

Ouderlijke toestemming voor het krijgen van een behandeling (Vamorolone) in een programma voor het gebruik van een niet-goedgekeurd geneesmiddel in schrijnende gevallen (compassionate use programma)

Titel: Compassionate Use protocol voor jongens met Duchenne spierdystrofie die het protocol VBP15-004 volgen

Behandelende arts in dit protocol: _____

Naam van de sponsor: Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd

Inleiding

Deze toestemming wordt u weer voorgelegd vanwege een verandering van sponsor van dit compassionate use programma. ReveraGen heeft het sponsorschap van het programma op 12 september 2022 overgedragen aan Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd. Dit zal geen invloed hebben op de uitvoering van het programma. We willen u er ook van op de hoogte brengen dat de formulering en verpakking van de studiemedicatie en de aanbevelingen met betrekking tot het bewaren en de inname zijn veranderd. De belangrijkste veranderingen worden in dit formulier vermeld. De arts van uw zoon zal u ook alle nodig uitleg geven.

Uw zoon krijgt een doorlopende behandeling aangeboden met vamorolone, een medicijn dat nog niet is goedgekeurd door de regelgevende instanties. Dit formulier is bedoeld om u te informeren over elementen waarover u moet nadenken voordat u beslist of u al dan niet wilt dat uw zoon deze behandeling blijft volgen. **De keuze is volledig aan u. Als u besluit om uw zoon deze behandeling te laten volgen, kunt u zich later altijd bedenken en de behandeling stopzetten.** De beslissing om deze behandeling te volgen, heeft geen invloed op de zorg die uw zoon krijgt. Als u besluit om uw zoon niet in dit compassionate use programma te laten opnemen, zal zijnarts hem met dezelfde zorg blijven behandelen.

Voordat u een beslissing neemt:

- Lees dit formulier aandachtig door of laat het voorlezen.
- Laat de behandelende arts of het personeel van het programma de behandeling aan u uitleggen.
- Stel vragen over alles wat niet duidelijk is

U kunt een exemplaar van dit toestemmingsformulier meenemen om te bewaren. Neem gerust de tijd om erover na te denken of u uw zoon wilt laten deelnemen. Misschien wilt u uw beslissing met familie of vrienden bespreken. Ondertekent dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans hebt gehad om alle vragen te stellen die voor u noodzakelijk zijn en antwoorden hebt gekregen waarmee u verder kunt. Door dit formulier te ondertekenen, geeft u geen enkel wettelijk recht op. U krijgt een exemplaar van het ondertekende geïnformeerde toestemmingsformulier om te bewaren.

Het is belangrijk dat u weet dat een deelname aan dit compassionate use programma elke deelname aan een andere studie uitsluit. De behandelende arts zal de geschiktheid van uw zoon voor deelname aan andere klinische studies met u bespreken voordat u beslist om uw zoon te laten deelnemen aan dit compassionate use programma.

Wat is het doel van dit programma?

De behandelende arts zal uw zoon behandelen met een medicijn, vamorolone. Vamorolone is nog niet door de regelgevende instanties goedgekeurd voor gebruik bij de mens. Uw zoon heeft vamorolone gekregen in het kader van een onderzoek bij kinderen met Duchenne spierdystrofie (DMD), dat nu is afgelopen. Dit programma biedt verdere toegang tot vamorolone als u en de arts van uw kind willen dat uw zoon verder met vamorolone wordt behandeld.

Wat wordt er van mij gevraagd?

