophie musculaire de Duchenne par le Translarna™

Y a-t-il des frais à payer pour participer à l'programme MNP-TRANSLARNA ou vais-je être rémunéré

Ta participation n'engagera pas de frais supplémentaires et tu ne seras pas rémunéré(e) pour ta participation à l'programme.

Suis-je obligé(e) de participer ?

Ta participation au programme MNP-TRANSLARNA est volontaire. Tu n'es pas obligé(e) de participer au programme MNP-TRANSLARNA pour recevoir un traitement pour ta maladie. Tu peux également te retirer de l'programme MNP-TRANSLARNA à tout moment en prévenant tes parents et ton médecin du programme.

Coordonnées :

Si tu as d'autres questions concernant l'programme, tu peux contacter ton médecin :

Médecin du programme MNP-TRANSLARNA ou délégués : _____

Tél. :

Adresse :

Nous te remercions d'avoir pris le temps de lire ces informations.

Formulaire de l'assentiment éclairé du patient

Programme MNP-TRANSLARNAMNP (Medical Need Program) : programme MNP-TRANSLARNA de besoin médical avec TRANSLARNA (ataluren) dans le traitement de la myopathie de Duchene avec mutation non-sens du gène de la dystrophine chez les patients ambulants et âgés de 5 ans et plus.

Protocole du programme MNP:
TRANSLARNA_UMN_MNP

Responsable du Programme: PTC Therapeutics,
Médecin Responsable du Programme MNP-TRANSLARNA: Pr Nathalie GOEMANS (Leuven, Belgique)

Centre : Leuven (Belgium)

Encerle « oui » à toutes les questions pour lesquelles tu es d'accord

As-tu lu les informations concernant ce programme MNP-TRANSLARNA(ou te les a-t-on lues) ?	Oui	Non
Quelqu'un d'autre t'a-t-il expliqué le programme MNP-TRANSLARNA?	Oui	Non
Comprends-tu en quoi consiste le programme MNP-TRANSLARNA?	Oui	Non
As-tu posé toutes les questions que tu souhaitais ?	Oui	Non
A-t-on répondu à toutes tes questions de façon compréhensible ?	Oui	Non
Comprends-tu que tu peux arrêter ta participation à tout moment sans problème ?	Oui	Non
Es-tu content(e) de participer ?	Oui	Non

Si l'une des réponses est « non » ou si tu ne veux pas participer à l'programme, NE SIGNE PAS ! En signant ce formulaire, j'accepte de participer à ce programme. Je sais que je peux changer d'avis à tout moment. Mes parents et moi recevrons une copie de ce formulaire lorsque je l'aurai signé.

TRANSLARNA_UMN_MNP_ANNEX VI_PROTOCOL_version 2.0

5

This document contains information that is confidential and proprietary to PTC Therapeutics

Nom du patient (en caractères d'imprimerie)

Âge du patient

Signature

Date

Le médecin ou un membre du personnel qui t'a expliqué ce programme MNP-TRANSLARNA doit également signer ici :

Personne recueillant l'assentiment

Nom de la personne recevant l'
personne recevant
l'Assentiment (en caractères d'imprimerie)

Rôle ou fonction de la
personne recevant
l'Assentiment

Signature de la personne recevant
l'Assentiment

Date

INFORMATIEFORMULIER VOOR OUDERS/VOOGDEN

**Beste
ouder/voogd,**

PTC Therapeutics heeft een medische noodprogramma (MNP) opgezet voor patiënten die in aanmerking komen en klinisch onderzoek 019 (een open-label onderzoek bij eerder met ataluren (PTC124) behandelde patiënten met nonsense-mutatie dystrofinopathie) of 020e (een fase 3-uitbreidingsonderzoek naar ataluren (PTC124) bij patiënten met nonsense-mutatie dystrofinopathie) hebben voltooid. Het bedrijf heeft daarnaast **prof. dr. Nathalie Goemans, kinderneuroloog in het Universitair Ziekenhuis van Leuven (hoofdonderzoeker in België voor onderzoek 019 en 020e)** aangesteld als verantwoordelijke geneesheer voor het MNP, belast met het controleren van de geschiktheid van patiënten.

