

Product Name	TRANSLARNA
Active substance	ATALUREN
Indication and conditions of use	<p>For patients who have been treated with this medicinal product as part of the clinical trials (studies 019 and 020E) that are currently in the close-out process:</p> <p>Translarna is indicated for the treatment of Duchenne muscular dystrophy resulting from a nonsense mutation in the dystrophin gene, in ambulatory patients aged 5 years and older.</p> <p>Conditions of use: Translarna (Ataluren) should be administered orally every day in 3 doses. The recommended dose is 10 mg/kg body weight in the morning, 10 mg/kg body weight at midday, and 20 mg/kg body weight in the evening (for a total daily dose of 40 mg/kg body weight).</p>
Conditions, delays and further rules for participation of patients	<p><i>Inclusion criteria:</i></p> <ul style="list-style-type: none"> - The patient with <i>Duchenne muscular dystrophy resulting from a nonsense mutation in the dystrophin gene, in ambulatory patients aged 5 years and older</i> cannot be satisfactorily treated with the approved and commercially available alternative treatments, in accordance with clinical guidelines, because of efficacy and/or safety issues. - The patient is not eligible for a clinical trial running with Translarna (ataluren) and/or a clinical trial running in the envisaged indication of this program: - patient transitioning from studies 019 and 020E due to their closing and who would like to continue to be treated with Translarna (ataluren) in accordance with the treating physician - Patients must have been clearly and completely informed by the treating physician and have signed the informed consent form before the start of the treatment. <p><i>Exclusion criteria:</i></p> <ul style="list-style-type: none"> - Contraindications: Hypersensitivity to the active substance or to any of the excipients - Concomitant use of intravenous aminoglycosides. <p>Treatment duration must be in line with the SmPC if available, or with the supporting clinical trials. Requests by the treating physician will be responded to within 3-5 business days from the responsible physician. Supply for the patient will be coordinated thereafter in consultation with the treating physician and local authorities responsible for product delivery.</p>

Duration of the program	<ul style="list-style-type: none"> • When will this program start ?: as soon as the program is authorized • Is the inclusion of patients dependent on a cohort decision or are patients accepted as soon as the program is authorized ?: patients accepted as soon as the program is authorized and will only be available to patients who are no longer in PTC's Extension Clinical Trial • When will the program end? : The program will be running until the product will be commercially available in Belgium in the envisaged indication or until, in the clinical judgement of the treating physician, the patient is no longer benefiting from continuation of the treatment, whichever is sooner. • Is the inclusion of patients dependent on a cohort decision or are patients accepted as soon as the program is authorized? : The inclusion of patients is not depending on a cohort decision.
Conditions of distribution	<p>How will patients have access to the medicinal product? Upon receiving a request from the physician, PTC will ship product directly to the hospital or the physician who will be responsible for dispensing to the patient on a quarterly basis.</p>
Responsible of the program	<p>Dr Mustapha-Kamal BENGUERBA - Medical Director - France Benelux</p> <p>PTC THERAPEUTICS - Adress: 6, RUE DURET 75116 PARIS - France</p> <p>Phone: + 33 666 21 69 92</p> <p>Email : mbenguerba@ptcbio.com</p>
Modalities for the disposal	<p>How unused or expired medicinal product should be disposed off ? Unused product should be returned to the physician who will contact PTC for disposal instructions.</p>

<p>The information for registration of suspected unexpected serious adverse reactions</p>	<p>Possible side effects</p> <p>Like all medicines, this medicine can cause side effects, although not everybody gets them. You may have one or more of the following side effects after taking Translarna:</p> <p>Very common side effects (may affect more than 1 in 10 people):</p> <ul style="list-style-type: none"> - Vomiting <p>Common side effects (may affect up to 1 in 10 people):</p> <ul style="list-style-type: none"> - Decreased appetite - High blood triglyceride levels - Headache - Feeling sick - Weight loss - High blood pressure - Cough - Nosebleed - Constipation - Wind - Stomach discomfort - Stomach pain - Rash - Arm or leg pain - Chest pain - Involuntary urination - Blood in urine - Fever <p>Frequency not known (frequency cannot be estimated from the available data)</p> <ul style="list-style-type: none"> - Increases in blood lipids - Increases in test for kidney function <p>Reporting of side effects</p> <p>Requesting Physician is solely responsible for all aspects of the medical care of the patient as related to treatment with Translarna (ataluren) and for the full and prompt reporting of any adverse events or safety events, in accordance with applicable rules and regulations, with a copy of any such event reporting to be emailed simultaneously to PTC Therapeutics at: medinfo@ptcbio.com</p>
---	---