- Vamorolone wordt u verstrekt door de behandelende arts van uw kind, die genoemd wordt in dit toestemmingsformulier. Vamorolone zal ofwel naar u worden verstuurd ofwel persoonlijk worden afgeleverd tijdens een bezoek.
- U wordt gevraagd om de dosis vamorolone die door de behandelende arts is voorgeschreven toe te dienen, wetend dat deze dosis wordt beperkt tot maximaal 300 mg wanneer uw zoon een gewicht van 50 kg of meer heeft bereikt.
- Vanwege de verandering in de formulering zal u het medicijn vóór het eerste gebruik op kamertemperatuur kunnen bewaren (beneden 25°C) en het vervolgens in de koelkast (tussen 2°C en 8°C) kunnen zetten, zoals aangegeven op het etiket van de fles. Deze nieuwe formulering wordt de ‘in de handel te brengen formulering 2.5’ genoemd. De toekomstige voorraden zullen in deze nieuwe formulering worden verstrekt. Uw kind kan een iets andere smaak opmerken,

maar de eigenschappen van het medicijn blijven onveranderd. De fles zal worden geleverd in een doos met twee herbruikbare toedieningshulpmiddelen en een indruk-flesadapter.

- De behandelende arts zal aanbevelen om uw zoon controlebezoeken, bloed- en urinetesten en procedures te laten ondergaan volgens de zorgstandaard voor de verzorging van een kind met DMD dat steroïden krijgt.
- De behandelende arts is verplicht om alle veiligheidskwesties of gebeurtenissen die zich voordoen terwijl uw zoon vamorolone neemt, te verzamelen, te documenteren en te rapporteren aan de leverancier van het geneesmiddel (Santhera). U dient het aanbevolen toedieningsplan van het onderzochte geneesmiddel te volgen en u te houden aan de opvolging en monitoring van de standaardzorg zoals aanbevolen door de behandelende arts.
- Eventuele ongerustheid over de veiligheid moet door u, een ander familielid of een andere arts of zorgverlener (bijvoorbeeld op een spoedafdeling) worden gemeld aan de behandelende arts van uw kind, die genoemd wordt in dit toestemmingsformulier.
- U krijgt een kaartje waarop staat aangegeven dat uw zoon risico loopt op een bijniercrisis in geval van een ernstige ziekte of wanneer een operatie nodig is.

Wie krijgt informatie over mijn behandeling?

Als u deze behandeling volgt, zal de informatie over vamorolone worden doorgegeven aan uw artsen, de fabrikant van het medicijn, Santhera, en aan de regelgevende instanties. U ontvangt geen vergoeding voor uw deelname en ook niet als uw informatie wordt gebruikt om een nieuw product te maken. Als u stopt met de behandeling, kan de reeds verzamelde informatie nog steeds worden gebruikt voor dit programma.

Wat zijn de mogelijke risico's en ongemakken?

Uw zoon zou bepaalde bijwerkingen of ongemakken kunnen ondervinden terwijl hij vamorolone neemt. Houd u aan de aanbevolen consultaties bij zijn behandelende arts om uw kind zorgvuldig te laten opvolgen. Als er bijwerkingen ontstaan, neem dan contact op met uw behandelende arts via

[Naam van de contactpersoon op de
deelnemende locatie] via _____ [Contactinformatie],

die er alles aan zal doen om de bijwerkingen te verminderen/behandelen of op te lossen. Hieronder vindt u een lijst van bijwerkingen die uw zoon zou kunnen ondervinden. Er kunnen ook bijwerkingen optreden die nog onbekend zijn.

Risico's van het nemen van Vamorolone

BIJNERSUPPRESSIE

Na toediening van vamorolone gedurende 24 weken tijdens de studie VBP15-003 werd bijniersuppressie waargenomen bij de 2 hogere doses van vamorolone: bij 5 van de 12 jongens (42%) die 2,0 mg/kg/dag innamen, en 8 van de 9 jongens (89%) die 6,0 mg/kg/dag innamen, werd bijniersuppressie vastgesteld. Dit werd alleen opgemerkt in het bloedonderzoek (verlaagde cortisolniveaus) en leidde niet tot symptomen. Bijniersuppressie wordt veroorzaakt door een verminderde werking van de bijnieren. De bijnieren produceren hormonen in het lichaam. Vaak vertonen kinderen met bijniersuppressie geen symptomen of niet-specifieke symptomen. Teken en symptomen van bijnierinsufficiëntie kunnen zijn:

