

Programme médical d'urgence relatif au mavacamten (CAMZYOS®) pour le traitement de la cardiomyopathie hypertrophique obstructive (CMHo) symptomatique (stade II-III de la classification NYHA, New York Heart Association) chez les patients adultes

Sponsor de ce programme médical d'urgence :

Bristol Myers Squibb
Avenue de Finlande 4
1420 Braine-l'Alleud, Belgique

Comité d'éthique médicale :

Comité d'éthique médicale UZ Brussel
Laarbeeklaan 101, 1090 Jette

E-mail : commissie.ethiek@uzbrussel.be

Téléphone : +32 2 477 55 84

Médecin responsable :

Dr Paul Lacante, BMS
Avenue de Finlande 4
1420 Braine-l'Alleud, Belgique
Numéro de téléphone : 0032 2 352 75 92

E-mail : Paul.Lacante@bms.com

1. Informations nécessaires à votre décision de participer

Introduction

Vous êtes invité(e) à participer à un programme médical d'urgence (PMU) parce que votre médecin a proposé de vous traiter avec le médicament CAMZYOS® (mavacamten) vu que vous êtes un patient avec une capacité d'effort limitée ou d'autres symptômes liés à une cardiomyopathie hypertrophique obstructive (CMHO).

Le CAMZYOS® (mavacamten) agit en réduisant :

- une contraction excessive du cœur, et
- l'obstruction de la circulation sanguine dans le corps.

Le CAMZYOS® (mavacamten) peut donc améliorer vos symptômes et votre capacité à être actif.

Ce formulaire de consentement contient des informations qui peuvent vous aider à décider si vous souhaitez commencer ce traitement. Avant d'accepter le traitement, il est important que vous lisiez et compreniez les informations ci-dessous à propos du médicament. Si vous avez des questions à propos du médicament, décidez si vous souhaitez commencer ou non le traitement après avoir reçu toutes les réponses nécessaires. Vous pouvez discuter de votre décision avec vos amis et votre famille. Votre médecin traitant expliquera en quoi consiste le traitement et répondra à toutes vos questions.

À propos de ce programme médical d'urgence

Le CAMZYOS® a été développé par BMS, le sponsor de ce programme, pour le traitement de la cardiomyopathie hypertrophique obstructive (CMHo) symptomatique chez les patients adultes.

Le CAMZYOS® a été approuvé pour les patients présentant une CMHo symptomatique par l'Agence européenne des médicaments (European Medicines Agency, EMA) et l'Agence américaine des médicaments (Food and Drug Administration, FDA) aux États-Unis. Le CAMZYOS® n'est toutefois pas encore remboursé en Belgique.

Le CAMZYOS® contient le principe actif mavacamten. Il s'agit d'un type de médicament contre la cardiomyopathie hypertrophique obstructive, appelé « inhibiteur réversible de la myosine cardiaque ».

La cardiomyopathie hypertrophique (CMH) est une affection entraînant une contraction et un épaississement inhabituel des parois du ventricule gauche. Comme les parois s'épaississent, elles peuvent bloquer la circulation sanguine du cœur (obstruction). Cette affection peut également provoquer une rigidité du cœur. Cette obstruction rend difficile l'écoulement du sang dans et hors du cœur et le pompage du corps à chaque pouls. Cette affection est appelée cardiomyopathie hypertrophique obstructive (CMHo).

Les symptômes de la CMHO sont : douleur thoracique, essoufflement (en particulier en cas d'exercice physique), fatigue, rythme cardiaque anormal, étourdissement, sentiment que vous êtes sur le point de vous évanouir, évanouissement (syncope), gonflement des chevilles, des pieds, des jambes, de l'abdomen et/ou des veines du cou. En inhibant l'action de certaines protéines (myosines cardiaques), CAMZYOS® peut réduire la contraction excessive du cœur et l'obstruction du flux sanguin provenant du cœur vers le reste de votre corps. Cela permet au CAMZYOS® (mavacamten) de soulager les symptômes qui surviennent chez les patients atteints de CMHo et d'améliorer votre capacité à être actif(ve).

Étant donné que le CAMZYOS® n'est pas encore remboursé en Belgique pour les patients atteints de cardiomyopathie hypertrophique obstructive, un programme médical d'urgence a été lancé par BMS pour mettre CAMZYOS® gratuitement à la disposition des patients qui, comme vous, peuvent bénéficier du traitement et pour lesquels aucun autre traitement alternatif approuvé n'est disponible. Ce programme médical d'urgence est disponible pour les patients dans les conditions spécifiées jusqu'à ce que le CAMZYOS® soit remboursé en Belgique ou jusqu'à ce que BMS décide de mettre fin à ce programme.

Lorsque le CAMZYOS® sera remboursé, les patients participant au programme passeront au produit commercial.

Traitement avec ce médicament

Pendant votre participation à ce programme médical d'urgence, vous serez suivi(e) de près par votre médecin et le personnel médical. Votre médecin est responsable de l'initiation et du suivi du traitement.

Si vous acceptez de participer à ce programme, vous prendrez une gélule de 2,5, 5,0, 10 ou 15 mg par jour (la dose est déterminée par votre médecin) de CAMZYOS® oralement (en avalant les gélules, avec/sans repas, de préférence avec de l'eau). Il est recommandé de le faire à la même heure chaque jour.

Si vous n'êtes pas sûr(e) de la manière dont vous devez prendre ce médicament, contactez votre médecin.

Vous devrez continuer à prendre CAMZYOS® aussi longtemps que votre médecin vous le dira. Il s'agit d'un traitement de longue durée. Si vous ressentez certains effets indésirables (également connus sous le nom d'effets secondaires) pendant que vous prenez CAMZYOS®,

Formulaire de consentement éclairé pour le programme médical d'urgence : CAMZYOS® pour le traitement de la cardiomyopathie hypertrophique obstructive (CMHo) symptomatique (*stade II-III de la classification NYHA, New York Heart Association*) chez des patients adultes.

votre médecin peut réduire votre dose ou arrêter temporairement ou définitivement le traitement.

Votre médecin vérifiera votre état de santé général avant et pendant le traitement par CAMZYOS®.

