

Programme d'usage compassionnel asciminib

Informations pour le patient et formulaire de consentement

Programme d'usage compassionnel avec l'asciminib pour le traitement des patients avec mutation T315I et atteints de LMC en phase chronique qui ont déjà été traités avec deux ou plusieurs inhibiteurs de la tyrosine kinase (ITK).

| | |
|--------------------------|---|
| Principal du programme | Novartis Pharma sa |
| Contact pour information | Dr. Aurélie Casier Medical Advisor Novartis Pharma Medialaan 40 bus 1, 1800 Vilvoorde 02 246 16 11 Aurelie.casier@novartis.com |

Programme d'usage compassionnel asciminib

Informations sur le patient et formulaire de consentement

Vous êtes invité(e)

à participer volontairement à un programme d'usage compassionnel avec le médicament asciminib.

L'asciminib est un médicament qui a présenté des résultats significativement plus efficaces que le traitement de référence dans une étude de phase III chez des patients atteints de leucémie myéloïde chronique (LMC) qui avaient été traités auparavant par deux ou plusieurs inhibiteurs de la tyrosine kinase (ITK). Le dossier de l'asciminib a été soumis pour approbation par l'Agence européenne des médicaments (EMA) pour cette indication.

Avant de participer, vous devez savoir pourquoi ce programme est mis en œuvre et ce qu'il implique.

Veuillez lire attentivement les informations et en discuter librement avec qui vous voulez, par exemple un ami ou un membre de votre famille. Si vous avez des questions, adressez-vous au médecin ou au personnel qui vous traite.

Ce programme d'usage compassionnel a été soumis à un comité d'éthique médicale.

Objet du programme

L'objectif de ce programme est de mettre l'asciminib à la disposition des patients atteints de votre maladie, qui ont déjà été traités par deux ou plusieurs ITK. Dans le cadre de ce programme, ce traitement est mis gratuitement à disposition en tant que médicament à usage compassionnel.

Quelles sont les données collectées avant et pendant votre participation à ce programme ?

Si vous acceptez de participer à ce programme, il vous sera demandé de signer le formulaire de consentement ci-joint avant de pouvoir commencer le traitement avec l'asciminib.

Le médecin passera en revue vos antécédents médicaux et fera quelques tests pour voir si vous pouvez recevoir de l'asciminib. Il vous demandera également quels sont les médicaments que vous prenez actuellement.

Pendant le traitement, vous serez invité à vous rendre régulièrement à l'hôpital pour des contrôles de sécurité.

La prise du médicament à usage compassionnel

Les comprimés d'asciminib doivent être pris par voie orale deux fois par jour. L'admission se fait comme suit :

- L'asciminib est pris à jeun : aucun aliment ne doit être consommé 2 heures avant et 1 heure après la prise d'asciminib. L'eau potable est autorisée.
- l'asciminib doit être pris avec environ 240 ml d'eau

Programme d'usage compassionnel asciminib

- Les comprimés d'asciminib doivent être avalés entiers, ils ne doivent pas être mâchés ou écrasés.
- Si des vomissements surviennent dans l'heure qui suit l'ingestion, une nouvelle dose d'asciminib peut être prise.

| | forme pharmaceutique | Indication | Dose | Tablette | Nombre de comprimés |
|-----------|----------------------|--|------------|----------|-----------------------------|
| Asciminib | Tablette | CML-CP avec mutation T315I: dose de départ | 200 mg BID | 40 mg | 2 fois par jour 5 comprimés |
| Asciminib | Tablette | CML-CP avec mutation T315I: dose réduite | 160 mg BID | 40 mg | 2 fois par jour 4 comprimés |

Il est très important que vous preniez le médicament selon les instructions de votre médecin traitant. Veuillez informer le personnel soignant des autres médicaments que vous prenez pendant votre participation à ce programme. Cela comprend les médicaments délivrés sur ordonnance, les médicaments en vente libre, les médicaments naturels ou à base de plantes, les médicaments de médecines alternatives et les vitamines. Informez le personnel soignant si vous arrêtez de prendre les médicaments que vous preniez auparavant. C'est très important. Informez votre médecin ou le personnel soignant si vous présentez des symptômes inhabituels.

Vous verrez votre médecin à intervalles réguliers afin que votre état de santé puisse être suivi. Tout au long du traitement, des tests peuvent être effectués, si votre médecin traitant le juge nécessaire, pour déterminer si vous répondez bien au traitement.