De arts van uw kind nodigt u hiervoor uit omdat uw kind onderzoek 019 of 020e heeft voltooid, omdat hij/zij denkt dat uw kind voldoet aan de voorwaarden om aan het MNP deel te nemen en omdat uw kind baat zou kunnen hebben bij een behandeling met TRANSLARNA™ (ataluren).

Uw kind kan normaal gezien aan het MNP deelnemen als u dat wenst, maar alvorens u beslist om al dan niet deel te nemen, is het belangrijk dat u begrijpt waarom het MNP wordt uitgevoerd en wat dit inhoudt voor uw kind. In dit informatieformulier voor de patiënt en de toestemmingsverklaring vindt u meer informatie over het MNP om u te helpen bij het nemen van uw beslissing. Gelieve de tijd te nemen om dit aandachtig te lezen. Om deel te nemen, dient u de toestemmingsverklaring te ondertekenen. Deze bevindt zich aan het eind van dit formulier.

Belangrijk

Mogelijk staan er in dit informatieformulier voor de patiënt en de toestemmingsverklaring zaken die u niet begrijpt. Vraag uw arts om u alle woorden of informatie die u niet begrijpt uit te leggen of om u meer informatie te verstrekken.

Wat is een 'medische noodprogramma' (Medical Need Program, MNP)?

In een MNP kunnen geneesmiddelen die nog niet zijn goedgekeurd voor verkoop in België, gratis ter beschikking worden gesteld van een groep patiënten die, zoals uzelf, volgens een klinische evaluatie en het oordeel van uw arts, daar baat kunnen bij hebben. Een MNP is enkel mogelijk als het geneesmiddel aan patiënten wordt gegeven die aan een ziekte lijden die tot ernstige invaliditeit kan leiden of levensbedreigend kan zijn en waarvoor geen goedgekeurd geneesmiddel bestaat om de ziekte voldoende te behandelen. Het geneesmiddel moet daarnaast ofwel momenteel worden onderzocht in een klinische studie, ofwel het voorwerp vormen van een vergunningsaanvraag voor het op de markt brengen (aanvraag van vergunning voor het in de handel brengen).

Behandeling met TRANSLARNA™ (ataluren)

TRANSLARNA_UMN_MNP_ANNEX VI_PROTOCOL_version 2.0

This document contains information that is confidential and proprietary

to PTC Therapeutics

Wat is Translarna en waarvoor wordt dit middel gebruikt?

TRANSLARNA™ is een geneesmiddel dat de werkzame stof ataluren bevat.

TRANSLARNA™ wordt gebruikt om spierdystrofie van Duchenne te behandelen. Deze ziekte wordt veroorzaakt door een specifiek genetisch defect dat de normale werking van de spieren verstoort.

TRANSLARNA™ wordt gebruikt om patiënten van 5 jaar en ouder te behandelen die in staat zijn om te stappen.

Voordat de behandeling met TRANSLARNA™ wordt gestart, zal uw arts bij u of uw kind een bloedonderzoek doen om te bevestigen dat de ziekte behandeld kan worden met dit geneesmiddel.

Hoe werkt TRANSLARNA™?

Spierdystrofie van Duchenne wordt veroorzaakt door genetische veranderingen die op hun beurt een afwijking veroorzaken in een spiereiwit dat dystrofine wordt genoemd. Spieren hebben dit eiwit nodig om te werken zoals het hoort. TRANSLARNA™ zorgt voor de aanmaak van dystrofine en helpt de spieren om te werken zoals het hoort.

Hoe verloopt het medische noodprogramma (MNP)?

