

Naam geneesmiddel	RAXONE®
Werkzame stof	idebenone
Indicatie en gebruiksvoorwaarden	<p>Indicatie: Ziekte van Duchenne bij patiënten die niet gelijktijdig met glucocorticosteroiden worden behandeld.</p> <p>Gebruiksvoorwaarden: De dosis voor Raxone® is 900 mg/dag, verdeeld over drie doses. Elke Raxone®-tablet bevat 150 mg idebenone en moet met voedsel worden ingenomen. U dient driemaal daags twee tabletten in te nemen bij de maaltijd, wat neerkomt op zes tabletten per dag. Zes tabletten komen overeen met een totale dosis van 900 mg.</p>
Voorwaarden, uitstel en overige regels voor deelname van patiënten	<p>Aanvang en duur van de behandeling: Nadat uw arts u volledig over de behandeling met Raxone® heeft geïnformeerd en nadat u (en, indien nodig, uw voogd) schriftelijk toestemming heeft (hebben) gegeven, zal uw behandelend arts een schriftelijk verzoek versturen naar de verantwoordelijke arts van het programma (Prof. dr. Gunnar Buyse). Dit schriftelijke verzoek omvat een kopie van uw identiteitsbewijs. De verantwoordelijke arts zal binnen de 5 werkdagen zijn gemotiveerde beslissing aan de verantwoordelijke persoon binnen Santhera, Dr. Roxana Donisa Dreglici meedelen. Santhera zal binnen de 3 werkdagen de beslissing betreffende uw inclusie in het MNP aan uw behandelende arts communiceren. De verantwoordelijke arts en de behandelend arts zullen het schriftelijke verzoek, het formulier met patiënteninformatie, het toestemmingsformulier en een kopie van uw identiteitsbewijs gedurende tien jaar in archief houden.</p> <p>Voorwaarden voor toelating tot het medisch noodprogramma (MNP):</p> <ul style="list-style-type: none"> • Een gedocumenteerde diagnose van de ziekte van Duchenne. • Bij aanvang van de behandeling minimaal 8 en maximaal 18 jaar oud zijn. • Een ondertekend informatie- en toestemmingsformulier. • Niet in aanmerking komen voor deelname aan een klinische studie die momenteel in België uitgevoerd wordt in dezelfde indicatie met name een klinische studie in de ziekte van Duchenne. • Geen deelname aan andere therapeutische onderzoeken en/of inname van een onderzoeksmiddel. • Geen chronisch gebruik van glucocorticosteroiden. <p>Behandelingsperiode: De duur van de behandeling wordt in de loop van het MNP bepaald naar het inzicht van de behandelend arts.</p>
Duur van het programma	<p>Er zal een cohortbeslissing voor gebruik van Raxone® bij de ziekte van Duchenne worden aangevraagd. Het programma gaat van start op de indieningsdatum van het verzoek om een cohortaanvraag.</p> <p>Het medisch noodprogramma (MNP) loopt totdat Raxone® in België in de handel wordt gebracht voor de behandeling van de ademfunctie bij de ziekte</p>

van Duchenne. Indien echter een cohortbeslissing/terugbetalingsaanvraag of vergunningsaanvraag voor Raxone® voor de indicatie ziekte van Duchenne wordt afgewezen, zal het MNP worden beëindigd. Indien het programma stopgezet wordt wegens het weigeren van cohortbeslissing of een definitieve terugbetaling zullen de patiënten opgenomen in het MNP kosteloos verder behandeld worden met Raxone® zolang hun behandelende arts oordeelt dat de patiënt er baat bij heeft. Indien de cohortbeslissing of de definitieve terugbetaling niet alle patiënten omvat die opgenomen zijn in het MNP programma, zullen de patiënten die buiten de cohort/terugbetalingscriteria vallen, eveneens kosteloos verder behandeld worden met Raxone® zolang hun behandelende arts oordeelt dat de patiënt er baat bij heeft.