Votre médecin vérifiera le bon fonctionnement de votre cœur au moyen d'un échocardiogramme (un test à ultrasons qui prend des images de votre cœur) avant votre première dose et régulièrement tout au long de votre traitement par CAMZYOS®. Il est très important de conserver ces rendez-vous d'échocardiogramme, car votre médecin doit vérifier l'effet du CAMZYOS® sur votre cœur. Il se peut que la dose de votre traitement doive être ajustée pour améliorer votre réponse ou réduire les effets secondaires.

Si vous êtes une femme qui est susceptible de tomber enceinte, votre médecin peut procéder à un test de grossesse avant de commencer le traitement par CAMZYOS.

Votre médecin peut effectuer un test pour vérifier comment ce médicament est décomposé (métabolisé) dans votre corps, car cela peut permettre de déterminer votre traitement par CAMZYOS®.

Ce que vous devez savoir avant de prendre le CAMZYOS® :

Ne prenez jamais CAMZYOS®

- Si vous êtes allergique au mavacamten ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament.
- Si vous êtes enceinte ou vous êtes une femme en âge de procréer n'utilisant pas de contraception efficace.
- Si vous prenez des médicaments qui pourraient augmenter le taux de CAMZYOS® dans votre sang, tels que :
 - des médicaments par voie orale utilisés pour traiter les infections fongiques telles que l'itraconazole, le kétoconazole, le posaconazole et le voriconazole ;
 - certains médicaments utilisés pour traiter les infections bactériennes, tels que la clarithromycine (un antibiotique) ;
 - certains médicaments utilisés pour traiter les infections par le VIH, tels que le cobicistat, le ritonavir ;
 - certains médicaments utilisés pour traiter les cancers tels que le cécitinib, l'idélalisib, le tucatinib.

Demandez à votre médecin si le médicament que vous prenez vous empêche de prendre du mavacamten.

Avertissements et précautions

Informez immédiatement votre médecin ou pharmacien si vous :

- si vous présentez l'un de ces symptômes pendant votre traitement par CAMZYOS® :
 - essoufflement nouveau ou aggravé ;
 - douleur thoracique ;
 - fatigue ;
 - palpitations (battements cardiaques forts qui peuvent être rapides ou irréguliers), ou

- gonflement des jambes.

Ils pourraient être des signes et symptômes d'une dysfonction systolique, une affection dans laquelle le cœur ne parvient plus à pomper le sang avec suffisamment de force, ce qui peut engager le pronostic vital de la personne qui en est atteinte et entraîner une insuffisance cardiaque.

- si vous développez une infection grave ou ressentez des battements cardiaques irréguliers (arythmie), car cela pourrait vous exposer à un risque accru de développer une insuffisance cardiaque.
- .

Si vous observez un effet indésirable pendant votre traitement, veuillez en informer immédiatement votre médecin. Il/elle prendra une décision concernant le traitement avec CAMZYOS® et les mesures correctives à prendre. N'essayez pas de vous soigner avec d'autres médicaments.

Autres médicaments et CAMZYOS®

Informez votre médecin ou pharmacien si vous prenez ou allez prendre d'autres médicaments en ce moment, dans le passé récent ou à l'avenir.

Informez votre médecin ou pharmacien si vous prenez, avez récemment pris ou pourriez prendre tout autre médicament. Ceci est important car certains médicaments peuvent modifier la manière dont CAMZYOS® agit.

Certains médicaments peuvent augmenter les quantités de CAMZYOS® dans l'organisme et augmenter la probabilité que vous ayez des effets secondaires potentiellement sévères. D'autres médicaments peuvent réduire les quantités de CAMZYOS® dans l'organisme et peuvent réduire ses effets bénéfiques.

Votre médecin décidera si la dose doit être modifiée.

En particulier, informez votre médecin ou votre pharmacien si vous prenez, avez récemment pris ou si vous avez modifié la posologie de l'un des médicaments ci-après :

- certains médicaments utilisés pour réduire la quantité d'acide produit par votre estomac (cimétidine, oméprazole, ésoméprazole, pantoprazole) ;
- antibiotiques contre les infections bactériennes (tels que clarithromycine, érythromycine) ;
- médicaments utilisés pour traiter les infections fongiques (tels qu'itraconazole, fluconazole, kétoconazole, posaconazole et voriconazole) ;
- médicaments utilisés pour le traiter la dépression (tels que fluoxétine, fluvoxamine, citalopram) ;
- médicaments pour les infections par le VIH (tels que ritonavir, cobicistat, éfavirenz) ;
- rifampicine (un antibiotique contre les infections bactériennes comme la tuberculose) ;
- apalutamide, enzalutamide, mitotane, céritinib, idélalisib, ribociclib, tucatinib (médicaments utilisés pour traiter certains types de cancer) ;
- médicaments contre les convulsions (crises) ou l'épilepsie (tels que carbamazépine et phénytoïne, phénobarbital, primidone) ;

- millepertuis (un médicament à base de plantes contre la dépression) ;
- médicaments qui agissent sur le cœur (tels que bêta-bloquants et les inhibiteurs des canaux calciques, p. ex. vérapamil et diltiazem) ;
- médicaments qui rendent votre cœur plus résistant à une activité anormale (tels que des inhibiteurs des canaux sodiques, comme le disopyramide) ;
- ticlopidine (médicament utilisé pour prévenir les crises cardiaques et les AVC) ;
- létermovir (un médicament utilisé pour traiter les infections à cytomégalo virus) ;
- noréthistérone (un médicament utilisé pour traiter divers problèmes menstruels) ;
- prednisone (stéroïde).

Si vous prenez ou avez pris récemment l'un de ces médicaments, ou si leur dose a été modifiée, votre médecin devra effectuer un suivi étroit de votre santé. Il pourrait avoir besoin de modifier votre dose de CAMZYOS ou envisager d'autres traitements.

Si vous n'êtes pas sûr(e) de prendre l'un des médicaments susmentionnés, demandez conseil à votre médecin ou pharmacien avant de prendre le CAMZYOS®. Avant d'arrêter ou de modifier la dose d'un médicament, ou de commencer un nouveau médicament, demandez conseil à votre médecin ou votre pharmacien.

Ne prenez aucun des médicaments ci-dessus occasionnellement ou de temps à autre (hors traitement régulier) car cela pourrait modifier les quantités de CAMZYOS dans l'organisme.