Van zodra u het formulier met de toestemmingsverklaring hebt ondertekend, dient uw arts een schriftelijke aanvraag in bij de verantwoordelijke geneesheer van het programma om uw opname in het TRANSLARNA-MNP in België goed te keuren. De arts van uw kind zal prof. Nathalie Goemans ook een kopie meesturen van een identiteitsbewijs en van uw ondertekende toestemmingsverklaring zodat zij uw deelname kan goedkeuren. Prof. Goemans en uw arts zullen deze goedkeuringsaanvraag voor deelname en uw persoonsgegevens gedurende 10 jaar bewaren.

Als een kind aan het TRANSLARNA-MNP in België deelneemt, heeft hij/zij het recht om TRANSLARNA™ te krijgen tijdens de normale bezoeken aan het ziekenhuis totdat het in België op de markt beschikbaar is (tenzij het programma eerder wordt stopgezet omwille van redenen die verder worden uitgelegd).

Er wordt geen enkel bijkomend bezoek of onderzoek gevraagd voor het MNP.

Uw arts is voor u verantwoordelijk tijdens uw deelname aan het MNP. Hij/zij zal zich regelmatig van uw welzijn vergewissen en zal letten op mogelijke bijwerkingen van het geneesmiddel. Als u last hebt van bijwerkingen, ziekten, letsels of problemen tijdens de behandeling, gelieve dan onmiddellijk uw arts hierover in te lichten. Hij/zij zal beslissen of er reden is om de behandeling met TRANSLARNA™ aan te passen en zal gepaste maatregelen nemen in geval van bijwerkingen. In het kader van uw gebruikelijke behandeling zal uw arts routine-onderzoeken voorschrijven zoals een bloedonderzoek, metingen van uw hartslag en metingen van uw ademhalingsfunctie. Hij/zij zal u vragen of u geneesmiddelen hebt gebruikt (waaronder geneesmiddelen die u zelf hebt gekocht), of u met geneesmiddelen bent gestopt en of er wat aan uw medicatie is veranderd, en zal u vragen naar uw gezondheidstoestand gedurende deze periode. Welke onderzoeken u dient af te leggen, zal volledig afhangen van wat uw arts nodig

8

TRANSLARNA_UMN_MNP_ANNEX VI_PROTOCOL_version 2.0

This document contains information that is confidential and proprietary

to PTC Therapeutics

acht.

U krijgt bij elk bezoek een voorraad TRANSLARNA™ die voldoende is tot het volgende bezoek. Gelieve alle tabletten die u niet hebt gebruikt terug mee te brengen aan het einde van uw deelname aan het MNP.

Tijdens uw deelname aan het MNP dient u een erkende anticonceptiemethode te gebruiken. Gelieve uw arts onmiddellijk in te lichten indien uw partner zwanger wordt.

Wat zijn de mogelijke bijwerkingen?

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen veroorzaken, al krijgt niet iedereen die. Na het innemen van TRANSLARNA™ kunt u één of meer van de volgende bijwerkingen krijgen:

Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen optreden bij meer dan 1 op de 10 mensen)

- Braken

Vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen optreden bij tot 1 op de 10 mensen)

- Verminderde eetlust
- Verhoogde triglyceriden
- Hoofdpijn
- Misselijkheid
- Gewichtsverlies
- Verhoogde bloeddruk
- Hoesten
- Neusbloeding
- Constipatie
- Flatulentie
- Maagklachten
- Buikpijn
- Huiduitslag
- Pijn in armen of benen
- Pijn ter hoogte van de borstkas
- Ongewenst urineverlies
- Aanwezigheid van bloed in de urine
- Koorts

Bijwerkingen waarvan de frequentie niet bekend is (kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald)

- Verhoging van de lipiden in het bloed
- Afwijkingen in nierfunctietesten

Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar komt?