Si vous ressentez des effets secondaires graves, vous devez immédiatement contacter votre médecin traitant. Le médecin traitant peut vous conseiller d'arrêter de prendre l'asciminib ou de réduire la dose. L'utilisation de l'asciminib peut également, si votre médecin traitant le juge nécessaire, être complètement arrêtée. Votre médecin traitant utilisera son expertise clinique, en tenant compte de l'intensité de l'effet secondaire et/ou des résultats de vos tests de laboratoire, pour prendre une décision.

Le médecin traitant peut consulter le conseiller médical de Novartis concernant les interruptions ou les ajustements de la dose.

Si vous quittez ce programme plus tôt, vous devez rendre au médecin les médicaments d'asciminib qu'il vous reste.

Combien de temps ce programme durera-t-il ?

Vous recevrez un traitement avec l'asciminib aussi longtemps que votre médecin pense que vous en tirerez profit et que vous tolérez bien le médicament. Si vous ressentez trop d'effets

Programme d'usage compassionnel asciminib

secondaires, ou si votre médecin pense que le traitement n'est plus efficace, il peut être arrêté à tout moment.

Si, à un moment quelconque, vous décidez de quitter le programme d'usage compassionnel, vous devez en informer votre médecin ou son personnel. Ils s'assureront que les procédures appropriées seront suivies et qu'une visite finale a lieu pour votre sécurité.

Si vous décidez que vous voulez non seulement arrêter le traitement mais aussi ne plus être contacté par le médecin ou son personnel, vous pouvez retirer votre consentement. Il est important d'en informer votre médecin. Vous pouvez discuter avec lui de la suite de votre traitement. Votre choix de retirer votre consentement n'aura aucune incidence sur vos soins médicaux.

Quels sont les risques et les inconvénients possibles de l'asciminib ?

Tous les médicaments ont des effets secondaires connus et imprévisibles. Si des études antérieures ont montré que le traitement à l'asciminib est généralement bien toléré, il est toujours possible que vous ressentiez des effets secondaires pendant votre participation à ce programme. N'hésitez pas à contacter votre médecin si vous avez des questions sur les effets secondaires décrits ci-dessous.

Ces effets secondaires peuvent être légers ou plus graves. Votre médecin peut vous prescrire des médicaments pour soulager les effets secondaires. Certains effets secondaires disparaîtront dès que vous cesserez de prendre l'asciminib. Dans certains cas, les effets secondaires peuvent être graves, durer longtemps ou ne jamais disparaître.

Les événements indésirables suivants ont été le plus souvent observés chez les patients de l'étude de phase III :

- Thrombocytopénie (réduction du nombre de plaquettes sanguines) qui augmente le risque de saignement ou des bleus : 28,8%.
- la neutropénie (manque de granulocytes neutrophiles, un type de globules blancs) qui augmente le risque d'infections : 21,8%.
- diarrhée : 11,5%.
- éruption cutanée : 7,1%.
- vomissements : 7,1 %.
- valeur élevée de la protéine ALT de la fonction hépatique : 3,8%.
- valeur élevée de la protéine de la fonction hépatique AST : 3,8%.

D'autres effets secondaires éventuels :

- fatigue
- nausées
- douleurs abdominales
- mal de tête
- l'hypertension (pression artérielle élevée)
- des niveaux élevés de protéines qui peuvent indiquer une lésion du pancréas (amylase ; lipase)
- inflammation du pancréas

Programme d'usage compassionnel asciminib

- l'allongement de l'intervalle QTc, qui peut entraîner des arythmies cardiaques
Contactez votre médecin immédiatement si vous remarquez l'un de ces effets secondaires.

Interactions avec d'autres médicaments ou autres interactions Indiquez à votre médecin quels autres médicaments vous prenez pendant le programme. Cela comprend les médicaments sur ordonnance, les médicaments en vente libre et les vitamines. C'est très important car d'autres médicaments peuvent modifier la quantité d'asciminib dans votre corps, et l'asciminib peut à son tour modifier la quantité d'autres médicaments dans votre corps également. En conséquence, ces médicaments peuvent perdre de leur efficacité ou provoquer des effets secondaires. L'association de l'asciminib avec d'autres médicaments peut provoquer des réactions graves, voire mortelles. Demandez à votre médecin la liste des médicaments qui doivent être pris avec précaution ou qui sont interdits pendant le programme.

Avant de prendre de l'asciminib et pendant la participation à ce programme, vous devez toujours consulter votre médecin au sujet de l'utilisation des médicaments (y compris les médicaments en vente libre, les médicaments sur ordonnance, les médicaments, les remèdes à base de plantes et les compléments alimentaires).

Qui ne peut pas participer ?

Contraception, grossesse et allaitement.

