







































## INFORMATIEBLAD VOOR DE PATIËNT EN TOESTEMMINGSFORMULIER VOOR DEELNAME AAN EEN MEDISCH NOODPROGRAMMA

**TITEL:** Medisch Noodprogramma OCALIVA®

**Verantwoordelijke arts:**

Dr. Georg Fischer  
Chief of Corporate Development  
AOP Orphan Pharmaceuticals AG  
Wilhelminenstraße 91/II f  
A-1160 Wenen, Oostenrijk  
T: +43-1-503 72 44-15  
F: +43-1-503 72 44-5  
E: [georg.fischer@aoporphan.com](mailto:georg.fischer@aoporphan.com)  
E: [georg.fischer@orphatrade.com](mailto:georg.fischer@orphatrade.com)

**Verantwoordelijke voor het programma:**

i.V. Mag. Daniela Gruber  
Business Unit Director  
Neurology & Metabolic Disorders  
AOP Orphan Pharmaceuticals AG  
Wilhelminenstraße 91/II f  
A-1160 Wenen, Oostenrijk  
T: +43-1-503 72 44-42  
F: +43-1-503 72 44-5  
E: [daniela.gruber@aoporphan.com](mailto:daniela.gruber@aoporphan.com)

**Beste patiënt,**

Dit informatie- en toestemmingsformulier (ook informatieblad voor de patiënt en toestemmingsformulier genoemd) zal u over het medisch noodprogramma informeren. Uw arts of verpleegkundige legt de betrokken procedures uit en zal de vragen die u hebt beantwoorden. Het document kan woorden bevatten die u niet begrijpt. Alvorens in te stemmen met verdere deelname aan dit programma, gelieve de verantwoordelijke arts of het personeel te vragen om woorden of informatie die u niet duidelijk begrijpt, uit te leggen. Neemt u alstublieft de tijd om de volgende informatie zorgvuldig te lezen en deze, indien u dat wenst, met verwanten, vrienden en uw arts te bespreken.

Dit medisch noodprogramma werd door een onafhankelijk ethische commissie beoordeeld, namelijk de ethische commissie van het ziekenhuis UZ Gasthuisberg Leuven, welke een positieve beoordeling gaf. De ethische commissie is belast met de bescherming van de patiënten die wensen deel te nemen aan een medisch noodprogramma, conform artikel 108 van het Koninklijk Besluit van 14 december 2006 betreffende geneesmiddelen voor menselijk en diergeneeskundig gebruik. In geen enkel geval moet u de positieve beoordeling van de ethische commissie als een aansporing beschouwen om aan dit programma deel te nemen.

#### **DOEL VAN HET PROGRAMMA**

Dit programma werd opgezet door Intercept Pharmaceuticals (*Intercept*), een geneesmiddelenbedrijf, en vergunninghouder voor het geneesmiddel OCALIVA (*OCA*), en AOP Orphan, een farmaceutisch bedrijf en vertegenwoordiger van Intercept, in juli 2020.

Het doel van dit programma is om toegang te verschaffen tot OCA, voor patiënten die hiervoor in aanmerking komen en die geen andere behandelingsopties hebben in landen waar OCA nog niet commercieel beschikbaar is, zoals in België.

#### **VERGUNNINGSTATUS VAN OCA**

OCA werd op 12 december 2016 goedgekeurd door het Europees Geneesmiddelenagentschap. Daarbij heeft het Europees Geneesmiddelenagentschap beslist dat de voordelen van OCA overwegen ten opzichte van de risico's. De goedkeuring werd toegekend onder voorwaarde dat verdere informatie over het product wordt verstrekt. Op basis van deze informatie zal OCA jaarlijks worden beoordeeld en worden nagegaan of bijkomende informatie dient te worden verstrekt.

Daarenboven werd OCA op 27 juli 2010 erkend door het Europees Geneesmiddelenagentschap als weesgeneesmiddel. Dit wil zeggen dat het geneesmiddel gebruikt wordt voor de behandeling van een zeldzame aandoening.