<p>Voorwaarden voor distributie</p>	<p>Bij elk bezoek aan uw behandelend arts ontvangt u genoeg Raxone® tot het volgende bezoek aan uw arts. Het geneesmiddel dient op een veilige plaats te worden bewaard bij kamertemperatuur (tussen 15°C en 25°C). Op grond van de informatie op het eerste aanvraagformulier wordt Raxone® geleverd aan de ziekenhuisapotheker of rechtstreeks aan de behandelend arts.</p>											
<p>Verantwoordelijk arts voor het programma</p>	<p>Prof. Dr. Gunnar Buyse UZ-Gasthuisberg Herestraat 49 3000 Leuven E-mail: gunnar.buyse@uzleuven.be Telefoon : +32 16 34 38 45 Fax : +32 16 34 84 42</p>											
<p>Verantwoordelijke voor het programma</p>	<p>Roxana Donisa Dreglici, M.D. Senior Clinical Research Physician Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd Hammerstrasse 49 CH-4410 Liestal Switzerland Email: Roxana.Dreglici@santhera.com Tel +41 61 906 89 29 GSM +41 79 923 13 21</p>											
<p>Modaliteiten voor het verwijderen</p>	<p>Wanneer de deelname aan het medisch noodprogramma (MNP) wordt beëindigd, moet alle ongebruikte medicatie aan de behandelend arts worden teruggegeven. Gebruikte medicatie of medicatie waarvan de uiterste houdbaarheidsdatum is verstreken zullen door de ziekenhuisapothek worden vernietigd conform de toepasselijke voorschriften.</p>											
<p>De informatie voor registratie van vermoedelijke, onverwachte ernstige ongewenste reacties</p>	<p>De behandelend arts is verantwoordelijk voor zijn/haar patiënten die worden behandeld met Raxone® in het kader van het medisch noodprogramma (MNP). De arts evalueert regelmatig het welzijn van zijn/haar patiënten en zal aandacht besteden aan mogelijke nadelige effecten van het geneesmiddel. De meest voorkomende bijwerkingen van Raxone® (die bij meer dan één op de tien mensen kunnen voorkomen) zijn nasofaryngitis en hoesten; lichte tot matige diarree en rugpijn komen ook regelmatig voor (bij maximaal één op de tien mensen). Er kan ook sprake zijn van rode verkleuring van de urine, maar dit is een onschuldig verschijnsel.</p> <p>De onderstaande tabel vermeldt de bijwerkingen die zijn gezien in klinische onderzoeken met LHON-patiënten (een andere indicatie van Raxone®) of die bij andere indicaties zijn gemeld na het in de handel brengen. De frequentiegroepen zijn als volgt gedefinieerd: zeer vaak (≥1/10), vaak (≥1/100, <1/10) en niet bekend (kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald).</p> <table border="1" data-bbox="528 1771 1479 2022"> <thead> <tr> <th>Stelsel/orgaan</th> <th>Voorkeursterm</th> <th>Frequentie</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>Infecties en parasitaire aandoeningen</td> <td>Nasofaryngitis Bronchitis</td> <td>Zeer vaak Niet bekend</td> </tr> <tr> <td>Bloed- en lymfestelselaandoeningen</td> <td>Agranulocytose, anemie, leukocytopenie, trombocytopenie, neutropenie</td> <td>Niet bekend</td> </tr> </tbody> </table>			Stelsel/orgaan	Voorkeursterm	Frequentie	Infecties en parasitaire aandoeningen	Nasofaryngitis Bronchitis	Zeer vaak Niet bekend	Bloed- en lymfestelselaandoeningen	Agranulocytose, anemie, leukocytopenie, trombocytopenie, neutropenie	Niet bekend
Stelsel/orgaan	Voorkeursterm	Frequentie										
Infecties en parasitaire aandoeningen	Nasofaryngitis Bronchitis	Zeer vaak Niet bekend										
Bloed- en lymfestelselaandoeningen	Agranulocytose, anemie, leukocytopenie, trombocytopenie, neutropenie	Niet bekend										

	Voedings- en stofwisselingsstoornissen	Verhoogde concentratie cholesterol in het bloed, verhoogde concentratie triglyceriden in het bloed	Niet bekend
	Zenuwstelselaandoeningen	Toeval, delirium, hallucinaties, agitatie, dyskinesie, hyperkinesie, poriomanie, duizeligheid, hoofdpijn, rusteloosheid, stupor	Niet bekend
	Ademhalingsstelsel-, borstkas- en mediastinumaandoeningen	Hoesten	Zeer vaak
	Maagdarmsstelselaandoeningen	Diarree Misselijkheid, overgeven, anorexie, dyspepsie	Vaak Niet bekend
