

### **Een medisch noodprogramma voor Raxone® bij jonge patiënten met de ziekte van Duchenne die niet gelijktijdig glucocorticosteroiden gebruiken (SNT-MNP-001)**

#### **Informatie voor de patiënt en toestemmingsformulier**

##### Voorstel voor deelname aan het medisch noodprogramma

Geachte patiënt,

Santhera Pharmaceuticals (Germany) GmbH ('Santhera') heeft een medisch noodprogramma ontwikkeld voor het gebruik van Raxone® bij patiënten in de leeftijd van 8 tot 18 jaar met de ziekte van Duchenne die niet gelijktijdig met glucocorticosteroiden worden behandeld.

Je arts heeft je uitgenodigd hieraan deel te nemen omdat hij/zij denkt dat je baat zou kunnen hebben bij een behandeling met Raxone® (idebenone).

Voordat je besluit of je wel of niet aan dit programma wilt meedoen, is het belangrijk dat je goed begrijpt waarom dit medisch noodprogramma is ontwikkeld en wat het voor jou inhoudt. Neem rustig de tijd om dit informatieblad door te lezen. In dit informatieblad en het toestemmingsformulier kunnen moeilijke woorden staan. Als je iets niet begrijpt, vraag je dokter dan gerust of hij/zij het aan je wil uitleggen. Laat het ons weten als iets niet duidelijk is of als je meer informatie wilt. Als je eenmaal weet wat dit programma precies inhoudt en je eraan mee wilt doen, vragen we je een toestemmingsformulier te ondertekenen.

Als je nog geen 18 jaar bent, vragen we je ouders (of voogd) ook om toestemming en ook zij moeten dit formulier ondertekenen.

##### Wat is een medisch noodprogramma?

In het kader van een 'medisch noodprogramma' worden geneesmiddelen die in België zijn goedgekeurd, maar nog niet op de markt zijn gebracht, gratis beschikbaar gesteld aan een groep patiënten zoals jij, die naar de mening en klinische beoordeling van je dokter baat zouden kunnen hebben bij een behandeling met deze geneesmiddelen.

Een medisch noodprogramma is alleen mogelijk voor patiënten die lijden aan een chronische, zeer slopende of levensbedreigende ziekte die onvoldoende kan worden behandeld met een geneesmiddel dat voor die specifieke ziekte verkrijgbaar is op de Belgische markt.

Bovendien moeten er voor de aandoening waarvoor het medisch noodprogramma is bedoeld nog klinische onderzoeken lopen naar de medicatie of moet een aanvraag voor een handelsvergunning zijn ingediend (verzoek om toestemming voor het op de markt brengen van de medicatie).

## Behandeling met Raxone® (idebenone)

Het ontbreken van het eiwit dystrofine bij patiënten met de ziekte van Duchenne leidt tot een aantal biochemische reacties die de werking van de mitochondria (kleine onderdelen van de cel) beïnvloeden. Mitochondria worden ook wel de energiecentrales van de cel genoemd omdat ze voortdurend energie uit ons voedsel halen die de cel kan gebruiken. Zenuw- en spiercellen, waaronder long- en hartspiercellen, zijn bijzonder gevoelig voor slecht werkende mitochondria omdat ze heel veel energie nodig hebben.

Raxone® is een molecule dat ervoor zou kunnen zorgen dat de mitochondria hun werk blijven doen en schade aan de cel wordt beperkt. Op die manier krijgt aangetast zenuw- en spierweefsel bij patiënten met de ziekte van Duchenne meer energie.

Santhera Pharmaceuticals heeft Raxone® in twee klinische onderzoeken getest bij patiënten met de ziekte van Duchenne. Uit de afsluitende analyses van deze onderzoeken is gebleken dat Raxone® de afname van de ademhalingsfunctie op een veilige manier kan afremmen bij patiënten met de ziekte van Duchenne.

## Wat wordt er van je verwacht? – Verloop van het medisch noodprogramma

Als je het toestemmingsformulier hebt ondertekend, stuurt je dokter een verzoek naar de dokter die verantwoordelijk is voor het programma, (Dr Gunnar Buyse) om je in te mogen schrijven. Je dokter zal professor Gunnar Buyse ook een kopie sturen van een document waaruit je identiteit blijkt en een kopie van het door jou ondertekende toestemmingsformulier, zodat hij je deelname kan goedkeuren. Professor Buyse en je dokter zullen dit verzoek tot deelname en je persoonlijke gegevens 10 jaar lang bewaren.

