

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 – 5.0

**INFORMATIE VOOR PATIËNT EN TOESTEMMING TOT BEHANDELINGSDEELNAME
NA VOORLICHTING IN HET KADER VAN EEN PROGRAMMA UIT MEDELEVEN**

Olipudase alfa (GZ402665)

INFORMATIE VOOR DE PATIËNT:

Uw arts stelt u voor om de enzymvervangingstherapie olipudase alfa verder te nemen voor de behandeling van alfa sfigomyelinase deficiëntie (ASMD), ookwel de ziekte van Niemann-Pick genaamd aangezien binnenkort de klinische studie waaraan u deelneemt zal worden beëindigd.

Dit is een zeldzame ziekte waarbij het enzyme sfigomyelinase onvoldoende of niet werkzaam is. Hierdoor kan de stof sfigomyeline niet worden afgebroken in uw lichaam en stapelt deze zich op waardoor u de allerlei klachten kan krijgen, zoals bijvoorbeeld een vergrootte lever en milt, leverschade, gemakkelijker bloedingen, ademhalingsmoeilijkheden, vermoeidheid en pijn.

Voordat u toestemt om de behandeling te verder te zetten, is het belangrijk dat u volgende uitleg over het geneesmiddel leest en begrijpt. Indien u vragen heeft omtrent het geneesmiddel, beslis dan pas om al dan niet de behandeling te verder te zetten nadat al uw vragen beantwoord zijn.

Deze behandeling kadert in een Programma uit medeleven dat tot doel heeft om olipudase alfa beschikbaar te maken voor patiënten zoals uzelf, die de klinische studie DFI 12712-ASCEND of LTS-13632 beëindigen tot het geneesmiddel commercieel beschikbaar zal zijn in België.

Olipudase alfa is een onderzoeksgeneesmiddel dat werd ontwikkeld door Sanofi voor de ziekte alfa sfigomyelinase deficiëntie.

Indien u akkoord gaat om deel te nemen dient u het formulier “Toestemming tot studiedeelname na voorlichting” te tekenen.

U zal een kopie ontvangen van dit document alsook van het toestemmingsformulier.

Er werd tot op heden geen goedkeuring bekomen voor het op de markt brengen, maar de aanvraag is lopende.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 – 5.0

Informatie over het geneesmiddel

Mensen die lijden aan ASMD hebben een tekort aan het enzym alfa-sfingomyelinase, waardoor het gehalte van sfingomyeline (een soort vet) in het lichaam te hoog kan worden. Olipudase alfa is een enzymvervangings therapie. Olipudase alfa bevat een kunstmatig enzym dat het natuurlijke enzym alfa-sfingomyelinase kan vervangen dat ontbreekt of in te lage concentratie aanwezig is bij mensen met ASMD.

Behandeling met het geneesmiddel (verloop)

Hoe Olipudase alfa bij u wordt toegediend

- Olipudase alfa wordt aan u gegeven onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van ASMD.
- Olipudase alfa wordt via een druppelinfuus in een ader toegediend (intraveneuze infusie). Het wordt geleverd in de vorm van een poeder, dat wordt verdund met steriel water voordat het wordt toegediend.
- Afhankelijk van de dosis olipudase alfa, zal de toediening ongeveer 20 minuten tot 4.5 uur duren.
- Olipudase alfa wordt eenmaal in de 2 weken toegediend.

Welke hoeveelheid u ontvangt

De dosis wordt bij dit programma niet aangepast. U krijgt dezelfde dosis toegediend als bij het beëindigen van de studie. Het wordt eenmaal in de 2 weken aan u gegeven.

U zal nauwlettend gevolgd worden tijdens de gehele duur van deze behandeling. U dient uw arts onmiddellijk te contacteren indien u bijwerkingen ondervindt tijdens uw behandeling. Uw behandelende arts zal beslissen over uw behandeling met dit product en de nodige stappen ondernemen in geval van bijwerkingen.

Wat wordt van u verwacht (specifieke behandelingsprocedures)?

Als u een afspraak mist

Contacteer uw arts zo snel mogelijk om een nieuwe afspraak te maken. Het is zeer belangrijk dat u van dit geneesmiddel geen dosis mist.

Als u geen olipudase alfa meer ontvangt

Stop niet met de behandeling tenzij u dit met uw arts heeft besproken. Dit omdat het stoppen van de behandeling ook het effect van het geneesmiddel kan stoppen.

Welke zijn de mogelijke voordelen?

U arts stelt u voor om de behandeling met olipudase alfa verder te zetten na het beëindigen van de studie tot olipudase alfa op de markt beschikbaar is.

Olipudase alfa een enzymvervangings therapie waardoor u sfingomyelineopstapeling kan vermijden en zo ook de klachten die hiermee gepaard gaan.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 – 5.0

Welke zijn de mogelijke bijwerkingen (risico's en/of ongemakken) van het geneesmiddel?