PTC Therapeutics zal de arts van uw kind inlichten en hij/zij zal u vertellen of er wijzigingen moeten worden aangebracht aan het MNP om de gezondheid van uw kind te beschermen. Het is mogelijk dat er in bepaalde gevallen nieuwe informatie beschikbaar komt over het

9

TRANSLARNA_UMN_MNP_ANNEX VI_PROTOCOL_version 2.0

This document contains information that is confidential and proprietary

to PTC Therapeutics

geneesmiddel waarmee uw kind zal worden behandeld. Indien nodig zal uw arts u hierover informeren en met u bekijken of u de behandeling wenst verder te zetten.

In dat geval wordt u gevraagd om een nieuwe aangepaste versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen. Als u beslist om de behandeling van uw kind stop te zetten, zal zijn/haar arts ervoor zorgen dat uw kind verder op de best mogelijke manier wordt behandeld.

Daarnaast kan uw arts, op basis van nieuwe informatie, beslissen dat het in uw belang is om de behandeling met TRANSLARNA™ stop te zetten. Hij/zij zal u de redenen hiervoor uitleggen en erop toezien dat u verder op de best mogelijke manier behandeld wordt.

Vrijwillige deelname / Recht om de behandeling stop te zetten?

Uw beslissing om uw kind de behandeling te laten volgen is volledig vrijwillig. U hebt op eender welk moment het recht om van mening te veranderen en het staat u vrij om te beslissen uw kind te doen stoppen met het innemen van TRANSLARNA™, of uw toelating voor gebruik en inzage van uw medische gegevens in te trekken. U bespreekt deze beslissing met zijn/haar arts, zonder dat u daarvoor een reden hoeft op te geven. Uw kind kan daarop het MNP verlaten.

Nadat u beslist hebt om de deelname van uw kind aan het MNP stop te zetten, ondervindt u hiervan geen enkel nadeel. Uw volgende medische behandeling zal hier ook op geen enkele manier nadeel van ondervinden.

Op dezelfde manier kan de arts van uw kind de behandeling stopzetten als hij/zij vindt dat dit in het voordeel van uw kind is.

Wat gebeurt er na het TRANSLARNA-MNP?

De duur van de behandeling hangt af van de respons van uw kind op TRANSLARNA™. Uw arts kan de behandeling van uw kind stopzetten zonder uw toestemming, als hij/zij dat nodig acht. Voorbeelden hiervan zijn: zijn/haar ziekte verslechtert, als blijkt dat hij/zij het geneesmiddel niet goed verdraagt waardoor er ernstige bijwerkingen optreden, als hij/zij zich niet houdt aan de voorschriften van de behandeling, als er nieuwe informatie beschikbaar komt die aangeeft dat hij/zij geen voordeel meer heeft bij de behandeling, of als, omwille van bepaalde omstandigheden, u niet op een vrije en geïnformeerde manier uw toestemming kunt geven. Het is ook mogelijk dat PTC Therapeutics of het FAGG het MNP moeten stopzetten. U wordt in elk geval ingelicht over de redenen van stopzetting van het MNP of over de reden waarvoor het MNP voor u werd stopgezet. Alles wordt in het werk gesteld om u de beste veiligheid te garanderen en om u de behandeling beschikbaar te stellen die het best aan uw gezondheidstoestand is aangepast.

Het MNP wordt sowieso stopgezet wanneer TRANSLARNA™ op de markt wordt gebracht in België.

Vergoeding

Het MNP zorgt er per definitie voor dat PTC Therapeutics TRANSLARNA™ gratis ter beschikking stelt in het TRANSLARNA-MNP, zolang het programma goedgekeurd is door het FAGG en totdat TRANSLARNA™ op de markt wordt gebracht. Alle andere ingrepen en andere medische onderzoeken, maar ook andere noodzakelijke geneesmiddelen worden niet vergoed door PTC Therapeutics. U wordt verder zoals gebruikelijk vergoed volgens de normale terugbetalingsregelingen.

Het MNP voorziet er per definitie eveneens niet in dat PTC Therapeutics uw arts of het

ziekenhuis betaalt voor het uitvoeren van dit MNP.