Als je aan dit medisch noodprogramma meedoet, krijg je Raxone® tijdens je gebruikelijke bezoeken aan het ziekenhuis (in ieder geval om de 6 maanden) totdat het geneesmiddel in België op de markt komt voor de behandeling van de ziekte van Duchenne of totdat het programma wordt stopgezet om redenen die hieronder worden beschreven.

Je hoeft niet vaker bij je dokter langs te komen of extra onderzoeken te ondergaan als je aan dit medisch noodprogramma meedoet.

Je dokter is verantwoordelijk voor je terwijl je in het kader van dit programma met Raxone® wordt behandeld. Hij/zij zal regelmatig controleren of het goed met je gaat en opletten of je bijwerkingen krijgt van Raxone®. Neem onmiddellijk contact op met je dokter als je last krijgt van bijwerkingen, ziektes, letsel of andere problemen tijdens je behandeling. Hij/zij zal beslissingen nemen over je behandeling met Raxone® en wat er moet gebeuren als je bijwerkingen krijgt. Als onderdeel van je standaardbehandeling voert je dokter een aantal standaard medische testen uit, zoals een bloedtest en testen om je hartslag en ademhalingsfunctie te controleren. Je dokter vraagt je ook of je nog andere geneesmiddelen hebt gebruikt (waaronder geneesmiddelen die je zelf hebt gekocht), of je kort geleden iets hebt veranderd in je medicatie en of je bent gestopt met bepaalde medicatie. Hij/zij vraagt ook naar je huidige gezondheid. Daarna beslist je dokter welke onderzoeken er nodig zijn.

Bij elk bezoek krijg je genoeg Raxone® tot je volgende bezoek. Bewaar de medicatie op een veilige plaats bij kamertemperatuur (tussen de 15°C en 25°C). Neem drie keer per

dag twee tabletten in bij een maaltijd. Dit betekent dat je elke dag 6 tabletten moet slikken. Elke Raxone®-tablet bevat 150 mg idebenone en 6 tabletten komen overeen met een dosis van 900 mg per dag. We vragen je alle ongebruikte tabletten terug te brengen wanneer je deelname aan dit medisch noodprogramma stopt.

Je dokter kan uitslagen van standaard medische testen voor onderzoeksdoeleinden doorgeven aan Santhera zonder je identiteit bekend te maken. Persoonlijke gegevens die tijdens dit programma worden opgeslagen, worden vervangen door een code. Alleen deze code wordt voor je gegevens gebruikt. Je dokter is de enige die weet bij welke persoon de code hoort. Op basis van de analyse van deze gegevens kan de risico-batenverhouding van Raxone® voor de behandeling van de ziekte van Duchenne verder worden beoordeeld. Alle gegevens worden verwerkt in overeenstemming met de Belgische wet voor de bescherming van persoonsgegevens.

Er is echter een mogelijkheid dat Santhera of medewerkers van Santhera, leden van de Medisch-Ethische Toetsingscommissie van UZ Leuven of het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) directe inzage moeten hebben in je medisch dossier om de gegevens te controleren. Dit gebeurt alleen in overeenstemming met de relevante lokale wetgeving en zonder de vertrouwelijkheid van de gegevens te schenden.

Je dokter mag de medische gegevens over je diagnose en behandeling met Raxone® alleen doorgeven aan Santhera als jij (en, indien nodig, je voogd) het toestemmingsformulier (op de laatste pagina) hebt (hebben) ondertekend. Vertel het ook aan je huisarts dat je meedoet aan dit medisch noodprogramma.

### Wat zijn de mogelijke bijwerkingen van Raxone®?

Een aantal patiënten die deelnamen aan onderzoeken naar Raxone® (idebenone) kregen last van bijwerkingen, en het kan zijn dat je diarree krijgt of misselijk wordt tijdens je behandeling met Raxone®. Deze bijwerkingen waren meestal licht tot matig van ernst en het was niet nodig de behandeling met Raxone® stop te zetten.

Een allergische reactie kan niet worden uitgesloten, maar komt zelden voor.

Raxone® kan ook je urine rood kleuren, maar dit kan geen kwaad.

Er kunnen altijd bijwerkingen optreden die op dit moment nog niet bekend zijn. Daarom is het belangrijk dat je het je dokter bij elk bezoek – of zelfs tussen bezoeken door – vertelt als je je ongebruikelijk slap of ziek voelt of als je last krijgt van iets waarvan je denkt dat het een bijwerking zou kunnen zijn.

Als je last krijgt van ernstige bijwerkingen, moet je dokter Santhera onmiddellijk inlichten. Santhera zal vervolgens direct contact opnemen met het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG).

De tabletten bevatten kleine hoeveelheden lactose, een suiker die in melk zit. De hoeveelheid lactose in de tabletten is klein en zelfs als je een lactose-intolerantie hebt, zou je lichaam in staat moeten zijn de pillen zonder problemen te verwerken. Het geneesmiddel is niet geschikt voor patiënten met zeldzame erfelijke vormen van

lactose-intolerantie, zoals Lapp-lactasedeficiëntie of glucose-galactosemalabsorptie. Voor aanvullende informatie kun je altijd contact opnemen met je dokter. Hij/zij kan je ook verwijzen naar de 'Idebenone Investigator Brochure (IB)', waarin alle beschikbare informatie over Raxone® is samengevat.

### **Overige mogelijke behandelingen**

Uit onderzoeken die Santhera heeft uitgevoerd naar Raxone® bij patiënten met de ziekte van Duchenne is gebleken dat een behandeling met Raxone® de achteruitgang van de ademhalingsfunctie kan afremmen bij patiënten die niet gelijktijdig glucocorticosteroiden gebruiken. Daarom worden alleen patiënten die geen behandeling met glucocorticosteroiden ondergaan, zoals prednison of deflazacort, uitgenodigd aan dit medisch noodprogramma mee te doen.

Licht je dokter in als er iets verandert in de medicatie die je op dit moment gebruikt.

In de periode dat je Raxone® gebruikt in het kader van het medisch noodprogramma, mag je in geen geval andere onderzoeksmiddelen gebruiken of deelnemen aan een ander klinisch onderzoek.

### **Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar komt?**

Santhera licht je dokter in en hij/zij zal met je praten als er iets moet worden veranderd in het medisch noodprogramma om je gezondheid te beschermen. Je dokter zal je ook inlichten als er een nieuwe of betere behandeling voor je ziekte beschikbaar komt. Ook als er nieuwe informatie naar voren komt over Raxone® zal je dokter je dit vertellen en met je bespreken of je de behandeling met Raxone® wel of niet wilt voortzetten. Zo ja, dan zal je dokter je vragen een nieuwe, bijgewerkte versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen. Als je besluit te stoppen met de behandeling met Raxone®, zal je dokter ervoor zorgen dat je zo goed mogelijk verder wordt behandeld voor de ziekte van Duchenne.

Het is ook mogelijk dat je dokter op basis van de nieuwe informatie beslist dat je het beste kunt stoppen met de Raxone®-behandeling. Hij/zij zal de redenen hiervoor aan je uitleggen en ervoor zorgen dat je zo goed mogelijk verder wordt behandeld voor de ziekte van Duchenne.

### **Vrijwillige toestemming / recht om te stoppen met de behandeling?**

Je beslist volledig vrijwillig of je met Raxone® behandeld wilt worden of niet. Bovendien mag je op elk moment van gedachten veranderen en besluiten te stoppen met Raxone® of je toestemming intrekken voor het gebruik van je medische gegevens zonder dat je hiervoor een reden hoeft te geven. Als je niet meer aan dit medisch noodprogramma wilt meedoen, zeg dit dan tegen je dokter. Hij/zij zal je deelname dan stopzetten.

Deze beslissing heeft geen enkele invloed op je verdere medische zorg.

### **Wat gebeurt er na afloop van het medisch noodprogramma?**

Hoe lang je behandeling met Raxone® duurt, hangt ervan af hoe je op het geneesmiddel reageert. Je kunt met de behandeling doorgaan zolang je dokter denkt dat je er baat bij hebt. Je het recht om op elk moment te stoppen met Raxone®. Je zult hier geen nadelen

van ondervinden en het zal geen enkele invloed hebben op je verder medische zorg. Je dokter kan ook beslissen je deelname aan het medisch noodprogramma te beëindigen zonder jouw toestemming, als hij/zij dit nodig vindt. Als je ziekte bijvoorbeeld verergert of als je niet tegen de behandeling kunt omdat je ernstige bijwerkingen krijgt, als je je niet houdt aan de instructies die je voor je behandeling hebt gekregen, als er nieuwe informatie beschikbaar komt waaruit blijkt dat je geen baat meer hebt bij de behandeling of als je door omstandigheden niet in staat bent vrijwillig in te stemmen met de behandeling. Het is ook mogelijk dat Santhera of het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) dit medisch noodprogramma moet stopzetten. We zullen je in ieder geval vertellen waarom het medisch noodprogramma wordt stopgezet of waarom je er niet meer aan kunt deelnemen.

We zullen alles doen om ervoor te zorgen dat je veiligheid niet in gevaar komt en dat je de behandeling krijgt die voor jou het beste is.

Zodra Raxone® in België op de markt komt voor de behandeling van de ziekte van Duchenne, wordt dit medisch noodprogramma stopgezet.

### Vergoeding

In het kader van dit medisch noodprogramma (SNT-MNP-001) wordt Raxone® gratis aan je gegeven. De kosten voor andere ingrepen en alle andere medische onderzoeken en noodzakelijke andere medicatie worden niet door Santhera betaald. Voor eventuele vergoedingen zijn de gebruikelijke regels van toepassing.

### Medisch-ethische toetsing

De Medisch-Ethische Toetsingscommissie van UZ Leuven heeft dit document, de doelstellingen en het voorgestelde verloop van de behandeling met Raxone® bekeken en heeft een positief oordeel gegeven over dit medisch noodprogramma.

### Vragen

Als jij of je familieleden vragen hebben over de behandeling of wat er gebeurt als je letsel oploopt als gevolg van de behandeling met Raxone®, kun je contact opnemen met je dokter. Als je met spoed medische hulp nodig hebt of als je in het ziekenhuis moet worden opgenomen, vertel de dokter dan dat je deelneemt aan een medisch noodprogramma waarbij je wordt behandeld met Raxone®.

Onderteken dit formulier niet voordat je de gelegenheid hebt gehad om vragen te stellen en een bevredigend antwoord op al je vragen hebt gekregen.

## TOESTEMMINGSFORMULIER

### Een medisch noodprogramma voor Raxone® bij jonge patiënten met de ziekte van Duchenne die niet gelijktijdig glucocorticosteroiden gebruiken (SNT-MNP-001)

- Ik heb de ziekte van Duchenne en mijn dokter heeft voorgesteld mij met Raxone® te behandelen.
- Hij/zij heeft de behandeling uitgebreid aan mij uitgelegd, evenals de bijwerkingen en bekende mogelijke risico's van de behandeling die ik krijg.
- Hij/zij heeft mij duidelijk uitgelegd dat ik deze behandeling mag weigeren en dat ik op elke moment mag stoppen met de behandeling zonder dat ik daarvoor een reden hoef te geven en zonder dat dit van invloed is op mijn verdere medische behandeling.
- Ik heb de patiënteninformatie gelezen en begrijp de inhoud volledig. Ik heb de gelegenheid gehad alle vragen te stellen die ik belangrijk vond en al mijn vragen zijn naar mijn tevredenheid beantwoord.
- Ik ontvang een kopie van deze patiënteninformatie en dit toestemmingsformulier.

#### IK STEM VRIJWILLIG IN MET DEELNAME AAN DEZE BEHANDELING

\_\_\_\_\_  
Naam van de patiënt (in hoofdletters)

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de patiënt

\_\_\_\_\_  
Datum

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de voogd van de patiënt  
Naam (in hoofdletters) en relatie tot de  
patiënt (indien van toepassing)

\_\_\_\_\_  
Datum

Ik, ondergetekende, dr. \_\_\_\_\_, bevestig dat ik de noodzakelijke informatie over dit medisch noodprogramma mondeling heb verstrekt, dat ik een kopie van de patiënteninformatie en het toestemmingsformulier aan de patiënt heb gegeven, dat ik indien nodig bereid ben alle aanvullende vragen te beantwoorden, en dat ik de patiënt in geen enkel opzicht onder druk heb gezet om aan dit programma deel te nemen.

\_\_\_\_\_  
Naam (in hoofdletters) en handtekening van de behandelend arts

\_\_\_\_\_  
Datum

## Feuillelet d'information du patient

### **Un programme médical d'urgence (MNP) pour l'utilisation de Raxone® chez les jeunes patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne n'ayant pas de traitement concomitant par glucocorticoïdes (SNT-MNP-001)**

### **Feuillelet d'information du patient et formulaire de consentement éclairé**

#### **Proposition de participation au programme médical d'urgence**

Cher Patient,

Santhera Pharmaceuticals (Allemagne) GmbH (« Santhera ») a mis en place un programme médical d'urgence (MNP) pour l'utilisation de Raxone® chez les patients âgés de 8 à 18 ans atteints de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) n'ayant pas de traitement concomitant par glucocorticoïdes.

Votre médecin vous a invité(e) à participer à ce programme médical d'urgence (MNP) parce qu'il pense qu'un traitement par Raxone® (idébénone) pourrait vous être bénéfique.

Avant de décider de participer à ce programme, il est important que vous compreniez bien les raisons pour lesquelles ce programme médical d'urgence (MNP) a été mis en place et les conséquences d'une participation à ce programme. Prenez le temps de lire attentivement ce feuillelet d'information. Il se peut que ce feuillelet d'information et le formulaire de consentement éclairé contiennent des mots difficiles. N'hésitez pas à demander à votre médecin ce que vous ne comprenez pas. Dites-nous si quelque chose n'est pas clair ou si vous souhaitez des informations complémentaires. Quand vous aurez bien compris ce programme et les conséquences d'une participation, vous serez invité(e) à signer le formulaire de consentement éclairé si vous souhaitez y participer.

Si vous avez moins de 18 ans, un de vos parents (ou votre tuteur légal) sera invité à donner son autorisation et devra également signer ce formulaire.

#### **Qu'entend-on par programme médical d'urgence (MNP) ?**

Dans le cadre d'un programme médical d'urgence (MNP), des médicaments autorisés en Belgique mais non encore disponibles sur le marché belge peuvent être mis gratuitement à la disposition d'un groupe de patients qui, sur la base d'examens cliniques et de l'avis du médecin traitant, pourraient tirer avantage d'un traitement par ces médicaments.

Un MNP peut être mis en place uniquement pour des patients qui souffrent d'une maladie chronique entraînant une invalidité grave ou d'une maladie létale et qui ne peuvent être traités de manière satisfaisante par un médicament disponible sur le marché belge pour cette indication particulière.

Le médicament en question doit également faire l'objet d'essais cliniques pour l'indication pour laquelle le MNP a été mis en place ou d'une demande d'autorisation de mise sur le marché (demande d'autorisation de vente).

### **Traitement par Raxone® (idébénone)**

L'absence de la protéine dystrophine chez les patients atteints de DMD conduit à une série d'événements biochimiques qui affectent le bon fonctionnement des mitochondries, qui sont de petits corpuscules présents dans la cellule. Les mitochondries sont également appelées « centrales de la cellule » étant donné qu'elles transforment constamment l'énergie des aliments en énergie utilisable par la cellule.

Les cellules des nerfs et des muscles, et notamment les cellules des poumons et du cœur, sont particulièrement vulnérables à un dysfonctionnement des mitochondries étant donné leurs besoins élevés en énergie.

Raxone® est une molécule susceptible de préserver la fonction des mitochondries et de limiter l'endommagement des cellules et donc d'assurer une plus grande production d'énergie dans les tissus nerveux et musculaires des patients atteints de DMD.

Santhera Pharmaceuticals a testé le médicament Raxone® chez les patients atteints de DMD dans deux études cliniques et les analyses finales de ces études ont montré que Raxone® pouvait réduire la perte de fonction respiratoire chez les patients atteints de DMD sans danger pour ceux-ci.

### **Qu'attend-on de vous ? – Déroutement du programme médical d'urgence (MNP)**

Une fois que vous aurez signé le formulaire de consentement éclairé, votre médecin adressera au médecin responsable du programme une demande écrite d'autorisation de participation à ce MNP. Pour permettre au professeur Gunnar Buyse d'approuver cette demande de participation, votre médecin lui enverra également une copie d'un document prouvant votre identité ainsi qu'une copie du formulaire de consentement éclairé que vous aurez signé. Le professeur Buyse et votre médecin conserveront cette demande d'autorisation de participation et vos données personnelles pendant dix ans.

Si vous participez à ce MNP, vous recevrez Raxone® lors de vos visites habituelles à l'hôpital (planifiées tous les six mois au moins) jusqu'à ce qu'il soit disponible sur le marché belge pour le traitement de la DMD ou jusqu'à ce que le programme soit interrompu pour les raisons indiquées plus loin dans ce document.

Votre participation à ce MNP n'impliquera pas de visites supplémentaires chez votre médecin et pas d'examens particuliers complémentaires.

Vous serez sous la responsabilité de votre médecin aussi longtemps que vous prendrez Raxone® dans le cadre de ce MNP. Il évaluera régulièrement votre bien-être et surveillera les éventuels effets secondaires de Raxone®. Nous vous demandons d'avertir votre médecin immédiatement des effets secondaires, maladies, lésions ou problèmes qui pourraient survenir en cours de traitement. Il décidera s'il y a lieu de modifier votre traitement par Raxone® et prendra les mesures nécessaires s'il s'agit d'effets secondaires. Votre docteur procédera aussi à plusieurs examens de routine dans le cadre de votre traitement normal. Ces examens pourront inclure des analyses sanguines ainsi



qu'un contrôle du rythme cardiaque et de la fonction respiratoire. Il vous interrogera également sur les médicaments que vous avez pris (y compris ceux que vous avez achetés sans ordonnance) et vous demandera d'indiquer ceux que vous avez arrêtés de prendre ou remplacés par d'autres. Il vous posera aussi des questions sur votre état de santé actuel. Le choix des examens nécessaires revient à votre médecin.

Lors de chaque visite, vous recevrez suffisamment de Raxone® pour en avoir jusqu'à la visite suivante. Vous êtes prié(e) de conserver le médicament en lieu sûr à température ambiante (entre 15 °C et 25 °C). Vous devrez prendre deux comprimés trois fois par jour au moment des repas, soit six comprimés par jour en tout. Chaque comprimé de Raxone® contient 150 mg d'idébénone et six comprimés correspondent à une dose totale de 900 mg par jour. Nous vous demanderons de restituer tous les comprimés inutilisés à la fin de votre participation à ce MNP.

Votre médecin pourra communiquer à Santhera, à des fins de recherche, les données recueillies lors des examens médicaux de routine sans révéler votre identité. Les données à caractère personnel enregistrées lors de ce MNP seront remplacées par un code. Ce code uniquement sera utilisé à la place de vos données. Votre médecin sera la seule personne capable d'établir le lien entre le code et l'identité du patient. L'analyse de ces données doit permettre une meilleure compréhension de l'évaluation risques-avantages du traitement de la DMD par Raxone®. Toutes les données seront traitées conformément à la loi belge sur la protection des données.

Il est possible néanmoins que Santhera ou un représentant de Santhera, les membres du comité d'éthique des Cliniques universitaires de Louvain ou l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS) doivent accéder directement à votre dossier médical pour vérifier des données. Dans ce cas, la législation locale en vigueur sera observée dans le respect de la confidentialité des données.

Afin que votre médecin soit autorisé à fournir à Santhera les données issues de vos examens médicaux concernant votre diagnostic et votre traitement avec Raxone®, vous (et votre tuteur légal, si nécessaire) devrez signer le formulaire de consentement éclairé qui se trouve à la fin de ce document.

Nous vous demanderons également d'informer votre médecin généraliste de votre participation à ce programme.

### **Quels sont les effets secondaires potentiels de Raxone® ?**

Certains patients ayant participé à des essais cliniques de Raxone® (idébénone) se sont plaints d'effets secondaires. Il est possible que vous souffriez de diarrhée ou de nausées pendant le traitement par Raxone®. Ces effets secondaires étaient généralement d'intensité légère à modérée et n'ont pas entraîné l'arrêt du traitement par Raxone®.

Une réaction allergique n'est pas exclue mais elle se produit rarement.

Votre urine peut aussi devenir rouge avec Raxone® mais cela ne présente aucun danger.

Il est possible aussi que vous présentiez des effets secondaires non connus. Il est donc important d'avertir votre médecin lors des visites ou entre les visites si vous vous sentez

faible ou malade ou si vous pensez présenter un effet secondaire. Votre médecin devra notifier immédiatement tous les effets secondaires graves à Santhera qui, à son tour, devra en informer directement l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS).

Les comprimés contiennent de petites quantités d'un sucre du lait : le lactose. Étant donné que la quantité de lactose présente dans les comprimés est faible, votre organisme devrait tolérer les comprimés sans manifester de symptômes même si vous avez déjà présenté une intolérance au lactose. Le médicament ne convient pas cependant aux sujets souffrant de troubles héréditaires rares d'intolérance au lactose, tels que le déficit en lactase de Lapp ou la malabsorption du glucose et du galactose.

Pour tout complément d'informations, nous vous invitons à vous adresser à votre médecin qui pourra consulter une compilation des données disponibles sur Raxone<sup>®</sup> intitulée « Brochure de l'investigateur (IB) de l'idébénone ».

### **Autres options thérapeutiques**

Les études réalisées par Santhera ont montré que Raxone<sup>®</sup> pouvait réduire la perte de fonction respiratoire chez les patients atteints de DMD n'ayant pas de traitement concomitant par glucocorticoïdes. Par conséquent, seuls les patients n'ayant pas de traitement concomitant par glucocorticoïdes, comme la prednisone ou le déflazacort, sont invités à participer à ce MNP.

Nous vous demanderons de signaler à votre médecin tout changement au niveau des médicaments que vous prenez. Pendant la période où vous prenez Raxone<sup>®</sup> dans le cadre du MNP, vous ne pourrez en aucune circonstance utiliser d'autres médicaments à l'étude ou participer à une autre étude clinique.

### **Que se passe-t-il si de nouvelles données sont disponibles ?**

Au cas où des changements devraient être apportés au MNP dans l'intérêt de votre santé, Santhera en informera votre médecin qui vous en avisera. Votre médecin vous avertira également de l'existence de tout nouveau ou meilleur traitement de votre maladie, le cas échéant. Il vous communiquera également toutes les nouvelles données relatives à Raxone<sup>®</sup> et vérifiera si vous souhaitez poursuivre le traitement par Raxone<sup>®</sup>. Vous serez alors invité(e) à signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement éclairé. Si vous décidez de cesser le traitement par Raxone<sup>®</sup>, votre médecin veillera à la poursuite du traitement de la DMD de la meilleure façon possible.

Il se peut également que votre médecin décide sur la base de nouvelles données qu'il est préférable dans votre intérêt d'interrompre le traitement par Raxone<sup>®</sup>. Dans ce cas, il vous exposera les raisons de l'arrêt de votre traitement et veillera à la poursuite du traitement de la DMD de la meilleure façon possible.

### **Participation sur base volontaire / Droit d'interrompre le traitement ?**

Votre décision de recevoir le traitement par Raxone<sup>®</sup> a lieu sur base volontaire. Il vous est possible à tout moment de changer d'avis et de décider d'arrêter de prendre Raxone<sup>®</sup> ou

de retirer votre autorisation d'utiliser vos données médicales, sans devoir vous justifier. Si vous décidez de ne plus participer à ce MNP, vous devrez en informer votre médecin qui vous retirera alors du MNP.

Vous continuerez à recevoir le même traitement médical de routine.