Grossesse et allaitement

Si vous êtes enceinte ou que vous allaitez, si vous pensez être enceinte ou planifiez une grossesse, demandez conseil à votre médecin avant de prendre ce médicament. Ne prenez pas CAMZYOS® pendant la grossesse et pendant 6 mois avant le début d'une grossesse, ou si vous êtes une femme susceptible de tomber enceinte et que vous n'utilisez pas de contraception efficace. Le CAMZYOS® peut être nocif pour votre bébé à naître. Si vous êtes une femme en âge de procréer, votre médecin vous informera sur ce risque et vérifiera si vous n'êtes pas enceinte avant de commencer le traitement et régulièrement pendant le traitement. Si vous êtes enceinte, si vous pensez être enceinte ou si vous planifiez une grossesse pendant le traitement par CAMZYOS®, informez-en immédiatement votre médecin.

On ne sait pas si le CAMZYOS® passe dans le lait maternel. Vous ne pouvez pas allaiter pendant votre traitement par CAMZYOS®.

Conduite de véhicules et utilisation de machines

Le mavacamten peut avoir une légère influence sur votre aptitude à conduire des véhicules et à utiliser des machines. Si vous ressentez des étourdissements pendant votre traitement, ne conduisez pas de véhicule, ne faites pas de vélo et n'utilisez pas d'outils ni de machines.

CAMZYOS® contient du sodium

Ce médicament contient moins de 1 mmol (23 mg) de sodium par gélule, c'est-à-dire qu'il est essentiellement « sans sodium ».

Que faire si de nouvelles informations sont disponibles ?

Dans certains cas, de nouvelles informations sur le médicament que vous prenez peuvent être disponibles. Dans ce cas, votre médecin vous en informera et il discutera avec vous pour voir si vous souhaitez ou non poursuivre le traitement.

- Si vous décidez de poursuivre le traitement, il vous sera demandé de signer une nouvelle version modifiée de ce formulaire de consentement.
- Si vous décidez d'arrêter le traitement, votre médecin veillera à ce que vous continuiez à être traité(e) de la meilleure façon possible et cette décision n'influencera pas votre relation avec votre médecin.

De plus, votre médecin peut déterminer, sur la base de nouvelles informations, qu'il est dans votre intérêt d'arrêter le traitement. Si cela se produit, il/elle vous en expliquera les raisons et veillera également à ce que vous continuiez à être traité(e) de la meilleure façon possible.

Participation volontaire et retrait de votre consentement

Votre décision de suivre ce traitement est entièrement volontaire.

Même si vous décidez de commencer le traitement, vous êtes libre de l'arrêter à tout moment, sans devoir vous justifier. Votre décision d'arrêter le traitement est appelée « retrait du consentement ».

Veillez discuter de cette décision avec votre médecin qui rapportera votre retrait de consentement à BMS. La décision d'arrêter le traitement n'influencera pas votre relation avec votre médecin.

De même, votre médecin peut également décider d'arrêter votre traitement s'il/elle pense que c'est dans votre intérêt ou si vous ne suivez pas les instructions données pour participer à ce programme médical d'urgence.

Arrêt du traitement

La durée du traitement dépendra de votre réponse à celui-ci. Vous pouvez continuer à utiliser CAMZYOS® dans le cadre de ce programme tant que votre médecin pense que vous en bénéficiez.

Cependant, le traitement peut être interrompu, même sans votre consentement, dans l'un des cas suivants :

- si votre maladie s'aggrave ;
- s'il semble que vous ne tolérez pas le médicament en raison d'effets secondaires graves ;
- si vous ne respectez pas les instructions données ;
- s'il de nouvelles informations indiquent que vous ne bénéficiez plus du traitement;
- si vous ne pouvez pas donner votre consentement de manière totalement libre et éclairée, ou
- si votre médecin décide qu'il est dans votre intérêt d'arrêter le traitement.

Après l'arrêt du traitement, votre médecin veillera à ce que vous continuiez à être traité de la meilleure façon possible.

Si vous participez à ce programme

Si vous choisissez de participer à ce programme médical d'urgence, nous vous demandons de vous conformer pleinement et scrupuleusement aux instructions données par votre médecin.

Ne cachez aucune information sur votre maladie, les médicaments que vous prenez, les symptômes que vous ressentez ou toutes les circonstances qui pourraient affecter ce traitement.

Informez immédiatement votre médecin si vous êtes invité à participer à un autre programme médical ou à une étude clinique, afin que vous puissiez discuter d'une éventuelle participation avec lui/elle et afin de pouvoir examiner ensemble si votre participation au programme décrit ici doit être interrompue.

Frais de participation

BMS fournit CAMZYOS® gratuitement pendant toute la durée de ce programme médical d'urgence.

Toutes les autres interventions, examens et médicaments qui pourraient être nécessaires à ce programme sont soumis aux critères de remboursement habituels.

Vous ne recevez aucune compensation financière pour votre participation à ce programme.

Évaluation par un comité d'éthique

Ce programme a été évalué par un comité d'éthique indépendant et par l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) et ont émis un avis favorable par rapport au déroulement proposé de ce programme.

L'évaluation par le comité d'éthique indépendant et l'approbation par l'AFMPS ne doivent en aucun cas être considérées comme une motivation pour participer à ce programme médical d'urgence.

Protection de la confidentialité

Votre participation à ce programme signifie que vous acceptez que votre médecin recueille des données vous concernant qui peuvent être partagées avec BMS, le sponsor de ce programme.

Rôle de votre médecin

Si vous avez des questions sur l'utilisation de vos données, vous pouvez prendre contact avec votre médecin.

Votre médecin a une obligation de confidentialité concernant les données collectées. Cela signifie qu'il/elle s'engage, d'une part, à ne jamais divulguer votre nom dans le cadre d'une publication ou d'une conférence et, d'autre part, à coder vos informations avant le partage de vos données avec BMS (votre identité sera remplacée par un code d'identification dans le programme qui n'inclura aucune de vos informations personnelles).

Votre médecin et son équipe seront donc les seuls à pouvoir établir un lien entre votre dossier médical et les données transmises dans le cadre de ce programme. Les données personnelles transmises (âge, année de naissance, sexe, poids) ne contiendront aucune combinaison d'éléments permettant de vous identifier.