#### **Waarom wordt u gevraagd om aan het medisch noodprogramma deel te nemen:**

U wordt overwogen voor deelname aan dit programma omdat u de "long-term safety extension" van de POISE studie heeft afgerond en OCA nog niet terugbetaald wordt in België.

Om deel te nemen aan het programma dient u een screeningproces te doorlopen met betrekking op uw algemene gezondheid en uw medische voorgeschiedenis. Mogelijk dient u tests en procedures te ondergaan die worden uitgevoerd om te bepalen of u in aanmerking komt voor deelname aan dit programma. Tenslotte dient u om deel te nemen aan dit programma het onderstaande toestemmingsformulier te ondertekenen.

#### **KAN IK STOPPEN MET MIJN DEELNAME AAN HET PROGRAMMA?**

Het staat u te allen tijde vrij, uw deelname aan het programma stop te zetten. Indien u het programma verlaat, zal uw gewone medische verzorging niet veranderen. Indien u overweegt om uw deelname aan het programma stop te zetten, gelieve dit dan aan de

verantwoordelijke arts mede te delen. De arts kan u informeren omtrent het stoppen en u en de arts kunnen discussiëren over andere behandelingsopties die beschikbaar zijn. Er zal u gevraagd worden uw resterend geneesmiddel terug te brengen.

#### **PROCEDURES EN SCHEMA VOOR UW DEELNAME AAN HET PROGRAMMA**

Indien u OCA gebruikte in het kader van klinisch onderzoek dan zal de arts de dosis die u kreeg waarschijnlijk behouden.

De aanbevolen startdosering voor OCA is één filmomhulde tablet van 5 mg eenmaal per dag via de mond. Uw arts kan uw dosis aanpassen afhankelijk van uw leverfunctie of als u jeuk ervaart die moeilijk te verdragen is.

Afhankelijk van de respons van uw lichaam na 6 maanden kan uw arts uw dosis verhogen tot 10 mg eenmaal per dag. Uw arts zal elke wijziging van de dosis met u bespreken.

#### **Wijze van toediening**

U kunt OCA met of zonder voedsel innemen. Als u galzuurbindende harsen inneemt, neem dan dit geneesmiddel minstens 4 tot 6 uur vóór of minstens 4 tot 6 uur na de galzuurbindende hars in.

#### **WAT ZIJN MIJN VERANTWOORDELIJKHEDEN BIJ DEELNAME AAN DIT PROGRAMMA**

Bij deelname dient u steeds de instructies van de verantwoordelijke arts en het verplegend personeel strikt op te volgen en tijdig uw medicatie in te nemen. Het is eveneens belangrijk om aan te geven hoe u zich voelt en merkbare veranderingen tijdig te melden, ook als u denkt dat dergelijke veranderingen geen verband hebben met het programma.

Bovendien dient u steeds eerlijk en volledige informatie te geven van uw medische voorgeschiedenis. Daarbij dient u ook aan te geven welke geneesmiddelen u heeft genomen of die u nu neemt, en of u deelneemt aan klinische studies of onderzoek.

Tijdens het programma kan u gevraagd worden om bijkomende tests te ondergaan, of bepaalde geneesmiddelen niet in te nemen.

#### **RISICO'S**

De inname van het geneesmiddel kan een risico inhouden, hoe miniem ook. Wellicht zijn op dit moment niet alle risico's in verband met het nemen van het OCA bekend.

#### **Mogelijke bijwerkingen van OCA**

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

Vertel het uw arts of apotheker als u last heeft van jeukende huid (pruritus) of wanneer de jeuk erger wordt tijdens het gebruik van dit geneesmiddel. Doorgaans is jeuk een bijwerking die zeer vaak voorkomt en die voor het eerst optreedt in de eerste maand nadat de behandeling met OCA wordt gestart en waarvan de ernst na verloop van tijd afneemt.

Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen voorkomen bij meer dan 1 op de 10 personen):

- maagpijn
- gevoel van vermoeidheid

Vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen voorkomen bij maximaal 1 op de 10 personen):

- onregelmatigheden met het schildklierhormoon
- duizeligheid
- snelle of onregelmatige hartslag (hartkloppingen)
- pijn in de mond en keel
- verstopping
- droge huid, roodheid van de huid (eczeem)
- huiduitslag
- pijn in uw gewrichten
- zwelling in de handen en voeten
- koorts

Gelieve mogelijke bijwerkingen onmiddellijk aan uw behandelende arts te melden.

Indien u een van bovenstaande bijwerkingen heeft, wordt de dosis van OCA of uw doseringsschema mogelijk veranderd en wellicht krijgt u een behandeling van uw arts voor de bijwerkingen.

#### **Mogelijke tests gedurende het programma**

##### **Bloedstalen**

Bloedafname uit een ader kan gepaard gaan met een beetje pijn en de kans op een blauwe plek op de plaats waar de naald is ingebracht. Soms kan een persoon duizelig worden of flauwvallen wanneer bloed afgenomen wordt en is er een zeldzame mogelijkheid van infectie.

##### **Fibroscan**

De Fibroscan is een echografie van de lever zonder bekende risico's.

##### **DEXA-scan**

Het enige risico dat aan de DEXA-scan verbonden is, is blootstelling aan straling, en deze blootstelling is lager dan bij een vlucht van 6 uur met het vliegtuig.

##### **Zwangerschap**

Er is weinig informatie over de effecten van OCA tijdens de zwangerschap. Als voorzorgsmaatregel mag u OCA niet innemen als u zwanger bent.

De effecten van OCA op de zwangerschap en een ongeboren kind (foetus) van mensen zijn onbekend. In experimenteel dieronderzoek van maximaal 2 jaar met OCA is geen effect waargenomen op de zwangerschap of foetale ontwikkeling van dieren. In de afwezigheid van gegevens bij mensen moeten vrouwen die zwanger kunnen worden tenminste 1 effectieve methode van anticonceptie gebruiken gedurende uw deelname aan dit programma en gedurende 30 dagen na het innemen van de laatste dosis van het geneesmiddel.

Aanvaardbare anticonceptiemethoden zijn:

- Condoom met zaaddodend middel
- Pessarium met zaaddodend middel
- Spiraaltje
- Vasectomie
- Anticonceptiepil, anticonceptiepleister, anticonceptief intramusculair implantaat of anticonceptieve intramusculaire injectie

Als u niet zeker bent over uw anticonceptiemethode, overleg dan met uw behandelende arts. Indien u zwanger raakt tijdens het programma stop dan meteen met de inname van OCA en neem direct contact op met de verantwoordelijke arts of met uw behandelende arts. Als dit gebeurt, wordt uw zwangerschap gevolgd tot het eindresultaat (bijvoorbeeld totdat u bevalt). Als u een baby krijgt, doet de opdrachtgever (AOP Orphan) nacontrole voor de gezondheid van de baby. Noch het ziekenhuis noch de opdrachtgever kan verantwoordelijk worden gehouden voor de kosten van enige medische behandelingen gerelateerd aan de zwangerschap of verzorging van uw kind.

Het is niet bekend of dit geneesmiddel in de moedermelk terechtkomt. Uw arts zal bepalen of u borstvoeding moet staken of dat u behandeling met OCA moet staken dan wel er niet mee moet beginnen, waarbij het voordeel van borstvoeding voor het kind en het voordeel van behandeling voor u in overweging worden genomen.

#### **NIEUWE INFORMATIE**

Als er nieuwe informatie over OCA beschikbaar komt welke uw beslissing om deel te nemen aan dit programma zou kunnen veranderen, wordt u hierover tijdig geïnformeerd door uw behandelende arts of verpleegkundige.

#### **ALTERNATIEVE BEHANDELINGEN**

Als u vóór uw deelname aan dit programma al een stabiele dosis UDCA (als alternatieve behandeling voor PBC) gebruikt, mag u dit blijven gebruiken. Als u vragen hebt over andere behandelingen, vraagt u uw arts om aanvullende informatie.