- Vermoeidheid/moe zijn
- Misselijkheid;braken
- Pijn in de buik/onderbuik
- Spierpijn
- Spierzwakte
- Duizeligheid
- Moeite om helder te denken
- Verminderde groei
- Gewichtsverlies
- Gedragsveranderingen

Bijniersuppressie kan ook worden waargenomen bij personen die klassieke steroïden (prednison, deflazacort) nemen of daar recent mee zijn gestopt. Sommige van deze tekenen en symptomen worden ook waargenomen bij mensen met DMD zonder bijnierproblemen. Kinderen met bijniersuppressie lopen het risico zeer ziek te worden. Dit is zeldzaam, maar wanneer het toch gebeurt, noemen we dit een bijniercrisis. Een bijniercrisis kan gepaard gaan met een lage bloeddruk en/of een lage bloedsuikerspiegel en treedt meestal op wanneer een kind met een niet-herkende bijnierinsufficiëntie onder lichamelijke stress staat, zoals door een ziekte, operatie of verwonding. Geen enkele gezonde volwassen vrijwilliger die vamorolone nam tijdens de klinische studies VBP15-001 kreeg een bijniercrisis. Geen enkele proefpersoon die deelnam aan de studies VBP15-002- en VBP15-003 kreeg een bijniercrisis. Een bijniercrisis kan worden voorkomen door tijdens de acute stress steroïdevervanging toe te dienen in 'stressdoseringen'. Als uw zoon een van de bovengenoemde symptomen vertoont, moet zijn

behandelende arts op de hoogte worden gebracht. Een doorverwijzing naar een endocrinoloog met het oog op het testen van de bijnierfunctie en de toediening van vervangende steroïden is mogelijk. Ook als uw zoon een chirurgische ingreep moet ondergaan, een ernstig letsel heeft of ziek wordt tijdens zijn deelname aan deze studie, dient u de behandelende arts van uw zoon onmiddellijk op de hoogte te brengen, zodat hij/zij u raad kan geven om het risico op ongewenste effecten ten gevolge van mogelijke bijnierinsufficiëntie zo klein mogelijk te houden.

VERHOOGDE LEVERENZYKEN

In een eerdere studie naar vamorolone bij gezonde volwassen vrijwilligers werden bij één volwassene in de groep met de hoogste dosering (20 mg/kg/dag) tijdelijk verhoogde leverenzymen waargenomen, wat op mogelijke leverschade zou kunnen wijzen. Verhoogde leverenzymen en leverschade zijn dus ook een mogelijk risico dat in verband wordt gebracht met vamorolone. De meest voorkomende bloedtests om op leverproblemen te testen, zijn die op AST- en ALT-enzymen. Bij patiënten met DMD zijn deze enzymen echter al verhoogd als gevolg van spierschade en daarom kunnen deze enzymen niet worden gebruikt voor het beoordelen van problemen met leverschade bij DMD-patiënten. Daarom werden problemen met mogelijke leverschade in de studies VBP15-002 en VBP15-003 van vamorolone opgevolgd bij jongens met DMD, door te testen op andere leverpreferentiële enzymen die niet verhoogd zijn bij DMD. Deze resultaten waren geruststellend; als laboratoriumtesten van uw kind echter abnormale leverenzymen aangeven, moet dit worden gemeld aan de behandelende arts van uw zoon.