Participants féminins : Les femmes enceintes ou qui allaitent ne peuvent pas participer à ce programme. Vous devez confirmer que, à votre connaissance, vous n'êtes PAS actuellement enceinte et que vous ne prévoyez pas de le devenir pendant le programme. Les risques que présente l'asciminib pour le fœtus humain ou le bébé allaité ne sont pas connus à l'heure actuelle. Si vous choisissez de participer à ce programme, vous devez utiliser l'une des méthodes de contraception reconnues (pour vous empêcher de tomber enceinte), pendant le traitement avec l'asciminib et pendant 90 jours après la fin du traitement. Votre médecin discutera avec vous les différentes options efficaces.

Participants masculins

Les hommes sexuellement actifs doivent utiliser un préservatif lors des rapports sexuels pendant la prise du médicament et pendant les 3 jours qui suivent l'arrêt du traitement d'étude et ne doivent pas avoir d'enfant pendant cette période. Cela s'applique aux hommes qui sont vasectomisés et aux hommes ayant des partenaires masculins afin d'éviter l'administration du médicament par le sperme.

Si d'autres problèmes médicaux venaient à se manifester

Si les examens effectués avant ou pendant le programme révèlent d'autres problèmes médicaux qui étaient auparavant inconnus, le médecin peut vous exclure du programme. Dans ce cas, il cherchera un autre traitement approprié pour vous.

Quels sont les avantages possibles de ma participation ?

Si vous acceptez de participer à ce programme, le traitement avec l'asciminib peut être utile pour

Programme d'usage compassionnel asciminib

traiter votre maladie.

Quels sont les droits des participants à ce programme ?

Si vous participez à ce programme d'usage compassionnel, vous devez savoir que :

- Votre participation est **volontaire** et vous devez signer un formulaire de consentement. Même après avoir signé le formulaire de consentement, vous avez le droit de mettre fin à votre participation en informant votre médecin. Le retrait de votre consentement n'entraînera aucun désavantage ni perte d'avantage. Votre décision n'aura aucune incidence sur votre futur traitement médical. Votre décision n'affectera pas votre relation avec votre médecin.
- Le médecin, le Comité d'éthique ou le promoteur du programme, Novartis Pharma Services A. G., peut également **mettre fin** à votre **participation au programme** à tout moment, sans votre consentement. Les raisons possibles de cette décision sont listées ci-dessous :
 - Vous ne suivez pas les instructions pour la participation au programme
 - La poursuite du programme serait dangereuse pour votre santé
 - Il a été déterminé au cours du programme que vous ne remplissiez pas les critères d'inclusion
 - Vous êtes enceinte
 - Il n'est pas dans votre intérêt de poursuivre le traitement avec asciminib
- Votre **identité** et votre participation à ce programme resteront strictement confidentielles. Votre médecin cryptera vos données personnelles afin que votre identité reste toujours confidentielle. **Ces données personnelles cryptées** peuvent également être transmises aux autorités gouvernementales des pays situés à l'intérieur et à l'extérieur de l'Union Economique Européenne, au comité d'éthique médicale et à d'autres médecins et/ou organisations qui travaillent avec le sponsor. Ces données personnelles **cryptées** peuvent également être transférées à d'autres établissements du promoteur en Belgique et dans d'autres pays où les normes concernant la gestion des données personnelles sont au moins égales à la législation Belge.

Vos données médicales seront traitées électroniquement (c'est-à-dire à l'ordinateur) ou manuellement. Ces données sont protégées contre toute utilisation abusive.

Vous avez le droit de demander au médecin qui vous soigne quelles données sont collectées à votre sujet dans le cadre du programme et quel en est le but. Vous avez également le droit de demander au médecin traitant de vous permettre de consulter vos informations personnelles et, si nécessaire, de les faire corriger. Vos données seront traitées conformément au Règlement Général sur la protection des Données (RGD) (Réf. [1]) et à la loi Belge sur la protection des données du 30 juillet 2018 (Réf. [2]).

Si votre participation au programme prend fin prématurément, votre consentement initial permettra l'utilisation des données du programme relatives à la période pendant laquelle

Programme d'usage compassionnel asciminib

vous étiez inscrit au programme.

- Votre médecin **généraliste** sera informé de votre participation au programme. Pendant le programme, votre médecin traitant peut contacter votre médecin généraliste pour échanger des informations qui vous concerne. Ces contacts sont nécessaires afin de suivre au plus près votre état de santé. Si vous le souhaitez, vous pouvez consulter cette correspondance.

Quelles sont les obligations du participant à ce programme ?