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. Uw arts zal deze met u bespreken en zal de risico's en voordelen van uw behandeling uitleggen.

Gezien olipudase alfa momenteel nog onderzocht wordt in klinische studies, is kennis over de veiligheid en doeltreffendheid van het geneesmiddel beperkt of nog niet volledig begrepen.

In klinische studies werden de volgende bijwerkingen mogelijks in verband gebracht met de toediening van olipudase alfa:

- Pijn of discomfort in de buikstreek
- Gewrichtspijnen
- Hoofdpijn
- Misselijkheid
- Spier-of bot-gerelateerde borstpijn
- Spierpijn
- Moeheid
- Het warm hebben
- Koorts
- Veranderingen in bloedwaarden
- Rugpijn
- Nekpijn

Bijwerkingen bij patiënten met ASMD, deden zich voornamelijk voor tijdens de toediening van het geneesmiddel of kort daarna ('infusiegerelateerde bijwerkingen'). Deze bijwerkingen kunnen voorkomen op eender welk moment tijdens de toediening of enkele uren na de toediening. Het risico op infusiegerelateerde bijwerkingen is groter bij een hogere snelheid van toediening. De meeste van deze bijwerkingen waren mild tot matig en verdwenen spontaan, maar sommige van deze infusiegerelateerde bijwerkingen waren ernstig of levensbedreigend, waaronder zeer ernstige allergische reacties over het gehele lichaam en anafylactische shock. De symptomen treden doorgaans op binnen de 24 uur of soms ook later na het toedienen van olipudase alfa.

Als u een dergelijke bijwerking ondervindt, **moet u onmiddellijk uw arts waarschuwen**. Het kan noodzakelijk zijn u vooraf te behandelen met aanvullende medicatie om een allergische reactie te voorkomen (bijv. antihistaminica en/of corticosteroïden) of om de koorts te verlagen (antikoortsmiddelen).

Krijgt u last van bijwerkingen, **neem dan contact op met uw arts**. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in dit document vermeld worden.

Gebruikt u naast olipudase alfa nog andere geneesmiddelen, of heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken, vertel dat dan aan uw arts.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 – 5.0

Welke zijn de mogelijke alternatieve behandelingen en procedures?

Uw arts stelt u voor om de behandeling met olipudase alfa verder te zetten omdat er geen alternatieve behandelingen bestaat voor de behandeling van ASMD.

Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar is?

In sommige gevallen kan er nieuwe informatie beschikbaar komen over het geneesmiddel waarmee u zal worden behandeld. Als dit gebeurt, dan licht uw arts u hierover in en overlegt hij met u of u de behandeling wenst voort te zetten. Indien dit het geval is, dan wordt u verzocht op een vrije en geïnformeerde manier een nieuwe, aangepaste versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen. Als u beslist de behandeling te stoppen, dan zal uw arts ervoor zorgen dat u op de beste manier verder wordt behandeld.

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

Vrijwillige toestemming / Recht om te stoppen met behandeling

U beslist volledig vrijwillig of u deze behandeling wil ondergaan en u heeft het recht te weigeren er aan deel te nemen.

Indien u aanvaardt om deel te nemen aan deze behandeling, dient u dit informatieformulier te bewaren en zal er u gevraagd worden het aangehechte toestemmingsformulier te ondertekenen.

U heeft het recht om uw behandeling op elk ogenblik stop te zetten, zelfs nadat u het toestemmingsformulier ondertekend heeft. U bespreekt dit met uw behandelende arts. Dit zal in geen geval een invloed hebben op uw verdere medische verzorging.

U hoeft hiervoor geen reden te vermelden. Het intrekken van uw toestemming zal geen enkel nadeel of verlies van voordelen met zich meebrengen. Uw beslissing zal ook geen weerslag hebben op uw relatie met uw behandelende arts.

Verder kan uw dokter de behandeling stopzetten indien hij/zij vindt dat dit in uw belang is of indien u zich niet aan de instructies houdt tijdens de behandeling.

Wat indien u zwanger bent, zwanger wenst te worden of borstvoeding geeft?

Er is geen ervaring met het gebruik van olipudase alfa bij zwangere vrouwen of vrouwen die borstvoeding geven. Olipudase alfa mag niet tijdens de zwangerschap of de borstvoeding worden gegeven. Indien u zwanger wordt of start met borstvoeding tijdens de behandeling met olipudase alfa, zal u de behandeling stop moeten zetten. De behandeling kan opnieuw gestart worden na de zwangerschap of als u gestopt bent met borstvoeding. Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding, vermeld dit dan onmiddellijk aan uw arts.

Als u kinderen kunt krijgen, dient u een doeltreffende anticonceptiemethode te gebruiken terwijl u wordt behandeld met olipudase alfa en gedurende ten minste 2 weken na de laatste infusie. Overleg met uw arts welke anticonceptiemethoden u tijdens deze periode dient te gebruiken.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 – 5.0

Wat gebeurt er na afloop van de behandeling?

De duur van de behandeling zal afhangen van uw respons op olipudase alfa. U kan de behandeling verder zetten zolang uw arts meent dat u baat heeft bij de behandeling. De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien uw ziekte verergert, indien blijkt dat u het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, indien u zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt. Indien uit nieuwe informatie blijkt dat u geen voordeel meer haalt uit de behandeling, dan zal deze stopgezet worden.

Vergoeding

Sanofi Belgium stelt het geneesmiddel gratis ter uwer beschikking:

- tot het beschikbaar is op de markt en terugbetaald

Alle andere noodzakelijke ingrepen, onderzoeken en medicatie vallen onder de gewone terugbetalingscriteria.

Bescherming van de persoonlijke levenssfeer

Sommige van uw medische gegevens gerelateerd aan de bijwerkingen die u zou kunnen ondervinden tijdens de behandeling of andere gegevens (zoals geboortedatum, geslacht) kunnen door uw behandelende arts verzameld en doorgegeven worden aan de farmaceutische firma die het product ontwikkelt (namelijk Sanofi) met als doel de veiligheid van het toegediende product te bepalen.

Uw identiteit blijft geheim aangezien informatie over uw persoon enkel aan de hand van een uniek patiëntnummer (dus gecodeerd) zal worden aangeduid.

De verzamelde gegevens zullen geen gegevens bevatten waarvan de combinatie tot de identificatie van de patiënt zou kunnen leiden.

Mogelijk gebruikt de farmaceutische firma de informatie over u voor de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen of in het kader van de gezondheidszorg. Enkel de gecodeerde informatie over u zal voor dit doel worden gebruikt.

De gecodeerde informatie wordt mogelijk beschikbaar gesteld aan regelgevende overheden, aan de commissie voor ethiek en aan andere artsen en/of organisaties die samenwerken met de opdrachtgever.

U heeft het recht aan uw arts te vragen welke gegevens er over u worden verzameld in het kader van de behandeling en wat de bedoeling ervan is. U heeft het recht aan de geneesheer-onderzoeker te vragen om u inzage van uw persoonlijke informatie te verlenen en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen. De bescherming van de persoonlijke gegevens is wettelijk bepaald door de wet van 8 december 1992, gewijzigd op 1 september 2001, betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer en van 22 augustus 2002 betreffende de rechten van de patiënt.

Indien u toestemt in deze behandeling betekent dit dat u ook toestemming geeft voor het gebruik van uw gecodeerde medische gegevens voor boven beschreven doelen en het overmaken ervan aan bovenvermelde personen en/of instanties.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 – 5.0

Indien u beslist om deze behandeling te stoppen, zal uw initiële toestemming het gebruik toelaten van uw medische gegevens met betrekking tot de periode dat U in behandeling was tenzij u uitdrukkelijk vraagt dit niet te doen.

Teneinde een medische opvolging te verzekeren, zullen uw huisarts/specialist en andere zorgverleners die betrokken zijn bij uw behandeling hiervan op de hoogte gebracht worden.

Bijkomende informatie

De onafhankelijke commissie voor ethiek van het Universitair Ziekenhuis Leuven – UZ Leuven heeft dit document nagelezen, de doelstellingen en het voorgestelde verloop van de behandeling onderzocht en daaromtrent een gunstig advies verleend.

Vragen

Indien u of uw verwanten vragen hebben omtrent de behandeling of in geval van een behandelingsgebonden letsel, dient u contact op te nemen met uw arts. Indien u dringende hulp inroept of in het ziekenhuis moet worden opgenomen, meld dan aan de behandelende arts dat u deelneemt aan een behandeling met olipudase alfa.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans gehad heeft vragen te stellen en voldoende antwoorden op al uw vragen gekregen heeft.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 – 5.0

TOESTEMMINGSFORMULIER TOT BEHANDELINGSDEELNAME NA VOORLICHTING:

Deel enkel bestemd voor de patiënt(e) of de wettelijke vertegenwoordig(s)ter:

Hierbij bevestig ik, ondergetekende, dat ik over deze behandeling ben ingelicht en een kopie van de "Informatie voor de Patiënt en Toestemming tot Behandelingsdeelname na Voorlichting" ontvangen heb in het kader van een **Programma uit medeleven** voor alfa sfigomyelinase deficiëntie met olipudase alfa als behandeling.

Ik heb de informatie gelezen en begrepen.

Mijn arts heeft mij voldoende informatie gegeven met betrekking tot deze behandeling.

Bovendien werd mij voldoende tijd gegeven om de informatie te overwegen en om vragen te stellen, waarop ik voldoende antwoorden gekregen heb.

- Ik heb begrepen dat ik mijn deelname aan deze behandeling op elk ogenblik mag stopzetten nadat ik mijn arts hierover heb ingelicht, zonder dat dit mij enig nadeel kan berokkenen.
- Ik geef toestemming aan regulerende overheden om inzage te hebben in mijn patiëntendossier. Mijn medische gegevens zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. Ik ben mij bewust van het doel waarvoor deze gegevens verzameld, verwerkt en gebruikt worden in het kader van deze behandeling. Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze gecodeerde gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.
- Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze gecodeerde gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.
- Ik stem geheel vrijwillig toe om deel te nemen aan deze behandeling. Ik ben bereid informatie te verstrekken i.v.m. mijn medische geschiedenis en mijn geneesmiddelengebruik.

Naam van de patiënt in drukletters

Handtekening van de patiënt

Datum

(indien van toepassing)

Handtekening van getuige of wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt

Datum

Naam in drukletters en verwantschap met de patiënt:

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 – 5.0

Deel enkel bestemd voor de behandelende arts:

Ik, ondergetekende, bevestig hierbij dat ik, **[naam & voornaam van de patiënt(e)]** heb ingelicht en dat hij (zij) zijn (haar) toestemming heeft gegeven om deel te nemen aan deze behandeling.

Datum: **Handtekening:**

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium
Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)
Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

**INFORMATIE VOOR PATIËNT EN TOESTEMMING TOT BEHANDELINGSDEELNAME
NA VOORLICHTING IN HET KADER VAN EEN PROGRAMMA UIT MEDELEVEN**

Olipudase alfa (GZ402665) in de pediatrische populatie

INFORMATIE VOOR DE PATIËNT:

Uw arts stelt u voor om de enzymvervangingstherapie olipudase alfa verder te nemen voor de behandeling van alfa sfigomyelinase deficiëntie (ASMD), ookwel de ziekte van Niemann-Pick genaamd aangezien binnenkort de klinische studie waaraan u deelneemt zal worden beëindigd.

Dit is een zeldzame ziekte waarbij het enzyme sfigomyelinase onvoldoende of niet werkzaam is. Hierdoor kan de stof sfigomyeline niet worden afgebroken in uw lichaam en stapelt deze zich op waardoor u de allerlei klachten kan krijgen, zoals bijvoorbeeld een vergrootte lever en milt, leverschade, gemakkelijker bloedingen, ademhalingsmoeilijkheden, vermoeidheid en pijn.

Voordat u toestemt om de behandeling te verder te zetten, is het belangrijk dat u volgende uitleg over het geneesmiddel leest en begrijpt. Indien u vragen heeft omtrent het geneesmiddel, beslis dan pas om al dan niet de behandeling te verder te zetten nadat al uw vragen beantwoord zijn.

Deze behandeling kadert in een Programma uit medeleven dat tot doel heeft om olipudase alfa beschikbaar te maken voor patiënten zoals uzelf, die de klinische studie DFI-12712-ASCEND of LTS-13632 beëindigen tot het geneesmiddel commercieel beschikbaar zal zijn in België.

Olipudase alfa is een onderzoeksgeneesmiddel dat werd ontwikkeld door Sanofi voor de ziekte alfa sfigomyelinase deficiëntie.

Indien u akkoord gaat om deel te nemen dient u het formulier "Toestemming tot studiedeelname na voorlichting" te tekenen.

U zal een kopie ontvangen van dit document alsook van het toestemmingsformulier.

Er werd tot op heden geen goedkeuring bekomen voor het op de markt brengen, maar de aanvraag is lopende.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0



Wat betekent het ?

Jouw dokter stelt voor om de behandeling met olipudase alfa verder te zetten na het beeindigen van de klinische studies DFI-12712-ASCEND of LTS-13632 omdat olipudase alfa nog niet beschikbaar is op de markt. In afwachting van deze beschikbaarheid heeft Sanofi België dit programma ontwikkeld om je de mogelijkheid te geven om je behandeling verder te ontvangen.

Informatie over het geneesmiddel

Mensen die lijden aan ASMD hebben een tekort aan het enzym alfa-sfingomyelinase, waardoor het gehalte van sfingomyeline (een soort vet) in het lichaam te hoog kan worden. Olipudase alfa is een enzymvervangingstherapie. Olipudase alfa bevat een kunstmatig enzym dat het natuurlijke enzym alfa-sfingomyelinase kan vervangen dat ontbreekt of in te lage concentratie aanwezig is bij mensen met ASMD.

Behandeling met het geneesmiddel (verloop)

We zouden je willen vragen om dit informatieformulier aandachtig te lezen en rustig de tijd te nemen om tot een beslissing te komen. Stel ook zoveel vragen als je maar wil, je dokter zal graag al jouw vragen beantwoorden.

Als je beslist om deel te nemen, vragen we je om een instemmingsformulier te ondertekenen. Deelnemen aan het programma is geheel vrijwillig. Je kan er ook steeds voor kiezen om de deelname aan het programma stop te zetten, zonder daarvoor een reden te moeten geven. Dit zal geen invloed hebben op de standaardzorg die je zal ontvangen.

Hoe Olipudase alfa bij u wordt toegediend

- Olipudase alfa wordt aan u gegeven onder toezicht van een arts die ervaring heeft met de behandeling van ASMD.
- Olipudase alfa wordt via een druppelinfuus in een ader toegediend (intraveneuze infusie). Het wordt geleverd in de vorm van een poeder, dat wordt verdund met steriel water voordat het wordt toegediend.
- Afhankelijk van de dosis olipudase alfa, zal de toediening ongeveer 220 minuten duren.
- Olipudase alfa wordt eenmaal in de 2 weken toegediend.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

Welke hoeveelheid u ontvangt

De dosis wordt bij dit programma niet aangepast. U krijgt dezelfde dosis toegediend als bij het beëindigen van de studie. Het wordt eenmaal in de 2 weken aan u gegeven.

U zal nauwlettend gevolgd worden tijdens de gehele duur van deze behandeling. U dient uw arts onmiddellijk te contacteren indien u bijwerkingen ondervindt tijdens uw behandeling. Uw behandelende arts zal beslissen over uw behandeling met dit product en de nodige stappen ondernemen in geval van bijwerkingen.



Wat betekent het ?

Je moet eenmaal om de 2 weken naar het ziekenhuis komen voor de toediening van olipudase alfa. Je krijgt dezelfde hoeveelheid toegediend als tijdens je laatste behandeling in de studie die hebt beëindigd.

Als je van plan bent gelijktijdig met olipudase alfa een ander geneesmiddel in te nemen, raadpleeg dan eerst jouw dokter.

Wat wordt van u verwacht (specifieke behandelingsprocedures)?

Als u een afspraak mist

Contacteer uw arts zo snel mogelijk om een nieuwe afspraak te maken. Het is zeer belangrijk dat u van dit geneesmiddel geen dosis mist.

Als u geen olipudase alfa meer ontvangt

Stop niet met de behandeling tenzij u dit met uw arts heeft besproken. Dit omdat het stoppen van de behandeling ook het effect van het geneesmiddel kan stoppen.

Welke zijn de mogelijke voordelen?

U arts stelt u voor om de behandeling met olipudase alfa verder te zetten na het beëindigen van de studie tot olipudase alfa op de markt beschikbaar is.

Olipudase alfa een enzymvervangings therapie waardoor u sfigomyelineopstapeling kan vermijden en zo ook de klachten die hiermee gepaard gaan.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0



Wat betekent het ?

Dankzij dit programma kan je je behandeling verderzetten ookal is de klinische studie gestopt. Olipudase alfa is een middel dat ervoor zal zorgen dat een bepaalde stof in jouw lichaam toch kan worden afgebroken waardoor we hopen de ziekte beter te controleren.

Welke zijn de mogelijke bijwerkingen (risico's en/of ongemakken) van het geneesmiddel?

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken. Uw arts zal deze met u bespreken en zal de risico's en voordelen van uw behandeling uitleggen.

Gezien olipudase alfa momenteel nog onderzocht wordt in klinische studies, is kennis over de veiligheid en doeltreffendheid van het geneesmiddel beperkt of nog niet volledig begrepen.

In klinische studies werden de volgende bijwerkingen mogelijks in verband gebracht met de toediening van olipudase alfa:

- Pijn of discomfort in de buikstreek
- Gewrichtspijnen
- Hoofdpijn
- Misselijkheid
- Spier-of bot-gerelateerde borstpijn
- Spierpijn
- Moeheid
- Het warm hebben
- Koorts
- Veranderingen in bloedwaarden
- Rugpijn
- Nekpijn

Bijwerkingen bij patiënten met ASMD, deden zich voornamelijk voor tijdens de toediening van het geneesmiddel of kort daarna ('infusiegerelateerde bijwerkingen'). Deze bijwerkingen kunnen voorkomen op eender welk moment tijdens de toediening of enkele uren na de toediening. Het risico op infusiegerelateerde bijwerkingen is groter bij een hogere snelheid van toediening. De meeste van deze bijwerkingen waren mild tot matig en verdwenen spontaan, maar sommige van deze infusiegerelateerde bijwerkingen waren ernstig of levensbedreigend, waaronder zeer ernstige allergische reacties over het gehele lichaam en anafylactische shock. De symptomen treden doorgaans op binnen de 24 uur of soms ook later na het toedienen van olipudase alfa.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium
Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)
Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

Als u een dergelijke bijwerking ondervindt, **moet u onmiddellijk uw arts waarschuwen**. Het kan noodzakelijk zijn u vooraf te behandelen met aanvullende medicatie om een allergische reactie te voorkomen (bijv. antihistaminica en/of corticosteroïden) of om de koorts te verlagen (antikoortsmiddelen).

Krijgt u last van bijwerkingen, **neem dan contact op met uw arts**. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die niet in dit document vermeld worden.

Gebruikt u naast olipudase alfa nog andere geneesmiddelen, of heeft u dat kort geleden gedaan of bestaat de mogelijkheid dat u in de nabije toekomst andere geneesmiddelen gaat gebruiken, vertel dat dan aan uw arts.

Welke zijn de mogelijke alternatieve behandelingen en procedures?

Uw arts stelt u voor om de behandeling met olipudase alfa verder te zetten omdat er geen alternatieve behandelingen bestaat voor de behandeling van ASMD.

Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar is?

In sommige gevallen kan er nieuwe informatie beschikbaar komen over de behandeling of het geneesmiddel waarmee u zal worden behandeld. Als dit gebeurt, dan licht uw arts u hierover in en overlegt hij met u of u de behandeling wenst voort te zetten. Indien dit het geval is, dan wordt u verzocht op een vrije en geïnformeerde manier een nieuwe, aangepaste versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen. Als u beslist de behandeling te stoppen, dan zal uw arts ervoor zorgen dat u op de beste manier verder wordt behandeld.

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



Wat betekent het ?

Soms krijgen we nieuwe informatie over het onderzoeksgeneesmiddel. Jouw dokter zal je hierover steeds informeren en met jou bespreken of je best met het Programma uit medeleven verdergaat of niet, dit is afhankelijk van de resultaten.

Vrijwillige toestemming / Recht om te stoppen met behandeling

U beslist volledig vrijwillig of u deze behandeling wil ondergaan en u heeft het recht te weigeren er aan deel te nemen.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

Indien u aanvaardt om deel te nemen aan deze behandeling, dient u dit informatieformulier te bewaren en zal er u gevraagd worden het aangehechte toestemmingsformulier te ondertekenen.

U heeft het recht om uw behandeling op elk ogenblik stop te zetten, zelfs nadat u het toestemmingsformulier ondertekend heeft. U bespreekt dit met uw behandelende arts. Dit zal in geen geval een invloed hebben op uw verdere medische verzorging.

U hoeft hiervoor geen reden te vermelden. Het intrekken van uw toestemming zal geen enkel nadeel of verlies van voordelen met zich meebrengen. Uw beslissing zal ook geen weerslag hebben op uw relatie met uw behandelende arts.

Verder kan uw dokter de behandeling stopzetten indien hij/zij vindt dat dit in uw belang is of indien u zich niet aan de instructies houdt tijdens de behandeling.



Wat betekent het ?

Deelnemen aan het onderzoek is geheel vrijwillig. Je kan er ook steeds voor kiezen om de deelname aan het onderzoek stop te zetten, zonder daarvoor een reden te moeten geven. Dit zal geen invloed hebben op de standaardzorg die je zal ontvangen. Jouw dokter kan ook beslissen om de behandeling met olipudase alfa stop te zetten als hij/zij denkt dat dit beter is voor je.

Wat indien u zwanger bent, zwanger wenst te worden of borstvoeding geeft?

Zwangerschap en borstvoeding

Er is geen ervaring met het gebruik van olipudase alfa bij zwangere vrouwen of vrouwen die borstvoeding geven. Olipudase alfa mag niet tijdens de zwangerschap of de borstvoeding worden gegeven. Indien u zwanger wordt of start met borstvoeding tijdens de behandeling met olipudase alfa, zal u de behandeling stop moeten zetten. De behandeling kan opnieuw gestart worden na de zwangerschap of als u gestopt bent met borstvoeding. Bent u zwanger, denkt u zwanger te zijn, wilt u zwanger worden of geeft u borstvoeding, vermeld dit dan onmiddellijk aan uw arts.

Als u kinderen kunt krijgen, dient u een doeltreffende anticonceptiemethode te gebruiken terwijl u wordt behandeld met olipudase alfa en gedurende ten minste 2 weken na de laatste infusie. Overleg met uw arts welke anticonceptiemethoden u tijdens deze periode dient te gebruiken.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0



Wat betekent het ?

Men weet nog niet welk effect olipudase alfa zal hebben op een ongeboren baby. Alle meisjes die deelnemen aan dit programma en die seksueel actief zijn, dit wil zeggen die een seksuele relatie hebben, zullen ermee moeten instemmen om doeltreffende anticonceptiemethodes te gebruiken tijdens de behandeling. Deze zullen besproken worden met jouw arts.

Meisjes die zwanger kunnen worden, mogen geen kinderen verwekken tijdens een behandeling met olipudase alfa.

In het geval van een zwangerschap:

Als je vermoedt dat je zwanger bent tijdens jouw deelname aan het programma, moet je meteen contact opnemen met jouw dokter.

Wat gebeurt er na afloop van de behandeling?

De duur van de behandeling zal afhangen van uw respons op olipudase alfa. U kan de behandeling verder zetten zolang uw arts meent dat u baat heeft bij de behandeling. De



Wat betekent het ?

Je neemt olipudase alfa zo lang als nodig, in overeenstemming met jouw dokter. Jouw dokter kan ook besluiten om de behandeling met olipudase alfa stop te zetten indien dit beter voor je is.

behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien uw ziekte verergert, indien blijkt dat u het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, indien u zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt. Indien uit nieuwe informatie blijkt dat u geen voordeel meer haalt uit de behandeling, dan zal deze stopgezet worden.

Vergoeding

Sanofi Belgium stelt het geneesmiddel gratis ter uwer beschikking:

- tot het beschikbaar is op de markt en terugbetaald

Alle andere noodzakelijke ingrepen, onderzoeken en medicatie vallen onder de gewone terugbetalingscriteria.

- Tot Sanofi besluit om het Programma uit medeleven stop te zetten

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

Alle andere procedures en alle andere noodzakelijke tests en medicijnen vallen binnen de gebruikelijke vergoedingscriteria..



Wat betekent het ?

Olipudase alfa is nog niet beschikbaar voor kinderen en adolescenten.

Sanofi, het bedrijf dat het medicijn olipudase alfa maakt, biedt het gratis aan patienten die hebben deelgenomen aan de studies LTS-13632 or DFI 12712-ASCEND .

Je kan olipudase alfa ontvangen als onderdeel van dit programma:

- Tot olipudase alfa door de overheid/mutualiteit wordt vergoed voor de behandeling van kinderen en adolescenten
- Of tot Sanofi besluit om dit Programma uit medeleven te stoppen

Bescherming van de persoonlijke levenssfeer

Sommige van uw medische gegevens gerelateerd aan de bijwerkingen die u zou kunnen ondervinden tijdens de behandeling of andere gegevens (zoals geboortedatum, geslacht) kunnen door uw behandelende arts verzameld en doorgegeven worden aan de farmaceutische firma die het product ontwikkelt (namelijk Sanofi) met als doel de veiligheid van het toegediende product te bepalen.

Uw identiteit blijft geheim aangezien informatie over uw persoon enkel aan de hand van een uniek patiëntnummer (dus gecodeerd) zal worden aangeduid.

De verzamelde gegevens zullen geen gegevens bevatten waarvan de combinatie tot de identificatie van de patiënt zou kunnen leiden.

Mogelijk gebruikt de farmaceutische firma de informatie over u voor de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen of in het kader van de gezondheidszorg. Enkel de gecodeerde informatie over u zal voor dit doel worden gebruikt.

De gecodeerde informatie wordt mogelijk beschikbaar gesteld aan regelgevende overheden, aan de commissie voor ethiek en aan andere artsen en/of organisaties die samenwerken met de opdrachtgever.

U heeft het recht aan uw arts te vragen welke gegevens er over u worden verzameld in het kader van de behandeling en wat de bedoeling ervan is. U heeft het recht aan de geneesheer-onderzoeker te vragen om u inzage van uw persoonlijke informatie te verlenen en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen. De bescherming van de persoonlijke gegevens is wettelijk bepaald door de wet van 8 december 1992, gewijzigd op 1 september 2001, betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer en van 22 augustus 2002 betreffende de rechten van de patiënt.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

Indien u toestemt in deze behandeling betekent dit dat u ook toestemming geeft voor het gebruik van uw gecodeerde medische gegevens voor boven beschreven doelen en het overmaken ervan aan bovenvermelde personen en/of instanties.

Indien u beslist om deze behandeling te stoppen, zal uw initiële toestemming het gebruik toelaten van uw medische gegevens met betrekking tot de periode dat U in behandeling was tenzij u uitdrukkelijk vraagt dit niet te doen.

Teneinde een medische opvolging te verzekeren, zullen uw huisarts/specialist en andere zorgverleners die betrokken zijn bij uw behandeling hiervan op de hoogte gebracht worden.



Wat betekent het ?

Tijdens dit programma zullen bepaalde gegevens, zoals jouw leeftijd, geslacht, gewicht en lengte, worden genoteerd zonder vermelding van jouw naam, en worden verzonden naar de fabrikant van het geneesmiddel.