### Que se passera-t-il à la fin du MNP ?

La durée de votre traitement par Raxone® dépendra de votre réponse à ce traitement. Vous pourrez poursuivre le traitement aussi longtemps que le médecin estimera qu'il vous est profitable. Vous aurez le droit d'arrêter de prendre Raxone® à tout moment. Cela n'entraînera aucun désavantage pour vous et vous continuerez à recevoir le même traitement médical de routine. Votre médecin pourra également mettre fin à votre participation au MNP sans votre autorisation s'il le juge nécessaire, par exemple, si votre maladie s'aggrave, s'il s'avère que vous ne tolérez pas le médicament qui provoque des effets secondaires graves chez vous, si vous n'observez pas les instructions relatives au traitement, si de nouvelles données indiquent que le traitement ne vous est plus bénéfique ou si, pour quelque raison que ce soit, vous ne pouvez pas donner votre consentement de manière libre et éclairée. Il est possible également que Santhera ou l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS) doive mettre fin à ce MNP. Dans tous les cas, vous serez informé(e) des motifs de l'arrêt du MNP ou de votre retrait de ce programme.

Tout sera mis en œuvre pour assurer votre sécurité et vous fournir le traitement qui vous est le plus approprié.

Ce MNP sera interrompu dès que Raxone® sera disponible sur le marché belge pour le traitement de la DMD.

### Indemnisation

Raxone® vous sera fourni gracieusement dans le cadre de ce MNP (SNT-MNP-001). Les autres interventions, les autres examens médicaux et les autres médicaments nécessaires ne seront pas couverts par Santhera et continueront à être indemnisés selon les critères de remboursement habituels.

### Examen du comité d'éthique médicale

Le comité d'éthique médicale des Cliniques universitaires de Louvain a examiné ce document, les objectifs et le traitement par Raxone® envisagé et a émis un avis positif sur la conduite de ce programme médical d'urgence.

### Questions

Nous vous demandons de contacter votre médecin immédiatement pour toute question que vous ou l'un de vos proches pourriez avoir à propos du traitement ou de la procédure en cas de lésion liée au traitement par Raxone®. Si vous devez faire appel à un service médical d'urgence ou si vous êtes hospitalisé(e), vous devrez informer le médecin qui s'occupe de vous que vous participez à un programme médical d'urgence impliquant un traitement avec Raxone®.

Ne signez pas ce formulaire de consentement éclairé avant d'avoir eu la possibilité de poser des questions et d'avoir obtenu une réponse satisfaisante à toutes vos questions.

## FORMULAIRE DE CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

### Utilisation de Raxone® (Idébénone) pour le traitement de patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) dans le cadre d'un programme médical d'urgence (MNP).

Je suis atteint(e) de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD) et mon médecin propose de traiter ma maladie avec Raxone®.

Il m'a expliqué en détail le traitement ainsi que les effets secondaires et les risques potentiels connus liés au traitement que je vais recevoir.

Il m'a exposé clairement que j'étais libre de refuser ce traitement et que je pouvais l'interrompre à tout moment sans apporter de justification et sans conséquence pour la suite de mes soins médicaux.

J'ai lu et compris le feuillet d'information dans son intégralité. La possibilité m'a été offerte de poser toutes les questions que je jugeais utiles et j'ai obtenu une réponse satisfaisante à toutes mes questions.

Une copie du feuillet d'information du patient et une copie du présent formulaire de consentement éclairé me seront fournies.

#### J'ACCEPTE DE PLEIN GRE DE PARTICIPER A CE TRAITEMENT

\_\_\_\_\_  
Nom (en lettres capitales) du patient

\_\_\_\_\_  
Signature du patient

\_\_\_\_\_  
Date

\_\_\_\_\_  
Signature du tuteur légal du patient  
Nom (en lettres capitales) et lien  
avec le patient (le cas échéant)

\_\_\_\_\_  
Date

Je soussigné(e), Dr \_\_\_\_\_, déclare avoir donné verbalement toutes les informations utiles à propos de ce programme médical d'urgence (MNP), avoir fourni une copie du feuillet d'information et du formulaire de consentement éclairé, être disposé(e) à répondre à toute autre question au besoin et n'avoir contraint en aucune manière le patient à participer à ce programme.

\_\_\_\_\_  
Nom (en lettres capitales) et signature du médecin traitant

\_\_\_\_\_  
Date