Medisch-ethische beoordeling

De onafhankelijke ethische commissie, de Commissie Medische Ethiek van het UZ Leuven, heeft het huidige document, de doelstellingen en het voorstel van het verloop van de behandeling met TRANSLARNA™ onderzocht en heeft een positief advies uitgebracht voor de uitvoering van het TRANSLARNA-MNP in België.

Vragen

Als u of uw naasten vragen hebben over de behandeling, of in het geval van een letsel dat verband houdt met TRANSLARNA™, dient u contact op te nemen met de arts van uw kind. Als u beroep doet op een medische spoedgevallendienst of als u gehospitaliseerd moet worden, vermeld dan aan de behandelende arts dat u een behandeling op basis van TRANSLARNA™ (ataluren) volgt.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet zolang u niet de gelegenheid hebt gekregen om uw vragen te stellen en op al uw vragen een bevredigend antwoord hebt gekregen.

FORMULIER VOOR TOESTEMMINGSVERKLARING

Gebruik van TRANSLARNA™ (ataluren) in het kader van een programma voor gebruik in schrijnende gevallen voor de behandeling van patiënten met spierdystrofie van Duchenne (DMD) die onderzoek 019 OF 020e hebben voltooid.

De behandelende arts van mijn kind heeft een behandeling met TRANSLARNA™ (ataluren) voorgesteld.

Hij/zij heeft de behandeling uitgebreid uitgelegd, evenals de effecten, bijwerkingen en mogelijke gekende risico's die verband houden met het geneesmiddel dat mijn kind zal krijgen.

Hij/zij heeft me duidelijk ingelicht dat het me vrij staat de behandeling te weigeren en dat ik de behandeling die mijn kind gebruikt op elk moment kan stopzetten, zonder daarvoor een reden te hoeven opgeven en zonder gevolgen voor mijn medische behandeling.

Ik heb het informatieformulier voor de ouder/voogd gelezen en ik begrijp de inhoud ervan. Ik heb de gelegenheid gehad om alle vragen te stellen die mij nuttig leken en ik heb een bevredigend antwoord gekregen op al deze vragen.

Ik krijg een exemplaar van het informatieformulier voor de ouder/voogd en van dit formulier voor geïnformeerde toestemming.

IK GA ER GEHEEL VRIJWILLIG MEE AKKOORD DAT MIJN KIND DE BEHANDELING MET TRANSLARNA™ (ATALUREN) GEBRUIKT EN AAN HET TRANSLARNA-MNP IN BELGIË DEELNEEMT.

Naam (in hoofdletters) van de wettelijke vertegenwoordiger, indien nodig	Handtekening van de vertegenwoordiger, Datum indien nodig
--	---

Naam (in hoofdletters) van de arts	Handtekening van de arts	Datum
------------------------------------	--------------------------	-------

Instemmingsformulier voor kinderen voor het MNP-TRANSLARNA programma (van 5 tot 10 jaar)

MNP-TRANSLARNA programma: MNP (Medical Need Program [medisch noodprogramma]) met TRANSLARNA (ataluren) voor de behandeling van de ziekte van Duchenne met nonsense mutatie in het dystrofine-gen bij poliklinische patiënten in de leeftijd van 5 jaar en ouder.

Protocol van het MNP-TRANSLARNA programma:

TRANSLARNA_UMN_MNP

Verantwoordelijke voor het programma: PTC Therapeutics,

Verantwoordelijke arts voor het MNP-TRANSLARNA programma:

Pr Nathalie GOEMANS (Leuven, België)

Centrum: Leuven (België)

1. Wat is MNP Translarna? Waarom moet ik aan dit onderzoek meedoen?

Dankzij MNP Translarna kun je verder gaan met het nemen van Translarna om je ziekte te behandelen. Je hebt een ziekte die de ziekte van Duchenne of Duchenne spierdystrofie wordt genoemd en je arts heeft je een medicijn voorgeschreven. We stellen je voor om aan dit MNP-TRANSLARNA programma mee te doen omdat je geneesmiddel het verloop van je ziekte kan vertragen. Dit onderzoek zal nagaan hoe je je voelt nadat de arts je het geneesmiddel heeft gegeven. Je moeder, je vader of de persoon die voor je zorgt en de arts van het onderzoek zullen je hierover meer vertellen.