- Vous devrez vous rendre à l'hôpital à des **intervalles réguliers** pour faire contrôler votre état de santé. Le médecin vous demandera comment vous vous sentez.
- Votre médecin vous informera également de certaines **restrictions** sur ce que vous pouvez et ne pouvez pas faire pendant ce programme (par exemple, certains médicaments ne peuvent pas être pris, comme décrit ci-dessus).
- Il est très important que vous preniez vos **médicaments** tels que prescrits par votre médecin. Veuillez informer le personnel de tout autre médicament (avec ou sans ordonnance, préparations à base de plantes ou vitamines) que vous prenez pendant le programme. C'est très important. Informez votre médecin si vous remarquez un symptôme inhabituel.

Programme d'usage compassionnel asciminib

Formulaire de consentement

Programme d'usage compassionnel avec l'asciminib pour le traitement des patients avec mutation T315I et atteints de LMC en phase chronique qui ont déjà été traités avec deux ou plusieurs inhibiteurs de la tyrosine kinase (ITK).

Déclaration du patient ou de son représentant légal :

Je, soussigné, confirme par la présente que j'ai été informé du programme et que j'ai reçu une copie du "Formulaire d'information et de consentement du patient".

J'ai lu et compris les informations et j'ai eu suffisamment de temps pour réfléchir à ma participation et poser des questions.

Mon médecin m'a donné suffisamment d'informations concernant les conditions et la durée du programme, ainsi que l'effet et les effets secondaires de ce traitement.

- Je sais que ma participation à ce programme est entièrement volontaire et que je peux me retirer du programme à tout moment après en avoir informé mon médecin, sans aucun préjudice pour moi.
- J'autorise les personnes responsables du client et les autorités réglementaires à avoir accès à mon dossier de patient. Mes informations médicales resteront strictement confidentielles. Je suis conscient de la finalité pour laquelle ces données sont collectées, traitées et utilisées dans le cadre de ce programme.
- J'accepte la collecte, le traitement et l'utilisation de ces informations médicales telles que décrites dans la brochure d'information du patient. Je consens également au transfert et au traitement de ces données dans d'autres pays que la Belgique.
- J'accepte que le promoteur utilise ces dossiers médicaux codés à d'autres fins de recherche, sous réserve de l'approbation du comité d'éthique médicale.
- J'accepte volontairement de participer à ce programme. Je suis disposé à fournir des informations concernant mes antécédents médicaux, ma consommation de médicaments et ma participation à d'autres études.
- J'accepte que mon médecin traitant et les autres professionnels de la santé qui participent à mon traitement soient informés de ma participation à ce programme.

Nom et prénom du patient
(en capitales)

Signature

Date

Parent / représentant légal (le cas échéant)

Nom et prénom (parent 1)
du représentant légal

Signature

Date

Programme d'usage compassionnel asciminib

(en capitales)

**Nom et prénom (parent 2)
du représentant légal**
(en capitales)

Signature

Date

Nom de l'enfant (personne que vous représentez) : _____

Relation avec la personne que vous représentez : _____

Déclaration du médecin :

Je, soussigné, confirme par la présente que j'ai fourni verbalement les informations nécessaires sur ce programme, que j'ai fourni une copie du formulaire d'information et de consentement signé par les différentes parties, que je suis prêt à répondre à toute question supplémentaire si nécessaire, et que je n'ai exercé aucune pression sur le patient pour qu'il participe à ce programme.

Nom (en majuscules)

Signature

Date

Références :

1] Règlement Général sur la protection des Données n° 2016/679 du Parlement Européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données et abrogeant la Directive 95/46/CE.

2] Loi Belge du 30 juillet 2018 relative à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données personnelles.

Compassionate Use Programma asciminib

Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier

Compassionate Use programma met asciminib voor de behandeling van patiënten met T315I-mutatie en met CML in chronische fasefase die reeds met twee of meer Tyrosine Kinase Inhibitoren (TKIs) behandeld werden.

| | |
|---------------------------------|---|
| Opdrachtgever van het programma | Novartis Pharma nv |
| Contactpersoon voor informatie | Dr. Aurélie Casier Medical Advisor Novartis Pharma Medialaan 40 bus 1, 1800 Vilvoorde 02 246 16 11 Aurelie.casier@novartis.com |

Compassionate Use Programma asciminib

Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier

U wordt uitgenodigd

om vrijwillig deel te nemen aan een compassionate use programma met het geneesmiddel asciminib.