#### **VERTROUWELIJKHEID EN BESCHERMING VAN PERSOONSgegevens**

Indien u akkoord gaat met deelname aan dit programma, zal de verantwoordelijke arts en zijn team uw persoonlijke gezondheidsinformatie bekijken en slechts die informatie vergaren die zij voor uw deelname aan dit programma nodig hebben. Uw gegevens worden enkel gebruikt voor dit programma en voor de melding van mogelijke bijwerkingen (pharmacovigilantie).

Persoonlijke gezondheidsinformatie is alle informatie die gebruikt zou kunnen worden om u te identificeren, en omvat uw: naam, adres en het ondertekende formulier voor toestemming tot deelname aan het medisch noodprogramma. Bovendien houdt de verantwoordelijke arts op basis van artikel 108 van het KB van 14 december 2006 met betrekking tot geneesmiddelen voor menselijk en diergeneeskundig gebruik, een register bij met daarin de naam en woonplaats van alle patiënten en de contactgegevens van de behandelende arts (inclusief RIZIV nummer).

Deze gegevens worden tot 10 jaar na afloop van het medisch noodprogramma bijgehouden. Gegevens die worden doorgegeven in het kader van farmacovigilantie worden mogelijk langer bewaard.

Het medisch geheim en de wettelijke vereisten betreffende het privéleven van de patiënt (conform met Verordening 2016/679 en de Belgische implementatie-wetgeving), de rechten van de patiënt (conform met de wet van 22 augustus 2002) worden gerespecteerd.

De informatie die voor dit programma vergaard wordt, zal worden gewaarborgd in overeenstemming met aanvaarde industriestandaarden. Enkel uw behandelende arts, de verantwoordelijke arts en zijn team zullen toestemming hebben, uw verslagen te bekijken. Uw deelname aan dit programma kan eveneens in uw medisch verslag in dit ziekenhuis opgenomen worden.

De volgende mensen of eenheden kunnen mogelijk toestemming krijgen om uw dossier en uw persoonlijke medische gegevens in te zien teneinde te controleren of de voor het programma vergaarde informatie correct is en ervoor te zorgen dat het programma geldende wetten en richtlijnen heeft nageleefd:

- Intercept en AOP Orphan (de verantwoordelijke voor dit Medisch Noodprogramma) of diens partnerbedrijven of -vertegenwoordigers.
- Vertegenwoordigers van de Medisch Ethische Commissie van het UZ Leuven.
- Vertegenwoordigers van de United States Food and Drug Administration (FDA) of andere regelgevende agentschappen, zoals Health Canada, nationale bevoegde autoriteiten of het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA).

Tenzij zoals vermeld in dit informatie- en toestemmingsformulier wordt alle informatie die tijdens dit onderzoek wordt verzameld, ook uw persoonlijke medische gegevens, vertrouwelijk behandeld en niet bekendgemaakt aan iemand buiten het programma, tenzij dit vereist is volgens de wetgeving. Al uw informatie die buiten het ziekenhuis opgestuurd wordt, zal een code hebben en noch uw naam of adres tonen, noch enige informatie die u rechtstreeks identificeert.

Geanonimiseerde persoonlijke informatie over u (informatie die is versleuteld en waarmee u niet kunt worden geïdentificeerd) kan voor verwerking worden overgebracht naar de opdrachtgever of derden in het kader van de uitvoering van het programma of zoals anderszins uiteengezet in dit informatie- en toestemmingsformulier. Sommige van deze derden kunnen buiten het land waar u woont gevestigd zijn, waaronder de Verenigde

Staten, en bieden mogelijk niet dezelfde mate van bescherming als de wetgeving inzake de gegevensbescherming in het land waarin u woont.

U hebt het recht om bijgewerkte informatie te verkrijgen omtrent welke gegevens opgenomen worden, alsmede het recht om correcties van fouten te eisen, of in bepaalde gevallen de verwerking van uw persoonsgegevens te beperken of stop te zetten overeenkomstig de toepasselijke wetgeving en procedures. Voor meer inlichtingen over de bescherming van uw persoonsgegevens, kunt u zich ook richten tot de autoriteit gegevensbescherming ([www.gegevensbeschermingsautoriteit.be](http://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be)).