Nom du produit	TRANSLARNA
Principe actif	ATALUREN
Indication et conditions d'utilisation	<p>Pour les patients qui ont été traités par ce médicament dans le cadre des essais cliniques (études 019 et 020E) qui sont actuellement en cours de clôture :</p> <p>Translarna est indiqué pour le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) résultant d'une mutation non-sens dans le gène de la dystrophine, chez les patients ambulatoires âgés de 5 ans et plus.</p> <p>Conditions d'utilisation : Translarna (ataluren) doit être administré par voie orale tous les jours en 3 doses. La dose recommandée est de 10 mg/kg le matin, 10 mg/kg à midi et 20 mg/kg le soir (pour une dose quotidienne totale de 40 mg/kg).</p>
Conditions, délais et autres règles de participation des patients	<p><i>Critères d'inclusion :</i></p> <ul style="list-style-type: none"> - Patient atteint de <i>dystrophie musculaire de Duchenne résultant d'une mutation non-sens dans le gène de la dystrophine, ambulatoire, âgé de 5 ans et plus</i>, ne pouvant pas être traité de manière satisfaisante par les alternatives de traitement autorisées et disponibles sur le marché, conformément aux directives cliniques, en raison de problèmes d'efficacité et/ou de sécurité d'emploi. - Le patient n'est pas éligible à un essai clinique mené avec <i>Translarna (ataluren)</i> et/ou à un essai clinique dans l'indication envisagée de ce programme : - patients en transition à partir des études 019 et 020E en raison de leur clôture et qui souhaitent continuer à être traités par Translarna (ataluren) en accord avec le médecin traitant - Les patients doivent avoir été clairement et pleinement informés par le médecin traitant et avoir signé le formulaire de consentement éclairé avant le début du traitement <p><i>Critères d'exclusion :</i></p> <ul style="list-style-type: none"> - Contre-indications : hypersensibilité au principe actif ou à l'un des excipients - Administration concomitante d'aminoglycosides par voie intraveineuse. <p>La durée du traitement doit être conforme au RCP, le cas échéant, ou en accord avec les essais cliniques à l'appui. Les demandes formulées par le médecin traitant seront traitées dans un délai de 3 à 5 jours ouvrables par le médecin responsable. L'approvisionnement du patient sera coordonné par la suite en consultation avec le médecin traitant et les autorités locales responsables de la délivrance du produit.</p>

Durée du programme	<ul style="list-style-type: none"> • Quand ce programme sera-t-il lancé ? : dès qu'il sera autorisé • L'inclusion des patients dépend-elle d'une décision concernant une cohorte ou les patients sont-ils acceptés dès que le programme est autorisé ? : les patients seront acceptés dès que le programme sera autorisé, et ce programme sera réservé aux patients qui ne participent plus à l'essai clinique d'extension de PTC • Quand le programme prendra-t-il fin ? : le programme se déroulera jusqu'à ce que le produit soit disponible sur le marché en Belgique dans l'indication envisagée ou jusqu'à ce que, de l'avis clinique du médecin traitant, la poursuite du traitement n'est plus bénéfique au patient, selon la première de ces éventualités. • L'inclusion des patients dépend-elle d'une décision concernant une cohorte, ou les patients sont-ils acceptés dès que le programme est autorisé ? : l'inclusion des patients ne dépend pas d'une décision concernant une cohorte.
Conditions de délivrance	<p>Comment les patients auront-ils accès au médicament ? Après avoir reçu une demande du médecin, PTC enverra le produit directement à l'hôpital ou au médecin qui sera responsable de la délivrance auprès du patient tous les trimestres.</p>
Responsable du programme	<p>Dr Mustapha-Kamal BENGUERBA - Directeur médical - France Benelux</p> <p>PTC THERAPEUTICS - Adresse : 6, rue Duret 75116 Paris - France</p> <p>Téléphone : + 33 666 21 69 92</p> <p>E-mail : mbenguerba@ptcbio.com</p>
Modalités d'élimination	<p>Comment le médicament inutilisé ou périmé doit-il être éliminé ? Le produit non utilisé doit être restitué au médecin qui contactera PTC pour obtenir des instructions sur la façon d'en disposer.</p>