Asciminib is een geneesmiddel dat in een fase III studie bij patiënten met chronische myeloïde leukemie (CML) in chronische fase, die vooraf reeds met twee of meer Tyrosine Kinase Inhibitoren (TKIs) behandeld werden, significant betere resultaten gaf dan de referentiebehandeling. Het dossier van asciminib werd voor deze indicatie ingediend ter goedkeuring door het Europese geneesmiddelen bureau (EMA).

Voor u deelneemt, moet u weten waarom dit programma wordt uitgevoerd en wat het inhoudt. Lees de informatie zorgvuldig door en bespreek ze vrij met wie u ook wilt, bijvoorbeeld een vriend of familielid. Eventuele vragen kunt u stellen aan de behandelende arts of het behandelende personeel.

Dit compassionate use programma werd voorgelegd aan een Commissie voor Medische Ethiek.

Doel van dit programma

Het doel van dit programma is om asciminib ter beschikking te stellen aan patiënten met uw aandoening, die al met twee of meer TKI's behandeld zijn. In dit programma wordt deze behandeling kosteloos ter beschikking gesteld als compassionate use medicatie.

Welke gegevens worden verzameld voor en tijdens uw deelname aan dit programma?

Indien u akkoord gaat om aan dit programma deel te nemen, dan zal men u vragen om het bijgevoegde toestemmingsformulier te ondertekenen voor u de behandeling met asciminib kunt starten.

De arts zal uw medische voorgeschiedenis overlopen en zal enkele onderzoeken uitvoeren om na te gaan of u asciminib kunt krijgen. Hij/zij zal ook vragen naar de medicatie die u nu inneemt. Tijdens de behandeling zal men u vragen om geregeld naar het ziekenhuis te komen voor veiligheidsonderzoeken.

De inname van de compassionate use medicatie

Asciminib tabletten dienen twee maal daags oraal ingenomen te worden. De inname gebeurt als volgt:

- asciminib wordt ingenomen op een nuchtere maag: er mag geen voedsel ingenomen worden 2 uur voorafgaand aan tot 1 uur na de inname van asciminib. Het drinken van water is wel toegestaan.
- asciminib moet ingenomen worden met ongeveer 240 ml water

Compassionate Use Programma asciminib

- asciminib tabletten moeten in hun geheel ingeslikt worden, ze mogen niet gekauwd of verbrijzeld worden.
- Indien braken optreedt in het eerste uur na inname, mag een nieuwe dosis asciminib ingenomen worden.

| | farmaceutische vorm | Indicatie | Dosis | Tablet | Aantal tabletten |
|-----------|---------------------|--|------------|--------|--------------------------|
| Asciminib | Tablet | CML-CP met T315I mutatie: startdosis | 200 mg BID | 40 mg | 2 maal daags 5 tabletten |
| Asciminib | Tablet | CML-CP met T315I mutatie: gereduceerde dosis | 160 mg BID | 40 mg | 2 maal daags 4 tabletten |

Het is zeer belangrijk dat u de medicatie inneemt volgens de aanwijzingen van uw behandelende arts. Laat het behandelende personeel weten welke andere geneesmiddelen u tijdens uw deelname aan dit programma gebruikt. Dit geldt onder meer voor geneesmiddelen op voorschrift, geneesmiddelen zonder voorschrift, natuur- of kruidengeneesmiddelen, alternatieve geneesmiddelen en vitaminen. Breng het behandelende personeel op de hoogte als u ophoudt met het innemen van een geneesmiddel dat u voordien innam. Dit is heel belangrijk. Breng uw behandelende arts of het behandelende personeel op de hoogte als u ongewone klachten hebt.

U gaat op gezette tijden naar uw behandelende arts zodat uw gezondheidstoestand kan worden opgevolgd. Gedurende de gehele behandeling kunnen naar goeddunken van uw behandelende arts tests worden uitgevoerd om vast te stellen of u goed op de behandeling reageert.

Als u last krijgt van ernstige nevenwerkingen, moet u onmiddellijk contact opnemen met uw behandelende arts. De behandelende arts kan u adviseren om te stoppen met het nemen van asciminib of om de dosis te reduceren. Het gebruik van asciminib kan, naar het oordeel van uw behandelende arts, ook volledig worden stopgezet. Uw behandelende arts zal zijn/haar klinische expertise gebruiken, rekening houdend met de intensiteit van de bijwerking en/of de resultaten van uw laboratoriumonderzoeken, om een beslissing te nemen.

De behandelende arts kan de medische adviseur van Novartis raadplegen over onderbrekingen of aanpassingen van de dosis.

Indien u dit programma vroegtijdig verlaat, moet u aan de arts alle asciminib medicatie die u nog heeft teruggeven.

Hoe lang zal dit programma duren?