Indien u besluit het programma te verlaten, zal de informatie die vóór uw vertrek vergaard werd over u, nog steeds gebruikt worden. Er zal geen nieuwe informatie zonder uw toestemming vergaard worden behalve om veiligheidsincidenten op te volgen die zich zouden kunnen hebben voorgedaan tijdens uw deelname aan het programma.

#### **VERGOEDING/KOSTEN**

U zult niet betaald worden om deel te nemen aan dit programma, maar het geneesmiddel zal u kosteloos ter beschikking gesteld worden.

Andere medische interventies die nodig kunnen zijn, onderzoeken of andere geneesmiddelen zullen op de gebruikelijke manier worden terugbetaald.

#### **VRAGEN**

Als u vragen hebt over uw rechten als deelnemer aan een medisch noodprogramma, belt u de Ombudsdienst van het UZ Leuven op 016/34.48.18 of per e-mail [ombudsdienst@uzleuven.be](mailto:ombudsdienst@uzleuven.be)

Als u algemene vragen over het programma hebt of vragen over uw recht om inzage te verkrijgen in persoonlijke informatie over u of om deze informatie te corrigeren, dient u contact op te nemen met de verantwoordelijke arts, Dr. Georg Fischer op [georg.fischer@aoporphan.com](mailto:georg.fischer@aoporphan.com) of [georg.fischer@ofphatrade.com](mailto:georg.fischer@ofphatrade.com); of u kunt ook contact opnemen met Daniela Gruber van AOP Orphan op [daniela.gruber@aoporphan.com](mailto:daniela.gruber@aoporphan.com).

#### **MELDEN VAN BIJWERKINGEN OF LETSEL**

Als u bijwerkingen of ander letsel ervaart gedurende het onderzoek, dient u contact op te nemen met de arts die de leiding heeft over dit onderzoek, Dr. Georg Fischer op [georg.fischer@aoporphan.com](mailto:georg.fischer@aoporphan.com) of [georg.fischer@orphatrade.com](mailto:georg.fischer@orphatrade.com). Ook kunt u contact opnemen met Daniela Gruber van AOP Orphan op [daniela.gruber@aoporphan.com](mailto:daniela.gruber@aoporphan.com).



**TOESTEMMING TOT DEELNAME AAN MEDISCH NOODPROGRAMMA VOOR OCALIVA**

*Ik heb de gelegenheid gehad om mijn deelname aan dit programma te bespreken met mijn arts/ verpleegkundige en mijn vragen werden tot mijn genoegdoening beantwoord. Ik stem ermee in verder aan het medisch noodprogramma deel te nemen, wetende dat ik mij te allen tijde terug mag trekken zonder dat dit mijn medische verzorging beïnvloedt. Ik begrijp dat ik een kopie van dit getekende en gedateerde informatie- en toestemmingsformulier krijg. Ik stem er vrijwillig mee in aan dit programma deel te nemen.*

\_\_\_\_\_  
Naam deelnemer  
(gelieve te drukken)

\_\_\_\_\_  
Handtekening deelnemer

\_\_\_\_\_  
Datum/tijd

Ik bevestig dat ik voldoende informatie heb verkregen over het medisch noodprogramma voor OCALIVA en wens deel te nemen aan dit programma.

Ik begrijp dat Intercept verantwoordelijk is voor de bescherming van mijn persoonsgegevens die verwerkt worden in het kader van dit programma en begrijp mijn rechten met betrekking tot deze gegevens.

\*

**VERKLARING VAN DE BEHANDELLENDE ARTS**

Ik, ondergetekende, verklaar dat de hierboven geïdentificeerde deelnemer aan het medisch noodprogramma volledig en zorgvuldig werd geïnformeerd over zijn of haar deelname aan dit programma, de aard van dit programma en de risico's en mogelijke voordelen, als die er zijn, van zijn of haar deelname aan dit programma.

\_\_\_\_\_  
Naam behandelende arts  
(gelieve te drukken)

\_\_\_\_\_  
Handtekening

\_\_\_\_\_  
Datum/tijd