	Lever- en galaandoeningen	Verhoogde alanineaminotransferase, verhoogde aspartaataminotransferase, verhoogde alkalische fosfatase in het bloed, verhoogde lactaatdehydrogenase in het bloed, verhoogde gamma-glutamyltransferase, verhoogde bilirubine in het bloed, hepatitis	Niet bekend
	Huid- en onderhuidaandoeningen	Huiduitslag, pruritus	Niet bekend
	Skeletspierstelsel- en bindweefselstoornissen	Rugpijn Pijn in ledematen	Vaak Niet bekend
	Nier- en urinewegaandoeningen	Azotemie, chromaturie	Niet bekend
	Algemene aandoeningen en toedieningsplaatsstoornissen	Malaise	Niet bekend
<p>Een patiënt kan ook bijwerkingen ondervinden die momenteel niet bekend zijn. Daarom is het belangrijk dat elke patiënt zijn/haar arts bij elk bezoek, of zelfs tussen twee bezoeken in, inlicht over eventuele ongebruikelijke gezondheidsverschijnselen. Indien een patiënt een ernstige bijwerking ondervindt, meldt de behandelend arts dit direct aan Santhera, de fabrikant van Raxone®. Santhera zal direct het FAGG van deze bijwerking op de hoogte brengen.</p>			

Nom du médicament	RAXONE®
Substance active	Idébénone
Indication et posologie	<p>Indication : Dystrophie musculaire de Duchenne chez les patients ne prenant pas de traitement concomitant par glucocorticoïdes</p> <p>Posologie : La posologie de Raxone® est 900mg par jour à répartir en 3 doses. Chaque comprimé de Raxone® contient 150mg d'idébénone et doit être pris avec de la nourriture. Vous devez prendre 2 comprimés, trois fois par jour au moment des repas, soit 6 comprimés par jour en tout. 6 comprimés représentent une dose totale de 900mg.</p>
Conditions, délais et autres modalités d'admission des patients	<p>Début du traitement et durée du traitement : Quand votre médecin vous aura communiqué toutes les informations utiles à propos du traitement avec Raxone® et quand vous (et votre tuteur légal, si nécessaire) aurez donné votre consentement par écrit, votre médecin traitant adressera une demande écrite au médecin responsable du programme (<i>Prof. Dr Gunnar Buyse</i>). Cette demande écrite sera accompagnée d'une copie de votre pièce d'identité. Le médecin responsable fournira son avis motivé dans les 5 jours ouvrés à la personne responsable du programme chez Santhera, Dr. Roxana Donisa Dreghici. Santhera communiquera dans les 3 jours ouvrés à votre médecin traitant la décision concernant votre inclusion dans le programme médical d'urgence. Le médecin responsable du programme et le médecin traitant conserveront la demande écrite, le feuillet d'information du patient, le formulaire de consentement éclairé et la copie de votre pièce d'identité pendant une période de dix ans.</p> <p>Conditions d'admission au programme médical d'urgence (MNP) :</p> <ul style="list-style-type: none"> • Un diagnostic documenté de dystrophie musculaire de Duchenne • Être âgé entre 8 et 18 ans au début du traitement • Un feuillet d'information et un formulaire de consentement éclairé signés • Ne pas être éligible pour un essai clinique en cours en Belgique dans la même indication, c'est-à-dire, une étude clinique concernant la dystrophie musculaire de Duchenne. • Ne pas participer à un autre essai thérapeutique et/ou ne pas utiliser de médicaments à l'étude • Ne pas utiliser de glucocorticoïdes de manière chronique <p>Durée du traitement : La durée du traitement dépend de la décision du médecin traitant pendant le MNP.</p>

<p>Durée du programme</p>	<p>Une demande de décision de cohorte sera introduite pour l'utilisation de Raxone® pour le traitement de la dystrophie musculaire de Duchenne. Le programme débutera le jour de soumission de la demande de décision de cohorte.