U zal de behandeling met asciminib krijgen zolang uw behandelende arts vindt dat U er baat bij hebt en zolang U de medicatie goed verdraagt. Wanneer u te veel bijwerkingen zou

Compassionate Use Programma asciminib

ondervinden, of wanneer uw arts denkt dat de behandeling niet meer helpt, kan er steeds gestopt worden.

Indien u op een bepaald moment beslist om het compassionate use programma te verlaten, dan moet u uw arts of zijn/haar medewerkers op de hoogte brengen. Zij zullen ervoor zorgen dat de gepaste procedures worden gevolgd en dat een eindbezoek plaatsvindt voor uw veiligheid.

Indien u beslist dat u niet alleen de behandeling wilt stoppen maar ook niet meer wilt gecontacteerd worden door de arts of zijn medewerkers, dan kunt u uw toestemming intrekken. Het is belangrijk om uw arts hiervan op de hoogte te brengen. U kunt uw verdere behandeling met hem bespreken. Uw keuze om uw toestemming in te trekken heeft geen gevolgen voor uw medische zorg.

Wat zijn de mogelijke risico's en ongemakken van asciminib?

Alle geneesmiddelen hebben zowel bekende als onvoorspelbare bijwerkingen. Als vroegere studies hebben aangetoond dat een behandeling met asciminib algemeen goed wordt verdragen, is het toch mogelijk dat u bijwerkingen zal ondervinden tijdens uw deelname aan dit programma. Aarzel niet uw arts te contacteren als u vragen heeft over de verder beschreven bijwerkingen.

Deze bijwerkingen kunnen van lichte aard of ernstiger zijn. De arts kan u geneesmiddelen voorschrijven om bijwerkingen te verlichten. Sommige bijwerkingen zullen verdwijnen zodra u stopt met het innemen van asciminib. In sommige gevallen kunnen bijwerkingen ernstig zijn, langdurig aanhouden of zelfs nooit meer verdwijnen.

De volgende bijwerkingen werden het vaakst vastgesteld bij patiënten in de fase III studie:

- trombocytopenie (verminderd aantal bloedplaatjes) wat een verhoogde kans geeft op bloedingen of blauwe plekken : 28,8%
- neutropenie (tekort aan neutrofiële granulocyten, een type witte bloedcellen) wat een verhoogde kans geeft op infecties: 21,8%
- diarree: 11,5%
- huiduitslag: 7,1%
- braken: 7,1%
- verhoogde waarde van leverfunctie eiwit ALT: 3,8%
- verhoogde waarde van leverfunctie eiwit AST: 3,8%

Andere mogelijke bijwerkingen zijn:

- vermoeidheid
- misselijkheid
- buikpijn
- hoofdpijn
- hypertensie (verhoogde bloeddruk)
- verhoogde waarden van eiwitten die kunnen duiden op beschadiging van de alvleesklier (amylase; lipase)
- ontsteking van de alvleesklier
- verlenging van het QTc interval, wat kan leiden tot hartritmestoornissen

Compassionate Use Programma asciminib

Contacteer meteen uw arts als u één van deze bijwerkingen vaststelt.

Wisselwerking met andere geneesmiddelen of andere wisselwerkingen Vertel uw arts welke andere medicatie u tijdens het programma gebruikt. Hieronder vallen op voorschrift verkrijgbare geneesmiddelen, vrij verkrijgbare geneesmiddelen, en vitaminen. Dit is zeer belangrijk omdat andere geneesmiddelen de hoeveelheid asciminib in uw lichaam kunnen veranderen, en asciminib kan op zijn beurt de hoeveelheid van andere geneesmiddelen in uw lichaam ook veranderen. Hierdoor kunnen deze geneesmiddelen hun werkzaamheid verliezen of bijwerkingen veroorzaken. Het combineren van asciminib met andere geneesmiddelen kan ernstige of zelfs levensbedreigende reacties veroorzaken.

Vraag uw arts naar de lijst van geneesmiddelen die met voorzichtigheid moeten worden genomen of die verboden zijn tijdens het programma.

Voordat u asciminib gaat innemen en tijdens deelname aan dit programma moet u altijd uw arts raadplegen over het gebruik van geneesmiddelen (met inbegrip van vrij verkrijgbare geneesmiddelen, geneesmiddelen op voorschrift, drugs, kruidenmiddelen en voedingssupplementen).

Wie kan niet deelnemen?

Contraceptie, zwangerschap en borstvoeding.

Vrouwelijke deelnemers: Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven mogen niet deelnemen aan dit programma. U moet bevestigen dat, voor zover u weet, u momenteel NIET zwanger bent, en dat u niet van plan bent om zwanger te worden tijdens het programma. De risico's voor een ongeboren menselijke foetus of zogende baby van asciminib zijn momenteel niet gekend.