Rôle du sponsor de ce programme

Si vous avez des questions concernant l'utilisation de vos données, vous pouvez contacter BMS, le sponsor de ce programme, à l'adresse EUDPO@BMS.com.

Le gestionnaire des données de l'étude désigné par le sponsor ne sera pas en mesure de vous identifier sur la base des données transmises. Cette personne est responsable de la collecte de toutes les données partagées par tous les médecins participant au programme et du traitement et de la protection des données conformément à la loi belge relative à la protection de la vie privée (section 7§2a de la loi belge du 8 décembre 1992 relative à la protection de la vie privée à l'égard des traitements de données à caractère personnel).

Pour assurer la qualité du programme, il est possible que votre dossier médical soit examiné par des personnes liées par le secret professionnel et désignées par le comité d'éthique, le sponsor du programme ou un auditeur indépendant. En tout état de cause, cet examen de votre dossier médical ne pourra avoir lieu que dans un hôpital sous la responsabilité de votre médecin et sous la surveillance d'un des collaborateurs qu'il/elle aura désignés.

Les données (codées) peuvent être partagées avec aux autorités réglementaires belges, aux comités d'éthique compétents, ou d'autres médecins et/ou organisations travaillant en collaborant avec le sponsor.

Elles peuvent également être partagées avec d'autres sites du sponsor (et des sites collaborant avec ou avant le sponsor) en Belgique et dans d'autres pays où les normes de protection des données personnelles peuvent être différentes ou moins strictes. Ces transferts peuvent se faire sur la base des règles d'entreprise contraignantes du sponsor (procédures mises en place par le sponsor), qui peuvent être trouvées sur le site Web du sponsor.

Utilisation de vos données personnelles dans le cadre de ce programme

Votre consentement à participer à ce programme implique donc également votre consentement à l'utilisation de vos données codées aux fins décrites dans ce formulaire d'information et au transfert de vos données aux personnes et instances mentionnées.

Le sponsor n'utilisera les données collectées que dans le contexte de ce programme. Le sponsor a mis en place des procédures strictes en matière de protection de la vie privée et de la confidentialité afin de veiller à ce que votre vie privée ne soit pas compromise.

Si vous retirez votre consentement à participer à ce programme, les données codées jusqu'à ce moment seront conservées. Aucune nouvelle donnée ne sera toutefois communiquée au sponsor.

Le formulaire de consentement actuel (qui contient votre nom, votre prénom et votre signature) sera conservé par votre médecin dans votre dossier médical et ne sera pas partagé avec le sponsor.

Toutes les données collectées dans le cadre de ce programme seront conservées pendant au moins 10 ans.

Contact

Si vous souhaitez de plus amples informations sur ce programme médical d'urgence, mais aussi si vous avez des problèmes ou êtes inquiet/inquiète, prenez contact avec votre médecin ou un membre de son équipe.

Si vous avez des questions sur l'utilisation de vos données, vous pouvez prendre contact avec votre médecin.

Ne signez pas ce formulaire de consentement avant d'avoir eu l'occasion de discuter de vos questions et avant d'avoir reçu des réponses claires.

Programme médical d'urgence relatif au mavacamten (CAMZYOS®) pour le traitement de la cardiomyopathie hypertrophique obstructive symptomatique chez les patients adultes.

Sponsor de ce programme médical d'urgence :

Bristol Myers Squibb

Avenue de Finlande 4

1420 Braine-l'Alleud, Belgique

Comité d'éthique médicale : UZ Brussel, boulevard de Laarbeek, 101, 1090 Jette

Médecin responsable :

Dr Paul Lacante, BMS

Avenue de Finlande 4

1420 Braine-l'Alleud, Belgique

2. Consentement éclairé

Patient

Je déclare avoir été informé(e) de la nature, de l'objectif et de la durée de ce programme médical d'urgence, ainsi que des risques et avantages possibles et de ce que l'on attend de moi.

J'ai lu le document d'information et j'ai compris son contenu.

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

J'ai eu l'occasion de poser toutes mes questions à mon médecin et j'ai reçu des réponses claires à mes questions.

Je comprends que ma participation à ce programme médical d'urgence est volontaire et que je suis libre d'y mettre un terme sans que cela n'ait une influence sur ma collaboration avec l'équipe médicale responsable de ma santé.

Je comprends que pendant ma participation à ce programme, des données à caractère personnel telles que mon âge, mon année de naissance, mon sexe et mon poids peuvent être collectées et partagées avec BMS. J'accepte que mes données à caractère personnel soient traitées comme décrit dans le paragraphe « Protection de la confidentialité » du présent document.

J'ai reçu une copie des informations destinées au patient et du formulaire de consentement éclairé.

Mon consentement s'applique à toutes les informations du présent formulaire de consentement éclairé.

**J'ACCEPTÉ DE PARTICIPER VOLONTAIREMENT À CE PROGRAMME MÉDICAL
D'URGENCE**

Nom du patient

Signature du patient

Date

Nom et qualité du représentant légal ou du
témoin (si applicable)

Signature du représentant légal ou du
témoin (si applicable)

Date

Nom du médecin traitant

Signature du médecin traitant

Date

Medisch Noodprogramma mavacamten (CAMZYOS®) voor de behandeling van symptomatische (New York Heart Association, NYHA, klasse II-III) obstructieve hypertrofische cardiomyopathie (oHCM) bij volwassen patiënten

Sponsor van dit medisch noodprogramma:

Bristol Myers Squibb (BMS)

Avenue de Finlande 4,

1420 Braine-l'Alleud, België

Commissie Medische Ethiek:

Commissie Medische Ethiek UZ Brussel

Laarbeeklaan 101, 1090 Jette

E-mail: commissie.ethiek@uzbrussel.be

Telefoon: +32 2 477 55 84

Verantwoordelijke arts:

Dr. Paul Lacante, BMS

Avenue de Finlande 4

1420 Braine-l'Alleud, Belgique

Telefoonnummer: 0032 2 352 75 92

E-mail: Paul.Lacante@bms.com

1. Noodzakelijke informatie voor uw beslissing om deel te nemen

Inleiding

U wordt uitgenodigd om deel te nemen aan een medisch noodprogramma (MNP) omdat uw arts heeft voorgesteld om u te behandelen met het geneesmiddel CAMZYOS® (mavacamten) aangezien u een patiënt bent met een beperkt inspanningsvermogen of andere symptomen gerelateerd aan obstructieve hypertrofische cardiomyopathie (oHCM).

CAMZYOS® (mavacamten) werkt door het verminderen van:

- Overmatige samentrekking van het hart, en
- De belemmering van de bloedstroom naar het lichaam.

Daardoor kan CAMZYOS® (mavacamten) mogelijk uw klachten verbeteren en uw vermogen om actief te zijn.

Dit toestemmingsformulier bevat informatie die u kan helpen beslissen of u deze behandeling wenst te starten. Vooraleer u akkoord gaat met de behandeling, is het belangrijk dat u de onderstaande informatie over het geneesmiddel leest en begrijpt. Als u vragen heeft over dit geneesmiddel, beslis dan pas of u de behandeling al dan niet wenst te starten nadat al uw vragen beantwoord zijn. U kan uw beslissing bespreken met vrienden en familie. Uw behandelend arts zal de behandeling uitleggen en al uw vragen beantwoorden.

Over dit medisch noodprogramma

CAMZYOS® werd ontwikkeld door BMS, de sponsor van dit programma, voor de behandeling van symptomatische obstructieve hypertrofische cardiomyopathie (oHCM) in volwassen patiënten.

CAMZYOS® werd goedgekeurd voor patiënten met symptomatische oHCM door het Europees Geneesmiddelenbureau (European Medicines Agency, EMA) en de Food and Drug Administration (FDA) in de Verenigde Staten. CAMZYOS® is echter nog niet terugbetaald in België.

CAMZYOS® bevat het actieve bestanddeel mavacamten. Het is een type geneesmiddel tegen obstructieve hypertrofische cardiomyopathie dat bekend staat als “cardiale myosineremmer”.

Hypertrofische cardiomyopathy (HCM) is een aandoening waarbij de wanden van de linker hartkamer (lventrikel) harder samentrekken en dikker worden dan normaal. Doordat de wanden dikker worden, kunnen ze de bloedstroom uit het hart blokkeren (obstructie). Ook kan deze aandoening het hart stijf maken. Deze obstructie maakt het moeilijk het bloed in en uit het hart te laten stromen en door het lichaam te pompen bij elke hartslag. Deze aandoening wordt obstructieve hypertrofische cardiomyopathie (oHCM) genoemd.

Symptomen van oHCM zijn: pijn op de borst, kortademigheid (met name bij lichamelijke inspanning), vermoeidheid, abnormaal hartritme, duizeligheid, gevoel dat u gaat flauwvallen, (syncope), zwelling van de enkels, voeten, benen, buik en/of bloedvaten in de hals. Door de werking van bepaalde eiwitten (cardiale myosines) te remmen, kan CAMZYOS® overmatige contractie van het hart en de obstructie van de stroom van bloed uit het hart naar de rest van uw lichaam reduceren. Daardoor kan CAMZYOS® (mavacamten) symptomen die voorkomen bij patiënten met oHCM verlichten en uw mogelijkheid om actief te zijn verbeteren.

Omdat CAMZYOS® nog niet terugbetaald is in België voor patiënten met obstructieve hypertrofische cardiomyopathie, werd een medisch noodprogramma opgestart door BMS om CAMZYOS® gratis ter beschikking te stellen aan patiënten die, zoals u, baat kunnen hebben bij de behandeling en voor wie geen alternatieve, goedgekeurde behandelingen beschikbaar zijn. Dit medisch noodprogramma zal beschikbaar zijn voor patiënten onder de vastgelegde voorwaarden totdat CAMZYOS® terugbetaald wordt in België of tot BMS beslist het programma stop te zetten.

Wanneer CAMZYOS® terugbetaald wordt, zullen patiënten die deelnemen aan dit programma overschakelen op het commerciële product.

Behandeling met dit geneesmiddel

Tijdens uw deelname aan dit medisch noodprogramma zal u van dichtbij opgevolgd worden door uw arts en het medisch personeel. Uw arts is verantwoordelijk voor de initiatie en opvolging van de behandeling.

Indien u akkoord gaat met deelname aan dit programma zal u eenmaal per dag één capsule van 2.5, 5.0, 10 of 15 mg (de dosis wordt bepaald door uw arts) CAMZYOS® oraal innemen (door de capsules door te slikken, met/zonder maaltijd, bij voorkeur met water). Het wordt aanbevolen om dit op ongeveer hetzelfde tijdstip te doen elke dag.

Indien u niet zeker bent hoe u dit geneesmiddel moet innemen, neem dan contact op met uw arts.

U zal CAMZYOS® zo lang moeten innemen als uw arts u zegt. Dit is een langdurige behandeling. Indien u geconfronteerd wordt met ongewenste effecten (ook bekend als

bijwerkingen) terwijl u CAMZYOS® neemt, kan uw arts de dosis verlagen of de behandeling tijdelijk of permanent opschorten.

Uw arts zal uw algemene gezondheid voor en tijdens de behandeling met CAMZYOS® nakijken.

Uw arts doctor zal nagaan hoe goed uw hart werkt door middel van een echocardiogram (een ultrasound test die beelden neemt van uw hart) voor uw eerste dosis én regelmatig doorheen uw behandeling met CAMZYOS®. Het is zeer belangrijk deze echocardiogramafspraken te behouden, omdat uw arts het effect van CAMZYOS® op uw hart dient na te gaan. De dosis van uw behandeling kan mogelijks moeten worden aangepast om uw respons te verbeteren of neveneffecten te reduceren.

Als u een vrouw bent die zwanger zou kunnen worden kan uw dokter een zwangerschapstest uitvoeren alvorens behandeling met CAMZYOS op te starten.

Uw arts kan een test uitvoeren om na te gaan hoe dit geneesmiddel afgebroken wordt (gemetaboliseerd) in uw lichaam omdat dit kan gebruikt worden om uw CAMZYOS® behandeling te bepalen.

Wat u moet weten vooraleer u CAMZYOS® inneemt:

Neem CAMZYOS® niet in

- Als u allergisch bent aan mavacamten of een van de andere bestanddelen in dit geneesmiddel.
- Als u zwanger bent of een vrouw die zwanger kan worden, en u gebruikt geen effectieve anticonceptie.
- Als u medicatie gebruikt die de gehalte CAMZYOS® in uw bloed kan doen verhogen zoals:
 - Orale geneesmiddelen ter behandeling van schimmelinfecties zoals itraconazol, ketoconazol, posaconazol, voriconazol,
 - Bepaalde geneesmiddelen ter behandeling van bacteriële infecties zoals antibiotica clarithromycine,
 - Bepaalde geneesmiddelen ter behandeling van een hiv-infectie zoals cobicistat, ritonavir,
 - Bepaalde geneesmiddelen ter behandeling van kanker zoals ceritinib, idelalisib, tucatinib.

Vraag uw arts of u door het geneesmiddel dat u gebruikt mavacamten niet kunt gebruiken.

Waarschuwingen en voorzorgsmaatregelen

Laat uw arts of apotheker meteen weten wanneer u:

- Één van onderstaande klachten krijgt tijdens uw behandeling met CAMZYOS:
 - Voor het eerst voorkomende of erger wordende kortademigheid,
 - Pijn op uw borst,
 - Vermoeidheid,
 - Hartkloppingen (een krachtige hartslag die snel of onregelmatig kan zijn), of
 - Zwelling in de benen.

Deze kunnen klachten en verschijnselen zijn van systolische dysfunctie, een aandoening waarbij het hart niet krachtig genoeg kan pompen, wat levensbedreigend kan zijn en leiden tot hartfalen.

- Een ernstige infectie of onregelmatige hartritme (aritmie) ontwikkelt aangezien dit uw risico op het ontwikkelen van hartfalen kan verhogen.

Als u een bijwerking ervaart tijdens uw behandeling, neem dan onmiddellijk contact op met uw arts. Hij/zij zal een beslissing nemen omtrent de behandeling met CAMZYOS® en de nodige aanpassingen doen. Probeer niet uzelf te behandelen met andere geneesmiddelen.

Andere geneesmiddelen en CAMZYOS®

Vertel uw arts of apotheker als u op dit moment, in het recente verleden of in de toekomst andere geneesmiddelen neemt of zal nemen.

Dit omdat bepaalde andere geneesmiddelen de werking van CAMZYOS® kan beïnvloeden. Bepaalde andere geneesmiddelen kunnen de concentratie van CAMZYOS® in uw lichaam doen toenemen en het ontwikkelen van neveneffecten, die ernstig kunnen zijn, doen toenemen. Bepaalde andere geneesmiddelen kunnen de concentratie van CAMZYOS® in uw lichaam doen afnemen en mogelijks de gunstige effecten van CAMZYOS® doen afnemen.

Uw arts zal beslissen of de dosis aangepast moet worden.

Meer specifiek, vertel uw arts of apotheker als u op dit moment, in het recente verleden of een gewijzigde dosis van één van onderstaande geneesmiddelen neemt/nam:

- Geneesmiddelen met als doel de hoeveelheid zuur geproduceerd door uw maag te reduceren (cimetidine, omeprazol, esomeprazol, pantoprazol)
- Antibiotica voor bacteriële infecties (zoals clarithromycine, erythromycine)
- Geneesmiddelen ter behandeling van schimmelinfecties (zoals itraconazol, fluconazol, ketoconazol, posaconazol and voriconazol)
- Geneesmiddelen ter behandeling van depressie (zoals fluoxetine, fluvoxamine, citalopram)
- Geneesmiddelen voor hiv-infecties (zoals ritonavir, cobicistat, efavirenz)
- Rifampicine (een antibioticum voor bacteriële infecties zoals tuberculosis)
- Apalutamide, enzalutamide, -mitotaan, ceritinib, idelalisib, ribociclib, tucatinib (geneesmiddelen gebruikt ter behandeling van bepaalde vormen van kanker).
- Geneesmiddelen voor stuipen of epilepsie (zoals carbamazepine en fenytoïne, fenobarbital, primidon)
- Sint-janskruid (een plantaardig geneesmiddel tegen depressie)
- Geneesmiddelen met een impact op uw hart (zoals betablokkers en calciumkanaal blokkers bijv. verapamil en diltiazem)
- Geneesmiddelen die uw hart meer resistent maken aan abnormale activiteit (zoals natrium kanaalblokkers bijv. disopyramide).
- ticlopidine (een geneesmiddelen om hartaanvallen en beroertes te voorkomen)
- letermovir (een geneesmiddel voor de behandeling van cytomegalovirusinfecties)

Geïnformeerd toestemmingsformulier voor het medisch noodprogramma: CAMZYOS® voor de behandeling van symptomatische (*New York Heart Association*, NYHA, klasse II-III) obstructieve hypertrofe cardiomyopathie (oHCM) in volwassen patiënten.

- norethisteronndron (een geneesmiddel voor de behandeling van verschillende menstruatieproblemen)
- prednison (steroïde).

Indien u op dit moment, in het recente verleden, of een gewijzigde dosis van één van deze geneesmiddelen neemt/nam dient uw arts u van nabij op te volgen, eventueel de dosis van CAMZYOS® op te volgen, of een alternatieve behandeling overwegen.

Indien u onzeker bent of u één van bovenstaande geneesmiddelen gebruikt, vraag dit aan uw arts of apotheker voordat u CAMZYOS® inneemt. Voordat u het gebruik of de dosis van een medicijn wijzigt, of u een nieuw medicijn inneemt, informeer u arts of apotheker.

Neem geen van bovenstaande medicijnen af en toe (niet regelmatig) omdat dit de hoeveelheid CAMZYOS® in uw lichaam kan beïnvloeden.

Zwangerschap en borstvoeding

Vraag advies aan uw arts vooraleer u dit geneesmiddel inneemt indien u zwanger bent of borstvoeding geeft, indien u denkt dat u zwanger kan zijn of als u probeert zwanger te worden.

Neem CAMZYOS® niet tijdens de zwangerschap, 6 maanden voordat u zwanger wordt, of als u een vrouw bent die zwanger kan worden en u geen effectieve anticonceptie gebruikt.. CAMZYOS® kan schadelijk zijn voor uw ongeboren baby. Als u een vrouw bent die zwanger kan worden, zal uw arts u vertellen over dit risico en zal deze controleren of u zwanger bent voordat u start met de behandeling en regelmatig tijdens de behandeling. . Informeer uw arts onmiddellijk indien u zwanger bent, indien u denkt dat u zwanger kan zijn of als u probeert zwanger te worden terwijl u CAMZYOS® inneemt.

Het is niet bekend of CAMZYOS® in de moedermelk terechtkomt. U mag geen borstvoeding geven terwijl u CAMZYOS® gebruikt.

Rijvaardigheid en het gebruik van machines

Mavacamten kan een geringe invloed hebben op de rijvaardigheid en op het vermogen om machines te bedienen. Voelt u zich duizelig terwijl u dit geneesmiddel gebruikt? Bestuur dan geen voertuigen, fiets niet en gebruik geen gereedschappen of machines.

CAMZYOS® bevat natrium

Dit geneesmiddel bevat minder dan 1 mmol natrium (23 mg) per capsule, dat wil zeggen dat het in wezen 'natriumvrij' is.

Wat als nieuwe informatie beschikbaar is?

In sommige gevallen kan nieuwe informatie over het geneesmiddel dat u inneemt beschikbaar zijn. Indien dit gebeurt, zal uw arts u hierover informeren en zal hij/zij met u bespreken of u de behandeling wenst voort te zetten.

- Indien u beslist de behandeling voort te zetten, zal u gevraagd worden een nieuwe, aangepaste versie van dit toestemmingsformulier te ondertekenen.

- Indien u beslist de behandeling stop te zetten, zal uw arts er voor zorgen dat u op de best mogelijke manier verder behandeld wordt, en deze beslissing zal uw relatie met uw arts niet beïnvloeden.

Daarnaast kan uw arts beslissen, gebaseerd op nieuwe informatie, dat u best de behandeling stopzet. Indien dit het geval is zal hij/zij de redenen aan u uitleggen en er ook voor zorgen dat u op de best mogelijke manier verder behandeld wordt.

Vrijwillige deelname en het intrekken van uw toestemming

Uw beslissing om deze behandeling aan te vatten is geheel vrijwillig.

Zelfs indien u beslist de behandeling te starten, bent u vrij om op eender welk moment de behandeling te stoppen, zonder uzelf te moeten verantwoorden. Uw beslissing om de behandeling te stoppen wordt “intrekking van toestemming” genoemd.

Bespreek een eventuele intrekking van uw toestemming met uw arts, die dit zal doorgeven aan BMS. Een beslissing om de behandeling te stoppen zal uw relatie met uw arts niet beïnvloeden.

Ook kan uw arts beslissen uw behandeling stop te zetten als hij/zij denkt dat dit in uw belang is of indien u de gegeven instructies voor deelname aan dit medisch noodprogramma niet opvolgt.

Stopzetting van de behandeling

De duur van de behandeling moet in lijn zijn met de beschikbare evidentie. U kan CAMZYOS® blijven gebruiken als deel van dit programma zolang uw arts denkt dat u er baat bij heeft.

De behandeling kan echter stopgezet worden, zelfs zonder uw toestemming, in de volgende gevallen:

- Indien uw ziekte verergert,
- Indien blijkt dat u het geneesmiddel niet goed kan verdragen omwille van ernstige bijwerkingen,
- Indien u de gegeven instructies niet opvolgt,
- Indien uit nieuwe informatie blijkt dat u niet langer baat heeft bij de behandeling,
- Indien u uw toestemming niet vrijwillig en bewust kan geven, of
- Indien uw arts beslist dat het beter is voor u om de behandeling stop te zetten.

Bij stopzetting van de behandeling zal uw arts ervoor zorgen dat u de beste zorg blijft ontvangen.

Indien u deelneemt in dit programma

Indien u ervoor kiest om deel te nemen aan dit medisch noodprogramma, vragen we u om de gegeven instructies van uw arts volledig en nauwgezet te volgen.

Hou geen informatie achter over uw ziekte, de medicatie die u inneemt, de symptomen die u ervaart of eender welke omstandigheden die de behandeling kunnen beïnvloeden.

Licht uw arts onmiddellijk in indien u wordt gevraagd om deel te nemen aan een ander medisch programma of een klinische studie, zodat u een eventuele deelname met hem/haar kan bespreken en zodat jullie samen kunnen bekijken of uw deelname aan het hier beschreven programma moet worden stopgezet.

Kosten van een deelname

BMS verdeelt CAMZYOS® zonder kosten voor de duur van dit medisch noodprogramma.

Alle andere noodzakelijk interventies, onderzoeken en medicatie die noodzakelijk kunnen zijn binnen dit programma zijn onderhevig aan de gebruikelijke terugbetalingscriteria.

U zal geen financiële compensatie verkrijgen voor uw deelname aan dit programma.

Evaluatie door een ethische commissie

Dit programma werd geëvalueerd door een onafhankelijke ethische commissie en door het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) en hebben een gunstig advies uitgebracht voor het voorgestelde proces van dit programma.

De evaluatie door de onafhankelijke ethische commissie en door het FAGG moeten in geen geval beschouwd worden als een aansporing om deel te nemen aan dit medisch noodprogramma.

Bescherming van vertrouwelijkheid

Uw deelname aan dit programma betekent dat u akkoord gaat dat uw arts gegevens over u verzamelt die gedeeld kunnen worden met BMS, de sponsor van dit programma.

Rol van uw arts

Indien u vragen heeft over het gebruik van uw gegevens, kan u contact opnemen met uw arts.

Uw arts heeft een geheimhoudingsplicht met betrekking tot de verzamelde gegevens. Dit betekent dat hij/zij zich ertoe verbindt om, ten eerste, nooit uw naam bekend te maken in de context van een publicatie of conferentie en, ten tweede, uw informatie zal coderen voordat uw gegevens worden gedeeld met BMS (uw identiteit zal vervangen worden door een ID-code in het programma die geen enkele persoonlijke informatie bevat).