2. Wat moet ik doen?

- Als je akkoord gaat met deelname aan het MNP-TRANSLARNA programma, zullen er vragen aan je gesteld worden. Zie hier een lijst met standaardvragen die je zult moeten beantwoorden:
 - Je leeftijd.
 - Wat voor soort medicijn je arts je gegeven heeft.
 - Of je al eerder ziek bent geweest en wat voor soort ziekte je hebt gehad.
 - Of je arts je in het verleden andere geneesmiddelen gegeven heeft.
- Je zult vragen moeten beantwoorden over het medicijn dat je gebruikt en je dagelijkse activiteiten.

3. Wat is het MNP-TRANSLARNA programma?

- Je deelname aan het MNP-TRANSLARNA programma zal bijdragen om zaken te leren kennen die kunnen helpen om deze ziekte later te bestrijden.

4. Ben ik verplicht om aan het MNP-TRANSLARNA programma mee te doen?

- Nee, je hoeft niet mee te doen aan het MNP-TRANSLARNA programma als je dat niet wilt. Je kunt “nee” zeggen en niemand zal hier boos over worden. Je kunt zelfs later van gedachten veranderen en je deelname aan het MNP-TRANSLARNA programma stoppen. Je hoeft het alleen maar aan je arts te vertellen. Praat hierover met je moeder en/of vader (of je voogd) voordat je een beslissing neemt. We zullen ook toestemming aan je moeder en/of vader vragen voor je deelname aan dit onderzoek.

5. Kan ik vragen stellen?

- Je kunt op eender welk moment vragen stellen over het MNP-TRANSLARNA programma. Als je vergeet

om een vraag te stellen en je denkt er op een later moment aan terug, dan kan je je arts bellen of hem/haar tijdens een volgend bezoek de vraag stellen.

**Instemmingsformulier voor kinderen voor het
MNP-TRANSLARNA programma (van 5 tot 10 jaar)**

MNP-TRANSLARNA programma: MNP (Medical Need Program [medische noodprogramma]) met TRANSLARNA (ataluren) voor de behandeling van de ziekte van Duchenne met nonsense mutatie in het dystrofine-gen bij poliklinische patiënten in de leeftijd van 5 jaar en ouder.

Protocol van het MNP-TRANSLARNA programma: TRANSLARNA_UMN_MNP

Verantwoordelijke voor het programma: PTC Therapeutics,

Verantwoordelijke arts voor het MNP-TRANSLARNA programma: Pr Nathalie GOEMANS (Leuven, België)

Centrum: Leuven (België)

Ik heb al mijn vragen gesteld en ze zijn voldoende beantwoord.

Als je wilt meedoen, kan je hieronder je naam, voornaam, leeftijd en datum schrijven

Naam van de patiënt (in drukletters)

Leeftijd van de patiënt

Datum

De arts of medewerker die je het onderzoek heeft uitgelegd, moet hier ook ondertekenen:

Persoon die de instemming in ontvangst heeft genomen

Naam van de persoon die de instemming ontvangt (in drukletters)

Functie van de persoon die instemming ontvangt

Handtekening van de persoon die de instemming ontvangt

Datum

Instemmingsformulier voor kinderen voor het MNP-TRANSLARNA programma (van 11 tot 17 jaar)

MNP-TRANSLARNA programma: MNP (Medical Need Program [medische noodprogramma]) met TRANSLARNA (ataluren) voor de behandeling van de ziekte van Duchenne met nonsense mutatie in het dystrofine-gen bij poliklinische patiënten in de leeftijd van 5 jaar en ouder.