</p> <p>Le programme médical d'urgence (MNP) sera poursuivi jusqu'à ce que Raxone® soit disponible sur le marché belge pour le traitement de la fonction respiratoire des patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne. Cependant, si une demande de décision de cohorte/remboursement ou une demande d'autorisation de mise sur le marché à des fins d'utilisation de Raxone® pour le traitement de la DMD est refusée, le MNP programme médical d'urgence est interrompu. Dans le cas d'un arrêt du programme en raison du refus de la décision de cohorte ou d'un remboursement définitif, les patients déjà intégrés dans le programme médical d'urgence seront traités gratuitement avec Raxone® aussi longtemps que le médecin traitant jugera que le patient doit continuer à en bénéficier. Dans le cas où la décision de cohorte ou d'un remboursement définitif ne concerne pas tous les patients intégrés dans le programme médical d'urgence, les patients ne relevant pas du critère cohorte/remboursement continueront également à être traités gratuitement avec Raxone® aussi longtemps que le médecin traitant jugera que le patient doit continuer à en bénéficier.</p>
<p>Conditions de distribution</p>	<p>À chaque visite chez votre médecin traitant, vous recevrez suffisamment de Raxone® pour en avoir jusqu'à la visite suivante. Le médicament doit être conservé en lieu sûr à température ambiante (entre 15 °C et 25 °C). Raxone® sera livré à la pharmacie de l'hôpital ou directement au médecin traitant en fonction des informations figurant sur le document initial de demande.</p>
<p>Médecin responsable du programme</p>	<p>Prof. Dr. Gunnar Buyse UZ-Gasthuisberg Herestraat 49 3000 Leuven E-mail: gunnar.buyse@uzleuven.be Tel : +32 16 34 38 45 Fax : +32 16 34 84 42</p>
<p>Responsable du programme</p>	<p>Roxana Donisa Dreghici, M.D. Senior Clinical Research Physician Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd Hammerstrasse 49 CH-4410 Liestal Switzerland Email: Roxana.Dreghici@santhera.com Tel +41 61 906 89 29 Mobile +41 79 923 13 21</p>

<p>Modalités d'élimination</p>	<p>À la fin de la participation au programme médical d'urgence (MNP), tous les comprimés inutilisés devront être restitués au médecin traitant. La pharmacie de l'hôpital détruira les comprimés inutilisés ou périmés conformément à la législation applicable.</p>																							
<p>Informations pour l'enregistrement de présomptions d'effets indésirables graves inattendus</p>	<p>Le médecin traitant sera responsable de ses patients qui prennent Raxone® dans le cadre du programme médical d'urgence (MNP). Le médecin évaluera régulièrement le bien-être de ses patients et surveillera les éventuels effets secondaires du médicament. Les effets secondaires les plus fréquents de Raxone® (survenant chez plus d'une personne sur dix) sont : rhinopharyngite et toux. D'autres effets secondaires fréquemment rapportés (survenant chez jusqu'à une personne sur dix) sont : diarrhées légères à modérées et douleurs dorsales. Une coloration rouge de l'urine est aussi possible mais cet effet ne présente pas de danger.</p> <p>Les effets indésirables survenus au cours d'essais cliniques réalisés auprès de patients atteints de NOHL (une autre indication de Raxone®) ou signalés après la mise sur le marché dans d'autres indications sont présentés dans le tableau ci-dessous. Les groupes de fréquence sont définis selon la convention suivante : très fréquent ($\geq 1/10$), fréquent ($\geq 1/100$ à $< 1/10$), fréquence indéterminée (ne peut être estimée sur la base des données disponibles).</p> <table border="1" data-bbox="528 1088 1485 2020"> <thead> <tr> <th data-bbox="528 1088 836 1162">Classe de systèmes d'organes</th> <th data-bbox="836 1088 1254 1162">Terme privilégié</th> <th data-bbox="1254 1088 1485 1162">Fréquence</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td data-bbox="528 1162 836 1267">Infections et infestations</td> <td data-bbox="836 1162 1254 1267">Rhinopharyngite Bronchite</td> <td data-bbox="1254 1162 1485 1267">Très fréquents Fréquence indéterminée</td> </tr> <tr> <td data-bbox="528 1267 836 1413">Affections hématologiques et du système lymphatique</td> <td data-bbox="836 1267 1254 1413">Agranulocytose, anémie, leucopénie, thrombopénie, neutropénie</td> <td data-bbox="1254 1267 1485 1413">Fréquence indéterminée</td> </tr> <tr> <td data-bbox="528 1413 836 1559">Troubles du