Indien u kiest om aan dit programma deel te nemen, moet u gebruik maken van één van de erkende contraceptiemethoden (om te voorkomen dat u zwanger wordt), tijdens de behandeling met asciminib en tot 90 dagen na het beëindigen van de behandeling. Uw arts zal met u de verschillende doeltreffende opties bespreken.

Mannelijke deelnemers

Seksueel actieve mannen moeten een condoom gebruiken tijdens geslachtsgemeenschap tijdens het gebruik van het geneesmiddel en gedurende 3 dagen na het stopzetten van de studiebehandeling en mogen in deze periode geen vader worden van een kind. Dit geldt voor mannen die gevasectomiseerd zijn en mannen met mannelijke partners om afgifte van het geneesmiddel via sperma te voorkomen.

Indien andere medische problemen aan het licht zouden komen

Indien bij de onderzoeken voor of tijdens het programma andere medische problemen aan het licht zouden komen die tot nu toe onbekend waren, dan kan de arts u uit het programma uitsluiten. In dit geval zal hij een andere gepaste behandeling voor u zoeken.

Wat zijn de mogelijke voordelen van mijn deelname?

Compassionate Use Programma asciminib

Indien u toestemt om aan dit programma deel te nemen kan de behandeling met asciminib al dan niet nuttig zijn voor de behandeling van uw ziekte.

Wat zijn de rechten van de deelnemers aan dit programma?

Indien u aan dit compassionate use programma deelneemt, moet u weten dat:

- * Uw deelname **vrijwillig** is en dat u een toestemmingsformulier moet ondertekenen. Zelfs na ondertekening van het toestemmingsformulier hebt u het recht om uw deelname te beëindigen mits verwittiging van uw arts. Het intrekken van uw toestemming zal geen nadeel of verlies van voordeel met zich meebrengen. Uw beslissing zal geen weerslag hebben op uw toekomstige medische behandeling. Uw beslissing zal ook geen weerslag hebben op de relaties met uw behandelende arts.
- * De arts, het Ethisch Comité of de promotor van het programma, Novartis Pharma Services A.G., kunnen ook op eender welk moment uw **deelname aan het programma beëindigen**, zonder uw toestemming. Mogelijke redenen voor deze beslissing worden hieronder vermeld:
 - U volgt de instructies voor deelname aan het programma niet
 - Het verderzetten van het programma zou gevaarlijk zijn voor uw gezondheid
 - Men heeft tijdens het programma vastgesteld dat u niet aan de inclusievoorwaarden voldeed
 - U bent zwanger
 - Het is niet in uw voordeel om de behandeling met asciminib verder te zetten
- * Uw **identiteit** en uw deelname aan dit programma zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. De behandelende arts zal uw persoonsgegevens coderen zodat uw identiteit altijd geheim zal blijven. De **gecodeerde persoonsgegevens worden** mogelijk ook overgemaakt aan binnen- en/of buitenlandse overheidsinstanties in zowel landen binnen als buiten de Europese Economische Unie, aan de Commissie voor Medische Ethiek en aan andere artsen en/of organisaties die samenwerken met de opdrachtgever. Deze **gecodeerde** persoonsgegevens kunnen eventueel ook overgemaakt worden aan andere vestigingen van de opdrachtgever in België en in andere landen waar de normen betreffende beheer van persoonlijke gegevens minstens gelijk zijn aan de Belgische wetgeving.

Uw medische gegevens worden elektronisch (d.w.z. in de computer) of handmatig verwerkt. Deze gegevens worden beschermd tegen verkeerd gebruik.

U hebt het recht aan de behandelende arts te vragen welke gegevens er over u worden verzameld in het kader van het programma en wat de bedoeling ervan is. U hebt ook het recht aan de behandelende arts te vragen om u inzage te verlenen in uw persoonlijke informatie en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen. Je gegevens zullen verwerkt worden in overeenstemming met de Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG) (Ref. [1]) en de Belgische wet over gegevensbescherming van 30 juli 2018 (Ref. [2]).

Compassionate Use Programma asciminib

Indien uw deelname aan het programma voortijdig gestopt wordt, zal uw initiële toestemming het gebruik toelaten van uw programmagegevens met betrekking tot de periode dat u in het programma ingesloten was.