Protocol van het MNP-TRANSLARNA programma:

TRANSLARNA_UMN_MNP

Verantwoordelijke voor het programma: PTC Therapeutics,

Verantwoordelijke arts voor het MNP-TRANSLARNA programma:

Pr Nathalie GOEMANS (Leuven, België)

Centrum: Leuven (België)

Inleiding

Je bent gevraagd om mee te doen aan het MNP-TRANSLARNA programma voor medische noodzaak (Medical Need Program – MNP) omdat je hebt deelgenomen aan lopende onderzoeksprogramma's voor de behandeling van de ziekte van Duchenne met nonsense mutatie en behandeld werd met het geneesmiddel Translarna™ (ataluren) dat gemaakt wordt door het laboratorium PTC therapeutics. Als je door wilt gaan met deze behandeling, dan stellen we je voor om aan MNP Translarna™ mee te doen.

Voordat je beslist of je aan dit programma wilt meedoen, is het belangrijk dat je begrijpt waarom het MNP-TRANSLARNA programma wordt uitgevoerd en wat het voor jou betekent om hieraan mee te doen. Dit informatieblad over het MNP-TRANSLARNA programma kan woorden of zinnen bevatten die je niet begrijpt. Lees dit informatieblad en stel al je vragen, zelfs als je ze als ongegrond beschouwt. Je arts en zijn/haar personeel zal je uitleggen wat het inhoudt en al je vragen beantwoorden. Ook je ouders of iemand die wettelijk verantwoordelijk is voor jou, zullen schriftelijke informatie over het MNP-TRANSLARNA programma ontvangen en zullen, als je besluit om mee te doen, toestemming moeten geven voordat je aan het programma kunt deelnemen.

Je deelname aan dit MNP-TRANSLARNA programma is geheel vrijwillig.

Wat is een 'medisch noodprogramma' (Medical Need Program, MNP)?

In een MNP kunnen geneesmiddelen die nog niet in België mogen worden verkocht, gratis ter beschikking worden gesteld van een groep patiënten die, net zoals jij, volgens een klinische beoordeling en het oordeel van je arts, daar baat kunnen bij hebben. Een MNP is enkel mogelijk als het geneesmiddel aan patiënten wordt gegeven die aan een ziekte lijden die tot ernstige invaliditeit kan leiden of levensbedreigend kan zijn en waarvoor geen goedgekeurd geneesmiddel bestaat om de ziekte voldoende te behandelen. Het geneesmiddel moet daarnaast ofwel momenteel worden onderzocht in een klinisch onderzoek, ofwel een aanvraag hebben lopen voor een goedkeuring voor verkoop (aanvraag van vergunning voor het in de handel brengen).

Wat moet ik doen?

Je arts zal met jouw akkoord beslissen over de behandelingen die als onderdeel van je gebruikelijke zorg worden gegeven. Het MNP-TRANSLARNA programma zal je zorg niet wijzigen en heeft geen invloed op de zorg die je normaal gesproken krijgt als je niet aan het MNP-TRANSLARNA programma meedoet.

De arts die verantwoordelijk is voor het MNP-TRANSLARNA programma zal de gebruikelijke medische informatie over de doeltreffendheid van de behandeling verzamelen en bekijken of je deze goed verdraagt.

Als je het verzamelen van bovenstaande informatie weigert, zal je niet aan het MNP-TRANSLARNA programma kunnen meedoen en dat is je volle recht.

Het MNP-TRANSLARNA programma bestaat uit het verzamelen van informatie van jou en je ouders nadat je het geneesmiddel hebt ingenomen. Als je een reactie krijgt na het innemen van het geneesmiddel, zal je arts je behandelen zoals hij/zij dat normaal ook zou doen als onderdeel van je medische zorg, losstaand van het feit dat je aan het programma meedoet of niet.

Zijn er risico's als je meedoet aan het MNP-TRANSLARNA programma?