métabolisme et de la nutrition</td> <td data-bbox="836 1413 1254 1559">Augmentation du taux de cholestérol, augmentation du taux de triglycérides</td> <td data-bbox="1254 1413 1485 1559">Fréquence indéterminée</td> </tr> <tr> <td data-bbox="528 1559 836 1771">Affections du système nerveux</td> <td data-bbox="836 1559 1254 1771">Convulsions, délire, hallucinations, agitation, dyskinésie, hyperkinésie, poriomanie, vertiges, maux de tête, agitation, stupeur</td> <td data-bbox="1254 1559 1485 1771">Fréquence indéterminée</td> </tr> <tr> <td data-bbox="528 1771 836 1917">Affections respiratoires, thoraciques et médiastinales</td> <td data-bbox="836 1771 1254 1917">Toux</td> <td data-bbox="1254 1771 1485 1917">Très fréquents</td> </tr> <tr> <td data-bbox="528 1917 836 2020">Affections gastro-intestinales</td> <td data-bbox="836 1917 1254 2020">Diarrhée Nausées, vomissements, anorexie, dyspepsie</td> <td data-bbox="1254 1917 1485 2020">Fréquents Fréquence indéterminée</td> </tr> </tbody> </table>			Classe de systèmes d'organes	Terme privilégié	Fréquence	Infections et infestations	Rhinopharyngite Bronchite	Très fréquents Fréquence indéterminée	Affections hématologiques et du système lymphatique	Agranulocytose, anémie, leucopénie, thrombopénie, neutropénie	Fréquence indéterminée	Troubles du métabolisme et de la nutrition	Augmentation du taux de cholestérol, augmentation du taux de triglycérides	Fréquence indéterminée	Affections du système nerveux	Convulsions, délire, hallucinations, agitation, dyskinésie, hyperkinésie, poriomanie, vertiges, maux de tête, agitation, stupeur	Fréquence indéterminée	Affections respiratoires, thoraciques et médiastinales	Toux	Très fréquents	Affections gastro-intestinales	Diarrhée Nausées, vomissements, anorexie, dyspepsie	Fréquents Fréquence indéterminée
Classe de systèmes d'organes	Terme privilégié	Fréquence																						
Infections et infestations	Rhinopharyngite Bronchite	Très fréquents Fréquence indéterminée																						
Affections hématologiques et du système lymphatique	Agranulocytose, anémie, leucopénie, thrombopénie, neutropénie	Fréquence indéterminée																						
Troubles du métabolisme et de la nutrition	Augmentation du taux de cholestérol, augmentation du taux de triglycérides	Fréquence indéterminée																						
Affections du système nerveux	Convulsions, délire, hallucinations, agitation, dyskinésie, hyperkinésie, poriomanie, vertiges, maux de tête, agitation, stupeur	Fréquence indéterminée																						
Affections respiratoires, thoraciques et médiastinales	Toux	Très fréquents																						
Affections gastro-intestinales	Diarrhée Nausées, vomissements, anorexie, dyspepsie	Fréquents Fréquence indéterminée																						

	Affections hépatobiliaires	Augmentation du taux d'alanine aminotransférase, augmentation du taux d'aspartate aminotransférase, augmentation du taux sanguin de phosphatase alcaline, augmentation du taux sanguin de lactate déshydrogénase, augmentation du taux de gamma-glutamyltransférase, augmentation du taux sanguin de bilirubine, hépatite	Fréquence indéterminée
	Affections de la peau et des tissus sous-cutanés	Éruption cutanée, prurit	Fréquence indéterminée
	Affections musculo-squelettiques et systémiques	Douleurs dorsales Douleurs aux extrémités	Fréquents Fréquence indéterminée
	Affections du rein et des voies urinaires	Azotémie, chromaturie	Fréquence indéterminée
	Troubles généraux et anomalies au site d'administration	Malaise	Fréquence indéterminée
<p>Un patient peut aussi ressentir des effets secondaires qui ne sont pas encore connus. Il est donc très important que chaque patient signale à son médecin tout problème de santé inhabituel lors de chaque visite ou même entre les visites. Si un patient ressent un effet secondaire grave, le médecin traitant en avisera directement Santhera, le fabricant de Raxone®, qui en informera directement l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS).</p>			