Uw arts en zijn/haar team zullen daarom de enigen zijn die een verband kunnen leggen tussen uw medisch dossier en de gegevens die worden doorgegeven in het kader van dit programma. De persoonlijke gegevens die worden doorgegeven (leeftijd, geboortjaar, geslacht, gewicht) zullen geen combinatie van elementen bevatten waardoor u geïdentificeerd kan worden.

Rol van de sponsor van dit programma

Indien u vragen heeft met betrekking tot het gebruik van uw gegevens, kan u contact opnemen met BMS, de sponsor van dit programma, via EUDPO@BMS.com.

De beheerder van de onderzoeksgegevens aangesteld door de sponsor zal niet in staat zijn u te identificeren op basis van de gegevens die worden doorgegeven. Deze persoon is verantwoordelijk voor het verzamelen van alle gegevens die gedeeld worden door alle artsen die deelnemen aan dit programma en voor het verwerken en beschermen van de gegevens in overeenstemming met de Belgische wet ter bescherming van de persoonlijke levenssfeer (sectie 7§2a van de Belgische gegevensbescherming akte van 8 december 1992).

Om de kwaliteit van het programma op te volgen, is het mogelijk dat uw medisch dossier wordt onderzocht door personen die gebonden zijn aan het beroepsgeheim en die aangesteld zijn door de ethische commissie, de sponsor van het programma of een onafhankelijke auditor. In ieder geval zal dit onderzoek van uw medisch dossier alleen mogen plaatsvinden in een ziekenhuis onder de verantwoordelijkheid van uw arts en onder toezicht van een van de medewerkers die door hem/haar zijn aangesteld.

De (gecodeerde) gegevens kunnen gedeeld worden met de Belgische regelgevende instanties, de betrokken ethische commissies, of andere artsen en/of organisaties die samenwerken met de sponsor.

Ze kunnen ook gedeeld worden met andere sites van de sponsor (en sites die voor of met de sponsor samenwerken) in België en in andere landen waar de standaarden voor persoonlijke gegevensbescherming anders of minder strikt kunnen zijn. Deze overdrachten kunnen

gebeuren op basis van de bindende bedrijfsvoorschriften van de sponsor (de procedures die de sponsor heeft opgezet), die gevonden kunnen worden op de website van de sponsor.

Gebruik van uw persoonlijke gegevens in dit programma

Uw toestemming om deel te nemen aan dit programma impliceert dus ook uw toestemming tot het gebruik van uw gecodeerde gegevens voor doeleinden zoals hier beschreven en tot de overdracht van uw gegevens naar de hier genoemde personen en instanties.

De sponsor zal de verzamelde gegevens enkel gebruiken in de context van dit programma. De sponsor heeft strikte procedures opgezet omtrent de bescherming van privacy en vertrouwelijkheid om ervoor te zorgen dat uw privacy niet wordt geschonden.

Indien u uw toestemming tot deelname aan dit programma intrekt, zullen de gegevens die tot dat moment zijn gecodeerd bijgehouden worden. Er zullen echter geen nieuwe data gedeeld worden met de sponsor.

Het huidige toestemmingsformulier (dat uw naam, achternaam en handtekening bevat) zal bewaard worden door uw arts in uw medisch dossier en zal niet gedeeld worden met de sponsor.

Alle gegevens verzameld in het kader van dit programma zullen voor minstens 10 jaar bewaard worden.

Contact

Indien u bijkomende informatie wenst over dit medisch noodprogramma, maar ook indien u problemen ervaart of bezorgd bent, neem dan zeker contact op met uw arts of iemand in zijn/haar team.

Indien u vragen hebt over het gebruik van uw gegevens, kan u contact opnemen met uw arts.

Teken dit toestemmingsformulier niet vooraleer u een kans hebt gekregen om uw vragen te bespreken en tot u duidelijke antwoorden hebt gekregen.

Medisch Noodprogramma mavacamten (CAMZYOS®) voor de behandeling van symptomatische obstructieve hypertrofische cardiomyopathie in volwassen patiënten.

Sponsor van dit medisch noodprogramma:

Bristol Myers Squibb (BMS)

Avenue de Finlande 4,

1420 Braine-l'Alleud, België

Commissie Medische Ethiek: UZ Brussel, Laarbeeklaan 101, 1090 Jette

Verantwoordelijke arts:

Dr. Paul Lacante, BMS

Avenue de Finlande 4

1420 Braine-l'Alleud, België

2. Geïnformeerde toestemming

Patient

Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over de aard, het doel en de duur van dit medisch noodprogramma, alsook over de mogelijke risico's en voordelen en wat van mij verwacht wordt.

Ik heb het informatiedocument gelezen en begrijp de inhoud.

Ik heb voldoende tijd gekregen om erover na te denken en het te bespreken met een persoon naar keuze, zoals mijn arts of een familielid.

Ik heb de kans gekregen om al mijn vragen aan mijn arts te stellen en heb duidelijk antwoord gekregen op mijn vragen.

Ik begrijp dat mijn deelname aan dit medisch noodprogramma vrijwillig is en dat ik vrij ben om mijn deelname aan dit programma stop te zetten zonder dat dit invloed heeft op mijn samenwerking met het medisch team dat verantwoordelijk is voor mijn gezondheid.

Ik begrijp dat tijdens mijn deelname aan dit programma persoonlijke gegevens zoals mijn leeftijd, geboortjaar, geslacht en gewicht kunnen worden verzameld en kunnen worden gedeeld met BMS. Ik ga ermee akkoord dat mijn persoonlijke gegevens worden verwerkt zoals beschreven in de paragraaf 'Bescherming van vertrouwelijkheid' van dit document.

Ik heb een kopie ontvangen van de informatie voor de patiënt en van het formulier voor geïnformeerde toestemming.

Mijn toestemming is van toepassing op alle informatie in dit formulier voor geïnformeerde toestemming.

**IK GA AKKOORD MET EEN DEELNAME AAN DIT MEDISCH NOODPROGRAMMA
OP VRIJWILLIGE BASIS**

Naam van de patiënt

Handtekening van de patiënt

Datum

Naam en hoedanigheid van de wettelijke
vertegenwoordiger of getuige (indien van
toepassing)

Handtekening van de wettelijke
vertegenwoordiger of getuige (indien van
toepassing)

Datum

Naam van de behandelende arts

Handtekening van de behandelende arts

Datum