Aangezien er niet van je wordt gevraagd dat je tijdens je deelname aan het MNP-TRANSLARNA programma andere medicijnen inneemt of andere medische behandelingen ondergaat, loop je geen enkel risico voor je gezondheid als je aan dit programma meedoet.

Zijn er voordelen als je aan het MNP-TRANSLARNA meedoet?

Je zult geen direct voordeel hebben van je deelname aan dit programma, maar de resultaten van dit MNP-TRANSLARNA programma kunnen helpen om beter te begrijpen hoe mensen op dit geneesmiddel reageren en zullen medische zorgverleners belangrijke informatie geven voor de toekomstige behandeling van de ziekte van Duchenne met Translarna™.

Moet er iets worden betaald om aan het MNP-TRANSLARNA programma mee te doen of word ik ervoor betaald?

Je deelname aan het programma zullen geen extra kosten met zich meebrengen en je zult er niet voor worden betaald.

Ben ik verplicht om mee te doen?

Je deelname aan het MNP-TRANSLARNA programma is vrijwillig. Je wordt niet verplicht om mee te doen aan het MNP-TRANSLARNA programma om voor je ziekte te worden behandeld. Je kunt je op welk moment dan ook uit het MNP-TRANSLARNA programma terugtrekken door je ouders en je arts van het programma hiervan op de hoogte te stellen.

Contact:

Als je nog vragen hebt over het programma, dan kan je contact opnemen met je arts:

Arts van het MNP-TRANSLARNA programma of zijn/haar afgevaardigden: _____

Tel.:

Adres:

Wij danken je voor de tijd die je hebt genomen om deze informatie te lezen.

Formulier voor geïnformeerde instemming van patiënt

MNP-TRANSLARNA programma (Medical Need Program): MNP-TRANSLARNA medische noodprogramma

met TRANSLARNA (ataluren) voor de behandeling van de ziekte van Duchenne met nonsense mutatie

in het dystrofine-gen bij poliklinische patiënten in de leeftijd van 5 jaar en ouder.

Protocol van het MNP programma: TRANSLARNA_UMN_MNP

Verantwoordelijke voor het programma: PTC Therapeutics,

Verantwoordelijke arts voor het MNP-TRANSLARNA programma:

Pr Nathalie GOEMANS (Leuven, België)

Centrum: Leuven (België)

Omcirkel "ja" voor alle vragen waarmee je akkoord gaat

Heb je de informatie over het MNP-TRANSLARNA programma gelezen (of heeft men je ze voorgelezen)?	Ja	Nee
Heeft iemand anders je het MNP-TRANSLARNA programma uitgelegd?	Ja	Nee
Begrijp je wat het MNP-TRANSLARNA programma inhoudt?	Ja	Nee
Heb je alle vragen gesteld die je wilde stellen?	Ja	Nee
Kreeg je op al je vragen een antwoord dat je begreep?	Ja	Nee
Begrijp je dat je je deelname op eender welk moment zonder problemen kunt stoppen?	Ja	Nee
Doe je graag mee?	Ja	Nee

Als je op één van de vragen "nee" hebt geantwoord, of als je niet aan het programma wilt meedoen, ZET DAN NIET JE HANDTEKENING!

Door mijn handtekening op dit formulier te zetten, accepteer ik om aan dit programma mee te doen. Ik weet dat ik op eender welk ogenblik van gedachten kan veranderen. Nadat ik mijn handtekening heb gezet, ontvangen mijn ouders en ik een kopie van dit formulier.

Naam van de patiënt (in drukletters)

Leeftijd van de patiënt

Handtekening

Datum

De arts of medewerker die je het MNP-TRANSLARNA programma heeft uitgelegd, moet hier ook ondertekenen:

Persoon die de instemming in ontvangst heeft genomen

Naam van de persoon die de
instemming ontvangt (in drukletters)

Functie van de persoon die de
instemming ontvangt

Handtekening van de persoon die de
instemming ontvangt

Datum