* Uw **huisarts** zal op de hoogte gebracht worden van uw deelname aan het programma. Tijdens het programma zou het kunnen gebeuren dat uw behandelende arts contact opneemt met uw huisarts om informatie over u uit te wisselen. Deze contacten zijn noodzakelijk om uw gezondheidstoestand zo goed mogelijk te kunnen opvolgen. Indien u dat wil, mag u de correspondentie inkijken.

Welke zijn de plichten van de deelnemer aan dit programma?

* U zult op **regelmatige tijdstippen** naar het ziekenhuis moeten gaan om uw gezondheidstoestand te laten opvolgen. De arts zal u vragen hoe u zich voelt.

* Uw arts zal u ook informeren over bepaalde **bependingen** met betrekking tot wat u wel en niet mag doen tijdens dit programma (zoals hierboven beschreven mag bv. bepaalde medicatie niet ingenomen worden).

* Het is zeer belangrijk dat u de **medicatie** inneemt zoals voorgeschreven door uw arts. Breng het personeel op de hoogte van alle andere medicatie (medicatie op voorschrift, zonder voorschrift, kruidenpreparaten of vitamines) die u tijdens het programma neemt. Dit is zeer belangrijk. Breng uw arts op de hoogte als u een ongewoon symptoom opmerkt.

Compassionate Use Programma asciminib

Toestemmingsformulier**Compassionate Use programma met asciminib voor de behandeling van patiënten met T315I-mutatie en met CML in chronische fasefase die reeds met twee of meer Tyrosine Kinase Inhibitoren (TKIs) behandeld werden.****Verklaring van de patiënt of van zijn wettelijke vertegenwoordiger:**

Hierbij bevestig ik, ondergetekende, dat ik over het programma ben ingelicht en een kopie van de "Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier" ontvangen heb.

Ik heb de informatie gelezen en begrepen en heb voldoende tijd gehad om mijn deelname te overwegen en eventuele vragen te stellen.

Mijn arts heeft mij voldoende informatie gegeven met betrekking tot de voorwaarden en de duur van het programma, én het effect en de bijwerkingen van deze behandeling.

- Ik weet dat mijn deelname aan dit programma volledig vrijwillig is, en dat ik mij op elk ogenblik uit het programma kan terugtrekken nadat ik mijn arts hierover heb ingelicht, zonder dat dit mij enig nadeel kan berokkenen.
- Ik geef toestemming aan de verantwoordelijken van de opdrachtgever en aan regulerende overheden om inzage te hebben in mijn patiëntendossier. Mijn medische gegevens zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. Ik ben op de hoogte van het doel waarvoor deze gegevens verzameld, verwerkt en gebruikt worden in het kader van dit programma.
- Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze medische gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gegevens in andere landen dan België.
- Ik ga akkoord met het gebruik door de opdrachtgever van deze gecodeerde medische gegevens voor andere onderzoeksdoeleinden op voorwaarde van een nieuwe goedkeuring door de Commissie voor Medische Ethiek.
- Ik stem geheel vrijwillig toe om deel te nemen aan dit programma. Ik ben bereid informatie te verstrekken i.v.m. mijn medische voorgeschiedenis, mijn geneesmiddelengebruik en eventuele deelname aan andere studies.
- Ik ga akkoord dat mijn huisarts en andere gezondheidsmedewerkers die betrokken zijn bij mijn behandeling op de hoogte worden gebracht van mijn deelname aan dit programma.

Naam en voornaam van de patiënt

Datum

(in hoofdletters)

Handtekening

Ouder / Wettelijke vertegenwoordiger (indien van toepassing)

Compassionate Use Programma asciminib

**Naam en voornaam (ouder 1)
van de wettelijk vertegenwoordiger
(in hoofdletters)**

Handtekening

Datum

**Naam en voornaam (ouder 2)
van de wettelijk vertegenwoordiger
(in hoofdletters)**

Handtekening

Datum

Naam van het kind (persoon die je vertegenwoordigt): _____

Relatie met de persoon die je vertegenwoordigt: _____

Verklaring van de arts:

Ik, ondergetekende, bevestig hierbij dat ik mondeling de nodige informatie heb gegeven over dit programma, dat ik een kopie heb gegeven van het informatie- en toestemmingsformulier dat door de verschillende partijen werd getekend, dat ik bereid ben om zo nodig alle aanvullende vragen te beantwoorden en dat ik geen druk op de patiënt heb uitgeoefend om aan dit programma deel te nemen.

Naam (in hoofdletters)

Handtekening

Datum

Referenties:

[1] Algemene Verordening Gegevensbescherming nr. 2016/679 van het Europees Parlement en van de Raad van 27 april 2016 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van Richtlijn 95/46/EG.

[2] Belgische wet van 30 juli 2018 betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens.