Titel van het medisch noodprogramma	Medisch Nood Programma (MNP) met Vyvgart (efgartigimod alfa) in de indicatie: Acetylcholinereceptor-antilichaam negatieve patiënten met gMG, die deelnamen aan en de studie ARGX-113-2002 hebben afgerond OF die werden behandeld via “early access”.
Productnaam	VYVGART® 1000 mg, oplossing voor injectie
Vergunningshouder	argenx BV, Industriepark-Zwijnaarde 7, 9052 Gent, België
Ethisch Comité	Ethisch Comité UZA-UA UZA, Wilrijkstraat 10, B-2650 Edegem Tel +32 3 821 38 97 Ethisch.Comite@uza.be
Patiënteninformatie versie en datum	1.0 - 13/08/2024

Medisch Nood Programma (MNP) met Vyvgart (efgartigimod alfa) in de indicatie: Acetylcholinereceptor-antilichaam negatieve patiënten met gMG, die deelnamen aan en de studie ARGX-113-2002 hebben afgerond OF die werden behandeld via “early access”.

Belangrijke informatie

Als deze patiënteninformatie en geïnformeerde toestemming (‘toestemmingsformulier’) woorden bevat die u niet begrijpt, vraag dan uw behandelend arts om uitleg van alle termen of informatie die niet duidelijk voor u zijn.
U kunt uw huisarts ook laten bellen met uw neuroloog om vragen te stellen die hij/zij nodig acht om het medische noodprogramma en uw mogelijke deelname eraan te evalueren.
U kunt een niet-ondertekend exemplaar van dit formulier voor geïnformeerde toestemming mee naar huis nemen om erover na te denken of het te bespreken met familie of vrienden voordat u uw beslissing neemt om aan het programma deel te nemen.

Dit document bestaat uit twee delen: het deel voor de patiënteninformatie (I) met alle informatie over het medische noodprogramma en het deel voor de geïnformeerde toestemming (II).

I. PATIËNTENINFORMATIE VOOR DEELNAME AAN HET MEDISCHE NOODPROGRAMMA met Vyvgart 1000 mg, oplossing voor injectie.

Uw neuroloog stelt een behandeling voor met Vyvgart 1000 mg, oplossing voor injectie (nadien Vyvgart), voor gegeneraliseerde myasthenia gravis (gMG).

Voordat u akkoord gaat met het krijgen van deze behandeling, is het belangrijk om de volgende informatie over het programma en het geneesmiddel te lezen en te begrijpen. Als u vragen hebt over het geneesmiddel, wacht dan tot al uw vragen zijn beantwoord voordat u besluit of u al dan niet wilt deelnemen aan het, medische noodprogramma (MNP) met Vyvgart.

Het doel van dit programma is om Vyvgart beschikbaar te maken voor patiënten zoals u, terwijl dit product nog niet in de handel verkrijgbaar is in België en er geen vergelijkbare behandeling beschikbaar is.

Vyvgart is een geneesmiddel dat werd ontwikkeld door argenx BV voor de behandeling van patiënten met gMG.

Als u akkoord gaat met het krijgen van Vyvgart in dit MNP, vragen wij u om de patiënteninformatie en het formulier voor geïnformeerde toestemming te ondertekenen.

U krijgt een exemplaar van dit document en het toestemmingsformulier.

Wat is Vyvgart?

Vyvgart is een geneesmiddel op voorschrift dat wordt gebruikt voor de behandeling van een aandoening die gMG wordt genoemd bij volwassenen die positief zijn voor antilichamen die zijn gericht op een eiwit dat acetylcholinereceptor heet (anti-AChR-antilichaam positief).

AChR= acetylcholinereceptor

Wat is myasthenia gravis?

gMG is een zeldzame neuromusculaire ziekte die ervoor zorgt dat spieren vermoeid raken en gemakkelijk verzwakken doorheen het hele lichaam. Spierzwakte en vermoeidheid door gMG kunnen het dagelijks leven moeilijker maken en kunnen het vermogen om dagelijkse activiteiten uit te voeren beperken.

Spierzwakte door gMG kan leiden tot:

- hangende oogleden
- wazig of dubbel zicht
- moeite met spreken
- moeite met kauwen en slikken
- verstikking
- moeite met het ondersteunen van de nek
- kortademigheid en moeite met ademhalen
- zwakte in de armen en benen
- moeite met lopen en staan

Bij patiënten met gMG worden eiwitten op de zenuwen, zogenaamde acetylcholinereceptoren, aangevallen en beschadigd door IgG -autoantilichamen. Het begrijpen van schadelijke anti-AChR antilichamen is essentieel voor het inzicht in gMG. Antilichamen, ook bekend als immunoglobulinen (Ig), zijn eiwitten die door het immuunsysteem worden aangemaakt om het lichaam te helpen beschermen tegen infectie en ziekte. Het immuunsysteem maakt 5 verschillende soorten antilichamen (IgG, IgA, IgE, IgD, IgM) aan, elk met een afzonderlijke rol bij de bescherming van het lichaam. IgG is het meest voorkomende type antilichaam in het menselijk lichaam. Soms maakt het immuunsysteem onbedoeld IgG-antilichamen aan die zich richten op lichaamseigen AChR-receptoren. Deze staan bekend als schadelijke AChR-antilichamen. Patiënten met schadelijke AChR-antilichamen hebben anti-AChR-antilichaam-positieve gMG. Terwijl IgG-antilichamen het lichaam blijven beschermen, verstoren schadelijke AChR-antilichamen de communicatie tussen spieren en zenuwen. Vanwege deze schade kunnen de zenuwen de spieren niet zoals normaal laten samentrekken. Dat leidt tot spierzwakte en moeite met bewegen.

In 10 tot 15% van de patiënten worden er echter geen schadelijk AChR-antilichamen gedetecteerd (anti-AChR-antilichaam-negatieve gMG) terwijl de symptomen voldoende de diagnose van gMG bevestigen. Uit studies is gebleken dat personen zonder gemeten AChR-antilichamen ook gunstige resultaten vertonen met een behandeling met Vyvgart.

Behandeling met Vyvgart

Vyvgart vermindert de aanwezigheid van IgG-antilichamen in het lichaam, waaronder de schadelijke AChR-antilichamen die gMG-symptomen veroorzaken. Wanneer schadelijke AChR-antilichamen die gMG-symptomen veroorzaken worden verwijderd, kunnen ze de communicatie tussen zenuw en spier niet langer verstoren.

De aanbevolen dosering van Vyvgart wordt gegeven als een injectie onder de huid (dat heet 'subcutaan'). De injectie duurt meestal 30 tot 90 seconden.

Vyvgart wordt gegeven in behandelingscycli met een pauze tussen elke cyclus, als extra cycli nodig zijn. Uw eerste behandelingscyclus bestaat uit één injectie per week gedurende 4 weken. Dit betekent

dat u in totaal 4 injecties krijgt. Uw neuroloog zal uw gMG-symptomen en eventuele bijwerkingen van de behandeling beoordelen om te bepalen of u een andere behandelingscyclus kunt krijgen en wanneer de behandelingscyclus kan worden gestart.

De eerste behandelingscyclus en de eerste toediening van de tweede behandelingscyclus moeten worden toegediend door of onder toezicht van een beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg. De daaropvolgende behandeling moet worden toegediend door een beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg of kan thuis worden toegediend door u of een verzorger.

Als u of uw verzorger bereid bent om Vyvgart toe te dienen, krijgt u training over hoe u Vyvgart moet injecteren door uw beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg. Uw beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg moet u of uw verzorger laten zien hoe u Vyvgart op de juiste manier kunt bereiden en injecteren voordat u het voor de eerste keer gebruikt. Een demonstratie van de juiste zelftoediening onder toezicht van een beroepsbeoefenaar in de gezondheidszorg wordt als noodzakelijk beschouwd. Het is belangrijk dat u het geneesmiddel niet probeert te injecteren totdat u bent getraind en u of uw verzorger er zeker van bent dat u begrijpt hoe u Vyvgart moet gebruiken.

Wat zijn de mogelijke voordelen van Vyvgart ?

Uit studies blijkt, dat wanneer Vyvgart wordt toegevoegd aan de standaard gMG-behandeling, bij deelnemers met anti-AChR-antilichaam positieve gMG, de dagelijkse vaardigheden verbeterden en de spierzwakte verminderde. Uit studies is gebleken dat personen zonder aangetoonde AChR-antilichamen ook gunstige resultaten vertonen met een behandeling met Vyvgart .

Omdat u uit een programma treedt waaruit gebleken is dat u voordeel heeft bij de behandeling, stelt dit noodprogramma een verderzetting voor van de behandeling met Vyvgart.

Wat zijn de risico’s van deelname aan dit medische noodprogramma?

Zoals elk geneesmiddel kan ook dit geneesmiddel bijwerkingen hebben, al krijgt niet iedereen daarmee te maken.

Uw arts zal vóór de behandeling de mogelijke bijwerkingen met u bespreken en uitleggen wat de risico's en voordelen van een behandeling met Vyvgart zijn.

Vertel het onmiddellijk aan uw arts als u het volgende merkt:
Tijdens of na de injectie tekenen van een ernstige allergische reactie (een anafylactische reactie), zoals zwelling van het gezicht, de lippen, de keel of de tong, waardoor u moeilijk kunt slikken of ademhalen, kortademigheid, het gevoel dat u uw bewustzijn verliest, of huiduitslag.

Als u niet zeker weet wat de onderstaande bijwerkingen zijn, vraag dan of uw arts ze wil uitleggen.

Zeer vaak (komen voor bij meer dan 1 op de 10 gebruikers)

- Neus-en keelinfecties (infecties van de bovenste luchtwegen)
- Reacties op de plaats waar de injectie werd gegeven. Dit kan roodheid, jeuk of pijn inhouden. Deze injectieplaatsreacties zijn gewoonlijk licht tot matig en treden normaal gesproken op binnen een dag na de injectie.

Vaak (komen voor bij minder dan 1 op de 10 gebruikers)

- Pijn of een branderig gevoel tijdens het plassen, wat een teken kan zijn van een urineweginfectie
- Ontsteking van de luchtwegen in de longen (bronchitis)
- Spierpijn (myalgie). Niet bekend (frequentie kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald)

Niet bekend (frequentie kan niet met de beschikbare gegevens worden bepaald)

- Allergische reacties tijdens of na de injectie:
    - Zwelling van het gezicht, de lippen, de keel of de tong, waardoor u moeilijk kunt slikken of ademhalen, kortademigheid
    - Bleke huid, een zwakke en snelle polsslag of het gevoel dat u uw bewustzijn verliest
    - Plotselinge huiduitslag, jeuk of galbulten.

Het melden van bijwerkingen

Krijgt u last van bijwerkingen, neem dan contact op met uw arts. Dit geldt ook voor mogelijke bijwerkingen die hier niet vermeld staan. U kunt bijwerkingen ook rechtstreeks melden via het nationale meldsysteem via https://www.fagg.be/nl/bijwerking of adr@fagg.be. Door bijwerkingen te melden, kunt u ons helpen meer informatie te verkrijgen over de veiligheid van dit geneesmiddel.

Wat zijn de alternatieven?

Als u niet wilt deelnemen aan het MNP voor Vyvgart nodigen wij u uit om andere beschikbare opties met uw behandelend arts te bespreken.

Wat als er nieuwe informatie beschikbaar komt?

In sommige gevallen kan er nieuwe informatie over uw behandeling beschikbaar komen. Indien nodig zal uw arts u informeren en met u bespreken of u uw behandeling wilt voortzetten. In dit geval wordt u uitgenodigd om een aangepaste versie van het toestemmingsformulier op een vrije en geïnformeerde manier te ondertekenen. Als u besluit om met de behandeling te stoppen, zal uw arts ervoor zorgen dat u op de best mogelijke manier behandeld blijft worden.

Uw arts kan op basis van nieuwe informatie beslissen dat het in uw beste belang is om de behandeling stop te zetten. In dat geval zal uw arts u duidelijk informeren over de redenen en ook zorgen voor opvolging op de best mogelijke manier.

Vrijwillige deelname / het recht om de behandeling te stoppen

Uw beslissing om deel te nemen aan dit programma is geheel vrijwillig. Dit betekent ook dat u het recht hebt om deelname te weigeren.

Als u akkoord gaat met deelname, moet u deze informatiefolder bewaren en wordt u gevraagd om het bijgevoegde toestemmingsformulier te ondertekenen.

U hebt het recht om uw deelname op elk moment stop te zetten, zelfs na ondertekening van het toestemmingsformulier. Het is erg belangrijk om deze beslissing met uw arts te bespreken. U hoeft geen reden op te geven. Uw beslissing zal geen gevolgen hebben voor uw relatie met uw behandelend arts.

Ook kan uw behandelend arts de behandeling stopzetten als hij/zij denkt dat dit in uw belang is of als u de instructies tijdens de behandeling niet opvolgt.

Vruchtbaarheid, zwangerschap en borstvoeding

Zwangerschap

Er zijn geen gegevens beschikbaar over het gebruik van Vyvgart tijdens de zwangerschap. Van antilichamen, waaronder therapeutische monoklonale antilichamen, is bekend dat ze na 30 weken zwangerschap actief door de placenta worden getransporteerd.

Vyvgart kan worden overgedragen van de moeder op de zich ontwikkelende foetus. Aangezien verwacht wordt dat Vyvgart de mate van maternale antilichamen zal verlagen en de overdracht van maternale antilichamen naar de foetus ook zal remmen, wordt aangenomen dat de passieve bescherming voor de pasgeborene zal afnemen. Daarom moeten risico's en voordelen van het toedienen van levende/levend-verzwakte vaccins aan zuigelingen die in utero zijn blootgesteld aan Vyvgart worden overwogen.

Behandeling van zwangere vrouwen met Vyvgart is uitgesloten in dit programma.

Borstvoeding

Er is geen informatie over de aanwezigheid van Vyvgart in moedermelk, over de effecten op het kind dat borstvoeding krijgt of over de effecten op de melkproductie. Dierstudies naar de overdracht van Vyvgart in melk zijn niet uitgevoerd en daarom kan excretie in de moedermelk niet worden uitgesloten. Van maternale IgG is bekend dat het aanwezig is in moedermelk.

Behandeling van vrouwen die borstvoeding geven met Vyvgart is uitgesloten in dit programma.

Vruchtbaarheid

Er zijn geen gegevens beschikbaar over het effect van Vyvgart op de vruchtbaarheid bij mensen. Dierstudies toonden geen invloed aan van Vyvgart op mannelijke en vrouwelijke vruchtbaarheidsparameters.

Wat gebeurt er aan het einde van de behandeling?

Uw neuroloog zal met u samenzitten om te helpen bepalen of en wanneer u nog een behandelingscyclus met Vyvgart nodig hebt, met als doel uw symptomen onder controle te houden.

In geval van ernstige bijwerkingen of bij gebrek aan naleving van de behandelingsinstructies, kan de arts besluiten om de behandeling te stoppen, zelfs zonder uw toestemming. Als nieuwe informatie aangeeft dat u niet langer baat hebt bij de behandeling, wordt de behandeling gestopt.

Als u ervoor kiest om deel te nemen, krijgt u Vyvgart tot er een geneesmiddel in de handel goedgekeurd en verkrijgbaar is in België in de indicatie van dit noodprogramma, tenzij uw behandelend arts u aanbeveelt om voordien te stoppen. Wanneer een geneesmiddel met dezelfde indicatie als dit noodprogramma commercieel beschikbaar en terugbetaald op de markt komt, gaat u over op dat geneesmiddel om de behandeling voort te zetten.

Vrijwaring

argenx BV stelt dit geneesmiddel gratis beschikbaar voor u tot een (eventuele) geneesmiddel is goedgekeurd en in België commercieel beschikbaar is en wordt vergoed volgens de voorgestelde indicatie.

Gebruik en bescherming van uw persoonsgegevens

Aangezien argenx zijn hoofdkantoor heeft in de Europese Unie, zal de verwerking van uw gegevens gebeuren in overeenstemming met de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming (kortweg “AVG”).

argenx zal de persoonsgegevens die voor dit MNP worden verzameld elektronisch opslaan, verwerken en analyseren om te bepalen of u Vyvgart kunt krijgen en om de veiligheid van Vyvgart te controleren.

Daarvoor zullen uw medische gegevens en andere persoonsgegevens zoals uw naam of initialen, geboortedatum of geboortejaar, geslacht naar argenx of naar mensen of bedrijven die namens argenx werken, worden gestuurd. Deze persoonsgegevens worden vertrouwelijk behandeld. Uw identiteit zal niet worden onthuld aan een andere persoon, behalve aan de gezondheidsinstanties indien dit nodig is of in een medisch noodgeval (waarbij altijd de vertrouwelijkheid van de informatie zal worden behouden).

argenx heeft veiligheidsmaatregelen om uw persoonsgegevens te beschermen. Dit is om te voorkomen dat uw gegevens verloren gaan, worden gebruikt of op ongeoorloofde wijze worden ingezien, worden gewijzigd of openbaar worden gemaakt.

U hebt het recht om uw persoonsgegevens in te zien en te corrigeren. U kunt de behandelend arts vragen om dit op elk moment tijdens of na het MNP te doen.

De behandelend arts bewaart uw persoonsgegevens gedurende de periode die door de lokale wetgeving wordt vereist. argenx ontvangt een kopie van de gecodeerde gegevens zonder uw naam en bewaart deze gegevens gedurende ten minste 25 jaar.

U kunt verdere verwerking van uw persoonsgegevens weigeren door uw behandelend arts op de hoogte te stellen. Als uw behandelend arts niet beschikbaar is of het programma is beëindigd, informeer dan de functionaris voor gegevensbescherming van argenx op DPO@argenx.com.

Als u besluit om niet langer aan het programma deel te nemen, betekent dit dat u uw toestemming intrekt (terugtrekt). In dit geval zal argenx alle mensen die uw persoonsgegevens verwerken op de hoogte brengen. Het programmapersoneel zal geen nieuwe persoonsgegevens over u verzamelen. Zij kunnen echter alle reeds verzamelde persoonsgegevens blijven gebruiken voor de betrouwbaarheid van het programma. Als u uw toestemming intrekt, kunt u niet langer aan dit programma blijven deelnemen. Dit betekent dat u het geneesmiddel niet langer krijgt.

Wanneer u dit formulier ondertekent, staat u toe dat uw persoonsgegevens worden gebruikt voor dit programma. U staat ook toe dat uw persoonsgegevens of een deel ervan buiten uw land worden verzonden (inclusief landen buiten de Europese Unie). Dit gebruik is bedoeld om de legitieme belangen van argenx na te streven. Dit betekent dat uw persoonsgegevens zullen worden behandeld in overeenstemming met de wetgeving van de Europese Unie en de lokale wetgeving van het land inzake gegevensbescherming. argenx en het programmacentrum zullen ervoor zorgen dat er adequate garanties, zoals de modelclausules van de Europese Unie voor het overdragen van persoonsgegevens buiten de Europese Unie (indien van toepassing) worden toegepast.

Uw toestemming voor het gebruiken en doorgeven van uw gezondheidsinformatie verloopt niet.

Als u meer informatie nodig hebt, neem dan contact op met de behandelend arts.

Als u een huisarts of andere specialisten hebt die verantwoordelijk zijn voor uw gezondheid, moet u hen op de hoogte stellen van uw deelname aan dit programma. De behandelend arts kan uw huisarts of specialisten over uw deelname aan het programma vertellen als u hiermee akkoord gaat. Hij/zij kan uw huisarts of specialist om medische informatie over u vragen. Als u echter niet wilt dat uw huisarts of specialisten hiervan op de hoogte zijn, zal de behandelend arts het hen niet vertellen. De behandelend arts zal u vragen om te bevestigen dat u aan dit programma wilt deelnemen.

GOEDKEURING ONAFHANKELIJKE ETHISCHE COMMISSIE

Een ethische commissie is een groep onafhankelijke personen die nagaat of programma's zoals dit MNP de rechten van patiënten respecteren en de regels volgen. De commissie adviseert over alle ethische aspecten in het kader van patiëntenzorg en wetenschappelijk onderzoek. Het bestaat uit artsen van binnen en buiten het ziekenhuis, een advocaat, een farmacoloog, een verpleegkundige en een ethicus. De ethische commissie van het Universitair Ziekenhuis UZA (Universitair Ziekenhuis Antwerpen) heeft haar goedkeuring gegeven voor dit programma.

Dit programma is ook geëvalueerd en goedgekeurd door het Belgisch Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG).

Vragen

Als u of uw familieleden vragen hebben over de behandeling, moet u contact opnemen met uw arts. In het geval dat u een noodoproep maakt of in het ziekenhuis wordt opgenomen, dient u de behandelend arts te informeren dat u behandeld wordt met Vyvgart 1000 mg, oplossing voor injectie. Onderteken dit toestemmingsformulier niet als u nog vragen hebt over uw deelname aan het Vyvgart MNP. Het is belangrijk dat al uw vragen zijn beantwoord voordat u het formulier voor geïnformeerde toestemming ondertekent.

II. GEÏNFORMEERDE TOESTEMMING OM DEEL TE NEMEN AAN HET MEDISCH NOODPROGRAMMA VAN Vyvgart.

Deel uitsluitend bestemd voor de patiënt:

Ik, ondergetekende _____

(achternaam en voornaam) bevestig hierbij

✓ dat ik ben geïnformeerd over het MNP met Vyvgart voor de behandeling van patiënten met myasthenia gravis met gegeneraliseerde spierzwakte

✓ Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over de aard, het doel, de duur, de mogelijke voordelen en risico's van het programma en dat ik weet wat er van mij wordt verwacht. Ik heb kennisgenomen van het informatiedocument (Deel I van dit document) en de geïnformeerde toestemming (Deel II van dit document)

✓ Ik heb genoeg tijd gehad om hierover na te denken en dit te bespreken met een persoon van mijn keuze, zoals mijn arts en/of een familielid.

✓ Ik kon alle vragen stellen die bij mij opkwamen, en ik kreeg een duidelijk antwoord op mijn vragen.

✓ Ik begrijp dat mijn deelname aan dit programma vrijwillig is en dat ik vrij ben om deel te nemen aan dit programma zonder de relatie met het therapeutisch team dat verantwoordelijk is voor mijn gezondheid te schaden.

✓ Ik begrijp dat er tijdens deelname aan dit MNP gegevens over mij zullen worden verzameld. De arts en de programma-eigenaar garanderen de vertrouwelijkheid van deze gegevens in overeenstemming met de Belgische en relevante Europese wetgeving.

✓ Ik geef toestemming voor de verwerking van deze persoonsgegevens volgens de modaliteiten beschreven in de rubriek over het garanderen van de vertrouwelijkheid. Ik geef ook toestemming voor de overdracht en verwerking van deze gecodeerde gegevens in andere landen dan België.

✓ Ik ga ermee akkoord dat de huisarts en andere specialisten die verantwoordelijk zijn voor mijn gezondheid op de hoogte kunnen worden gebracht van mijn deelname aan dit programma.

✓ Ik heb een kopie van dit document ontvangen (Deel I en II).

Bij ondertekening

✓ ga ik akkoord met deelname aan dit programma dat in dit informatie- en toestemmingsdocument wordt beschreven

✓ ga ik akkoord met de verwerking van mijn gegevens in het kader van dit programma, zoals uiteengezet in deel I

_____ Handtekening van de patiënt

_____ Datum van ondertekening

Deel uitsluitend voor de arts:

Ik, ondergetekende, _____ (naam en voornaam)

_____(R.I.Z.I.V.-nummer)

bevestig hierbij dat ik mijn patiënt

(naam van de patiënt) _____
mondeling de nodige informatie over het MNP en een kopie van het patiënteninformatiedocument heb verstrekt.

Ik bevestig dat er geen enkele druk op de patiënt is uitgeoefend om deel te nemen en dat ik bereid ben om eventuele bijkomende vragen te beantwoorden.

Handtekening van de arts: _____ Datum: _____

Deel uitsluitend bestemd voor de getuige/tolk (indien van toepassing)

Ik, ondergetekende, _____
(achternaam en voornaam)

met kwalificatie _____

bevestig hierbij dat ik het hele proces van informatieverstrekking aan de patiënt

(achternaam en voornaam) _____ heb bijgewoond en ik bevestig dat de informatie over de doelstellingen en procedures van het programma adequaat zijn verstrekt en dat de patiënt die het programma volgt alle inhoud heeft begrepen en dat de toestemming voor deelname aan het programma vrijwillig is gegeven.

Handtekening getuige / tolk: _____ Datum: _____

Titre du programme de besoin médical	Programme de besoin médical avec accès à Vyvgart (efgartigimod alfa) aux patients négatifs aux anticorps anti-récepteurs de l'acétylcholine atteints de myasthénie grave généralisée ayant participé à l'essai ARGX-113-2002 et qui l'ont quitté OU qui ont été traités par accès précoce.
Nom du produit	VYVGART® 1000 mg solution injectable
Titulaire	argenx BV, Industriepark-Zwijnaarde 7, 9052 Gent, Belgique
Comité d'éthique	Ethisch Comité UZA-UA UZA, Wilrijkstraat 10, B-2650 Edegem Tél. +32 3 821 38 97 Ethisch.Comite@uza.be
Version et date de la fiche d'information du patient	2.0 - 15/10/2024

Programme de besoin médical avec accès à Vyvgart (efgartigimod alfa) aux patients négatifs aux anticorps anti-récepteurs de l'acétylcholine atteints de myasthénie grave généralisée ayant participé à l'essai ARGX-113-2002 et qui l'ont quitté OU qui ont été traités par accès précoce.

Si ce formulaire d'information et de consentement éclairé du patient (« permission ») contient des mots que vous ne comprenez pas, demandez à votre médecin traitant de vous expliquer tout terme ou renseignement qui ne vous semble pas clair.
Vous pouvez également demander à votre médecin traitant d'appeler votre neurologue pour lui poser les questions qu'il jugera nécessaires afin d'évaluer le programme de besoin médical et votre éventuelle participation.
Vous pouvez emporter chez vous un exemplaire non signé de ce formulaire de consentement éclairé pour y réfléchir ou en discuter avec votre famille ou vos amis avant de prendre votre décision de participer au programme.

Ce document se compose de deux parties : la partie d'informations destinées au patient (I) avec toutes les informations sur le programme de besoin médical et la partie de consentement éclairé (II).

I. INFORMATIONS DESTINÉES AU PATIENT POUR LA PARTICIPATION AU PROGRAMME DE BESOIN MÉDICAL AVEC Vyvgart 1000 mg, solution injectable.

Votre neurologue vous propose un traitement par Vyvgart 1000 mg, solution injectable, pour la myasthénie grave généralisée (MGg).

Avant d'accepter de recevoir ce traitement, il est important de lire et de comprendre les renseignements suivants sur le programme et le médicament. Si vous avez des questions sur le médicament, attendez d'obtenir des réponses à toutes vos questions avant de décider si vous souhaitez ou non participer au programme de besoin médical (PBM) de Vyvgart 1000 mg, solution injectable.

Ce PBM a pour objectif de rendre Vyvgart 1000 mg, solution injectable, disponible pour les patients comme vous alors que ce produit n'est pas encore commercialisé en Belgique et qu'aucun traitement similaire n'est disponible.

Vyvgart 1000 mg, solution injectable, est un médicament développé par argenx BV pour le traitement des patients atteints de MGg.

Si vous acceptez de recevoir Vyvgart 1000 mg, solution injectable, dans le cadre de ce PBM, nous vous demandons de bien vouloir signer la fiche d'information du patient et le formulaire de consentement éclairé.

Vous recevrez un exemplaire de ce document ainsi que du formulaire de consentement.

Qu'est-ce que Vyvgart 1000 mg, solution injectable ?

Vyvgart 1000 mg, solution injectable, est un médicament délivré sur ordonnance utilisé pour traiter une affection appelée MGg chez les adultes positifs pour les anticorps dirigés contre une protéine appelée récepteur de l'acétylcholine (anticorps anti-AChR positifs).

AChR = récepteur de l'acétylcholine

Qu'est-ce que la myasthénie grave ?

La MGg est une maladie neuromusculaire rare qui entraîne une fatigue et un affaiblissement musculaires anormaux dans tout le corps. La faiblesse et la fatigue musculaires causées par la MGg peuvent rendre la vie quotidienne plus difficile et limiter la capacité d'une personne à effectuer ses activités quotidiennes.

La faiblesse musculaire due à la MGg peut provoquer les symptômes suivants :

- Affaissement de la paupière
- Vision floue ou double
- Difficultés à parler
- Difficultés à mâcher et à avaler
- Suffocation
- Difficulté à maintenir le cou droit
- Essoufflement et difficultés à respirer
- Faiblesse dans les bras et les jambes
- Difficultés à marcher et à se tenir debout

Chez les patients atteints de gMG, les protéines nerveuses, appelées récepteurs de l'acétylcholine (AChR), sont attaquées et endommagées par les auto-anticorps IgG. Comprendre les anticorps anti-AChR nocifs est important pour comprendre la MGg. Les anticorps, également appelés immunoglobulines (Ig), sont des protéines produites par le système immunitaire pour aider à protéger l'organisme contre les infections et les maladies. Le système immunitaire fabrique 5 types différents d'anticorps (IgG, IgA, IgE, IgD, IgM), chacun ayant un rôle distinct dans la protection de l'organisme. L'IgG est le type d'anticorps le plus fréquent dans le corps humain. Parfois, le système immunitaire fabrique par erreur des anticorps IgG qui ciblent les récepteurs AChR. Ces anticorps sont connus sous le nom d'anticorps AChR nocifs. Les patients présentant des anticorps anti-AChR nocifs présentent une MGg positive aux anticorps anti-AChR. Alors que les anticorps IgG continuent de protéger l'organisme, les anticorps anti-AChR nocifs perturbent la communication entre les muscles et les nerfs. Cela empêche les muscles de recevoir certains messages envoyés par les nerfs ; c'est ce qui provoque les symptômes de la MGg.

Cependant, chez 10 à 15 % des patients, aucun anticorps AChR nocif n'est détecté (anticorps anti-AChR gMG négatif) alors que les symptômes confirment suffisamment le diagnostic de gMG. Des études ont montré que les personnes sans anticorps AChR mesurés présentent également des résultats favorables avec le traitement avec Vyvgart 1000 mg, solution injectable.

Traitement par Vyvgart 1000 mg, solution injectable

Vyvgart 1000 mg, solution injectable, réduit le nombre d'anticorps IgG, y compris les anticorps anti-AChR nocifs qui provoquent des symptômes de la MGg. Lorsque les anticorps anti-AChR nocifs qui provoquent les symptômes de la MGg sont éliminés, ils ne peuvent plus perturber la communication le nerf et le muscle.

La dose recommandée est de 1 000 mg, administrée en cycles d'une injection par semaine pendant 4 semaines. C'est votre médecin qui déterminera à quel moment démarrer les cycles de traitement suivants. Chaque injection dure environ 30 à 90 secondes.

Votre neurologue évaluera vos symptômes de MGg et les effets secondaires éventuels du traitement afin de déterminer si vous pouvez recevoir un autre cycle de traitement et à quel moment celui-ci peut commencer.

Le premier cycle de traitement et la première administration du deuxième cycle de traitement doivent être administrés par un professionnel de santé ou sous la supervision d'un professionnel de santé. Le traitement suivant doit être administré par un professionnel de santé ou peut être administré à domicile par vous-même ou un soignant.

Si vous ou votre soignant êtes disposé à administrer Vyvgart, vous recevrez une formation sur la façon d'injecter Vyvgart par votre professionnel de santé. Votre professionnel de santé doit vous montrer, à vous ou à votre soignant, comment préparer et injecter Vyvgart correctement avant de l'utiliser pour la première fois. Une démonstration d'auto-administration correcte sous la supervision d'un professionnel de santé est considérée comme nécessaire. Il est important que vous n'essayiez pas d'injecter le médicament avant d'avoir reçu une formation et que vous ou votre soignant soyez sûr de comprendre comment utiliser Vyvgart.

Quels sont les bénéfices potentiels de Vyvgart 1000 mg, solution injectable ?

Une fois ajouté à leur traitement actuel de la MGg, Vyvgart 1000 mg, solution injectable, a aidé les participants aux études cliniques atteints d'une MGg positive aux anticorps anti-AChR à améliorer leurs capacités quotidiennes et à réduire leur faiblesse musculaire. Des études ont montré que les personnes sans anticorps AChR mesurés présentent également des résultats favorables avec le traitement avec Vyvgart 1000 mg, solution injectable.

Parce que vous sortez d'un programme qui a montré que vous bénéficiez du traitement, ce programme d'urgence propose une poursuite du traitement avec Vyvgart.

Quels sont les risques liés à la participation à ce programme de besoin médical ?

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, mais ils ne surviennent pas systématiquement chez tout le monde.

Votre médecin discutera avec vous des effets indésirables éventuels et vous expliquera les risques et les bénéfices de Vyvgart avant le traitement. Une liste des effets indésirables attendus, tirée de la notice d'information au patient approuvée dans l'UE, est fournie ci-dessous.

Si vous n'êtes pas sûr de savoir ce que sont les effets indésirables présentés ci-dessous, demandez à votre médecin de vous les expliquer.

Des signes d'une réaction allergique grave (réaction anaphylactique) comme un gonflement du visage, des lèvres, de la gorge ou de la langue qui vous empêchent d'avaler ou de respirer

correctement, un essoufflement, une sensation de perte de connaissance ou une éruption cutanée pendant ou après l'injection.

Si vous n'êtes pas sûr de savoir ce que sont les effets indésirables présentés ci-dessous, demandez à votre médecin de vous les expliquer.

Très fréquent (peut affecter plus de 1 personne sur 10)

- infections du nez et de la gorge (voies respiratoires supérieures)
- réactions au site d'injection, qui peuvent comprendre rougeur, démangeaisons, douleur. Ces réactions au site d'injection sont habituellement d'intensité légère à modérée et surviennent en général au cours de la journée qui suit l'injection

Fréquent (peut affecter jusqu'à 1 personne sur 10)

- douleur ou sensation de brûlure quand vous urinez, ce qui peut être le signe d'une infection des voies urinaires
- inflammation des voies respiratoires des poumons (bronchite)
- douleurs musculaires (myalgie)

Fréquence indéterminée (ne peut être estimée sur la base des données disponibles)

- réactions allergiques pendant ou après l'injection - gonflement du visage, des lèvres, de la gorge ou de la langue qui vous empêche d'avaler ou de respirer correctement, essoufflement - teint pâle, pouls faible et rapide ou sensation de perte de connaissance - éruption cutanée, démangeaisons ou urticaire

Déclaration des effets secondaires:

Si vous ressentez un quelconque effet indésirable, parlez-en à votre médecin. Ceci s'applique aussi à tout effet indésirable qui ne serait pas mentionné dans la notice. Vous pouvez également déclarer

les effets indésirables directement via le système national de declaration via https://www.afmps.be/fr/effet_indesirable ou adr@fagg.be

En signalant les effets indésirables, vous contribuez à fournir davantage d'informations sur la sécurité du médicament.

Quelles sont les alternatives ?

Si vous ne souhaitez pas participer au PBM de Vyvgart 1000 mg, solution injectable, nous vous invitons à discuter des autres options disponibles avec votre médecin traitant.

Que se passera-t-il si de nouvelles informations deviennent disponibles ?

Dans certains cas, de nouvelles informations pourraient voir le jour au sujet de votre traitement. Si nécessaire, votre médecin vous en informera et discutera avec vous pour savoir si vous souhaitez poursuivre votre traitement. Dans ce cas, vous serez invité(e) à signer une version mise à jour du formulaire de consentement de manière libre et éclairée. Si vous décidez d'arrêter le traitement, votre médecin prendra les mesures nécessaires pour assurer la continuité de vos soins dans les meilleures conditions possible.

Votre médecin peut décider, sur la base de nouvelles informations, qu'il est dans votre intérêt d'arrêter le traitement. Dans ce cas, votre médecin vous informera clairement des raisons et assurera également un suivi de la meilleure façon possible.

Participation volontaire/droit d'arrêter le traitement

Votre décision de participer au PBM de Vyvgart 1000 mg, solution injectable, est entièrement volontaire, ce qui signifie également que vous avez le droit de refuser de participer.

Si vous acceptez de participer, vous devrez conserver cette brochure d'information et il vous sera demandé de signer le formulaire d'autorisation ci-joint.

Vous avez le droit d'arrêter votre participation à tout moment, même après avoir signé le formulaire d'autorisation. Il est très important de discuter de cette décision avec votre médecin. Vous n'avez pas besoin de fournir une raison. Votre décision n'aura aucune répercussion sur votre relation avec votre médecin traitant.

De la même manière, votre médecin traitant pourra arrêter le traitement s'il pense que cela est dans votre intérêt ou si vous ne respectez pas les consignes pendant le traitement.

Fertilité, grossesse et allaitement

Grossesse

Il n'existe pas de données disponibles sur l'utilisation de Vyvgart 1000 mg, solution injectable, pendant la grossesse. Les anticorps, y compris les anticorps monoclonaux thérapeutiques, sont connus pour être transportés activement à travers le placenta après 30 semaines de grossesse.

Vyvgart 1000 mg, solution injectable, peut être transmis de la mère au fœtus en développement. Étant donné que Vyvgart 1000 mg, solution injectable, devrait réduire les taux d'anticorps maternels et devrait également inhiber le transfert des anticorps maternels au fœtus, une réduction de la protection passive du nouveau-né est anticipée. Par conséquent, les risques et les bénéfices de l'administration de vaccins vivants/vivants atténués à des nourrissons exposés à Vyvgart 1000 mg, solution injectable, in utero doivent être pris en compte.

Le traitement des femmes enceintes par Vyvgart 1000 mg, solution injectable, est exclu de ce programme.

Allaitement

Il n'existe aucune information concernant la présence de Vyvgart 1000 mg, solution injectable, dans le lait maternel, les effets sur l'enfant allaité ou les effets sur la production de lait. Aucune étude chez l'animal sur le transfert de Vyvgart 1000 mg, solution injectable, dans le lait n'a été menée ; par conséquent, l'excrétion dans le lait maternel ne peut être exclue. Les IgG de la mère sont connues pour être présentes dans le lait maternel.

Le traitement par Vyvgart 1000 mg, solution injectable, des femmes qui allaitent est exclu de ce programme

Fertilité

Il n'existe pas de données disponibles sur l'effet de Vyvgart 1000 mg, solution injectable, sur la fertilité chez l'homme. Les études chez l'animal n'ont montré aucun impact de Vyvgart 1000 mg, solution injectable, sur les paramètres de fertilité des mâles et des femelles.

Que se passera-t-il à la fin du traitement ?

Votre neurologue s'entretiendra avec vous sur la question de savoir si vous avez besoin d'un autre cycle de traitement par Vyvgart 1000 mg, solution injectable, et à quel moment, dans le but de prendre en charge vos symptômes.

En cas d'effets secondaires graves ou en cas de non-respect des consignes liées au traitement, le médecin pourra décider d'arrêter le traitement même sans votre consentement. Si de nouvelles informations indiquent que vous ne tirez plus aucun bénéfice du traitement, le traitement sera arrêté.

Si vous le souhaitez, vous recevrez de Vyvgart 1000 mg, solution injectable, jusqu'à ce qu'un médicament dans la même indication que ce programme d'urgence sera commercialisé en Belgique, sauf si votre médecin traitant recommande de l'arrêter avant. Lorsqu'un médicament dans la même indication que ce programme d'urgence sera commercialisé et remboursé, vous passerez à celui-ci pour poursuivre le traitement.

Indemnité

argenx BV met gratuitement ce médicament à votre disposition dans ce programme jusqu'à ce qu'un médicament (n'importe lequel) soit approuvé, disponible dans le commerce et remboursé en Belgique dans l'indication envisagée.

Utilisation et protection de vos données personnelles

argenx ayant son siège dans l'Union Européenne, le traitement de vos données sera effectué conformément au Règlement général européen sur la protection des données (RGPD).

argenx conservera, traitera et analysera électroniquement les données personnelles recueillies pour ce PBM afin de déterminer si vous pouvez recevoir Vyvgart 1000 mg, solution injectable, et surveiller la sécurité d'emploi de Vyvgart 1000 mg, solution injectable.

À cette fin, vos données médicales et autres données personnelles telles que votre nom ou initiales, date ou année de naissance, sexe seront envoyées à argenx ou à des personnes ou sociétés travaillant pour son compte. Ces données personnelles resteront confidentielles. Votre identité ne sera révélée à personne d'autre que les autorités sanitaires, chaque fois que cela est requis, ou en cas d'urgence médicale (en préservant toujours la confidentialité des renseignements).

argenx dispose de mesures de sécurité pour protéger vos données personnelles. Cela permet d'éviter que vos données ne soient perdues, utilisées ou consultées de manière non autorisée, altérées ou divulguées.

Vous avez le droit d'accéder à vos données personnelles et de les rectifier. Vous pouvez demander au médecin traitant de le faire à tout moment pendant ou après le PBM.

Le médecin traitant conservera vos données personnelles pendant la période requise par la loi locale. argenx recevra une copie des données codées sans votre nom et conservera ces données pendant une durée minimale de 25 ans.

Vous pouvez refuser tout traitement ultérieur de vos données personnelles en informant votre médecin traitant. Si votre médecin traitant n'est pas disponible ou si le programme est terminé, veuillez en informer le délégué à la protection des données d'argenx à l'adresse : DPO@argenx.com.

Si vous décidez de ne plus participer au programme, cela signifie que vous retirez (annuler) votre consentement. Dans ce cas, argenx informera toutes les personnes qui traitent vos données personnelles. Le personnel du programme ne recueillera aucune nouvelle donnée personnelle vous

concernant. Cependant, il pourra continuer à utiliser toutes les données personnelles déjà recueillies pour des raisons de fiabilité du programme. Si vous retirez votre consentement, vous ne pourrez plus continuer à participer à ce programme. Cela signifie que vous ne recevrez plus le médicament.

En signant ce formulaire, vous autorisez l'utilisation de vos données personnelles pour ce programme. Vous autorisez également l'envoi de vos données personnelles ou d'une partie de celles-ci en dehors de votre pays (y compris des pays situés en dehors de l'Union européenne). Cette utilisation a pour but de poursuivre les intérêts légitimes d'argenx. Cela signifie que vos données personnelles seront traitées conformément aux lois de l'Union européenne et des pays locaux sur la protection des données. argenx et le centre chargé du programme veilleront à ce que des mesures de protection adéquates, telles que les clauses types de l'Union européenne pour le transfert de données personnelles en dehors de l'Union européenne (le cas échéant), soient mises en place.

Votre autorisation d'utiliser et de divulguer vos informations de santé n'a pas de date d'expiration.

Si vous avez besoin de plus amples informations, veuillez contacter le médecin traitant.

Si vous avez un médecin généraliste ou d'autres spécialistes en charge de votre santé, vous devez les informer de votre participation à ce programme. Si vous êtes d'accord, le médecin traitant pourra informer votre médecin généraliste ou des spécialistes de votre participation au programme. Il peut demander à votre médecin généraliste ou à votre spécialiste des renseignements médicaux à votre sujet. Toutefois, si vous ne souhaitez pas que votre médecin généraliste ou des spécialistes soient informés, le médecin traitant ne les contactera pas. Le médecin traitant vous demandera de confirmer que vous souhaitez participer à ce programme.

APPROBATION DU COMITÉ D'ÉTHIQUE INDÉPENDANT

Un comité d'éthique est un groupe de personnes indépendantes qui vérifient que les programmes comme ce PBM respectent les droits des patients et certaines règles. Le comité donne des conseils sur tous les aspects éthiques dans le contexte des soins aux patients et de la recherche scientifique. Il est composé de médecins à l'intérieur et à l'extérieur de l'hôpital, d'un avocat, d'un pharmacologue, d'une infirmière et d'un éthicien. Le comité d'éthique de l'hôpital universitaire d'UZA (hôpital universitaire d'Anvers) a donné son approbation pour ce programme.

Ce programme a également été évalué et approuvé par l'Agence fédérale belge des médicaments et des produits de santé (AFMPS).

Questions

Si vous ou vos proches avez des questions concernant le traitement, vous devez contacter votre médecin. Si vous appelez en cas d'urgence ou si vous êtes hospitalisé(e), informez le médecin qui vous prend en charge que vous prenez un traitement par Vyvgart 1000 mg, solution injectable. Ne signez pas ce formulaire de consentement si vous avez encore des questions sur votre participation au PBM de Vyvgart 1000 mg, solution injectable. Il est important que vous ayez une réponse à toutes vos questions avant de signer le formulaire de consentement éclairé.

II CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ POUR PARTICIPER AU PROGRAMME DE BESOIN MÉDICAL DE Vyvgart 1000 mg, solution injectable.

Partie réservée au patient :

Je soussigné(e) (nom et prénom) confirme par la présente ce qui suit :

_____

✓ J'ai été informé(e) au sujet du PBM avec Vyvgart 1000 mg, solution injectable, comme association au traitement standard pour des patients atteints de myasthénie grave généralisée (MGg), qui démontrent une réponse inadéquate aux traitements conventionnels, ne sont pas cliniquement éligibles ou avec des contre-indications au traitement approuvé et remboursé et ne sont pas éligibles à un essai clinique.✓ Je déclare avoir été informé(e) de la nature, de l'objectif, de la durée, des bénéfices et des risques possibles du programme et je sais ce que l'on attend de moi. J'ai pris connaissance du document d'information (Partie I de ce document) et du consentement éclairé (Partie II de ce document).

✓ J'ai eu suffisamment de temps pour réfléchir et discuter avec une personne de mon choix, comme mon médecin et/ou un membre de ma famille.

✓ J'ai pu poser toutes les questions qui me sont venues à l'esprit et j'ai obtenu une réponse claire à mes questions.

✓ Je comprends que ma participation à ce programme est volontaire et que je suis libre de participer à ce programme sans nuire à la relation avec l'équipe thérapeutique responsable de ma santé.

✓ Je comprends que des données me concernant seront recueillies pendant ma participation à ce PBM. Le médecin et le propriétaire du programme veillent à la confidentialité de ces données conformément à la législation belge et européenne en vigueur.

✓ Je consens au traitement de ces données personnelles selon les modalités décrites dans la section sur la garantie de la confidentialité. J'autorise également le transfert et le traitement de ces données codées dans d'autres pays que la Belgique.

✓ J'accepte que le médecin généraliste et les autres spécialistes responsables de ma santé soient informés de ma participation à ce programme.

✓ J'ai reçu un exemplaire de ce document (Parties I et II).

En signant :

✓ J'accepte de participer à ce programme décrit dans ce document d'information et de consentement.

✓ J'accepte le traitement de mes données dans le cadre de ce programme, comme indiqué dans la partie I.

_____ Signature du patient

_____ Date de la signature

Partie réservée aux médecins :

Je soussigné(e) _____ (nom et prénom)

_____(numéro INAMI)

confirme par la présente que j'ai fourni verbalement à mon patient

(nom du patient) _____ les informations nécessaires sur le PBM et une copie du document d'information du patient.

Je confirme qu'il n'y a eu aucune pression sur le patient pour participer et que je suis disposé(e) à répondre à toute question supplémentaire.

Signature du médecin : _____ Date : _____

Partie réservée au témoin/à l'interprète (le cas échéant)

Je, soussigné(e), _____(nom et prénom) avec la qualification
_____, confirme par la présente que je assisté à l’ensemble du processus d’informations au patient

(nom et prénom) _____ et je confirme que les informations concernant les objectifs et les procédures du programme ont été fournies de manière adéquate et que le patient qui suit le programme a compris tout le contenu et que le consentement à participer au programme a été donné volontairement.

Signature du témoin/de l’interprète : _____ Date : _____