Jouw persoonlijke gegevens (zoals bijvoorbeeld jouw naam of leeftijd) zijn wettelijk beschermd. Alle informatie in verband met jou zullen confidentieel zijn. Dat wil zeggen, het zal onmogelijk zijn om je te identificeren op basis van deze persoonlijke informatie. In sommige gevallen kan deze informatie ook worden verzonden aan specifieke groepen, in het bijzonder aan personen die verantwoordelijk zijn om geneesmiddelen te evalueren of hun veiligheid te bepalen, zoals Belgische of Europese gezondheidsautoriteiten of de ethische commissie van dit programma.

Je hebt het recht om alle noodzakelijke vragen hierover te stellen en te weten welke persoonsgegevens er gebruikt worden en met welk doel.

Bijkomende informatie

De onafhankelijke commissie voor ethiek van het Universitair Ziekenhuis Leuven – UZ Leuven heeft dit document nagelezen, de doelstellingen en het voorgestelde verloop van de behandeling onderzocht en daaromtrent een gunstig advies verleend.



Wat betekent het ?

Een ethische commissie is een groep mensen die nagaat of dergelijke programma's de rechten van patiënten respecteren en of de regels nageleefd worden.

De ethische commissie van het UZ Leuven heeft ingestemd met dit programma.

Vragen

Indien u of uw verwanten vragen hebben omtrent de behandeling of in geval van een behandelingsgebonden letsel, dient u contact op te nemen met uw arts. Indien u dringende

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

hulp inroept of in het ziekenhuis moet worden opgenomen, meld dan aan de behandelende arts dat u deelneemt aan een behandeling met olipudase alfa.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans gehad heeft vragen te stellen en voldoende antwoorden op al uw vragen gekregen heeft.



Wat betekent het ?

We zouden je willen vragen om dit informatieformulier aandachtig te lezen en rustig de tijd te nemen om tot een beslissing te komen. Stel ook zoveel vragen als je maar wil, jouw dokter zal met veel plezier alle vragen beantwoorden.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium

Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)

Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

TOESTEMMINGSFORMULIER TOT BEHANDELINGSDEELNAME NA VOORLICHTING:

Deel enkel bestemd voor de patiënt(e) of de wettelijke vertegenwoordig(s)ter:

Hierbij bevestig ik, ondergetekende, dat ik over deze behandeling ben ingelicht en een kopie van de "Informatie voor de Patiënt en Toestemming tot Behandelingsdeelname na Voorlichting" ontvangen heb in het kader van een **Programma uit medeleven** voor alfa sfigomyelinase deficiëntie met olipudase alfa als behandeling.

Ik heb de informatie gelezen en begrepen.

Mijn arts heeft mij voldoende informatie gegeven met betrekking tot deze behandeling.

Bovendien werd mij voldoende tijd gegeven om de informatie te overwegen en om vragen te stellen, waarop ik voldoende antwoorden gekregen heb.

- Ik heb begrepen dat ik mijn deelname aan deze behandeling op elk ogenblik mag stopzetten nadat ik mijn arts hierover heb ingelicht, zonder dat dit mij enig nadeel kan berokkenen.
- Ik geef toestemming aan regulerende overheden om inzage te hebben in mijn patiëntendossier. Mijn medische gegevens zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. Ik ben mij bewust van het doel waarvoor deze gegevens verzameld, verwerkt en gebruikt worden in het kader van deze behandeling. Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze gecodeerde gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.
- Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze gecodeerde gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.
- Ik stem geheel vrijwillig toe om deel te nemen aan deze behandeling. Ik ben bereid informatie te verstrekken i.v.m. mijn medische geschiedenis en mijn geneesmiddelengebruik.



Wat betekent het ?

Ik wil deelnemen aan deze studie en geef mijn toestemming.

Ik weet dat ik steeds kan stoppen en dat niemand boos zal zijn op me.

Ik heb begrepen hoe mijn gegevens zullen worden gebruikt en verzonden

Mijn moeder en/of vader of verzorger zijn op de hoogte van deze studie en gaan ermee akkoord dat ik deelneem aan dit onderzoek.

Ik krijg een kopie van dit ondertekende formulier.

Ik mag mijn dokter steeds bellen indien ik nog vragen heb.

Vertegenwoordiger van de farmaceutische firma: Sanofi Belgium
Product name / code : Olipudase alfa (GZ402665)
Patient Information version & date: September 2021 - 5.0

Naam van de patiënt in drukletters

Handtekening van de patiënt

Datum

(indien van toepassing)

Handtekening van getuige of wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt

Datum

Naam in drukletters en verwantschap met de patiënt:

Deel enkel bestemd voor de behandelende arts:

Ik, ondergetekende, bevestig hierbij dat ik, **[naam & voornaam van de patiënt(e)]** heb ingelicht en dat hij (zij) zijn (haar) toestemming heeft gegeven om deel te nemen aan deze behandeling.

Datum: **Handtekening:**