

INFORMATIEFORMULIER VOOR VOLWASSEN PATIENTEN DIE DEELNEMEN AAN HET MEDISCH NOODPROGRAMMA (MNP) PROGRAMMA

Het gebruik van HEMLIBRA® (Emicizumab) voor de behandeling van patiënten met hemofilie A met Factor VIII-remmers in het kader van een medisch noodprogramma

I. Belangrijke informatie voor uw beslissing om deel te nemen aan het programma

Uw behandelende arts stelt u, voor de behandeling van uw hemofilie A met factor VIII remmers, een therapie voor met Hemlibra® binnen een medisch noodprogramma.

Voordat u beslist over uw deelname aan dit medisch noodprogramma willen we u wat meer informatie geven over wat dit betekent voor u. Wij leggen uit wat de voordelen en risico's voor u kunnen zijn en wat het programma praktisch voor u betekent. Zo kunt u een beslissing nemen met volledige kennis van de gevolgen. Dit wordt "geïnformeerde toestemming" genoemd. Voordat u toestemt om de behandeling te ontvangen, is het belangrijk dat u de uitleg hieronder over het geneesmiddel leest en begrijpt. Indien u vragen heeft omtrent Hemlibra®, beslis dan pas om de behandeling wel of niet te ondergaan nadat al uw vragen beantwoord zijn.

Dit document bestaat uit 2 delen: essentiële informatie die nodig is voor uw beslissing en uw schriftelijke toestemming.

WAT IS EEN MEDISCH NOODPROGRAMMA?

Een medisch noodprogramma biedt patiënten met ernstige/invaliderende medische aandoeningen, maar met beperkte behandelingsmogelijkheden, vroege toegang tot nieuwe medicijnen die wel al effectief zijn gebleken in klinisch onderzoek maar die momenteel geëvalueerd worden door de regelgevende autoriteiten vooraleer deze gecommmercialiseerd kunnen worden op de Belgische markt.

Deze behandeling kadert in het medisch noodprogramma dat tot doel heeft Hemlibra® beschikbaar te maken voor patiënten zoals uzelf, waarvoor er geen andere geschikte behandeling is en die, in de opinie en klinische beoordeling van de behandelende arts, baat zouden hebben bij een behandeling met dit geneesmiddel.

WAT IS HEMLIBRA® (EMICIZUMAB)?

Hemlibra® is een geneesmiddel dat werd ontwikkeld door Roche.

Hemlibra® bevat de werkzame stof emicizumab. Deze stof behoort tot een groep geneesmiddelen die "monoklonale antilichamen" worden genoemd. Monoklonale antilichamen zijn een soort eiwitten die een doelwit in het lichaam herkennen en hieraan binden.

WAARVOOR WORDT DIT MIDDEL GEBRUIKT?

Hemlibra® is een geneesmiddel dat gebruikt kan worden voor de behandeling van patiënten van alle leeftijdsgroepen met hemofilie A, die factor VIII-remmers hebben ontwikkeld Dit geneesmiddel voorkomt of vermindert bloedingen bij mensen met deze aandoening. Hemofilie A is een erfelijke

aandoening en wordt veroorzaakt door een tekort aan factor VIII, een essentiële stof die nodig is om bloed te laten stollen en het bloeden te laten stoppen.

HOE WERKT DIT MIDDEL?

Patiënten met hemofilie A worden doorgaans behandeld met een infusie met vervangend factor VIII, maar sommige patiënten ontwikkelen factor VIII-remmers (antilichamen tegen factor VIII) die ervoor zorgen dat de vervangende factor VIII niet meer werkt. Omdat Hemlibra® een andere structuur dan factor VIII heeft, hebben de factor VIII-remmers geen effect op Hemlibra®.

In februari 2018 werd goedkeuring gegeven voor het op de markt brengen van Hemlibra voor de behandeling van hemofilie A met factor VIII-remmers in Europa. De aanvraag voor terugbetaling in België wordt binnenkort ingediend/is bezig.

Hemlibra® is alleen verkrijgbaar in de apotheek van uw ziekenhuis, nadat het voorgeschreven is door een specialist die ervaring heeft met de behandeling van hemofilie A met factor VIII-remmers.

WANNEER MAG U HEMLIBRA® NIET GEBRUIKEN OF MOET U ER EXTRA VOORZICHTIG MEE ZIJN?

Wanneer mag Hemlibra® niet bij u worden toegediend?

U bent allergisch voor een van de stoffen in dit geneesmiddel:

- De werkzame stof in dit middel is emicizumab. Er zijn verschillende injectieflacons beschikbaar die een concentratie van 30 mg/ml of 150 mg/ml aan Hemlibra® bevatten.
- De andere stoffen in dit middel zijn L-arginine, L-histidine, L-asparaginezuur, poloxameer 188 en water voor injecties.

Twijfelt u? Neem dan contact op met uw arts of verpleegkundige voordat Hemlibra® bij u wordt toegediend.

Wanneer moet u extra voorzichtig zijn met Hemlibra®?

Voordat u Hemlibra® gaat gebruiken, is het erg belangrijk dat u met uw arts overlegt over het gebruik van “bypassing agents” (middelen die helpen bij de bloedstolling maar op een andere manier werken dan factor VIII) omdat de behandeling met bypassing agents mogelijk aangepast moet worden terwijl u Hemlibra® krijgt. Voorbeelden van bypassing agents zijn “geactiveerd protrombinecomplex-concentraat” (aPCC) en “recombinante factor VIIa” (rFVIIa). Er kunnen ernstige en mogelijk levensbedreigende bijwerkingen optreden wanneer patiënten aPCC gebruiken en ook worden behandeld met Hemlibra®: Mogelijke ernstige bijwerkingen bij gebruik van aPCC terwijl Hemlibra® wordt gebruikt zijn:

● Vernietiging van rode bloedcellen (trombotische microangiopathie)

- Dit is een ernstige en mogelijk levensbedreigende aandoening.
- Bij mensen met deze aandoening kan de binnenwand van de bloedvaten beschadigd worden en kunnen zich bloedstolsels vormen in de kleine bloedvaten. In sommige gevallen kan dit de nieren en/of andere organen beschadigen.
- Wees voorzichtig wanneer u een verhoogd risico heeft op deze aandoening (wanneer u deze aandoening eerder heeft gehad, of wanneer een familielid deze aandoening heeft gehad), of wanneer u geneesmiddelen gebruikt die het risico op

het ontwikkelen van deze aandoening verhogen, zoals ciclosporine, kinine of tacrolimus.

- Het is belangrijk om de verschijnselen van trombotische microangiopathie te herkennen, mocht u deze aandoening krijgen.

Stop met het gebruik van Hemlibra® en aPCC en neem onmiddellijk contact op met een arts als u of uw verzorger verschijnselen van trombotische microangiopathie opmerkt.

● **Bloedstolsels (trombo-embolie)**

- In zeldzame gevallen kan zich een bloedstolsel vormen in de bloedvaten en deze blokkeren, wat levensbedreigend kan zijn.
- Het is belangrijk om de verschijnselen van zulke interne bloedstolsels te herkennen, mochten deze zich vormen (zie rubriek 4 van de bijsluiter, “Mogelijke bijwerkingen” voor een lijst van verschijnselen).

Stop met het gebruik van Hemlibra® en aPCC en neem onmiddellijk contact op met een arts als u of uw verzorger verschijnselen van bloedstolsels in bloedvaten opmerkt.

Probeer uzelf niet te behandelen met andere geneesmiddelen. Uw arts kan:

- U andere geneesmiddelen geven om complicaties te voorkomen en verschijnselen te verlichten
- Langer wachten met het toedienen van uw volgende dosis van dit middel
- Uw behandeling met dit middel stopzetten.

Tests en controles

Voordat u met uw behandeling begint, zal uw arts uw algemene gezondheid controleren. Tijdens uw behandeling zal uw arts bloedtesten uitvoeren.

Gebruikt u nog andere geneesmiddelen?

Gebruikt u naast Hemlibra® nog andere geneesmiddelen, heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan uw arts of apotheker.

- Gebruik van een bypassing agent tijdens de behandeling met Hemlibra®
 - Overleg met uw arts voordat u Hemlibra® gaat gebruiken en volg zorgvuldig de instructies op voor het tijdstip dat u een bypassing agent moet gebruiken en het doseringsschema. Door Hemlibra® kan uw bloed beter stollen. Daarom kan de dosis van een bypassing agent die u nodig heeft lager zijn dan de dosis die u kreeg voordat u met Hemlibra® begon.
 - Gebruik aPCC alleen als er geen andere behandelingen mogelijk zijn. Indien aPCC noodzakelijk is, overleg dan met uw arts als u denkt dat u meer dan in totaal 50 eenheden/kg aPCC nodig heeft.
 - Ondanks beperkte ervaring met gelijktijdige toediening van antifibrinolytica met aPCC of rFVIIIa bij patiënten behandeld met Hemlibra®, moet u op de hoogte zijn van de mogelijkheid van trombotische voorvallen wanneer u antifibrinolytica in combinatie met aPCC of rFVIIIa intraveneus toegediend krijgt.

Laboratoriumtests

Vertel uw arts dat u Hemlibra® gebruikt voordat er laboratoriumtests worden gedaan om te bepalen hoe goed uw bloed stolt, omdat Hemlibra® in het bloed sommige laboratoriumtests kan verstoren waardoor de uitslagen onjuist kunnen zijn.

Zwangerschap en borstvoeding

- U moet een doeltreffende methode van geboortebeperking (anticonceptie) gebruiken tijdens de behandeling met Hemlibra® en tot 6 maanden na uw laatste injectie met Hemlibra®.
- Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding? Neem dan contact op met uw arts of apotheker voordat u dit geneesmiddel gebruikt. Uw arts zal het voordeel van gebruik van Hemlibra® voor u afwegen tegen het risico voor uw baby.

Rijvaardigheid en het gebruik van machines

Dit geneesmiddel zal waarschijnlijk geen invloed hebben op uw rijvaardigheid of vermogen om machines te gebruiken.

ALS U BESLUIT DE BEHANDELING MET HEMLIBRA® TE AANVAARDEN:

- Gelieve altijd de juiste informatie te verstrekken over uw medische voorgeschiedenis en uw huidige medische toestand.
- Gelieve uw behandelende arts over elk gezondheidsprobleem dat u gedurende de behandeling hebt in te lichten.
- Gelieve uw behandelende arts te informeren over alle geneesmiddelen op voorschrift en alle zelfzorggeneesmiddelen die u neemt. Dat geldt ook voor vitamines, kruiden en andere soorten therapieën.
- Gelieve uw behandelende arts over om het even welk nieuw geneesmiddel dat u gedurende het medisch noodprogramma begint te nemen, in te lichten.
- Gelieve geen andere geneesmiddelen in te nemen of de dosis te wijzigen van de medicatie die u inneemt, tenzij uw behandelende arts deze op voorhand goedgekeurd heeft.

HOE WORDT HEMLIBRA® GEBRUIKT?

Een arts met ervaring in het behandelen van hemofilie A met factor VIII-remmers zal dit middel aan u toedienen in een ziekenhuis of kliniek.

Als u getraind bent, kunt u zelf of met de hulp van uw verzorger dit geneesmiddel thuis toedienen.

Hoeveel van dit middel wordt er toegediend?

De dosis van Hemlibra® hangt af van uw gewicht en uw arts zal de hoeveelheid (in mg) berekenen en de bijbehorende hoeveelheid Hemlibra®-oplossing (in ml) die geïnjecteerd moet worden.

- Week 1 tot 4: De dosis is 3 milligram voor elke kilo die u weegt, eenmaal per week geïnjecteerd.
- Week 5 en daarna: De dosis is 1,5 milligram voor elke kilo die u weegt, eenmaal per week geïnjecteerd.

De hoeveelheid Hemlibra®-oplossing die bij elke injectie wordt toegediend mag niet meer dan 2 ml zijn.

Hoe wordt dit middel toegediend?

Wanneer u Hemlibra® bij uzelf toedient of als uw verzorger het injecteert, moeten u of uw verzorger de “Instructies voor gebruik” zorgvuldig doorlezen en opvolgen.

- Hemlibra® wordt toegediend via een injectie onder de huid (subcutaan).
- Uw arts of verpleegkundige zal u laten zien hoe Hemlibra® moet worden geïnjecteerd.
- Als u getraind bent, kunt u zelf of met de hulp van uw verzorger dit geneesmiddel thuis toedienen.
- Om te zorgen dat de naald op de juiste manier onder de huid wordt geplaatst, pakt u met uw vrije hand een huidplooi in het schoongemaakte injectiegebied. Het is belangrijk dat u een huidplooi beetpakt, om ervoor te zorgen dat u het geneesmiddel onder de huid injecteert (in het vetweefsel) en niet in dieper gelegen weefsel (in spieren). Injecteren in een spier kan ongemak veroorzaken.
- Gebruik een “aseptische techniek” om de injectie onder schone en bacterievrije omstandigheden klaar te maken en toe te dienen. Uw arts of verpleegkundige zal meer informatie hierover geven

Hoelang duurt de behandeling?

Uw arts zal u dit middel blijven geven tot u er geen voordeel meer van ondervindt. Als de bijwerkingen echter te erg worden, dan kan de behandeling stopgezet worden.

Waar moet u dit middel injecteren?

- Uw arts zal u laten zien welke plaatsen van het lichaam geschikt zijn om Hemlibra® te injecteren.
- De aanbevolen plaatsen voor injectie zijn: de voorkant van de taille (onderbuik), achterkant van de bovenarm, of de voorkant van de dijen. Gebruik alleen de aanbevolen plaatsen voor injectie.
- Gebruik voor elke injectie een ander deel van uw lichaam dan u daarvoor heeft gebruikt.
- Injecteer niet op plekken waar de huid rood, beschadigd, pijnlijk of hard is of op plekken met moedervlekken of littekens.
- Als u Hemlibra® gebruikt, moeten alle andere geneesmiddelen die onder de huid worden geïnjecteerd op een ander deel van het lichaam worden toegediend.

Heeft u te veel van dit middel gebruikt?

Als u meer Hemlibra® gebruikt dan u zou moeten krijgen, vertel dit dan onmiddellijk aan uw arts. Dit is belangrijk omdat u misschien bijwerkingen kunt krijgen, zoals bloedstolsels. Gebruik dit geneesmiddel altijd precies zoals uw arts u dat heeft verteld. Twijfelt u over het juiste gebruik? Neem dan contact op met uw arts, apotheker of verpleegkundige.

Bent u vergeten dit middel te gebruiken?

- Als u uw geplande wekelijkse injectie bent vergeten, injecteer de vergeten dosis dan zo snel mogelijk tot voor de dag van de eerstvolgende geplande dosis. Ga vervolgens verder met eenmaal per week injecteren volgens schema. Injecteer geen dubbele dosis om een vergeten dosis in te halen.
- Als u twijfelt, overleg dan met uw arts, apotheker of verpleegkundige.

Als u stopt met het gebruik van dit middel

Stop niet met het gebruik van Hemlibra® zonder te overleggen met uw arts. Als u met Hemlibra® stopt, bent u mogelijk niet meer beschermd tegen bloedingen.

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

HOELANG DUURT HET MEDISCH NOODPROGRAMMA?

De duur van de behandeling zal afhangen van hoe goed uw ziekte op Hemlibra® reageert. U kan de behandeling verderzetten zolang uw arts meent dat u baat heeft bij de behandeling. De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien uw ziekte verergert of u geen baat heeft bij de behandeling, indien blijkt dat u het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, of indien u zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt.

WAT ZIJN DE MOGELIJKE BIJWERKINGEN?

Zoals elk geneesmiddel kunnen ook deze geneesmiddelen bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. U moet onmiddellijk uw arts verwittigen wanneer u één van onderstaande bijwerkingen ondervindt.

Ernstige bijwerkingen als u aPCC gebruikt terwijl u ook Hemlibra® krijgt:

Stop met het gebruik van Hemlibra® en aPCC en neem onmiddellijk contact op met een arts als u of uw verzorger een van de volgende bijwerkingen opmerkt:

- **Vernietiging van de rode bloedcellen** (trombotische microangiopathie):
 - verwardheid, zwakte, zwellen van armen en benen, geel worden van huid en ogen, vage buik- of rugpijn, misselijkheid, overgeven of minder plassen - dit kunnen symptomen zijn van trombotische microangiopathie.
- **Bloedstolsels** (trombo-embolie):

- zwelling, warmte, pijn of roodheid – dit kunnen symptomen zijn van een bloedstolsel in een ader die vlak onder de huid ligt.
- hoofdpijn, gevoelloosheid in uw gezicht, pijn of zwelling van de ogen of problemen met het zicht – dit kunnen symptomen zijn van een bloedstolsel in een ader achter uw oog.
- zwart worden van de huid – dit kan een symptoom zijn van ernstige beschadiging van het huidweefsel.

Andere bijwerkingen tijdens het gebruik van Hemlibra®

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

- een reactie op de plek waar de injectie is gegeven (roodheid, jeuk, pijn)
- hoofdpijn

Vaak (komt voor bij minder dan 1 op de 10 gebruikers)

- koorts
- gewrichtspijn
- spierpijn
- diarree
- vernietiging van rode bloedcellen (trombotische microangiopathie)

Soms (komt voor bij minder dan 1 op de 100 gebruikers)

- bloedstolsel in een ader achter uw oog
- ernstige beschadiging van het huidweefsel (huidnecrose)
- bloedstolsel in een ader vlak onder de huid (oppervlakkige tromboflebitis)

U zal nauwlettend opgevolgd worden tijdens de gehele duur van uw behandeling door uw behandelend arts. Ook is het mogelijk dat zich andere onbekende risico's en ongemakken voordoen. Het is daarom van groot belang elke nieuwe gezondheidsklacht zo snel mogelijk aan uw behandelende arts, apotheker of verpleegkundige te melden, ongeacht of de klacht volgens u te maken heeft met het gebruik van deze geneesmiddelen of niet.

U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden via het nationale meldsysteem (zie hieronder). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

Federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG)

Afdeling Vigilantie

EUROSTATION II

Victor Hortaplein 40/40

B-1060 Brussel

Website: www.fagg.be

e-mail: patientinfo@fagg-afmps.be

VRIJWILLIGE TOESTEMMING/RECHT OM TE STOPPEN MET DE BEHANDELING

Uw deelname is vrijwillig; er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Voor deelname is uw ondertekende toestemming nodig. Zelfs nadat u dit document hebt ondertekend, kunt u uw behandelende arts laten weten dat u van uw deelname wenst af te zien. Of wanneer u nu beslist om deze behandeling te starten, staat het u vrij om te beslissen om de behandeling op eender welk moment stop te zetten, om gelijk welke reden en dit zonder uw beslissing te moeten rechtvaardigen.

Wel kan het voor uw arts nuttig zijn om te weten waarom u de behandeling stopzet. U bespreekt dit het best met uw behandelende arts.

Uw beslissing om al dan niet (verder) deel te nemen aan het medisch noodprogramma zal geen enkele negatieve invloed hebben op de kwaliteit van uw zorg noch op uw relatie met uw arts.

Het is ook mogelijk dat uw arts uw deelname aan het programma stopzet omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor uw gezondheid of omdat hij/zij vaststelt dat u de instructies niet opvolgt.

Na de stopzetting van de behandeling met Hemlibra® zal uw arts uw gezondheidstoestand opnieuw beoordelen en de best mogelijke behandeling voorschrijven.

Het programma zal jaarlijks worden geëvalueerd op veiligheid door het FAGG. Roche kan besluiten om het programma te beëindigen om veiligheids-, reglementaire of interne redenen.

WAT ALS ER NIEUWE INFORMATIE BESCHIKBAAR KOMT?

In sommige gevallen kan er nieuwe informatie beschikbaar komen over de behandeling met Hemlibra®. Als dit gebeurt, dan licht uw arts u hierover in en overlegt hij met u of u de behandeling wenst voort te zetten.

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

TOEGANG TOT HEMLIBRA®

Roche stelt het geneesmiddel gratis ter beschikking tot het terugbetaald is in België.

Het programma (en bijgevolg de gratis terbeschikkingstelling van het geneesmiddel door Roche) zal worden stopgezet wanneer het product wordt terugbetaald en commercieel verkrijgbaar is in België voor de behandeling van hemofilie A met factor VIII-remmers of wanneer Roche beslist om het programma te stoppen omwille van veiligheids-, reglementaire of interne redenen.

U wordt niet betaald voor uw deelname en mogelijke onkosten worden niet vergoed (verplaatsing of andere). Alle andere noodzakelijke ingrepen, onderzoeken en medicatie vallen onder de gewone terugbetalingscriteria. Uw behandelende arts wordt niet betaald door Roche voor uw deelname aan dit programma.

MEDISCH ETHISCHE TOETSING

Het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) en de onafhankelijke commissie van ethiek van het Universitair Ziekenhuis van Leuven hebben dit document nagelezen, de doelstellingen en het voorgestelde verloop van de behandeling onderzocht en daaromtrent een gunstig advies verleend.

GARANTIE VAN BESCHERMING EN DE VERTROUWELIJKHEID VAN UW GEGEVENS

Uw arts zal de behandeling die u ondergaat nauwgezet opvolgen. Het is mogelijk dat uw arts formuleren met uw medische gegevens invult (waaronder medische follow-up en mogelijke bijwerkingen).

In het kader van het programma zal uw arts de volgende gegevens aan Roche overmaken:

- Gegevens die belangrijk zijn voor uw medische voorgeschiedenis: geslacht, geboortedatum, de gegevens met betrekking tot uw hemofilie A en de start- en einddatum van uw behandeling;
- Gegevens over de ontwikkeling van uw ziekte
- Gegevens over bijwerkingen die u tijdens de behandeling van uw ziekte kunt ervaren tijdens het programma, evenals het toestemmingsformulier dat door u en uw arts ondertekend is.

Persoonsgegevens die tijdens dit behandelingsprogramma worden verzameld, zullen worden vervangen door een codenummer.

Deze gegevens zullen door Roche gebruikt worden om de uitvoering van het programma mogelijk te maken. Daarnaast zal Roche deze gegevens ook gebruiken om te voldoen aan haar wettelijke verplichtingen (zoals het melden en verzamelen van mogelijke bijwerkingen).

Uw privacy is belangrijk. Alles zal gedaan worden om de vertrouwelijkheid van uw gegevens te garanderen in navolging van de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming.

Uw gegevens kunnen worden gebruikt door en/of gedeeld met:

- Roche, zusterbedrijven van Roche, en vertegenwoordigers, medewerkers en licentienemers van Roche (mensen en bedrijven die werken voor of partner zijn van Roche)
- Een bevoegde institutionele beoordelingscommissie of commissie voor ethiek
- Regelgevende instanties, bijvoorbeeld het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG)

In dit kader is het mogelijk dat uw gegevens in elk land over de hele wereld kunnen worden ingekeken. Dergelijke landen kunnen minder gegevensbeschermingsbeveiligingen en -rechten hebben dan België. Overdracht van uw gegevens aan Roche en vertegenwoordigers, medewerkers en licentienemers van Roche die zijn gevestigd buiten de Europese Economische Ruimte wordt op adequate wijze beschermd onder afzonderlijke overeenkomsten zoals "Standaard Gegevensbeschermingsclausules".

U hebt het recht om uw gegevens die gebruikt worden in dit medisch noodprogramma te bekijken en er een kopie van te ontvangen. Als u van mening bent dat een of meer van de persoonsgegevens (d.w.z. informatie die u identificeert of die in redelijkheid zou kunnen worden gebruikt om u te identificeren) in dit dossier onnauwkeurig of onvolledig is, hebt u het recht om correctie ervan te verzoeken. U kunt vragen om de verwijdering van persoonsgegevens die niet meer nodig zijn. U kunt ook de beperking vragen van het gebruik van persoonsgegevens. Roche zal proberen zo goed mogelijk op uw verzoek te reageren. Omdat Roche alleen gegevens bijhoudt die zijn voorzien van uw patiëntidentificatienummer, is het mogelijk dat Roche misschien niet in staat is om volledig aan uw verzoek te voldoen. Om een kopie van uw gegevens op te vragen of te vragen om correctie of verwijdering van uw persoonsgegevens of om de beperking van het gebruik van uw persoonsgegevens te vragen, kunt u contact opnemen met uw behandelende arts, die uw aanvraag zal doorsturen naar Roche.

U kunt van gedachten veranderen en uw toestemming op elk moment intrekken zonder dat u voordelen verliest waar u anderszins recht op hebt. Als u uw toestemming intrekt, kunt u niet doorgaan met uw deelname aan dit medisch noodprogramma en wordt geen nieuwe informatie over

u verzamelt. Om echter te voldoen aan de regelgevingen van dit medisch noodprogramma, moet Roche de gegevens die tijdens dit medisch noodprogramma al zijn verzameld nog steeds blijven gebruiken. Om uw toestemming in te trekken kunt u contact opnemen met uw behandelende arts.

Als u vragen hebt, zich zorgen maakt of een klacht wilt indienen met betrekking tot de manier waarop Roche gebruik maakt van uw informatie, kunt u contact opnemen met de lokale gegevensbeschermingsfunctionaris van Roche op brussels.privacy@roche.com. Indien u meer informatie over uw privacy rechten wenst of als u een probleem niet rechtstreeks met Roche kunt oplossen en een klacht wilt indienen, kunt u contact opnemen met de Belgische Gegevensbeschermingsautoriteit op contact@apd-gba.be. Deze autoriteit is er verantwoordelijk voor dat de privacywetgeving in België wordt nagevolgd.

WIE KAN U CONTACTEREN ALS U VRAGEN HEEFT?

Indien u of uw partner of familie vragen hebben omtrent de behandeling of wanneer u een bijwerking heeft, dient u contact op te nemen met uw behandelende arts. Indien u dringende hulp inroept of in het ziekenhuis moet worden opgenomen, meld dan aan de spoedarts dat u wordt behandeld met Hemlibra®.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans gehad heeft alle vragen te stellen en een bevredigend antwoord op alle uw vragen gekregen heeft. Indien u nog vragen zou hebben, aarzel niet contact op te nemen met uw arts of zorgteam.

Naam arts:

Adres:

Telefoonnummer:

TOESTEMMINGSGFORMULIER VOOR VOLWASSEN PATIENTEN DIE DEELNEMEN AAN HET MNP PROGRAMMA

Het gebruik van HEMLIBRA® (emicizumab) voor de behandeling van patiënten met hemofilie A met Factor VIII-remmers in het kader van een medisch noodprogramma

Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over het medisch noodprogramma, de doelstellingen, duur, eventuele risico's en voordelen, en over wat van mij wordt verwacht. Ik heb het informatiedocument gelezen. Ik heb voldoende tijd gehad om na te denken en met een door mij gekozen persoon, zoals mijn huisarts of een familielid, te praten. Ik heb de gelegenheid gekregen om vragen te stellen en mijn vragen zijn naar mijn tevredenheid beantwoord. Ik begrijp dat mijn deelname aan dit programma vrijwillig is en dat het mij vrij staat om mijn deelname te beëindigen zonder dat dit invloed zal hebben op mijn relatie met het therapeutisch team dat instaat voor mijn gezondheid. Ik stem er mee in dat mijn behandelende arts mijn gegevens zal doorgeven en gebruiken zoals beschreven in dit document.

Ik aanvaard vrijwillig om deel te nemen aan dit medisch noodprogramma en om behandeld te worden met Hemlibra®

Ik heb een exemplaar van de informatie voor de deelnemer en van het informatie- en toestemmingsformulier ontvangen.

Naam, voornaam van de patiënt

Datum

handtekening van de vrijwilliger

Naam, voornaam van de wettelijke vertegenwoordiger

verwantschap met de vertegenwoordigde persoon

Datum

handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger

Naam, voornaam van de behandelende arts

Datum

handtekening van de behandelende arts

INFORMATIEFORMULIER VOOR KINDEREN (tot en met 11 jaar) DIE DEELNEMEN AAN HET MEDISCH NOODPROGRAMMA (MNP)

Het gebruik van Hemlibra® (Emicizumab) voor de behandeling van patiënten met hemofilie A met factor VIII-remmers in het kader van een medisch noodprogramma

Waarom dit programma?

Je krijgt momenteel een geneesmiddel om je leven met hemofilie A met factor VIII-remmers, beter te maken.

Je dokter vindt dat dit geneesmiddel niet zo goed werkt en dat veranderen naar andere geneesmiddelen ook niet meteen gaat helpen. Daarom denkt hij je beter te kunnen helpen met het geneesmiddel Hemlibra®.

Hemlibra® is een geneesmiddel dat mag gebruikt worden voor de behandeling van hemofilie A met factor VIII-remmers.

Alle patiënten met dezelfde ziekte als jij mogen Hemlibra® gratis gebruiken als ze deelnemen aan dit programma.

Jouw dokter denkt dat jij kan deelnemen aan dit programma maar het is belangrijk dat jij het OK vindt.

Wat gebeurt er tijdens dit programma?

Als je akkoord gaat om mee te doen aan dit programma, dan krijg je elke week een spuitje in de huid van je armen, buik of billen voor de behandeling van je ziekte, hemofilie A met factor VIII-remmers.

Je moet naar het ziekenhuis gaan voor een bezoek om te zien of je aan het programma kunt meedoen. Als je akkoord gaat om mee te doen aan het programma, zal je nog een aantal keer naar het ziekenhuis moeten terugkomen.

Tijdens je bezoek zal je dokter volgende onderzoeken uitvoeren:

- Een lichamelijk onderzoek om je gezondheid te testen.
- Er wordt een kleine naald gebruikt om bloed uit een ader in je arm af te nemen. De arts doet bepaalde testen op je bloed om te zien of je mag meedoen met het programma en om je gezondheid te controleren.

Tijdens je eerste bezoek moet je na het spuitje met Hemlibra® nog even in het ziekenhuis blijven.

De arts zal je mama en papa (of voogd) bij het eerste bezoek aanleren hoe het spuitje moet gegeven worden en nadien mogen zij het spuitje thuis bij jou toedienen.

Gaat het pijn doen als ik meedoe aan dit programma?

Tijdens het programma word je zorgvuldig nagekeken door je arts of je geen vervelende kwaaltjes hebt door het gebruik van Hemlibra®. Deze kwaaltjes noemt men bijwerkingen.

De vaakst voorkomende bijwerkingen bij mensen die Hemlibra® kregen, waren een reactie op de plek waar de spuit is gegeven (roodheid, jeuk, pijn), hoofdpijn, koorts, gewrichtspijn, spierpijn, diarree (losse of waterige stoelgang), bloedstolsel in een ader achter het oog, ernstige beschadiging van het huidweefsel, bloedstolsel in een ader vlak onder de huid.

Er kunnen bij jou ook andere bijwerkingen komen die nog niet gekend zijn en niet in deze lijst staan.

Als je één van deze dingen voelt, zeg het dan zeker direct tegen je mama of papa (of voogd) en tegen de dokter.

De arts zal het geneesmiddel Hemlibra® bij je toedienen met een naaldje onder je huid. Ook zal je tijdens je deelname aan het programma bloedtesten ondergaan om te controleren of het geneesmiddel goed bij je werkt.

Wanneer het geneesmiddel bij je wordt toegediend of er bloed bij jou wordt afgenomen, kan je een kneepje voelen. Dat doet een minuutje pijn en soms wordt de plek waar de naald wat rood en doet ze zeer.

Als je een van deze dingen voelt, of iets anders dat hierboven niet staat beschreven, zeg het dan zeker tegen jouw mama of papa (of voogd) en tegen de arts.

Gaat dit programma me helpen?

We kunnen niet voorspellen of meedoen aan dit programma je beter zal maken maar we weten wel dat het geneesmiddel veel andere personen met dezelfde ziekte heeft kunnen helpen.

Moet ik meedoen aan dit programma?

Neen, je moet niet meedoen aan dit programma als je dit niet wilt.

Je kunt “neen” zeggen tegen meedoen aan dit programma, en niemand zal boos zijn op jou. Je kunt zelfs later van gedacht veranderen en stoppen met meedoen, zelfs als het programma al gestart is. Vertel het gewoon aan de dokter.

Praat erover met je mama en papa voordat je een beslissing neemt.

We zullen je mama en papa ook vragen om toestemming te geven voor je deelname aan dit programma. Maar zelfs als je ouders “ja” zeggen, kan jij nog altijd “nee” zeggen.

Mag ik vragen stellen?

Je kunt alle vragen die je over het programma hebt nu stellen. Als je een vraag vergeet te stellen en er later aan denkt, dan kan je de dokter opbellen. Of stel je vraag aan de dokter tijdens je volgende bezoek aan het ziekenhuis.

Naam arts:

Adres:

Telefoonnummer:

TOESTEMMINGSFORMULIER VOOR KINDEREN (tot en met 11 jaar) DIE DEELNEMEN AAN HET MEDISCH NOODPROGRAMMA (MNP)

Het gebruik van Hemlibra® (Emicizumab) voor de behandeling van patiënten met hemofilie A met factor VIII-remmers in het kader van een medisch noodprogramma

Als je akkoord bent, zal je dokter je vragen om dit toestemmingsformulier te ondertekenen. De dokter zal het formulier eveneens ondertekenen en bevestigt hiermee dat hij/zij alles goed heeft uitgelegd.

Deel enkel bestemd voor de patiënt en zijn/haar wettelijke vertegenwoordig(st)er:

Ik heb geluisterd naar wat de dokter me heeft verteld en ik wil meedoen met het programma. Ik heb alle vragen gesteld die ik had, en ik heb een antwoord gekregen op al mijn vragen. Als ik dit formulier onderteken, betekent dit dat ik akkoord ga om mee te doen met het programma. Ik weet dat ik op elk moment van gedacht kan veranderen. Mijn ouders en ik krijgen een exemplaar van dit formulier, nadat ik het heb ondertekend.

Jouw naam en voornaam

Datum

jouw handtekening

Naam, voornaam van de wettelijke
vertegenwoordiger 1

verwantschap met de vertegenwoordigde persoon

Datum

handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger 1

Naam, voornaam van de wettelijke
Vertegenwoordiger 2

verwantschap met de vertegenwoordigde persoon

Datum

handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger 2

Naam, voornaam van de behandelende arts

Datum

handtekening van de behandelende arts

Ik verklaar dat de deelnemer ofwel het instemmingsformulier kan lezen en het bovenstaande heeft ondertekend ter documentatie van de instemming voor deelname aan dit programma, of dat de deelnemer het instemmingsformulier niet kan lezen, maar dat de informatie mondeling is toegelicht aan hem/haar en dat de ouder/voogd van de deelnemer het bovenstaande heeft ondertekend ter documentatie van de instemming voor deelname aan dit programma.

INFORMATIEFORMULIER VOOR KINDEREN (12-17 jaar) DIE DEELNEMEN AAN HET MEDISCH NOODPROGRAMMA (MNP)

Het gebruik van Hemlibra® (Emicizumab) voor de behandeling van patiënten met hemofilie A met factor VIII-remmers in het kader van een medisch noodprogramma

Beste,

Je wordt momenteel behandeld voor hemofilie A met factor VIII-remmers.

Je dokter vindt dat de behandeling niet zo goed werkt en dat veranderen naar andere gewone geneesmiddelen ook niet meteen gaat helpen. Daarom wordt er nu gedacht aan het opstarten van een behandeling met Hemlibra®.

Hemlibra® is een geneesmiddel dat in België mag gebruikt worden om hemofilie A-patiënten met factor VIII-remmers te behandelen en dit voor alle leeftijden.

Net zoals voor alle andere geneesmiddelen is in medische proeven aangetoond dat Hemlibra® bij dit soort patiënten kan helpen en ook voldoende veilig is.

Hemlibra® is op dit moment echter nog niet terugbetaald door de Belgische ziekteverzekering voor hemofilie A met factor VIII-remmers.

Je dokter kan gratis Hemlibra® aanvragen bij de firma die het geneesmiddel maakt en als de behandeling goed werkt kun je Hemlibra® gratis blijven krijgen tot op het moment van terugbetaling of als je dokter meent dat de behandeling niet voldoende meer werkt.

Om deel te nemen hebben we wel jouw akkoord nodig, anders gezegd moet je het OK vinden om in een medisch noodprogramma te stappen.

Deelnemen aan dit medisch noodprogramma is niet verplicht. In het geval dat je beslist om deel te nemen, dan kun je er ook op elk moment mee stoppen (best wel in overleg met je ouders en de dokter). Of je nu wel of niet meedoet, je dokter zal je in beide gevallen nog steeds zo goed mogelijk blijven behandelen.

Zoals reeds vermeld is de medicatie gratis in het medisch noodprogramma en er zijn ook voor de rest geen extra kosten aan de behandeling verbonden.

Als je akkoord gaat om mee te doen aan dit programma, dan krijg je elke week een spuitje in de huid van je armen, buik of billen voor de behandeling van je ziekte, hemofilie A met factor VIII-remmers. Je moet naar het ziekenhuis gaan voor een bezoek om te zien of je aan het programma kunt meedoen. Als je akkoord gaat om mee te doen aan het programma, zal je nog een aantal keer naar het ziekenhuis moeten terugkomen.

Er zijn strenge wetten die ervoor zorgen dat de privacy van de patiënten die meedoen beschermd wordt. Wat er in jouw dossier staat is en blijft het beroepsgeheim van de dokter. Enkele gegevens gaan met de firma gedeeld moeten worden om de uitvoering van het programma mogelijk te maken en te voldoen aan de wettelijke verplichtingen.

Dit programma is goedgekeurd door de Belgische staat en ook door een comité voor medische ethiek waar dokters, apothekers en gewone mensen moeten oordelen of alle regels wel gevolgd zijn.

Zoals elk geneesmiddel geeft Hemlibra® bij sommige patiënten bijwerkingen. De meeste bijwerkingen zijn niet zo erg, maar af en toe zijn er ook bijwerkingen die erger zijn en waarvoor je misschien terug naar de dokter of het ziekenhuis moet.

Wanneer je in de uren of dagen na de inspuiting last hebt van het volgende moet je meteen de dokter bellen:

- een reactie op de plek waar de injectie is gegeven (roodheid, jeuk, pijn)
- hoofdpijn
- koorts
- gewrichtspijn
- spierpijn
- diarree
- bloedstolsel in een ader achter het oog
- ernstige beschadiging van het huidweefsel
- bloedstolsel in een ader vlak onder de huid

Voor verdere informatie over Hemlibra® kan je steeds de patiëntenbijsluiters lezen. Je mag die bijsluiters aan je arts vragen.

Als je na deze uitleg nog vragen hebt kun je altijd contact opnemen met je behandelende arts.

Naam arts:

Adres:

Telefoonnummer:

TOESTEMMINGSFORMULIER VOOR KINDEREN (12-17 jaar) DIE DEELNEMEN AAN HET MEDISCH NOODPROGRAMMA (MNP)

Het gebruik van Hemlibra® (Emicizumab) voor de behandeling van patiënten met hemofilie A met factor VIII-remmers in het kader van een medisch noodprogramma

Als je akkoord bent, zal je arts je vragen om dit toestemmingsformulier te ondertekenen. De arts zal het formulier eveneens ondertekenen en bevestigt hiermee dat hij/zij alles goed heeft uitgelegd.

Deel enkel bestemd voor de patiënt en zijn/haar wettelijke vertegenwoordig(st)er:

Ik ben voldoende geïnformeerd over het medisch noodprogramma, de doelstellingen, duur, eventuele risico's en voordelen, en over wat van mijn kind wordt verwacht. Ik heb het informatiedocument gelezen. Ik heb voldoende tijd gehad om na te denken en met een door mij gekozen persoon, zoals mijn huisarts of een familielid, te praten. Ik heb de gelegenheid gekregen om vragen te stellen en mijn vragen zijn naar mijn tevredenheid beantwoord. Ik begrijp dat mijn deelname/de deelname van mijn kind aan dit programma vrijwillig is en dat het mij vrij staat om mijn deelname/de deelname van mijn kind te beëindigen zonder dat dit invloed zal hebben op mijn relatie met het therapeutisch team dat instaat voor mijn gezondheid/de gezondheid van mijn kind. Ik stem er mee in dat mijn behandelende arts/de behandelende arts van mijn kind mijn gegevens/de gegevens van mijn kind zal doorgeven en gebruiken zoals beschreven in dit document.

Ik aanvaard vrijwillig om deel te nemen aan dit medisch noodprogramma en om behandeld te worden met Hemlibra®

Ik heb een exemplaar van de informatie voor de deelnemer en van het informatie- en toestemmingsformulier ontvangen.

Jouw naam en voornaam

Datum

jouw handtekening

Naam, voornaam van de wettelijke
vertegenwoordiger 1

verwantschap met de vertegenwoordigde persoon

Datum

handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger 1

Naam, voornaam van de wettelijke
vertegenwoordiger 2

verwantschap met de vertegenwoordigde persoon

Datum

handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger 2

Naam, voornaam van de behandelende arts

Datum

handtekening van de behandelende arts

Ik verklaar dat de deelnemer ofwel het instemmingsformulier kan lezen en het bovenstaande heeft ondertekend ter documentatie van de instemming voor deelname aan dit programma, of dat de deelnemer het instemmingsformulier niet kan lezen, maar dat de informatie mondeling is toegelicht aan hem/haar en dat de ouder/voogd van de deelnemer het bovenstaande heeft ondertekend ter documentatie van de instemming voor deelname aan dit programma.

INFORMATIEFORMULIER VOOR OUDERS VAN KINDEREN (TOT EN MET 17 jaar) DIE DEELNEMEN AAN HET MEDISCH NOODPROGRAMMA (MNP)

Het gebruik van HEMLIBRA® (emicizumab) voor de behandeling van patiënten met hemofilie A met Factor VIII-remmers in het kader van een medisch noodprogramma

I. Belangrijke informatie voor uw beslissing om uw kind te laten deelnemen aan het programma

De behandelende arts van uw kind stelt u, voor de behandeling van zijn/haar hemofilie A met inhibitor, een therapie voor met Hemlibra® binnen een medisch noodprogramma.

Voordat u beslist over de deelname van uw kind aan dit medisch noodprogramma willen we u wat meer informatie geven over wat dit betekent voor uw kind. Wij leggen uit wat de voordelen en risico's voor uw kind kunnen zijn en wat het programma praktisch voor uw kind betekent. Zo kunt u een beslissing nemen met volledige kennis van de gevolgen. Dit wordt "geïnformeerde toestemming" genoemd. Voordat u toestemt om uw kind de behandeling te laten ontvangen, is het belangrijk dat u de uitleg hieronder over het geneesmiddel leest en begrijpt. Indien u vragen heeft omtrent Hemlibra®, beslis dan pas om uw kind de behandeling wel of niet te laten ondergaan nadat al uw vragen beantwoord zijn.

Dit document bestaat uit 2 delen: essentiële informatie die nodig is voor uw beslissing en uw schriftelijke toestemming.

WAT IS EEN MEDISCH NOODPROGRAMMA?

Een medisch noodprogramma biedt patiënten met ernstige/invaliderende medische aandoeningen, maar met beperkte behandelingsmogelijkheden, vroege toegang tot nieuwe medicijnen die wel al effectief zijn gebleken in klinisch onderzoek maar die momenteel geëvalueerd worden door de regelgevende autoriteiten vooraleer deze gecommmercialiseerd kunnen worden op de Belgische markt.

Deze behandeling kadert in het medisch noodprogramma dat tot doel heeft Hemlibra® beschikbaar te maken voor patiënten zoals uw kind, waarvoor er geen andere geschikte behandeling is en die, in de opinie en klinische beoordeling van de behandelende arts, baat zouden hebben bij een behandeling met dit geneesmiddel.

WAT IS HEMLIBRA® (EMICIZUMAB)?

Hemlibra® is een geneesmiddel dat werd ontwikkeld door Roche.

Hemlibra® bevat de werkzame stof emicizumab. Deze stof behoort tot een groep geneesmiddelen die "monoklonale antilichamen" worden genoemd. Monoklonale antilichamen zijn een soort eiwitten die een doelwit in het lichaam herkennen en hieraan binden.

WAARVOOR WORDT DIT MIDDEL GEBRUIKT?

Hemlibra® is een geneesmiddel dat gebruikt kan worden voor de behandeling van patiënten van alle leeftijdsgroepen met hemofilie A, die factor VIII-remmers hebben ontwikkeld Dit geneesmiddel

voorkomt of vermindert bloedingen bij mensen met deze aandoening. Hemofilie A is een erfelijke aandoening en wordt veroorzaakt door een tekort aan factor VIII, een essentiële stof die nodig is om bloed te laten stollen en het bloeden te laten stoppen.

HOE WERKT DIT MIDDEL?

Patiënten met hemofilie A worden doorgaans behandeld met een infusie met vervangend factor VIII, maar sommige patiënten ontwikkelen factor VIII-remmers (antilichamen tegen factor VIII) die ervoor zorgen dat de vervangende factor VIII niet meer werkt. Omdat Hemlibra® een andere structuur dan factor VIII heeft, hebben de factor VIII-remmers geen effect op Hemlibra®.

In februari 2018 werd goedkeuring gegeven voor het op de markt brengen van Hemlibra voor de behandeling van hemofilie A met factor VIII-remmers in Europa. De aanvraag voor terugbetaling in België wordt binnenkort ingediend/is bezig.

Hemlibra® is alleen verkrijgbaar in de apotheek van het ziekenhuis waar uw kind wordt behandeld, nadat het voorgeschreven is door een specialist die ervaring heeft met de behandeling van hemofilie A met inhibitoren.

WANNEER MAG UW KIND HEMLIBRA® NIET GEBRUIKEN OF MOET UW KIND ER EXTRA VOORZICHTIG MEE ZIJN?

Wanneer mag Hemlibra® niet bij uw kind worden toegediend?

Uw kind is allergisch voor een van de stoffen in dit geneesmiddel:

- De werkzame stof in dit middel is emicizumab. Er zijn verschillend injectieflacons beschikbaar die een concentratie van 30 mg/ml of 150 mg/ml aan Hemlibra® bevatten.
- De andere stoffen in dit middel zijn L-arginine, L-histidine, L-asparaginezuur, poloxameer 188 en water voor injecties.

Twijfelt u? Neem dan contact op met de behandelende arts of verpleegkundige van uw kind voordat Hemlibra® bij uw kind wordt toegediend.

Wanneer moet uw kind extra voorzichtig zijn met Hemlibra®?

Voordat uw kind Hemlibra® gaat gebruiken, is het erg belangrijk dat u met zijn/haar arts overlegt over het gebruik van “bypassing agents” (middelen die helpen bij de bloedstolling maar op een andere manier werken dan factor VIII) omdat de behandeling met bypassing agents mogelijk aangepast moet worden terwijl uw kind Hemlibra® krijgt. Voorbeelden van bypassing agents zijn “geactiveerd protrombinecomplex-concentraat” (aPCC) en “recombinante factor VIIa” (rFVIIa). Er kunnen ernstige en mogelijk levensbedreigende bijwerkingen optreden wanneer patiënten aPCC gebruiken en ook worden behandeld met Hemlibra®: Mogelijke ernstige bijwerkingen bij gebruik van aPCC terwijl Hemlibra® wordt gebruikt zijn:

● **Vernietiging van rode bloedcellen (trombotische microangiopathie)**

- Dit is een ernstige en mogelijk levensbedreigende aandoening.
- Bij mensen met deze aandoening kan de binnenwand van de bloedvaten beschadigd worden en kunnen zich bloedstolsels vormen in de kleine bloedvaten. In sommige gevallen kan dit de nieren en/of andere organen beschadigen.

- Wees voorzichtig wanneer u een verhoogd risico heeft op deze aandoening (wanneer u deze aandoening eerder heeft gehad, of wanneer een familielid deze aandoening heeft gehad), of wanneer u geneesmiddelen gebruikt die het risico op het ontwikkelen van deze aandoening verhogen, zoals ciclosporine, kinine of tacrolimus.
- Het is belangrijk om de verschijnselen van trombotische microangiopathie te herkennen, mocht u deze aandoening krijgen.

Stop met het gebruik van Hemlibra® en aPCC bij uw kind en neem onmiddellijk contact op met een arts als u of uw kind verschijnselen van trombotische microangiopathie opmerkt.

● **Bloedstolsels (trombo-embolie)**

- In zeldzame gevallen kan zich een bloedstolsel vormen in de bloedvaten en deze blokkeren, wat levensbedreigend kan zijn.
- Het is belangrijk om de verschijnselen van zulke interne bloedstolsels te herkennen, mochten deze zich vormen (zie rubriek 4, “Mogelijke bijwerkingen” voor een lijst van verschijnselen).

Stop met het gebruik van Hemlibra® en aPCC bij uw kind en neem onmiddellijk contact op met een arts als u of uw kind verschijnselen van bloedstolsels in bloedvaten opmerkt.

Probeer zelf uw kind niet te behandelen met andere geneesmiddelen. De arts kan:

- Uw kind andere geneesmiddelen geven om complicaties te voorkomen en verschijnselen te verlichten
- Langer wachten met het toedienen van uw volgende dosis van dit middel bij uw kind
- De behandeling met dit middel stopzetten bij uw kind.

Hemlibra kan bij jongeren tot 18 jaar en kinderen van alle leeftijden worden gebruikt.

Een kind kan het geneesmiddel zelf injecteren als de zorgverlener en ouder of verzorger van het kind daarmee akkoord zijn. Het wordt niet aanbevolen dat kinderen jonger dan 7 jaar zichzelf injecteren.

Bij kinderen jonger dan 1 jaar is het bloedstelsel nog steeds in ontwikkeling. Wanneer uw kind jonger dan 1 jaar is zal uw arts Hemlibra alleen voorschrijven als de te verwachten voor- en nadelen bij gebruik van dit middel zorgvuldig zijn overwogen.

Tests en controles

Voordat uw kind met zijn/haar behandeling begint, zal de arts zijn/haar algemene gezondheid controleren. Tijdens de behandeling van uw kind zal zijn/haar arts bloedtesten uitvoeren.

Gebruikt uw kind nog andere geneesmiddelen?

Gebruikt uw kind naast Hemlibra® nog andere geneesmiddelen, heeft hij/zij dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat uw kind in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken? Vertel dat dan aan de arts of apotheker.

- Gebruik van een bypassing agent tijdens de behandeling met Hemlibra®
 - Overleg met de arts van uw kind voordat hij/zij Hemlibra® gaat gebruiken en volg zorgvuldig de instructies op voor het tijdstip dat uw kind een bypassing agent moet

gebruiken en het doseringsschema. Door Hemlibra® kan het bloed van uw kind beter stollen. Daarom kan de dosis van een bypassing agent die uw kind nodig heeft lager zijn dan de dosis die uw kind kreeg voordat hij/zij met Hemlibra® begon.

- Gebruik aPCC alleen bij uw kind als er geen andere behandelingen mogelijk zijn. Indien aPCC noodzakelijk is, overleg dan met de behandelende arts als u denkt dat uw kind meer dan in totaal 50 eenheden/kg aPCC nodig heeft.
- Ondanks beperkte ervaring met gelijktijdige toediening van antifibrinolytica met aPCC of rFVIIIa bij patiënten behandeld met Hemlibra®, moet u op de hoogte zijn van de mogelijkheid van trombotische voorvallen wanneer uw kind antifibrinolytica in combinatie met aPCC of rFVIIIa intraveneus toegediend krijgt.

Laboratoriumtests

Vertel de behandelende arts van uw kind dat hij/zij Hemlibra® gebruikt voordat er laboratoriumtests worden gedaan om te bepalen hoe goed zijn/haar bloed stolt, omdat Hemlibra® in het bloed sommige laboratoriumtests kan verstoren waardoor de uitslagen onjuist kunnen zijn.

ALS U BESLUIT DE BEHANDELING MET HEMLIBRA® BIJ UW KIND TE AANVAARDEN:

- Gelieve altijd de juiste informatie te verstrekken over zijn/haar medische voorgeschiedenis en de huidige medische toestand.
- Gelieve de behandelende arts over elk gezondheidsprobleem dat hij/zij gedurende de behandeling heeft in te lichten.
- Gelieve de behandelende arts te informeren over alle geneesmiddelen op voorschrift en alle
- Zelfzorggeneesmiddelen die hij/zij neemt. Dat geldt ook voor vitamines, kruiden en andere soorten therapieën.
- Gelieve de behandelende arts over om het even welk nieuw geneesmiddel dat hij/zij gedurende het medisch noodprogramma begint te nemen, in te lichten.
- Gelieve hem/haar geen andere geneesmiddelen in te laten nemen of de dosis te wijzigen van de medicatie die hij/zij inneemt, tenzij de behandelende arts deze op voorhand goedgekeurd heeft.

HOE WORDT HEMLIBRA® GEBRUIKT?

Een arts met ervaring in het behandelen van hemofilie A met factor VIII-remmers zal dit middel aan uw kind toedienen in een ziekenhuis of kliniek.

Als u getraind bent, kan uw kind zelf of u dit geneesmiddel thuis toedienen.

Hoeveel van dit middel wordt er toegediend?

De dosis van Hemlibra® hangt af van het gewicht van uw kind en de arts zal de hoeveelheid (in mg) berekenen en de bijbehorende hoeveelheid Hemlibra®-oplossing (in ml) die geïnjecteerd moet worden.

- Week 1 tot 4: De dosis is 3 milligram voor elke kilo die uw kind weegt, eenmaal per week geïnjecteerd.
- Week 5 en daarna: De dosis is 1,5 milligram voor elke kilo die uw kind weegt, eenmaal per week geïnjecteerd.

De hoeveelheid Hemlibra®-oplossing die bij elke injectie bij uw kind wordt toegediend mag niet meer dan 2 ml zijn.

Hoe wordt dit middel toegediend?

Wanneer uw kind Hemlibra® bij zichzelf toedient of als u het bij uw kind injecteert, moet u of uw kind de “Instructies voor gebruik” zorgvuldig doorlezen en opvolgen.

- Hemlibra® wordt toegediend via een injectie onder de huid (subcutaan).
- Een arts of verpleegkundige zal u en uw kind laten zien hoe Hemlibra® moet worden geïnjecteerd.
- Als u en uw kind getraind zijn, kan uw kind zelf of met uw hulp dit geneesmiddel thuis toedienen.
- Om te zorgen dat de naald op de juiste manier onder de huid van uw kind wordt geplaatst, pakt u of uw kind met de vrije hand een huidplooi in het schoongemaakte injectiegebied. Het is belangrijk dat men een huidplooi beetpakt, om ervoor te zorgen dat men het geneesmiddel onder de huid injecteert (in het vetweefsel) en niet in dieper gelegen weefsel (in spieren). Injecteren in een spier kan ongemak veroorzaken.
- Gebruik een “aseptische techniek” om de injectie onder schone en bacterievrije omstandigheden klaar te maken en toe te dienen. De arts of verpleegkundige zal meer informatie hierover geven

Hoelang duurt de behandeling?

De behandelende arts van uw kind zal hem/haar dit middel blijven geven tot uw kind er geen voordeel meer van ondervindt. Als de bijwerkingen echter te erg worden, dan kan de behandeling stopgezet worden.

Waar moet u of uw kind dit middel injecteren?

- De behandelende arts van uw kind zal jullie laten zien welke plaatsen van het lichaam geschikt zijn om Hemlibra® te injecteren.
- De aanbevolen plaatsen voor injectie zijn: de voorkant van de taille (onderbuik), achterkant van de bovenarm, of de voorkant van de dijen. Gebruik alleen de aanbevolen plaatsen voor injectie.
- Gebruik voor elke injectie bij uw kind een ander deel van zijn/haar lichaam dan dewelke men daarvoor heeft gebruikt.
- Injecteer bij uw kind niet op plekken waar de huid rood, beschadigd, pijnlijk of hard is of op plekken met moedervlekken of littekens.
- Als uw kind Hemlibra® gebruikt, moeten alle andere geneesmiddelen die onder de huid worden geïnjecteerd op een ander deel van het lichaam worden toegediend.

Heeft uw kind te veel van dit middel gebruikt?

Als uw kind meer Hemlibra® gebruikt dan hij/zij zou moeten krijgen, vertel dit dan onmiddellijk aan de behandelende arts. Dit is belangrijk omdat uw kind misschien bijwerkingen kan krijgen, zoals bloedstolsels. Gebruik dit geneesmiddel altijd precies zoals de arts jullie dat heeft verteld. Twijfelt u over het juiste gebruik? Neem dan contact op met de behandelende arts van uw kind, een apotheker of verpleegkundige.

Heeft uw kind vergeten dit middel te gebruiken?

- Als uw kind de geplande wekelijkse injectie is vergeten, injecteer de vergeten dosis dan zo snel mogelijk tot voor de dag van de eerstvolgende geplande dosis. Ga vervolgens verder met eenmaal per week injecteren volgens schema. Injecteer geen dubbele dosis om een vergeten dosis in te halen.
- Als u twijfelt, overleg dan met de behandelende arts van uw kind, een apotheker of verpleegkundige.

Als uw kind stopt met het gebruik van dit middel

Stop niet met het gebruik van Hemlibra® bij uw kind zonder te overleggen met de behandelende arts van uw kind. Als uw kind met Hemlibra® stopt, is uw kind mogelijk niet meer beschermd tegen bloedingen.

Heeft u nog andere vragen over het gebruik van dit geneesmiddel bij uw kind? Neem dan contact op met de behandelende arts van uw kind, een apotheker of verpleegkundige.

HOELANG DUURT HET MEDISCH NOODPROGRAMMA?

De duur van de behandeling zal afhangen van hoe goed de ziekte van uw kind op Hemlibra® reageert. Uw kind kan de behandeling verderzetten zolang zijn/haar behandelende arts meent dat uw kind baat heeft bij de behandeling. De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien de ziekte van uw kind verergert of uw kind geen baat heeft bij de behandeling, indien blijkt dat uw kind het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, of indien uw kind zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt.

WAT ZIJN DE MOGELIJKE BIJWERKINGEN?

Zoals elk geneesmiddel kunnen ook deze geneesmiddelen bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. U moet onmiddellijk de behandelende arts van uw kind verwittigen wanneer hij/zij één van onderstaande bijwerkingen ondervindt.

Ernstige bijwerkingen als uw kind aPCC gebruikt terwijl hij/zij ook Hemlibra® krijgt:

Stop met het gebruik van Hemlibra® en aPCC bij uw kind en neem onmiddellijk contact op met een arts als u of uw kind een van de volgende bijwerkingen opmerkt:

- **Vernietiging van de rode bloedcellen** (trombotische microangiopathie):

- verwardheid, zwakte, zwelling van armen en benen, geel worden van huid en ogen, vage buik- of rugpijn, misselijkheid, overgeven of minder plassen - dit kunnen symptomen zijn van trombotische microangiopathie.

● **Bloedstolsels** (trombo-embolie):

- zwelling, warmte, pijn of roodheid – dit kunnen symptomen zijn van een bloedstolsel in een ader die vlak onder de huid ligt.
- hoofdpijn, gevoelloosheid in het gezicht, pijn of zwelling van de ogen of problemen met het zicht – dit kunnen symptomen zijn van een bloedstolsel in een ader achter het oog.
- zwart worden van de huid – dit kan een symptoom zijn van ernstige beschadiging van het huidweefsel.

Andere bijwerkingen tijdens het gebruik van Hemlibra® door uw kind

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

- een reactie op de plek waar de injectie is gegeven (roodheid, jeuk, pijn)
- hoofdpijn

Vaak (komt voor bij minder dan 1 op de 10 gebruikers)

- koorts
- gewrichtspijn
- spierpijn
- diarree
- vernietiging van rode bloedcellen (trombotische microangiopathie)

Soms (komt voor bij minder dan 1 op de 100 gebruikers)

- bloedstolsel in een ader achter uw oog
- ernstige beschadiging van het huidweefsel (huidnecrose)
- bloedstolsel in een ader vlak onder de huid (oppervlakkige tromboflebitis)

Uw kind zal nauwlettend opgevolgd worden tijdens de gehele duur van zijn/haar behandeling door de behandelende arts. Ook is het mogelijk dat zich andere onbekende risico's en ongemakken voordoen bij uw kind. Het is daarom van groot belang elke nieuwe gezondheidsklacht zo snel mogelijk aan de behandelende arts van uw kind, een apotheker of verpleegkundige te melden, ongeacht of de klacht volgens u te maken heeft met het gebruik van deze geneesmiddelen of niet.

U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden via het nationale meldsysteem (zie hieronder). Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

Federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG)

Afdeling Vigilantie

EUROSTATION II

Victor Hortaplein 40/40

B-1060 Brussel

Website: www.fagg.be

e-mail: patientinfo@fagg-afmps.be

VRIJWILLIGE TOESTEMMING/RECHT OM TE STOPPEN MET DE BEHANDELING

De deelname van uw kind is vrijwillig; er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Voor deelname is uw ondertekende toestemming nodig. Zelfs nadat u dit document hebt ondertekend, kunt u de behandelende arts van uw kind laten weten dat u van zijn/haar deelname wenst af te zien. Of wanneer u nu beslist om deze behandeling bij uw kind te starten, staat het u vrij om te beslissen om de behandeling bij uw kind op eender welk moment stop te zetten, om gelijk welke reden en dit zonder uw beslissing te moeten rechtvaardigen.

Wel kan het voor de behandelende arts van uw kind nuttig zijn om te weten waarom uw kind de behandeling stopzet. U bespreekt dit het best met de behandelende arts van uw kind.

Uw beslissing om al dan niet uw kind (verder) te laten deelnemen aan het medisch noodprogramma zal geen enkele negatieve invloed hebben op de kwaliteit van de zorg van uw kind noch op uw relatie met de behandelende arts.

Het is ook mogelijk dat de behandelende arts van uw kind zijn/haar deelname aan het programma stopzet omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor de gezondheid van uw kind of omdat hij/zij vaststelt dat uw kind de instructies niet opvolgt.

Na de stopzetting van de behandeling met Hemlibra® bij uw kind zal de behandelende arts de gezondheidstoestand van uw kind opnieuw beoordelen en de best mogelijke behandeling voorschrijven.

Het programma zal jaarlijks worden geëvalueerd op veiligheid door het FAGG. Roche kan besluiten om het programma te beëindigen om veiligheids-, reglementaire of interne redenen.

WAT ALS ER NIEUWE INFORMATIE BESCHIKBAAR KOMT?

In sommige gevallen kan er nieuwe informatie beschikbaar komen over de behandeling met Hemlibra®. Als dit gebeurt, dan licht de behandelende arts van uw kind u hierover in en overlegt hij met u of uw kind de behandeling wenst voort te zetten.

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

TOEGANG TOT HEMLIBRA®

Roche stelt het geneesmiddel gratis ter beschikking tot het terugbetaald is in België.

Het programma (en bijgevolg de gratis terbeschikkingstelling van het geneesmiddel door Roche) zal worden stopgezet wanneer het product wordt terugbetaald en commercieel verkrijgbaar is in België voor de behandeling van hemofilie A met factor VIII-remmers of wanneer Roche beslist om het programma te stoppen omwille van veiligheids-, reglementaire of interne redenen.

Uw kind wordt niet betaald voor zijn/haar deelname en mogelijke onkosten worden niet vergoed (verplaatsing of andere). Alle andere noodzakelijke ingrepen, onderzoeken en medicatie vallen onder de gewone terugbetalingscriteria. De behandelende arts van uw kind wordt niet betaald door Roche voor de deelname van uw kind aan dit programma.

MEDISCH ETHISCHE TOETSING

Het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) en de onafhankelijke commissie van ethiek van het Universitair Ziekenhuis van UZ Leuven hebben dit document nagelezen, de doelstellingen en het voorgestelde verloop van de behandeling onderzocht en daaromtrent een gunstig advies verleend.

GARANTIE VAN BESCHERMING EN DE VERTROUWELIJKHEID VAN UW GEGEVENS

Uw arts zal de behandeling van uw kind nauwgezet opvolgen. Het is mogelijk dat uw arts formulieren met uw medische gegevens invult (waaronder medische follow-up en mogelijke bijwerkingen).

In het kader van het programma zal uw arts de volgende gegevens aan Roche overmaken:

- Gegevens die belangrijk zijn voor de medische voorgeschiedenis: geslacht, geboortedatum, de gegevens met betrekking tot hemofilie A en de start- en einddatum van de behandeling;
- Gegevens over de ontwikkeling van de ziekte
- Gegevens over bijwerkingen die tijdens de behandeling van de ziekte worden ervaren tijdens het programma, evenals het toestemmingsformulier dat door u, uw kind en de arts ondertekend is.

Persoonsgegevens die tijdens dit behandelingsprogramma worden verzameld, zullen worden vervangen door een codenummer.

Deze gegevens zullen door Roche gebruikt worden om de uitvoering van het programma mogelijk te maken. Daarnaast zal Roche deze gegevens ook gebruiken om te voldoen aan haar wettelijke verplichtingen (zoals het melden en verzamelen van mogelijke bijwerkingen).

De privacy van uw kind is belangrijk. Alles zal gedaan worden om de vertrouwelijkheid van de gegevens te garanderen in navolging van de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming.

Uw gegevens kunnen worden gebruikt door en/of gedeeld met:

- Roche, zusterbedrijven van Roche, en vertegenwoordigers, medewerkers en licentienemers van Roche (mensen en bedrijven die werken voor of partner zijn van Roche)
- Een bevoegde institutionele beoordelingscommissie of commissie voor ethiek
- Regelgevende instanties, bijvoorbeeld het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG)

In dit kader is het mogelijk dat de gegevens in elk land over de hele wereld kunnen worden ingekeken. Dergelijke landen kunnen minder gegevensbeschermingsbeveiligingen en -rechten hebben dan België. Overdracht van de gegevens aan Roche en vertegenwoordigers, medewerkers en licentienemers van Roche die zijn gevestigd buiten de Europese Economische Ruimte wordt op adequate wijze beschermd onder afzonderlijke overeenkomsten zoals "Standaard Gegevensbeschermingsclausules".

U hebt het recht om de gegevens die gebruikt worden in dit medisch noodprogramma te bekijken en er een kopie van te ontvangen. Als u van mening bent dat een of meer van de persoonsgegevens (d.w.z. informatie die u identificeert of die in redelijkheid zou kunnen worden gebruikt om uw kind te identificeren) in dit dossier onnauwkeurig of onvolledig is, hebt u het recht om correctie ervan te

verzoeken. U kunt vragen om de verwijdering van persoonsgegevens die niet meer nodig zijn. U kunt ook de beperking vragen van het gebruik van persoonsgegevens. Roche zal proberen zo goed mogelijk op uw verzoek te reageren. Omdat Roche alleen gegevens bijhoudt die zijn voorzien van uw patiëntidentificatienummer, is het mogelijk dat Roche misschien niet in staat is om volledig aan uw verzoek te voldoen. Om een kopie van de gegevens op te vragen of te vragen om correctie of verwijdering van de persoonsgegevens of om de beperking van het gebruik van de persoonsgegevens te vragen, kunt u contact opnemen met de behandelende arts, die uw aanvraag zal doorsturen naar Roche.

U kunt van gedachten veranderen en uw toestemming op elk moment intrekken zonder dat uw kind voordelen verliest waar hij/zij anderszins recht op hebt. Als u uw toestemming intrekt, kunt uw kind niet doorgaan met de deelname aan dit medisch noodprogramma en wordt geen nieuwe informatie over uw kind verzameld. Om echter te voldoen aan de regelgevingseisen van dit medisch noodprogramma, moet Roche de gegevens die tijdens dit medisch noodprogramma al zijn verzameld nog steeds blijven gebruiken. Om uw toestemming in te trekken kunt u contact opnemen met uw behandelende arts.

Als u vragen hebt, zich zorgen maakt of een klacht wilt indienen met betrekking tot de manier waarop Roche gebruik maakt van de informatie, kunt u contact opnemen met de lokale gegevensbeschermingsfunctionaris van Roche op brussels.privacy@roche.com. Indien u meer informatie over uw privacy rechten wenst of als u een probleem niet rechtstreeks met Roche kunt oplossen en een klacht wilt indienen, kunt u contact opnemen met de Belgische Gegevensbeschermingsautoriteit op contact@apd-gba.be. Deze autoriteit is er verantwoordelijk voor dat de privacywetgeving in België wordt nagevolgd.

WIE KAN U CONTACTEREN ALS U VRAGEN HEEFT?

Indien u of uw kind of familie vragen hebben omtrent de behandeling van uw kind of wanneer uw kind een bijwerking heeft, dient u contact op te nemen met de behandelende arts. Indien u dringende hulp inroept of uw kind in het ziekenhuis moet worden opgenomen, meld dan aan de spoedarts dat uw kind wordt behandeld met Hemlibra®.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans gehad heeft alle vragen te stellen en een bevredigend antwoord op alle uw vragen gekregen heeft. Indien u nog vragen zou hebben, aarzel niet contact op te nemen met de behandelende arts van uw kind of zorgteam.

Naam arts:

Adres:

Telefoonnummer:

TOESTEMMINGSGFORMULIER VOOR OUDERS VAN KINDEREN (TOT EN MET 17 jaar) DIE DEELNEMEN AAN HET MNP PROGRAMMA**Het gebruik van Hemlibra® (Emicizumab) voor de behandeling van patiënten met hemofilie A met Factor VIII-remmers in het kader van een medisch noodprogramma**

Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over het medisch noodprogramma, de doelstellingen, duur, eventuele risico's en voordelen, en over wat van mij en mijn kind wordt verwacht. Ik heb het informatiedocument gelezen. Ik heb voldoende tijd gehad om na te denken en met een door mij gekozen persoon, zoals mijn huisarts of een familielid, te praten. Ik heb de gelegenheid gekregen om vragen te stellen en mijn vragen zijn naar mijn tevredenheid beantwoord. Ik begrijp dat de deelname van mijn kind aan dit programma vrijwillig is en dat het mij vrij staat om de deelname van mijn kind te beëindigen zonder dat dit invloed zal hebben op mijn relatie met het therapeutisch team dat instaat voor de gezondheid van mijn kind. Ik stem er mee in dat de behandelende arts van mijn kind zijn/haar gegevens zal doorgeven en gebruiken zoals beschreven in dit document.

Ik aanvaard vrijwillig om mijn kind deel te laten nemen aan dit medisch noodprogramma en om mijn kind te laten behandelen met Hemlibra®

Ik heb een exemplaar ontvangen van het informatie- en toestemmingsformulier.

Naam, voornaam van het kind

Naam, voornaam van ouder 1

verwantschap met de vertegenwoordigde
persoon (wettelijke vertegenwoordiger)

Datum

handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger 1

Naam, voornaam van ouder 2

verwantschap met de vertegenwoordigde
persoon (wettelijke vertegenwoordiger)

Datum

handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger 2

Naam, voornaam van de behandelende arts

Datum

handtekening van de behandelende arts

FORMULAIRE D'INFORMATION POUR LES PATIENTS ADULTES QUI PARTICIPENT AU PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE (PMU)

L'utilisation d'Hemlibra® (emicizumab) pour le traitement de patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII dans le cadre d'un programme médical d'urgence

I. Information importante pour votre décision de participer au programme

Votre médecin traitant vous propose une thérapie par Hemlibra® pour le traitement de votre hémophilie A avec inhibiteurs anti-facteur VIII, dans le cadre d'un programme médical d'urgence.

Avant que vous ne preniez une décision quant à votre participation à ce programme médical d'urgence, nous souhaitons vous donner davantage d'informations sur ce que cela implique pour vous. Nous expliquerons quels peuvent être les avantages et les risques pour vous et ce que le programme signifie pour vous en pratique. Vous pourrez ainsi prendre une décision en toute connaissance de cause. C'est ce que l'on appelle le « consentement éclairé ». Avant d'accepter de recevoir le traitement, il est important que vous lisiez et compreniez les explications données ci-dessous au sujet du médicament. Si vous avez des questions à propos d'Hemlibra®, attendez d'avoir obtenu toutes les réponses nécessaires avant de décider de prendre ou de ne pas prendre ce traitement.

Ce document comporte 2 parties : les informations essentielles, nécessaires pour prendre votre décision, et votre consentement écrit.

QU'EST-CE QU'UN PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE ?

Un programme médical d'urgence offre aux patients souffrant d'affections médicales graves/invalidantes et disposant de possibilités de traitement réduites un accès précoce à de nouveaux médicaments. Ces médicaments ont déjà prouvé leur efficacité dans des études cliniques et sont en train d'être approuvés par les autorités de régulation, mais ne sont pas encore remboursés en Belgique.

Ce traitement s'inscrit dans le cadre du programme médical d'urgence qui a pour objectif de rendre Hemlibra® disponible pour des patients comme vous, qui ne disposent pas d'autres options de traitement satisfaisantes et pour qui, selon l'avis et le jugement clinique du médecin traitant, un traitement avec ce médicament serait bénéfique.

QU'EST-CE QUE HEMLIBRA® (EMICIZUMAB) ?

Hemlibra® est un médicament qui a été développé par Roche.

Hemlibra® contient la substance active emicizumab. Cette substance appartient à un groupe de médicaments appelés « anticorps monoclonaux ». Les anticorps monoclonaux sont un type de protéines qui reconnaissent et se lient à une cible spécifique dans l'organisme.

DANS QUELS CAS HEMLIBRA® EST-IL UTILISÉ ?

Hemlibra® est un médicament utilisé pour traiter les patients atteints d'hémophilie A et ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII, quel que soit leur âge. Ce médicament prévient ou réduit les saignements chez les personnes atteintes de cette maladie. L'hémophilie A est une maladie héréditaire et elle est due à l'absence de facteur VIII, une substance essentielle à la coagulation du sang et à l'arrêt des saignements.

MODE D'ACTION D'HEMLIBRA®

Les patients atteints d'hémophilie A sont habituellement traités par perfusion de facteur VIII de remplacement, mais certains patients développent un inhibiteur anti-facteur VIII (anticorps dirigé contre le facteur VIII) qui empêche le facteur VIII de remplacement de fonctionner. Hemlibra® ayant une structure différente de celle du facteur VIII, n'est pas affecté par la présence d'inhibiteur anti-facteur VIII.

En février 2018, la commercialisation en Europe d'Hemlibra pour le traitement de l'hémophilie A pour des patients ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII a été approuvée. La demande de remboursement en Belgique est en cours.

Hemlibra® est disponible uniquement dans la pharmacie de votre hôpital, après avoir été prescrit par un spécialiste expérimenté dans le traitement de l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII.

QUELLES SONT LES INFORMATIONS À CONNAÎTRE AVANT D'UTILISER HEMLIBRA® ?

N'utilisez jamais Hemlibra® :

Si vous êtes allergique à l'emicizumab

- ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament. Plusieurs flacons de solution injectable contenant une concentration de 30 mg/ml ou 150 mg/ml d'Hemlibra® sont disponibles.
- Les autres substances contenues dans ce médicament sont la L-arginine, la L-histidine, l'acide L-aspartique, le poloxamère 188 et l'eau pour préparations injectables.

En cas de doute, adressez-vous à votre médecin, votre pharmacien ou votre infirmier/ère avant d'utiliser Hemlibra®.

Avertissements et précautions

Avant de débuter un traitement par Hemlibra®, il est très important de parler avec votre médecin de l'utilisation des « agents by-passants » (médicaments facilitant la coagulation du sang mais fonctionnant différemment du facteur VIII), car le traitement par ces agents by-passants peut nécessiter d'être modifié lors du traitement par Hemlibra®. Les exemples d'agents by-passants comprennent : le « concentré de facteurs du complexe prothrombique activé » (aPCC) et le « FVIIa recombinant » (rFVIIa). Des effets indésirables graves pouvant engager le pronostic vital peuvent survenir lorsque l'aPCC est utilisé chez des patients traités également par Hemlibra®. Effets indésirables potentiellement graves lors de l'utilisation de l'aPCC au cours du traitement par Hemlibra® :

- **Microangiopathie thrombotique (maladies entraînant une obstruction des petits vaisseaux sanguins)**

- Il s'agit d'une affection grave pouvant engager le pronostic vital.
- Lorsque les personnes présentent cette affection, la paroi des petits vaisseaux sanguins peut être endommagée et des caillots sanguins peuvent s'y développer. Dans certains cas, cette affection peut entraîner des atteintes au niveau des reins et d'autres organes.
- Soyez vigilants si vous présentez un risque élevé de développer cette affection (si vous ou un membre de votre famille avez déjà eu une microangiopathie thrombotique), ou si vous prenez des médicaments qui en augmentent le risque, tels que la ciclosporine, la quinine ou le tacrolimus.
- Il est important de connaître les symptômes de la microangiopathie thrombotique, au cas où vous développeriez cette affection.

Arrêtez d'utiliser Hemlibra® et l'aPCC et avertissez immédiatement un médecin si vous-même ou votre soignant observez un symptôme quelconque de microangiopathie thrombotique.

● **Événements thromboemboliques (caillots sanguins)**

- Dans de rares cas, un caillot sanguin peut se former à l'intérieur des vaisseaux et les obstruer, engageant ainsi le pronostic vital.
- Il est important de connaître les symptômes provoqués par ces caillots sanguins, lorsqu'ils se forment à l'intérieur des vaisseaux (voir rubrique 4 de la notice, « Quels sont les effets indésirables éventuels ? » pour la liste des symptômes).

Arrêtez d'utiliser Hemlibra® et l'aPCC et avertissez immédiatement un médecin si vous-même ou votre soignant observez un symptôme quelconque susceptible d'être provoqué par des caillots dans les vaisseaux sanguins.

N'essayez pas de vous traiter vous-même avec d'autres médicaments. Votre médecin peut :

- Vous prescrire d'autres médicaments afin de prévenir des complications et réduire vos symptômes,
- Retarder la prochaine dose de ce médicament,
- Arrêter votre traitement par Hemlibra®.

Tests et contrôles

Avant votre traitement, votre médecin vérifiera votre état de santé général. Vous aurez également des analyses de sang pendant votre traitement.

Autres médicaments et Hemlibra®

Informez votre médecin ou pharmacien si vous utilisez, avez récemment utilisé ou pourriez utiliser tout autre médicament.

- Utilisation d'un agent by-passant pendant le traitement par Hemlibra®
 - Avant de commencer à utiliser Hemlibra®, veuillez discuter avec votre médecin et suivre soigneusement ses instructions sur l'utilisation d'un agent by-passant ainsi que la dose et le schéma que vous devez utiliser. Hemlibra® augmente la capacité de votre sang à coaguler. Par conséquent, la dose de l'agent by-passant nécessaire

pourrait être plus faible que celle que vous utilisiez avant de commencer le traitement par Hemlibra®.

- Utiliser l'aPCC uniquement si aucun autre traitement ne peut être utilisé. Si l'aPCC est nécessaire, avertissez votre médecin si vous pensez avoir besoin d'une dose totale supérieure à 50 unités/kg d'aPCC.
- Malgré une expérience limitée sur l'administration concomitante d'anti-fibrinolytiques et d'aPCC ou de rFVIIa chez les patients traités par Hemlibra®, vous devez savoir qu'il existe une possibilité de survenue d'événements thrombotiques lors de l'utilisation d'antifibrinolytiques administrés par voie intraveineuse en association avec aPCC ou rFVIIa.

Surveillance et analyses biologiques

Informez votre médecin si vous utilisez Hemlibra® avant d'effectuer des analyses biologiques destinées à évaluer la coagulation de votre sang. En effet, la présence d'Hemlibra® dans votre sang peut interférer avec certaines de ces analyses biologiques, et entraîner des résultats inexacts.

Grossesse et allaitement

- Vous devez utiliser une méthode efficace de contraception pendant le traitement par Hemlibra®, et pendant six mois après votre dernière injection d'Hemlibra®.
- Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez conseil à votre médecin ou pharmacien avant d'utiliser ce médicament. Votre médecin envisagera le bénéfice que vous apporterait la prise d'Hemlibra® par rapport au risque pour votre enfant.

Conduite de véhicules et utilisation de machines

Ce médicament ne devrait pas affecter votre aptitude à conduire des véhicules ou à utiliser des machines.

SI VOUS DÉCIDEZ D'ACCEPTER LE TRAITEMENT PAR HEMLIBRA®

- Transmettez systématiquement les informations correctes sur vos antécédents médicaux et votre situation médicale actuelle.
- Veuillez informer votre médecin traitant de chaque problème de santé dont vous souffrez pendant le traitement.
- Veuillez informer votre médecin traitant de tous les médicaments sur prescription ou en vente libre que vous prenez. Cela s'applique également aux vitamines, à la phytothérapie et aux autres types de traitements.
- Veuillez informer votre médecin traitant de tout nouveau médicament que vous commencez à prendre durant le programme médical d'urgence.
- Veuillez ne pas prendre d'autres médicaments ou remèdes et ne pas modifier la dose des médicaments que vous prenez, sauf si votre médecin traitant vous a donné son accord préalable.

COMMENT PRENDRE HEMLIBRA® ?

Un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie A avec inhibiteur anti-facteur VIII vous administrera ce médicament dans un hôpital ou une clinique.

Lorsque vous aurez été formé(e), vous devriez être capable de vous injecter ce médicament à domicile, par vous-même ou avec l'aide d'un soignant.

Quelle est la quantité d'Hemlibra® à utiliser ?

La dose d'Hemlibra® dépend de votre poids et votre médecin calculera la quantité (en mg) et le volume correspondant de solution d'Hemlibra® (en ml) à injecter.

- Semaines 1 à 4 : La dose est de 3 milligrammes pour chaque kilogramme de poids corporel, injectée une fois par semaine.
- À partir de la semaine 5 : La dose est de 1,5 milligramme pour chaque kilogramme de poids corporel, injectée une fois par semaine.

Le volume de solution d'Hemlibra® administré à chaque injection ne devra pas dépasser 2 ml.

Comment administrer Hemlibra®

Si vous vous auto-injectez Hemlibra®, ou si votre soignant vous l'injecte, vous ou votre soignant devez lire et suivre attentivement les « Instructions d'utilisation ».

- Hemlibra® est administré par injection sous la peau (voie sous-cutanée).
- Votre médecin ou votre infirmier/ère vous montrera comment injecter Hemlibra®.
- Lorsque vous aurez été formé(e), vous devriez être capable de vous injecter ce médicament à domicile, par vous-même ou avec l'aide d'un soignant.
- Pour insérer correctement l'aiguille sous la peau, pincez un pli de peau souple au niveau du site d'injection propre avec votre main libre. Pincer la peau est important pour s'assurer que vous injectez le produit sous la peau (dans le tissu grasseux), et non dans une couche plus profonde (dans le muscle). Une injection dans un muscle pourrait être désagréable.
- Préparez et pratiquez l'injection dans des conditions aseptiques. Votre médecin ou votre infirmier/ère vous donnera des informations complémentaires.

Combien de temps dure le traitement ?

Votre médecin continuera à vous administrer Hemlibra® jusqu'à ce qu'il ne vous soit plus bénéfique. Toutefois, le traitement pourra être arrêté si des effets indésirables deviennent trop problématiques.

Où injecter Hemlibra® ?

- Votre médecin vous montrera les régions du corps adaptées à l'injection d'Hemlibra®.
- Les endroits recommandés pour effectuer une injection sont les suivants : la partie antérieure de la taille (partie inférieure de l'abdomen), les parties supérieures externes des bras et les faces avant des cuisses. Utilisez uniquement les endroits recommandés pour l'injection.
- À chaque injection, utilisez une région différente de celle que vous avez utilisée la fois précédente.

- N'effectuez pas d'injection à l'endroit où la peau est rouge, présente un hématome, est sensible au toucher, indurée ou dans les zones présentant des grains de beauté ou des cicatrices.
- Pendant le traitement par Hemlibra[®], tout autre médicament injecté sous la peau doit être administré dans une zone différente.

Si vous avez utilisé plus d'Hemlibra[®] que vous n'auriez dû

Si vous avez utilisé plus d'Hemlibra[®] que vous êtes supposé(e) le faire, avertissez immédiatement votre médecin. En effet, vous êtes exposé(e) au risque de développer des effets indésirables, notamment la formation de caillots sanguins. Veillez à toujours utiliser ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin, et vérifiez auprès de votre médecin, votre pharmacien ou votre infirmier/ère en cas de doute.

Si vous avez oublié une injection d'Hemlibra[®]

- Si vous avez oublié votre injection hebdomadaire programmée, injectez la dose oubliée dès que possible, au plus tard la veille de la dose suivante initialement programmée. Continuez ensuite à injecter le médicament une fois par semaine selon le programme établi. N'injectez pas de dose double pour compenser la dose que vous avez oublié de prendre.
- En cas de doute, demandez conseil à votre médecin, votre pharmacien ou votre infirmier/ère.

Si vous arrêtez d'utiliser Hemlibra[®]

N'interrompez pas l'utilisation d'Hemlibra[®] sans en avoir parlé à votre médecin. Si vous arrêtez d'utiliser Hemlibra[®], vous pourriez ne plus être protégé(e) contre les saignements.

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

COMBIEN DE TEMPS DURE LE PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE ?

La durée du traitement dépend de l'évolution de votre maladie dans le cadre du traitement par Hemlibra[®]. Vous pouvez poursuivre le traitement aussi longtemps que votre médecin estime que le traitement vous est bénéfique. Le traitement peut être arrêté, même sans votre accord, si votre maladie s'aggrave ou si vous ne réagissez pas positivement au traitement, s'il s'avère que vous ne supportez pas le médicament en raison d'effets secondaires graves, ou si vous ne respectez pas les indications relatives à votre traitement.

QUELS SONT LES EFFETS SECONDAIRES POSSIBLES ?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets secondaires, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde. Vous devez informer immédiatement votre médecin si vous ressentez l'un des effets secondaires suivants.

Effets indésirables graves liés à l'utilisation de l'aPCC pendant un traitement par Hemlibra[®] :

Arrêtez d'utiliser Hemlibra® et l'aPCC et avertissez immédiatement un médecin si vous-même ou votre soignant observez l'un des effets indésirables suivants :

● **Microangiopathie thrombotique** (maladies entraînant une obstruction des petits vaisseaux sanguins) :

- confusion, faiblesse, gonflement des bras et des jambes, jaunissement de la peau et des yeux, douleur vague au niveau du ventre (abdomen) ou du dos, mal au cœur (nausées), vomissements ou diminution de la quantité d'urine – ces symptômes peuvent être des signes d'une microangiopathie thrombotique.

● **Événements thromboemboliques** (caillots sanguins) :

- gonflement, chaleur, douleur ou rougeur – ces symptômes peuvent être les signes de la présence d'un caillot sanguin dans une veine à proximité de la surface de la peau.
- maux de tête, engourdissement du visage, douleur ou gonflement au niveau des yeux ou altération de la vision – ces symptômes peuvent être les signes de la présence d'un caillot sanguin dans une veine située derrière votre œil.
- noircissement de la peau – ce symptôme peut être le signe d'une lésion sévère du tissu cutané.

Autres effets indésirables liés à l'utilisation d'Hemlibra®

Très fréquents (peuvent toucher plus de 1 personne sur 10)

- réaction dans la zone où l'injection a été réalisée (rougeur, démangeaisons, douleur)
- maux de tête

Fréquents (peuvent toucher jusqu'à 1 personne sur 10)

- fièvre
- douleurs articulaires
- douleurs musculaires
- diarrhée
- microangiopathie thrombotique (maladies entraînant une obstruction des petits vaisseaux sanguins)

Peu fréquents (peuvent toucher jusqu'à 1 personne sur 100)

- caillot sanguin dans une veine située derrière votre œil
- lésion sévère de la peau (nécrose cutanée)
- caillot sanguin dans une veine située à la surface de la peau (thrombophlébite superficielle)

Vous serez suivi(e) attentivement pendant toute la durée de votre traitement par votre médecin traitant. Il est également possible que d'autres risques et inconvénients surviennent. C'est pourquoi il est essentiel que vous signaliez le plus rapidement possible toute nouvelle plainte à votre médecin traitant, pharmacien ou infirmier/ère, qu'elle ait ou non un rapport avec l'utilisation de ces médicaments.

Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement via le système national de déclaration (voir ci-dessous). En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS)

Division Vigilance
EUROSTATION II
Place Victor Horta 40/40
B-1060 Bruxelles
Site Internet : www.afmps.be
e-mail: patientinfo@fagg-afmps.be

CONSENTEMENT VOLONTAIRE/DROIT D'ARRÊTER LE TRAITEMENT

Votre participation est volontaire. Vous n'êtes en aucun cas obligé(e) de donner votre accord. Votre consentement signé est nécessaire pour votre participation. Même après avoir signé le document, vous pouvez signaler à votre médecin traitant que vous renoncez à participer. De même, si vous décidez de débiter ce traitement, vous êtes libre d'y mettre un terme à n'importe quel moment, pour quelque raison que ce soit et sans devoir justifier votre décision.

Il peut cependant être utile pour votre médecin de savoir pourquoi vous arrêtez le traitement. Il est préférable d'en discuter avec votre médecin traitant.

Votre décision de ne pas participer ou de ne pas poursuivre votre participation au programme médical d'urgence n'aura aucune influence négative sur la qualité de vos soins ni sur votre relation avec votre médecin.

Il est également possible que votre médecin mette un terme à votre participation au programme parce qu'il pense que c'est mieux pour votre santé ou parce qu'il constate que vous ne respectez pas les instructions.

Après l'arrêt du traitement par Hemlibra®, votre médecin évaluera à nouveau votre état de santé et vous prescrira le meilleur traitement possible.

Le programme sera évalué annuellement pour la sécurité par l'AFMPS. Roche peut décider de mettre un terme au programme pour des raisons réglementaires, internes ou de sécurité.

QUE SE PASSERA-T-IL SI DE NOUVELLES INFORMATIONS SONT DISPONIBLES ?

Dans certains cas, de nouvelles informations peuvent devenir disponibles sur le traitement par Hemlibra®. Si c'est le cas, votre médecin vous en avertira et il verra avec vous si vous souhaitez ou non poursuivre le traitement.

Par ailleurs, il est possible que votre médecin détermine, sur la base de nouvelles informations, qu'il est dans votre intérêt de mettre un terme à votre traitement. Il en expliquera toutes les raisons et veillera également à ce que votre traitement se poursuive de la meilleure manière possible.

ACCÈS A HEMLIBRA®

Roche met le médicament gratuitement à disposition jusqu'à ce qu'il soit remboursé en Belgique.

Il sera mis un terme au programme (et par conséquent à la mise à disposition gratuite du médicament par Roche) lorsque le produit sera remboursé et commercialisé en Belgique pour le traitement de l'hémophilie A avec inhibiteur anti-facteur VIII ou lorsque Roche décide de mettre fin au programme pour des raisons de sécurité, réglementaires ou internes.

Vous ne serez pas payé(e) pour votre participation et les frais éventuels ne seront pas remboursés (déplacement ou autres). Tous les autres médicaments, interventions et examens nécessaires relèvent des critères de remboursement habituels. Votre médecin traitant ne sera pas payé par Roche pour votre participation à ce programme.

EXAMEN MÉDICO-ÉTHIQUE

L'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) et la commission indépendante pour l'éthique de l'Hôpital Universitaire de Louvain (UZ Leuven) ont relu ce document, étudié les objectifs et le déroulement proposé du traitement et émis un avis favorable en la matière.

COMMENT LA CONFIDENTIALITÉ DE VOS DONNÉES EST-ELLE GARANTIE ?

Votre médecin suivra minutieusement le traitement que vous prenez. Il est possible que votre médecin remplisse des formulaires concernant vos données médicales (incluant le suivi médical et les effets secondaires possibles).

Dans le cadre de ce programme, votre médecin fournira à Roche les informations suivantes :

- Les données médicales qui sont importantes pour vos antécédents médicaux : sexe, date de naissance, les données relatives à votre maladie et la date de début et de fin de votre traitement ;
- Les données sur le développement de votre maladie ;
- Les données sur les effets indésirables que vous pouvez ressentir pendant le traitement de votre maladie au cours du programme, ainsi que le formulaire de consentement signé par vous et votre médecin.

Vos données personnelles collectées au cours de ce programme seront remplacées par un numéro de code.

Vos données seront utilisées par Roche pour permettre l'exécution du programme. Par ailleurs, ces informations pourront être utilisés par Roche pour se conformer à ses obligations légales (telles que le signalement et la collecte des effets secondaires).

Le respect de votre vie privée est important. Tout sera mis en œuvre pour garantir la confidentialité de vos données conformément au règlement général sur la protection des données de l'UE.

Vos données pourront être utilisées par et/ou partagées avec :

- Roche, les filiales de Roche ainsi que les représentants, collaborateurs et titulaires de licence de Roche (personnes et sociétés qui travaillent pour Roche ou sont partenaires de Roche)
- Un comité d'examen de l'établissement ou comité d'éthique
- Des autorités réglementaires, par exemple l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS)

Vos données pourront être analysées dans n'importe quel pays dans le monde. Ces pays peuvent offrir moins de garanties et de droits en matière de protection des données que la Belgique. Le transfert de vos données aux filiales de Roche ainsi qu'aux représentants, collaborateurs et titulaires de licence de Roche, qui sont situés en dehors de l'Espace économique européen, bénéficie d'une protection adéquate dans le cadre d'accords séparés comme les « Dispositions types relatives à la protection des données ».

Vous avez le droit de consulter vos données qui concernent ce programme médical d'urgence et d'en obtenir un exemplaire. Si vous estimez que des données personnelles (à savoir des informations qui permettent de vous identifier ou qui pourraient raisonnablement être utilisées pour vous identifier) figurant dans ces dossiers sont inexactes ou incomplètes, vous avez le droit d'en demander la correction. Vous pouvez demander la suppression des données personnelles dont vous n'avez plus besoin. Vous pouvez également demander la restriction de l'utilisation des données personnelles. Roche s'efforcera de répondre au mieux à vos demandes. Comme Roche ne conserve que des données étiquetées avec votre numéro d'identification de patient(e), il se peut que Roche ne soit pas en mesure de satisfaire pleinement votre demande. Pour demander un exemplaire de vos données, demander que vos données personnelles soient corrigées ou supprimées, ou demander la restriction de l'utilisation de vos données personnelles, contactez votre médecin traitant, qui transmettra votre demande à Roche.

Vous pouvez changer d'avis et revenir sur votre consentement à tout moment sans perdre les avantages auxquels vous avez droit par ailleurs. Si vous revenez sur votre consentement, vous ne pourrez pas continuer à participer au programme médical d'urgence et aucune nouvelle information ne sera collectée à votre sujet. Toutefois, afin de se conformer aux exigences réglementaires, Roche sera toujours en mesure d'utiliser et de partager les données du programme vous concernant qui ont déjà été collectées. Pour revenir sur votre consentement, vous pouvez contacter votre médecin traitant.

Si vous avez des questions, des préoccupations ou des plaintes à formuler concernant l'utilisation de vos informations par Roche, vous pouvez contacter le responsable local de la protection des données de Roche à l'adresse brussels.privacy@roche.com. Pour plus d'informations sur vos droits à la vie privée ou si vous n'êtes pas en mesure de résoudre un problème directement avec Roche et que vous souhaitez déposer une plainte, vous pouvez contacter l'Autorité de protection des données belge à l'adresse contact@apd-gba.be. L'Autorité de protection des données (APD) est chargée de veiller au respect des principes fondamentaux de la protection des données à caractère personnel.

QUI CONTACTER EN CAS DE QUESTION ?

Si votre partenaire ou votre famille ont des questions sur le traitement ou si vous constatez un effet secondaire, vous devez contacter votre médecin traitant. Si vous demandez de l'aide urgente ou devez être hospitalisé(e), informez le médecin urgentiste que vous suivez un traitement par Hemlibra®.

Ne signez pas ce formulaire de consentement avant d'avoir eu l'occasion de poser toutes vos questions et d'avoir reçu toutes les réponses satisfaisantes nécessaires. Si vous avez encore des questions, n'hésitez pas à contacter votre médecin ou l'équipe de soins.

Nom du médecin :

Adresse :

Numéro de téléphone :

FORMULAIRE DE CONSENTEMENT POUR LES PATIENTS ADULTES QUI PARTICIPENT AU PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE (PMU)

L'utilisation d'HEMLIBRA® (emicizumab) pour le traitement de patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII dans le cadre d'un programme médical d'urgence

Je déclare avoir été informé(e) du programme médical d'urgence, des objectifs, de la durée, des risques et avantages éventuels et de ce que l'on attend de moi. J'ai lu le document d'information. J'ai eu assez de temps pour réfléchir et en parler avec une personne de mon choix, comme mon médecin généraliste ou un membre de ma famille. J'ai eu l'occasion de poser mes questions, et toutes ont reçu une réponse satisfaisante à mes yeux. Je comprends que ma participation à ce programme est volontaire et que je suis libre d'y mettre un terme sans que cela ait une influence sur ma relation avec l'équipe thérapeutique. J'accepte que mon médecin traitant transmettra et utilisera mes données comme décrit dans ce document.

J'accepte de participer volontairement à ce programme médical d'urgence et d'être traité(e) par Hemlibra®

J'ai reçu une copie des renseignements destinés au participant et du formulaire d'information et de consentement.

Nom, prénom du(de la) patient(e)

Date

signature du bénévole

Nom, prénom du représentant légal

relation avec la personne représentée

Date

signature du représentant légal

Nom, prénom du médecin traitant

Date

signature du médecin traitant

FORMULAIRE D'INFORMATION POUR LES ENFANTS (JUSQU'À 11 ans) QUI PARTICIPENT AU PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE (PMU)

L'utilisation d'Hemlibra® (emicizumab) pour le traitement de patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII dans le cadre d'un programme médical d'urgence

Pourquoi ce programme ?

Tu reçois actuellement un médicament pour améliorer ta vie avec l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII.

Ton docteur trouve que ce médicament ne fonctionne pas très bien et que le passage à d'autres médicaments ne t'aidera pas immédiatement. C'est pourquoi il pense pouvoir mieux t'aider avec le médicament Hemlibra®.

Hemlibra® est un médicament qui peut être utilisé pour traiter l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII.

Tous les patients atteints de la même maladie que toi peuvent utiliser gratuitement Hemlibra® s'ils participent à ce programme. Ton docteur pense que tu peux participer à ce programme, mais il est important que tu sois d'accord.

Que se passe-t-il pendant ce programme ?

Si tu acceptes de participer à ce programme, tu recevras chaque semaine une piqûre dans la peau de tes bras, de ton ventre ou de tes fesses pour traiter ta maladie, l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII.

Tu dois te rendre à l'hôpital pour une visite afin de voir si tu peux participer au programme. Si tu acceptes de participer au programme, tu devras revenir à l'hôpital plusieurs fois.

Au cours de ta visite, ton docteur effectuera les tests suivants :

- Un examen physique pour tester ta santé.
- Une petite aiguille est utilisée pour prendre du sang dans une veine de ton bras. Le médecin fera certains tests sur ton sang pour voir si tu peux participer au programme et pour vérifier ton état de santé.

Lors de ta première visite, tu devras rester encore un peu à l'hôpital après la piqûre avec Hemlibra®.

Lors de la première visite, le médecin montrera à ta maman et ton papa (ou à ton tuteur) comment faire la piqûre et ils pourront ensuite te la faire à la maison.

Est-ce que ça va faire mal si je m'inscris à ce programme ?

Pendant le programme, ton médecin vérifiera soigneusement que tu n'as pas de maux désagréables dus à l'utilisation d'Hemlibra®. Ces maux sont appelées effets secondaires.

Les effets secondaires les plus fréquents chez les personnes qui ont reçu Hemlibra® étaient une réaction à l'endroit où la piqûre a été faite (rougeur, démangeaisons, douleur), maux de tête, fièvre, douleurs articulaires, douleurs musculaires, diarrhée (selles molles ou liquides), caillot de sang dans une veine derrière l'œil, lésions graves des tissus cutanés, caillot de sang dans une veine juste sous la peau.

Tu pourrais également avoir d'autres effets secondaires qui ne sont pas encore connus et qui ne figurent pas sur cette liste. Si tu ressens l'une de ces choses, assure-toi d'en informer immédiatement ta maman ou ton papa (ou ton tuteur) et le docteur.

Le médecin t'administrera le médicament Hemlibra® avec une aiguille sous la peau. Pendant ta participation au programme, tu passeras également des tests sanguins afin de vérifier si le médicament fonctionne bien pour toi.

Lorsque le médicament t'est administré ou qu'on te prélève du sang, il se peut que tu ressenties un pincement. Cela fait mal pendant une petite minute et parfois l'endroit où se trouvait l'aiguille devient rouge et fait mal.

Si tu ressens l'une de ces choses ou quelque chose d'autre qui n'est pas décrit ci-dessus, assure-toi d'en informer ta maman ou ton papa (ou ton tuteur) et le médecin.

Ce programme m'aidera-t-il ?

Nous ne pouvons pas prédire si ta participation à ce programme va te faire aller mieux, mais nous savons que le médicament a pu aider de nombreuses autres personnes atteintes de la même maladie.

Dois-je participer à ce programme ?

Non, tu ne dois pas participer à ce programme si tu ne le souhaites pas.

Tu peux dire « non » à la participation à ce programme, et personne ne sera fâché. Tu peux même changer d'avis plus tard et cesser de participer, même si le programme a déjà commencé. Dis-le au docteur.

Parles-en avec ta maman et ton papa avant de prendre une décision.

Nous demanderons également à ta maman et ton papa de t'autoriser à participer à ce programme. Mais même si tes parents disent « oui », tu peux toujours dire « non ».

Je peux poser des questions ?

Tu peux maintenant poser toutes les questions que tu as sur le programme. Si tu oublies de poser une question et que tu y penses plus tard, tu peux appeler le docteur. Ou pose ta question au docteur lors de ta prochaine visite à l'hôpital.

Nom du médecin :

Adresse :

Numéro de téléphone :

FORMULAIRE DE CONSENTEMENT POUR LES ENFANTS (jusqu'à 11 ans) QUI PARTICIPENT AU PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE (PMU)

L'utilisation d'Hemlibra® (emicizumab) pour le traitement de patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII dans le cadre d'un programme médical d'urgence

Si tu es d'accord, ton docteur te demandera de signer ce formulaire de consentement. Le docteur signera également le formulaire et confirmera qu'il a tout expliqué correctement.

Partie uniquement destinée au patient et à son(sa) représentant(e) légal(e) :

J'ai écouté ce que le docteur m'a dit et je veux participer au programme. J'ai posé toutes les questions que j'avais, et j'ai reçu une réponse à toutes mes questions. Si je signe ce formulaire, cela signifie que j'accepte de participer au programme. Je sais que je peux changer d'avis à tout moment. Mes parents et moi recevrons une copie de ce formulaire après l'avoir signé.

Ton nom et prénom

Date

ta signature

Nom, prénom du
représentant légal 1

relation avec la personne représentée

Date

signature du représentant légal 1

Nom, prénom du
représentant légal 2

relation avec la personne représentée

Date

signature du représentant légal 2

Nom, prénom du médecin traitant

Date

signature du médecin traitant

Je déclare que le participant peut lire le formulaire de consentement et l'a signé pour documenter son consentement à participer à ce programme, ou que le participant ne peut pas lire le formulaire de consentement, mais que les renseignements lui ont été expliqués oralement et que le parent/tuteur du participant a signé ce qui précède pour la documentation de l'accord de participation à ce programme.

FORMULAIRE D'INFORMATION POUR LES ENFANTS (de 12 à 17 ans) QUI PARTICIPENT AU PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE (PMU)

L'utilisation d'Hemlibra® (emicizumab) pour le traitement de patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII dans le cadre d'un programme médical d'urgence

Cher/chère ...,

Tu es actuellement traité(e) pour l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII.

Ton docteur trouve que ce traitement ne fonctionne pas très bien et que le passage à d'autres médicaments ne t'aidera pas immédiatement. C'est pourquoi nous envisageons maintenant de commencer un traitement avec Hemlibra®.

Hemlibra® est un médicament qui peut être utilisé en Belgique pour traiter les patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII, quel que soit leur âge.

Comme pour tous les médicaments, des études ont démontré que Hemlibra® peut aider ces types de patients et est suffisamment sûr. Toutefois, Hemlibra® n'est pas encore remboursé par l'assurance maladie belge pour l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII.

Ton docteur peut demander Hemlibra® gratuitement à la firme qui produit le médicament et, si le traitement fonctionne bien, tu peux continuer à obtenir Hemlibra® gratuitement jusqu'au moment du remboursement. Pour participer, nous avons besoin de ton consentement, en d'autres termes, tu dois être d'accord pour rejoindre un programme médical d'urgence.

La participation à ce programme médical d'urgence n'est pas obligatoire. Si tu décides de participer, tu peux aussi arrêter à tout moment (de préférence en consultation avec tes parents et le docteur). Que tu participes ou non, ton docteur continuera de te traiter aussi bien que possible dans les deux cas.

Comme déjà mentionné, le médicament est gratuit dans le programme médical d'urgence et il n'y a pas de frais supplémentaires pour le reste du traitement.

Si tu acceptes de participer à ce programme, tu recevras chaque semaine une piqûre dans la peau de tes bras, de ton ventre ou de tes fesses pour traiter ta maladie, l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII.

Tu dois te rendre à l'hôpital pour une visite afin de voir si tu peux participer au programme. Si tu acceptes de participer au programme, tu devras revenir à l'hôpital plusieurs fois.

Il existe des lois strictes qui garantissent la protection de la vie privée des patients qui y participent. Le contenu de ton dossier est et demeure le secret professionnel du docteur. Certaines données doivent être échangées avec la firme pour permettre le bon déroulement du programme et respecter les obligations légales.

Ce programme a été approuvé par l'État belge ainsi que par un comité d'éthique où des docteurs, des pharmaciens et des personnes ordinaires doivent juger si toutes les règles sont bien respectées.

Comme tout médicament, Hemlibra® a des effets secondaires chez certains patients. La plupart des effets secondaires ne sont pas si graves, mais il y a parfois des effets secondaires qui sont plus sévères et pour lesquels tu devras peut-être retourner chez le docteur ou à l'hôpital.

Si tu éprouves les symptômes suivants dans les heures ou les jours suivant l'injection, tu devrais appeler le docteur immédiatement :

- réaction dans la zone où l'injection a été réalisée (rougeur, démangeaisons, douleur)
- maux de tête
- fièvre
- douleurs articulaires
- douleurs musculaires
- diarrhée
- caillot sanguin dans une veine située derrière l'œil
- lésion sévère de la peau
- caillot sanguin dans une veine située à la surface de la peau

Pour plus d'informations sur Hemlibra®, tu peux lire la notice d'information du patient. Tu peux demander cette notice à ton médecin.

Si tu as encore des questions après cette explication, tu peux toujours contacter ton médecin traitant.

Nom du médecin :

Adresse :

Numéro de téléphone :

FORMULAIRE DE CONSENTEMENT POUR LES ENFANTS (de 12 à 17 ans) QUI PARTICIPENT AU PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE (PMU)

L'utilisation d'Hemlibra® (emicizumab) pour le traitement de patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII dans le cadre d'un programme médical d'urgence

Si tu es d'accord, ton médecin te demandera de signer ce formulaire de consentement. Le médecin signera également le formulaire et confirmera qu'il a tout expliqué correctement.

Partie uniquement destinée au patient et à son(sa) représentant(e) légal(e) :

Je suis suffisamment informé(e) sur le programme médical d'urgence, les objectifs, la durée, les risques et avantages éventuels. J'ai lu le document d'information. J'ai eu assez de temps pour réfléchir et en parler avec une personne de mon choix, comme mon médecin généraliste ou un membre de ma famille. J'ai eu l'occasion de poser mes questions, et toutes ont reçu une réponse satisfaisante à mes yeux. Je comprends que ma participation/la participation de mon enfant à ce programme est volontaire et que je suis libre de mettre un terme à ma participation/la participation de mon enfant sans que cela ait une influence sur la relation avec l'équipe thérapeutique en ce qui concerne ma santé/la santé de mon enfant. J'accepte que mon médecin traitant/le médecin traitant de mon enfant transmettra et utilisera mes données/les données de mon enfant comme décrit dans ce document.

J'accepte de participer volontairement à ce programme médical d'urgence et d'être traité(e) par Hemlibra®

J'ai reçu une copie des renseignements destinés au participant et du formulaire d'information et de consentement.

Ton nom et prénom

Date

ta signature

Nom, prénom du
représentant légal 1

relation avec la personne représentée

Date

signature du représentant légal 1

Nom, prénom du
représentant légal 2

relation avec la personne représentée

Date

signature du représentant légal 2

Nom, prénom du médecin traitant

Date

signature du médecin traitant

Je déclare que le participant peut lire le formulaire de consentement et l'a signé pour documenter son consentement à participer à ce programme, ou que le participant ne peut pas lire le formulaire de consentement, mais que les renseignements lui ont été expliqués oralement et que le parent/tuteur du participant a signé ce qui précède pour la documentation de l'accord de participation à ce programme.

FORMULAIRE D'INFORMATION POUR LES PARENTS D'ENFANTS (JUSQU'À 17 ans) QUI PARTICIPENT AU PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE (PMU)

L'utilisation d'HEMLIBRA® (emicizumab) pour le traitement de patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII dans le cadre d'un programme médical d'urgence

I. Information importante pour prendre votre décision de laisser participer votre enfant au programme

Le médecin traitant de votre enfant vous propose une thérapie par Hemlibra® pour le traitement de son hémophilie A avec inhibiteur, ceci dans le cadre d'un programme médical d'urgence.

Avant que vous ne preniez une décision quant à la participation de votre enfant à ce programme médical d'urgence, nous souhaitons vous donner davantage d'informations sur ce que cela implique pour votre enfant. Nous expliquerons quels peuvent être les avantages et les risques pour votre enfant et ce que le programme signifie pour votre enfant en pratique. Vous pourrez ainsi prendre une décision en toute connaissance de cause. C'est ce que l'on appelle le « consentement éclairé ». Avant d'accepter que votre enfant reçoive le traitement, il est important que vous lisiez et compreniez les explications données ci-dessous au sujet du médicament. Si vous avez des questions à propos d'Hemlibra®, attendez d'avoir obtenu toutes les réponses nécessaires avant de décider que votre enfant doive ou non suivre le traitement.

Ce document comporte 2 parties : les informations essentielles, nécessaires pour prendre votre décision, et votre consentement écrit.

QU'EST-CE QU'UN PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE ?

Un programme médical d'urgence offre aux patients souffrant d'affections médicales graves/invalidantes et disposant de possibilités de traitement réduites un accès précoce à de nouveaux médicaments. Ces médicaments ont déjà prouvé leur efficacité dans des études cliniques cliniques et sont en train d'être approuvés par les autorités de régulation, mais ne sont pas encore remboursés en Belgique.

Ce traitement s'inscrit dans le cadre du programme médical d'urgence qui a pour objectif de rendre Hemlibra® disponible pour des patients tels que votre enfant, qui ne disposent pas d'autres options de traitement satisfaisantes et pour qui, selon l'avis et le jugement clinique du médecin traitant, un traitement avec ce médicament serait bénéfique.

QU'EST-CE QUE HEMLIBRA® (EMICIZUMAB) ?

Hemlibra® est un médicament qui est été développé par Roche.

Hemlibra® contient la substance active emicizumab. Cette substance appartient à un groupe de médicaments appelés « anticorps monoclonaux ». Les anticorps monoclonaux sont un type de protéines qui reconnaissent et se lient à une cible spécifique dans l'organisme.

DANS QUELS CAS HEMLIBRA® EST-IL UTILISÉ ?

Hemlibra® est un médicament utilisé pour traiter les patients atteints d'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII, quel que soit leur âge. Ce médicament prévient ou réduit les saignements chez les personnes atteintes de cette maladie. L'hémophilie A est une maladie héréditaire due à l'absence de facteur VIII, une substance essentielle à la coagulation du sang et à l'arrêt des saignements.

MODE D'ACTION D'HEMLIBRA®

Les patients atteints d'hémophilie A sont habituellement traités par perfusion de facteur VIII de remplacement, mais certains patients développent un inhibiteur anti-facteur VIII (anticorps dirigé contre le facteur VIII) qui empêche le facteur VIII de remplacement de fonctionner. Hemlibra® ayant une structure différente de celle du facteur VIII, il n'est pas affecté par la présence d'inhibiteur anti-facteur VIII.

En février 2018, la commercialisation en Europe de l'Hemlibra pour le traitement de l'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII a été approuvée. La demande de remboursement en Belgique est en cours.

Hemlibra® est uniquement disponible dans la pharmacie de l'hôpital dans lequel votre enfant est traité, après avoir été prescrit par un spécialiste expérimenté dans le traitement de l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII.

QUELLES SONT LES INFORMATIONS À CONNAÎTRE AVANT QUE VOTRE ENFANT UTILISE HEMLIBRA® ?

N'utilisez jamais Hemlibra® :

Si votre enfant est allergique à l'emicizumab

- ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament. Plusieurs flacons de solution injectable contenant une concentration de 30 mg/ml ou 150 mg/ml d'Hemlibra® sont disponibles.
- Les autres substances contenues dans ce médicament sont la L-arginine, la L-histidine, l'acide L-aspartique, le poloxamère 188 et l'eau pour préparations injectables.

En cas de doute, adressez-vous au médecin traitant ou à l'infirmier/ère de votre enfant avant qu'Hemlibra® ne soit administré à votre enfant.

Avertissements et précautions

Avant que votre enfant ne débute un traitement par Hemlibra®, il est très important de parler avec son médecin de l'utilisation des « agents by-passants » (médicaments facilitant la coagulation du sang mais fonctionnant différemment du facteur VIII), car le traitement par ces agents by-passants peut nécessiter d'être modifié lors du traitement de votre enfant par Hemlibra®. Les exemples d'agents by-passants comprennent : le « concentré de facteurs du complexe prothrombique activé » (aPCC) et le « FVIIa recombinant » (rFVIIa). Des effets indésirables graves pouvant engager le pronostic vital peuvent survenir lorsque l'aPCC est utilisé chez des patients traités également par Hemlibra® : Effets indésirables potentiellement graves lors de l'utilisation de l'aPCC au cours du traitement par Hemlibra® :

● **Microangiopathie thrombotique (maladies entraînant une obstruction des petits vaisseaux sanguins)**

- Il s'agit d'une affection grave pouvant engager le pronostic vital.
- Lorsque les personnes présentent cette affection, la paroi des petits vaisseaux sanguins peut être endommagée et des caillots sanguins peuvent s'y développer. Dans certains cas, cette affection peut entraîner des atteintes au niveau des reins et d'autres organes.
- Soyez vigilants si vous présentez un risque élevé de développer cette affection (si vous ou un membre de votre famille avez déjà eu une microangiopathie thrombotique), ou si vous prenez des médicaments qui en augmentent le risque, tels que ciclosporine, quinine ou tacrolimus.
- Il est important de connaître les symptômes de la microangiopathie thrombotique, au cas où vous développeriez cette affection.

Arrêtez d'utiliser Hemlibra® et l'aPCC chez votre enfant et avertissez immédiatement un médecin si vous-même ou votre enfant observez un symptôme quelconque de microangiopathie thrombotique.

● **Événements thromboemboliques (caillots sanguins)**

- Dans de rares cas, un caillot sanguin peut se former à l'intérieur des vaisseaux et les obstruer, engageant ainsi le pronostic vital.
- Il est important de connaître les symptômes provoqués par ces caillots sanguins, lorsqu'ils se forment à l'intérieur des vaisseaux (voir rubrique 4, « Quels sont les effets indésirables éventuels ? » pour la liste des symptômes).

Arrêtez d'utiliser Hemlibra® et l'aPCC chez votre enfant et avertissez immédiatement un médecin si vous-même ou votre enfant observez un symptôme quelconque susceptible d'être provoqué par des caillots dans les vaisseaux sanguins.

N'essayez pas de traiter votre enfant vous-même avec d'autres médicaments. Le médecin peut :

- Prescrire à votre enfant d'autres médicaments afin de prévenir des complications et réduire les symptômes,
- Retarder la prochaine dose de ce médicament chez votre enfant,
- Arrêter le traitement de votre enfant avec ce médicament.

Hemlibra peut être utilisé chez les adolescents jusqu'à 18 ans et les enfants de tout âge.

Un enfant peut s'auto-injecter le médicament à condition que le médecin prescripteur et le parent ou le soignant de l'enfant soient d'accord. L'auto-injection chez les enfants âgés de moins de 7 ans n'est pas recommandée.

Chez les enfants de moins d'un an, le système sanguin est en cours de développement. Si votre enfant a moins d'un an, votre médecin ne pourra vous prescrire Hemlibra qu'après avoir pesé attentivement les avantages et les risques attendus de l'utilisation de ce médicament.

Tests et contrôles

Avant le traitement de votre enfant, le médecin vérifiera son état de santé général. Votre enfant aura également des analyses de sang pendant son traitement.

Autres médicaments et Hemlibra®

Informez votre médecin ou pharmacien si votre enfant utilise, a récemment utilisé ou pourrait utiliser tout autre médicament.

- Utilisation d'un agent by-passant pendant le traitement par Hemlibra®
 - Avant que votre enfant ne commence à utiliser Hemlibra®, veuillez discuter avec son médecin et suivre soigneusement ses instructions sur l'utilisation d'un agent by-passant ainsi que la dose et le schéma que votre enfant doit utiliser. Hemlibra® augmente la capacité du sang de votre enfant à coaguler. Par conséquent, la dose de l'agent by-passant nécessaire pourrait être plus faible que celle que votre enfant utilisait avant de commencer le traitement par Hemlibra®.
 - Utiliser l'aPCC uniquement chez votre enfant si aucun autre traitement ne peut être utilisé. Si l'aPCC est nécessaire, avertissez le médecin traitant si vous pensez que votre enfant a besoin d'une dose totale supérieure à 50 unités/kg d'aPCC.
 - Malgré une expérience limitée sur l'administration concomitante d'anti-fibrinolytiques et d'aPCC ou de rFVIIa chez les patients traités par Hemlibra®, vous devez savoir qu'il existe une possibilité de survenue d'événements thrombotiques lors de l'utilisation d'antifibrinolytiques administrés par voie intraveineuse en association avec aPCC ou rFVIIa.

Surveillance et analyses biologiques

Informez le médecin traitant de votre enfant s'il utilise Hemlibra® avant d'effectuer des analyses biologiques destinées à évaluer la coagulation de son sang. En effet, la présence d'Hemlibra® dans son sang peut interférer avec certaines de ces analyses biologiques, et entraîner des résultats inexacts.

SI VOUS DÉCIDEZ D'ACCEPTER LE TRAITEMENT PAR HEMLIBRA® CHEZ VOTRE ENFANT

- Transmettez systématiquement les informations correctes sur ses antécédents médicaux et sa situation médicale actuelle.
- Veuillez informer le médecin traitant de chaque problème de santé dont il souffre pendant le traitement.
- Veuillez informer le médecin traitant de tous les médicaments sur prescription ou en vente libre qu'il prend. Cela s'applique également aux vitamines, à la phytothérapie et aux autres types de traitements.
- Veuillez informer le médecin traitant de tout nouveau médicament qu'il commence à prendre durant le programme médical d'urgence.
- Veuillez ne pas lui permettre de prendre d'autres médicaments ou remèdes et ne pas modifier la dose des médicaments qu'il prend, sauf si le médecin traitant vous a donné son accord préalable.

COMMENT PRENDRE HEMLIBRA® ?

Un médecin expérimenté dans le traitement de l'hémophilie A avec un inhibiteur anti-facteur VIII administrera ce médicament à votre enfant dans un hôpital ou une clinique.

Lorsque vous aurez été formé(e), vous devriez être capable d'injecter à votre enfant ce médicament à domicile, par vous-même ou avec l'aide d'un soignant.

Quelle est la quantité d'Hemlibra® à utiliser ?

La dose d'Hemlibra® dépend du poids de votre enfant et le médecin calculera la quantité (en mg) et le volume correspondant de solution d'Hemlibra® (en ml) à injecter.

- Semaines 1 à 4 : La dose est de 3 milligrammes pour chaque kilogramme de poids corporel de votre enfant, injectée une fois par semaine.
- À partir de la semaine 5 : La dose est de 1,5 milligramme pour chaque kilogramme de poids corporel de votre enfant, injectée une fois par semaine.

Le volume de solution d'Hemlibra® administré à votre enfant à chaque injection ne devra pas dépasser 2 ml.

Comment administrer Hemlibra® ?

Si votre enfant s'auto-injecte Hemlibra®, ou si vous le lui injectez, vous ou votre enfant devez lire et suivre attentivement les « Instructions d'utilisation ».

- Hemlibra® est administré par injection sous la peau (voie sous-cutanée).
- Un médecin ou un(e) infirmier/ère vous montrera et montrera à votre enfant comment injecter Hemlibra®.
- Lorsque votre enfant aura été formé, il devrait être capable de s'injecter ce médicament à domicile, par lui-même ou avec votre aide.
- Pour insérer correctement l'aiguille sous la peau de votre enfant, pincez un pli de peau souple au niveau du site d'injection propre avec votre main libre ou celle de votre enfant. Pincer la peau est important pour s'assurer qu'on injecte le produit sous la peau (dans le tissu grasseux), et non dans une couche plus profonde (dans le muscle). Une injection dans un muscle pourrait être désagréable.
- Préparez et pratiquez l'injection dans des conditions aseptiques. Le médecin ou l'infirmier/ère vous donnera des informations complémentaires

Combien de temps dure le traitement ?

Le médecin traitant de votre enfant continuera à lui administrer Hemlibra® jusqu'à ce qu'il ne lui soit plus bénéfique. Toutefois, le traitement pourra être arrêté si des effets indésirables deviennent trop problématiques.

Où injecter Hemlibra®

- Le médecin traitant de votre enfant vous montrera les régions du corps adaptées à l'injection d'Hemlibra®.
- Les endroits recommandés pour effectuer une injection sont les suivants : la partie antérieure de la taille (partie inférieure de l'abdomen), les parties supérieures externes des bras et les faces avant des cuisses. Utilisez uniquement les endroits recommandés pour l'injection.
- À chaque injection, utilisez chez votre enfant une région du corps différente de celle qui a été utilisée la fois précédente.
- N'effectuez pas chez votre enfant d'injection à l'endroit où la peau est rouge, présente un hématome, est sensible au toucher, indurée ou dans les zones présentant des grains de beauté ou des cicatrices.

- Pendant le traitement de votre enfant par Hemlibra[®], tout autre médicament injecté sous la peau doit être administré dans une zone différente.

Si votre enfant a utilisé plus d'Hemlibra[®] qu'il n'aurait dû

Si votre enfant a utilisé plus d'Hemlibra[®] qu'il est supposé le faire, avertissez immédiatement le médecin traitant. En effet, votre enfant est exposé au risque de développer des effets indésirables, notamment la formation de caillots sanguins. Veillez à toujours utiliser ce médicament en suivant exactement les indications du médecin ; en cas de doute, adressez-vous au médecin traitant de votre enfant, à un pharmacien ou un(e) infirmier/ère.

Si votre enfant a oublié une injection d'Hemlibra[®]

- Si votre enfant a oublié son injection hebdomadaire programmée, injectez la dose oubliée dès que possible, au plus tard la veille de la dose suivante initialement programmée. Continuez ensuite à injecter le médicament une fois par semaine selon le programme établi. N'injectez pas de dose double pour compenser la dose que vous avez oublié de prendre.
- En cas de doute, avertissez le médecin traitant de votre enfant, un pharmacien ou un(e) infirmier/ère.

Si votre enfant arrête d'utiliser Hemlibra[®]

N'interrompez pas l'utilisation d'Hemlibra[®] chez votre enfant sans en avoir parlé au médecin traitant de votre enfant. Si votre enfant arrête d'utiliser Hemlibra[®], il pourrait ne plus être protégé contre les saignements.

Si vous avez d'autres questions sur l'utilisation de ce médicament chez votre enfant, adressez-vous au médecin traitant de votre enfant, à un pharmacien ou à un(e) infirmier/ère.

COMBIEN DE TEMPS DURE LE PROGRAMME MÉDICAL D'URGENCE ?

La durée du traitement dépend de l'évolution de la maladie de votre enfant dans le cadre du traitement par Hemlibra[®]. Votre enfant peut poursuivre le traitement aussi longtemps que son médecin traitant estime que le traitement lui est bénéfique. Le traitement peut être arrêté, même sans votre accord, si la maladie de votre enfant s'aggrave ou si votre enfant ne réagit pas positivement au traitement, s'il s'avère que votre enfant ne supporte pas le médicament en raison d'effets secondaires graves, ou si votre enfant ne respecte pas les indications relatives à son traitement.

QUELS SONT LES EFFETS SECONDAIRES POSSIBLES ?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets secondaires, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde. Vous devez informer immédiatement le médecin traitant de votre enfant si votre enfant ressent l'un des effets secondaires suivants.

Effets indésirables graves liés à l'utilisation de l'aPCC pendant un traitement par Hemlibra[®] :

Arrêtez d'utiliser Hemlibra[®] et l'aPCC chez votre enfant et avertissez immédiatement un médecin si vous-même ou votre enfant observez l'un des effets indésirables suivants :

● **Microangiopathie thrombotique** (maladies entraînant une obstruction des petits vaisseaux sanguins) :

- confusion, faiblesse, gonflement des bras et des jambes, jaunissement de la peau et des yeux, douleur vague au niveau du ventre (abdomen) ou du dos, mal au cœur (nausées), vomissements ou diminution de la quantité d'urine – ces symptômes peuvent être des signes d'une microangiopathie thrombotique.

● **Événements thromboemboliques** (caillots sanguins) :

- gonflement, chaleur, douleur ou rougeur – ces symptômes peuvent être les signes de la présence d'un caillot sanguin dans une veine à proximité de la surface de la peau.
- maux de tête, engourdissement du visage, douleur ou gonflement au niveau des yeux ou altération de la vision – ces symptômes peuvent être les signes de la présence d'un caillot sanguin dans une veine située derrière l'œil.
- noircissement de la peau – ce symptôme peut être le signe d'une lésion sévère du tissu cutané.

Autres effets indésirables liés à l'utilisation d'Hemlibra®

Très fréquents (peuvent toucher plus de 1 personne sur 10)

- réaction dans la zone où l'injection a été réalisée (rougeur, démangeaisons, douleur)
- maux de tête

Fréquents (peuvent toucher jusqu'à 1 personne sur 10)

- fièvre
- douleurs articulaires
- douleurs musculaires
- diarrhée
- microangiopathie thrombotique (maladies entraînant une obstruction des petits vaisseaux sanguins)

Peu fréquents (peuvent toucher jusqu'à 1 personne sur 100)

- caillot sanguin dans une veine située derrière votre œil
- lésion sévère de la peau (nécrose cutanée)
- caillot sanguin dans une veine située à la surface de la peau (thrombophlébite superficielle)

Votre enfant sera suivi attentivement pendant toute la durée de son traitement par le médecin traitant. Il est également possible que d'autres risques et inconvénients surviennent chez votre enfant. C'est pourquoi il est essentiel que vous signaliez le plus rapidement possible toute nouvelle plainte au médecin traitant de votre enfant, à un pharmacien ou à un(e) infirmier/ère, qu'elle ait ou non un rapport avec l'utilisation de ces médicaments.

Vous pouvez également déclarer les effets indésirables directement via le système national de déclaration (voir ci-dessous). En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS)
Division Vigilance
EUROSTATION II

Place Victor Horta 40/40
B-1060 Bruxelles
Site Internet : www.afmps.be
e-mail: patientinfo@fagg-afmps.be

CONSENTEMENT VOLONTAIRE/DROIT D'ARRÊTER LE TRAITEMENT

La participation de votre enfant est volontaire. Vous n'êtes en aucun cas obligé(e) de donner votre accord. Pour participer, votre permission signée est requise. Même après avoir signé le document, vous pouvez signaler au médecin traitant de votre enfant que vous renoncez à sa participation. De même, si vous décidez de débiter ce traitement chez votre enfant, vous êtes libre d'y mettre un terme à n'importe quel moment, pour quelque raison que ce soit et sans devoir justifier votre décision.

Il peut cependant être utile pour le médecin traitant de votre enfant de savoir pourquoi votre enfant arrête le traitement. Il est préférable d'en discuter avec le médecin traitant de votre enfant.

Votre décision de permettre ou non à votre enfant de participer ou de ne pas poursuivre sa participation au programme médical d'urgence n'aura aucune influence négative sur la qualité des soins de votre enfant ni sur votre relation avec le médecin traitant.

Il est également possible que le médecin traitant de votre enfant mette un terme à sa participation au programme parce qu'il pense que c'est mieux pour la santé de votre enfant ou parce qu'il constate que votre enfant ne respecte pas les instructions.

Après l'arrêt du traitement par Hemlibra® de votre enfant, le médecin traitant évaluera à nouveau l'état de santé de votre enfant et lui prescrira le meilleur traitement possible.

Le programme sera évalué annuellement pour la sécurité par l'AFMPS. Roche peut décider de mettre un terme au programme pour des raisons réglementaires, internes ou de sécurité.

QUE SE PASSERA-T-IL SI DE NOUVELLES INFORMATIONS SONT DISPONIBLES ?

Dans certains cas, de nouvelles informations peuvent devenir disponibles sur le traitement par Hemlibra®. Si c'est le cas, le médecin traitant de votre enfant vous en avertira et il verra avec vous si votre enfant souhaite ou non poursuivre le traitement.

Par ailleurs, il est possible que le médecin traitant de votre enfant détermine, sur la base de nouvelles informations, qu'il est dans l'intérêt de votre enfant de mettre un terme à son traitement. Il en expliquera toutes les raisons et veillera également à ce que le traitement de votre enfant se poursuive de la meilleure manière possible.

ACCÈS AU HEMLIBRA®

Roche met le médicament gratuitement à disposition jusqu'à ce qu'il soit remboursé en Belgique.

Il sera mis un terme au programme (et par conséquent à la mise à disposition gratuite du médicament par Roche) lorsque le produit sera remboursé et commercialisé en Belgique pour le traitement de l'hémophilie A avec inhibiteur anti-facteur VIII ou lorsque Roche décide de mettre fin au programme pour des raisons de sécurité, réglementaires ou internes.

Votre enfant ne sera pas payé pour sa participation et les frais éventuels ne seront pas remboursés (déplacement ou autres). Tous les autres médicaments, interventions et examens nécessaires relèvent des critères de remboursement habituels. Le médecin traitant de votre enfant ne sera pas payé par Roche pour la participation de votre enfant à ce programme.

EXAMEN MÉDICO-ÉTHIQUE

L'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) et la commission indépendante pour l'éthique de l'Hôpital Universitaire de Louvain (UZ Leuven) ont relu ce document, étudié les objectifs et le déroulement proposé du traitement et émis un avis favorable en la matière.

COMMENT LA CONFIDENTIALITÉ DES DONNÉES EST-ELLE GARANTIE ?

Votre médecin suivra minutieusement le traitement que votre enfant prend. Il est possible que votre médecin remplisse des formulaires concernant ses données médicales (incluant le suivi médical et les effets secondaires possibles).

Dans le cadre de ce programme, votre médecin fournira à Roche les informations suivantes :

- Les données médicales qui sont importantes pour les antécédents médicaux : sexe, date de naissance, les données relatives à la maladie et la date de début et de fin du traitement ;
- Les données sur le développement de la maladie ;
- Les données sur les effets indésirables que votre enfant pourrait ressentir pendant le traitement de sa maladie au cours du programme, ainsi que le formulaire de consentement signé par vous, votre enfant et votre médecin.

Les données personnelles collectées au cours de ce programme seront remplacées par un numéro de code.

Les données seront utilisées par Roche pour permettre l'exécution du programme. Par ailleurs, ces informations pourront être utilisés par Roche pour se conformer à ses obligations légales (telles que le signalement et la collecte des effets secondaires).

Le respect de la vie privée de votre enfant est important. Tout sera mis en œuvre pour garantir la confidentialité de ses données conformément au règlement général sur la protection des données de l'UE.

Les données de votre enfant pourront être utilisées par et/ou partagées avec :

- Roche, les filiales de Roche ainsi que les représentants, collaborateurs et titulaires de licence de Roche (personnes et sociétés qui travaillent pour Roche ou sont partenaires de Roche)
- Un comité d'examen de l'établissement ou comité d'éthique
- Des autorités réglementaires, par exemple l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS)

Les données pourront être analysées dans n'importe quel pays dans le monde. Ces pays peuvent offrir moins de garanties et de droits en matière de protection des données que la Belgique. Le transfert de ces données aux filiales de Roche ainsi qu'aux représentants, collaborateurs et titulaires de licence de Roche, qui sont situés en dehors de l'Espace économique européen, bénéficie d'une protection adéquate dans le cadre d'accords séparés comme les « Dispositions types relatives à la protection des données ».

Vous avez le droit de consulter les données de votre enfant qui concernent ce programme médical d'urgence et d'en obtenir un exemplaire. Si vous estimez que des données personnelles (à savoir des informations qui permettent d'identifier votre enfant ou qui pourraient raisonnablement être utilisées pour l'identifier) figurant dans ces dossiers sont inexactes ou incomplètes, vous avez le droit d'en demander la correction. Vous pouvez demander la suppression des données personnelles dont vous n'avez plus besoin. Vous pouvez également demander la restriction de l'utilisation des données personnelles. Roche s'efforcera de répondre au mieux à vos demandes. Comme Roche ne conserve que des données étiquetées avec le numéro d'identification de patient(e), il se peut que Roche ne soit pas en mesure de satisfaire pleinement votre demande. Pour demander un exemplaire des données, demander que les données personnelles soient corrigées ou supprimées, ou demander la restriction de l'utilisation des données personnelles, contactez votre médecin traitant, qui transmettra votre demande à Roche.

Vous pouvez changer d'avis et revenir sur le consentement de votre enfant à tout moment sans perdre les avantages auxquels il avait droit par ailleurs. Si vous revenez sur votre consentement, votre enfant ne pourra pas continuer à participer au programme médical d'urgence et aucune nouvelle information ne sera collectée à son sujet. Toutefois, afin de se conformer aux exigences réglementaires, Roche sera toujours en mesure d'utiliser et de partager les données de ce programme le concernant qui ont déjà été collectées. Pour revenir sur votre consentement, vous pouvez contacter votre médecin traitant.

Si vous avez des questions, des préoccupations ou des plaintes à formuler concernant l'utilisation de vos informations par Roche, vous pouvez contacter le responsable local de la protection des données de Roche à l'adresse brussels.privacy@roche.com. Pour plus d'informations sur vos droits à la vie privée ou si vous n'êtes pas en mesure de résoudre un problème directement avec Roche et que vous souhaitez déposer une plainte, vous pouvez contacter l'Autorité de protection des données belge à l'adresse contact@apd-gba.be. L'Autorité de protection des données (APD) est chargée de veiller au respect des principes fondamentaux de la protection des données à caractère personnel.

QUI CONTACTER EN CAS DE QUESTION ?

Si vous, votre enfant ou votre famille avez des questions sur le traitement de votre enfant ou si votre enfant constate un effet secondaire, vous devez contacter le médecin traitant. Si vous demandez de l'aide urgente ou si votre enfant doit être hospitalisé, informez le médecin urgentiste que votre enfant suit un traitement par Hemlibra®.

Ne signez pas ce formulaire de consentement avant d'avoir eu l'occasion de poser toutes vos questions et d'avoir reçu toutes les réponses satisfaisantes nécessaires. Si vous avez encore des questions, n'hésitez pas à contacter le médecin traitant de votre enfant ou l'équipe de soins.

Nom du médecin :

Adresse :

Numéro de téléphone :

FORMULAIRE DE CONSENTEMENT POUR LES PARENTS D'ENFANTS (JUSQU'À 17 ans) QUI PARTICIPENT AU PROGRAMME MEDICAL D'URGENCE

L'utilisation d'Hemlibra® (emicizumab) pour le traitement de patients atteints d'hémophilie A ayant développé un inhibiteur anti-facteur VIII dans le cadre d'un programme médical d'urgence

Je déclare avoir été informé(e) du programme médical d'urgence, des objectifs, de la durée, des risques et avantages éventuels et de ce que l'on attend de moi et de mon enfant. J'ai lu le document d'information. J'ai eu assez de temps pour réfléchir et en parler avec une personne de mon choix, comme mon médecin généraliste ou un membre de ma famille. J'ai eu l'occasion de poser mes questions, et toutes ont reçu une réponse satisfaisante à mes yeux. Je comprends que la participation de mon enfant à ce programme est volontaire et que je suis libre de mettre un terme à la participation de mon enfant sans que cela ait une influence sur ma relation avec l'équipe thérapeutique en ce qui concerne la santé de mon enfant. J'accepte que le médecin traitant de mon enfant transmettra et utilisera ses données comme décrit dans ce document.

J'accepte volontairement de permettre à mon enfant de participer à ce programme médical d'urgence et de le faire traiter par Hemlibra®

J'ai reçu un exemplaire du formulaire d'information et de consentement

Nom, prénom de l'enfant

Nom, prénom du parent 1

relation avec la personne représentée
(représentant légal)

Date

signature du représentant légal 1

Nom, prénom du parent 2

relation avec la personne représentée
(représentant légal)

Date

signature du représentant légal 2

Nom, prénom du médecin traitant

Date

signature du médecin traitant