<p>Modalités de signalement des effets indésirables graves suspectés et inattendus</p>	<p>Effets indésirables éventuels</p> <p>Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde. Vous pourriez présenter un ou plusieurs des effets indésirables suivants après la prise de Translarna :</p> <p>Effets indésirables très fréquents (pouvant toucher plus de 1 personne sur 10) :</p> <ul style="list-style-type: none"> - Vomissements <p>Effets indésirables fréquents (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10) :</p> <ul style="list-style-type: none"> - Diminution de l'appétit - Taux élevé de triglycérides dans le sang - Céphalées - Nausées - Perte de poids - Tension artérielle élevée - Toux - Saignement de nez - Constipation - Flatulences - Malaise gastrique - Maux d'estomac - Éruption cutanée - Douleurs dans les bras ou les jambes - Douleur thoracique - Miction involontaire - Présence de sang dans les urines - Fièvre <p>Fréquence inconnue (la fréquence ne peut pas être estimée à partir des données disponibles)</p> <ul style="list-style-type: none"> - Augmentation des lipides sanguins - Augmentation des valeurs mesurées par les tests de la fonction rénale <p>Signalement des effets secondaires</p> <p>Le médecin requérant est seul responsable de tous les aspects des soins médicaux du patient en relation avec le traitement par Translarna (ataluren) et du signalement exhaustif et rapide de tout événement indésirable ou événement en lien avec la sécurité d'emploi, en vertu des règles et réglementations applicables, une copie desdits signalements d'événement devant être envoyée simultanément à PTC Therapeutics à l'adresse : medinfo@ptcbio.com</p>
--	---

Naam geneesmiddel	TRANSLARNA
Naam van de actieve substantie	ATALUREN
Indicatie en gebruiksvoorwaarden	<p>Voor patiënten die met dit medicinale product zijn behandeld in het kader van de klinische onderzoeken (studies 019 en 020E) die zich momenteel in het afsluitingsproces bevinden: Translarna is geïndiceerd voor de behandeling van spierdystrofie van Duchenne als gevolg van een nonsense-mutatie in het dystrofine-gen, bij ambulante patiënten van 5 jaar en ouder. Gebruiksvoorwaarden: Translarna (Ataluren) dient elke dag oraal te worden toegediend in 3 dosissen. De aanbevolen dosis is 10 mg/kg lichaamsgewicht 's ochtends, 10 mg/kg lichaamsgewicht 's middags en 20 mg/kg lichaamsgewicht 's avonds (voor een totale dagelijks dosis van 40 mg/kg lichaamsgewicht).</p>
Voorwaarden, termijnen en nadere regels voor deelname van patiënten	<p><i>Inclusiecriteria:</i></p> <ul style="list-style-type: none"> - Patiënten van 5 jaar en ouder met <i>spierdystrofie van Duchenne als gevolg van een nonsense-mutatie in het dystrofinegen</i>, die volgens de klinische richtlijnen met de goedgekeurde en commercieel verkrijgbare alternatieve behandelingen niet adequaat kunnen worden behandeld vanwege problemen met de werkzaamheid en/of veiligheid. - Patiënten die niet geschikt zijn voor een lopend klinisch onderzoek met <i>Translarna (ataluren)</i> en/of een lopend klinisch onderzoek naar de beoogde indicatie van dit programma. - Patiënten die in een overgangsfase zijn van onderzoeken 019 en 020E omdat deze worden afgesloten en die wensen verder behandeld te worden met Translarna (ataluren) in overleg met de behandelende geneesheer. - Patiënten moeten duidelijk en volledig op de hoogte zijn gebracht door de behandelende geneesheer en moeten het formulier voor geïnformeerde toestemming hebben ondertekend alvorens met de behandeling te starten. <p><i>Exclusiecriteria:</i></p> <ul style="list-style-type: none"> - Contra-indicaties: Overgevoeligheid voor de actieve substantie of voor één van de hulpstoffen - Gelijktijdig gebruik van intraveneuze aminoglycosiden. <p>De behandelingsduur moet overeenstemmen met de SPK indien beschikbaar, of met de ondersteunende klinische onderzoeken. Op aanvragen van de behandelende geneesheer wordt binnen 3-5 werkdagen gereageerd door de verantwoordelijke geneesheer. De verstrekking van geneesmiddelen voor de patiënt wordt daarna afgestemd met de behandelende geneesheer en met de plaatselijke bevoegde instanties die verantwoordelijk zijn voor de productlevering.</p>

<p>Looptijd van het programma</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Wanneer gaat dit programma van start? Zodra het programma wordt goedgekeurd • Is de inclusie van patiënten afhankelijk van een cohortbeslissing of worden patiënten aanvaard zodra het programma is goedgekeurd? Patiënten worden aanvaard zodra het programma is goedgekeurd en zal enkel toegankelijk zijn voor patiënten die niet langer deel uitmaken van het klinisch uitbreidingsonderzoek van PTC • Wanneer eindigt het programma? Het programma loopt totdat het product commercieel verkrijgbaar is in België voor de beoogde indicatie of totdat de patiënt naar het klinisch oordeel van de behandelende geneesheer geen voordeel meer heeft van de behandeling, afhankelijk van wat zich het eerste voordoet. • Is de inclusie van patiënten afhankelijk van een cohortbeslissing of worden patiënten aanvaard zodra het programma is goedgekeurd? De inclusie van patiënten hangt niet af van een cohortbeslissing.
<p>Distributievoorwaarden</p>	<p>Hoe zullen de patiënten toegang hebben tot het geneesmiddel? Na ontvangst van een aanvraag van de geneesheer, verzendt PTC het middel rechtstreeks naar het ziekenhuis of naar de geneesheer die verantwoordelijk zal zijn voor de driemaandelijke uitreiking van het middel aan de patiënt.</p>
<p>Verantwoordelijke van het programma</p>	<p>Dr Mustapha-Kamal BENGUERBA - Medical Director - Frankrijk Benelux</p> <p>PTC THERAPEUTICS - Adres: 6, RUE DURET 75116 PARIS - Frankrijk</p> <p>Telefoon: + 33 666 21 69 92</p> <p>E-mail: mbenguerba@ptcbio.com</p>
<p>Modaliteiten voor de behandeling van niet-gebruikt geneesmiddel</p>	<p>Wat dient er te gebeuren met niet-gebruikt geneesmiddel of geneesmiddel waarvan de uiterste gebruiksdatum is verstreken? Niet-gebruikt geneesmiddel dient te worden terugbezorgd aan de geneesheer die met PTC contact zal opnemen voor instructies voor de verwijdering.</p>

<p>Gegevens voor de registratie van vermoedelijke onverwachte ernstige ongewenste bijwerkingen</p>	<p>Mogelijke bijwerkingen</p> <p>Zoals alle geneesmiddelen kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen veroorzaken, hoewel niet iedereen die krijgt. U kunt één of meer van de volgende bijwerkingen krijgen na het innemen van Translarna:</p> <p>Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen optreden bij meer dan 1 op de 10 mensen):</p> <ul style="list-style-type: none"> - Braken <p>Vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen optreden bij tot 1 op de 10 mensen):</p> <ul style="list-style-type: none"> - Verminderde eetlust - Verhoogde bloedspiegel van triglyceride - Hoofdpijn - Zich misselijk voelen - Gewichtsverlies - Hoge bloeddruk - Hoest - Neusbloedingen - Constipatie - Winderigheid - Ongemak in de maag - Maagpijn - Huiduitslag - Pijn in de armen of benen - Pijn op de borst - Ongecontroleerd plassen - Bloed in de urine - Koorts <p>Frequentie niet bekend (kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald)</p> <ul style="list-style-type: none"> - Verhoogde bloedspiegel van vetten - Verhoogde waarden bij nierfunctietest <p>Melding van bijwerkingen</p> <p>De geneesheer die de aanvraag doet, is als enige verantwoordelijk voor alle aspecten van de medische zorg voor de patiënt die verband houdt met de behandeling met Translarna (ataluren) en voor het volledig en onmiddellijk melden van alle bijwerkingen of incidenten die met de veiligheid verband houden, in overeenstemming met de toepasselijke regels en voorschriften, waarbij een kopie van iedere melding van een bijwerking of incident tegelijkertijd tijd naar PTC Therapeutics via e-mail gestuurd moet worden naar het adres: medinfo@ptcbio.com</p>
--	---