GEWICHTSTOENAME

Vanaf het begin van de studie VBP15-002 tot het einde van de studie VBP15-003 vertoonden jongens met de hoogste dosis vamorolone (6,0 mg/kg/dag) een grotere stijging van de BMI (body mass index) dan jongens met de lagere doses. Deze BMI-stijging was vergelijkbaar met de BMI-stijging die werd waargenomen bij jongens die gedurende een vergelijkbare periode prednison namen. Op het ogenblik dat uw zoon wordt ingeschreven voor de studie, kan er aanvullende informatie over eventuele risico's in verband met het onderzochte geneesmiddel voor jongens met DMD beschikbaar zijn op basis van de studies VBP15-002 en VBP15-003, en moet deze worden besproken met de behandelende arts van uw zoon. Andere risico's in verband met het gebruik van het onderzochte medicijn bij jongens met DMD zijn op dit moment niet bekend, met inbegrip van mogelijke effecten op de langetermijnontwikkeling en de reproductieve ontwikkeling.

RISICO OP VERLIES VAN VERTROUWELIJKHEID

De vertrouwelijkheid van alle gegevens zal worden gewaarborgd in overeenstemming met de Algemene verordening gegevensbescherming (AVG of GDPR). Eventuele ongewenste voorvallen die worden gemeld tijdens de behandeling van uw zoon met vamorolone, zullen voor analyse worden geregistreerd in een beveiligde database. Uw zoon wordt alleen geïdentificeerd met een studie-ID-nummer om de vertrouwelijkheid te beschermen. Hoewel dit onwaarschijnlijk is, bestaat er een risico op verlies van vertrouwelijkheid.

Bewaar de medicatie thuis buiten het bereik van kinderen of anderen die het etiket misschien niet kunnen lezen of begrijpen. Laat niemand anders dan uw zoon de behandeling innemen.

Het is mogelijk dat de artsen tijdens de behandeling van uw zoon nieuwe inzichten krijgen in de risico's van de behandeling. Als dit gebeurt, zullen zij u hierover inlichten. U kunt dan beslissen of u in dit programma wilt blijven of niet. Er kan u gevraagd worden om een nieuw toestemmingsformulier te ondertekenen dat de nieuwe informatie bevat als u besluit de behandeling te blijven volgen.

Vermijd gedurende de studie de volgende geneesmiddelen en raadpleeg uw begeleidende arts als iemand u aanraadt een van deze medicatietypes in te nemen, voordat u hiermee start:

- levende vaccins
- geneesmiddelen uit de groep van de mineralocorticoïdereceptoren (bv. spironolacton en eplerenon)
- chronische systemische corticosteroïden (tenzij indien nodig voor stressdosering)
- andere immuunonderdrukkende medicijnen.

Neem contact op met uw behandelende arts als u niet zeker weet of een medicijn dat aan uw zoon werd voorgeschreven door een andere arts dan de behandelende arts, mag worden ingenomen terwijl hij vamorolone neemt.

Zal ik meteen baat hebben bij de behandeling?

Vamorolone is nog niet goedgekeurd door de regelgevende instanties omdat er niet genoeg informatie beschikbaar is om zeker te zijn dat vamorolone veilig is of werkt voor jongens met DMD. Er is vroege informatie waaruit blijkt dat dit een goede behandelingsoptie zou kunnen zijn, maar dat is nog niet met zekerheid geweten. Uw zoon kan al dan niet baat hebben bij deze behandeling, of deze behandeling kan

zijn toestand verslechteren. Zorg ervoor dat u eventuele vragen over de voordelen bespreekt met de behandelende arts, om u ervan te vergewissen of dit de juiste behandeling is voor uw zoon.

WAT ZIJN DE MOGELIJKE VOORDELEN?

Uw zoon kan een vertraging ondervinden in de afname van de spierfunctie in vergelijking met jongens met DMD die niet met steroïden worden behandeld en/of hij kan minder bijwerkingen ondervinden dan jongens met DMD die met andere soorten steroïden worden behandeld. In het algemeen werd in de studie VBP15-003 een verbetering gezien in de tijd die jongens die 2,0 mg/kg/dag en 6,0 mg/kg/dag innamen, nodig hadden om enkele van de functionele testen uit te voeren die in het kader van de studie werden uitgevoerd, zoals de Tijd om recht te staan, de Tijd om 10 meter te rennen/stappen, en de 6 minuten-wandeltest. Op basis van bloedonderzoek is een stabielere glucose- en botmetabolisme met vamorolone ook mogelijk in vergelijking met prednison. Op basis van deze informatie is het mogelijk dat uw zoon enige verbetering zal ondervinden van vamorolone door deel te nemen aan deze studie in vergelijking met wanneer hij geen steroïden zou innemen of wanneer hij prednison zou innemen. Het is echter onbekend of de inname van vamorolone gedurende meer dan 24 weken de sterkte en/of functie verder zal verbeteren. Het is dus nog altijd mogelijk dat hij geen extra persoonlijk voordeel haalt uit een deelname aan deze studie. Bovendien kunnen anderen mogelijk voordeel halen uit de informatie die de artsen verkrijgen tijdens de behandeling van uw zoon.

Word ik vergoed voor mijn tijd en moeite?

U krijgt geen vergoeding voor het krijgen van deze behandeling.

Wat zijn mijn andere opties?

Als u besluit deze behandeling niet te volgen, is er andere zorg beschikbaar voor u. Uw arts kan prednison of deflazacort voorschrijven, of niets.

Als uw zoon deze behandeling volgt, is het echter mogelijk dat hij niet kan deelnemen aan studies, als deze mensen uitsluiten die bepaalde behandelingen hebben ondergaan. U moet dit bespreken met de behandelende arts van uw zoon. Mogelijk wilt u andere programmaopties onderzoeken op websites zoals clinicaltrials.gov en ResearchMatch.org.

Hoe worden mijn privégegevens beschermd die u tijdens dit programma verzamelt?

Uw studielocatie zal alle gegevens die tijdens dit programma werden verkregen, geheimhouden voor zover dit wettelijk verplicht is. Waar mogelijk zal er in plaats van uw naam een nummer worden gebruikt om u te identificeren in documenten die naar de fabrikant van het geneesmiddel, Santhera, of de regelgevende instanties gaan. Uw naam en andere identificerende informatie zal niet worden weergegeven als we informatie over de behandeling presenteren of publiceren.

Medisch dossier

Kopieën van het toestemmingsformulier dat u ondertekent, worden opgenomen in het medisch dossier van uw zoon.

De arts van uw zoon kan informatie over zijn behandeling ontdekken die kan helpen bij zijn verzorging, bijvoorbeeld de resultaten van testen of procedures. Deze resultaten zullen worden opgenomen in het medisch dossier van uw kind. Iedereen die toegang heeft tot het medisch dossier van uw zoon, zal ook toegang hebben tot alle informatie die daar wordt ondergebracht. De vertrouwelijkheid van de informatie in het medisch dossier van uw zoon is wettelijk beschermd.

Als u besluit om deze behandeling te volgen, is het belangrijk ook de andere zorgverleners van uw zoon hiervan op de hoogte te stellen. Het is belangrijk dat elke arts die uw zoon behandelt, weet dat uw zoon een behandeling volgt in het kader van een compassionate use programma en dat eventuele ongerustheid over de veiligheid moet worden gemeld aan de behandelende arts die vamorolone voorschrijft aan uw zoon.

Kosten

Alle aspecten van de zorg voor uw zoon, met inbegrip van consultaties, urine- en bloedonderzoeken en medische handelingen, zullen worden verstrekt als onderdeel van de standaard klinische zorg. Santhera zal vamorolone gratis ter beschikking stellen tijdens het compassionate use programma. Santhera zal u vergoeden voor reiskosten, verblijf, voeding en andere directe kosten in verband met uw bezoeken aan de kliniek volgens de Vergoedingsrichtlijnen van Santhera.

Stopzetten van de behandeling

U hebt op elk moment het recht om de behandeling stop te zetten zonder gevolgen.

Er kunnen ernstige bijwerkingen optreden als uw zoon de inname van de studieduur van de medicatie plotseling stopzet, aangezien de inname van het medicijn geleidelijk moet worden afgebouwd. Voor de veiligheid

van uw zoon dient u de behandelende arts van uw zoon op de hoogte te stellen en zijn/haar advies te volgen over hoe u de behandeling het best stopt.

De behandelende arts heeft ook het recht om de behandeling van uw zoon zonder uw toestemming te stoppen, om welke reden ook, in het bijzonder als hij/zij denkt dat dit in het belang is van uw zoon of als u bezwaar zou maken tegen eventuele toekomstige wijzigingen in het behandelplan.

HOE WORDT DE VERTROUWELIJKHEID GEWAARBORGD?

Wij zullen de gegevens van dit programma vertrouwelijk behandelen. Klinische gegevens worden minstens zo lang bewaard als vereist wordt door de plaatselijke wetgeving, de institutionele voorschriften of de relevante regelgevende instanties, afhankelijk van wat het langst is.

De volgende entiteiten kunnen de medische dossiers raadplegen (in zeldzame gevallen met inbegrip van de identificerende informatie van uw zoon) om na te gaan of de klinische zorg correct wordt uitgevoerd en wij ons aan de wet houden en de kinderen in de studie beschermen: regelgevende instanties zoals de US Food and Drug Administration (FDA), het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), het MHRA, de National Institutes of Health (NIH) of de andere regelgevende instanties, vertegenwoordigers van Santhera of vertegenwoordigers die optreden namens Santhera en de Trust waar uw zoon wordt behandeld.

Contactgegevens

Neem contact op met _____ [contactperso(o)n(en) van het behandelteam] op _____ [telefoonnummer(s)]:

- als u vragen hebt over vamorolone,
- als u vermoedt dat uw zoon een verwonding heeft opgelopen die verband houdt met de behandeling of slecht heeft gereageerd op vamorolone, of
- als u vragen, zorgen of klachten hebt over de behandeling van uw zoon.

VRIJWILLIGE TOESTEMMING:

De bovenstaande informatie werd aan mij uitgelegd en al mijn huidige vragen werden beantwoord. Ik begrijp dat ik word aangemoedigd om op elk moment vragen te stellen, en dat die vragen in de toekomst zullen worden beantwoord door een gekwalificeerde persoon of door de behandelende arts(en) die vermeld staat (staan) op de eerste pagina van dit toestemmingsdocument, via

het (de) opgegeven telefoonnummer(s). Ik begrijp dat ik altijd mag verzoeken dat mijn vragen, ongerustheid of klachten worden behandeld door de behandelende arts.

Ik begrijp dat ik recht heb op toegang tot de informatie in het medisch dossier van mijn zoon. Door dit formulier te ondertekenen, geef ik toestemming dat mijn zoon met vamorolone wordt behandeld in het kader van een compassionate use programma, en geef ik toestemming om bijwerkingen en ernstige ongewenste voorvallen zo nodig te delen met de leverancier van het geneesmiddel.

Naam (drukletters) van de proefpersoon (kind)

Aangezien het hierboven genoemde kind jonger is dan 16 jaar, begrijp ik dat het niet aan dit compassionate use programma mag deelnemen zonder mijn toestemming. Door dit formulier te ondertekenen, geef ik daarom mijn toestemming voor zijn deelname. Ik begrijp de voordelen en risico's. Ik weet dat ik mijn zoon op elk moment kan laten stoppen met het programma en dat mijn zoon dan nog steeds de gebruikelijke medische zorg zal krijgen. Ik geef geen van de wettelijke rechten van mijn zoon op door dit geïnformeerde toestemmingsformulier te ondertekenen. Er zal een kopie van dit toestemmingsformulier aan mij worden bezorgd.

Naam van de ouder of voogd (drukletters)

Relatie met de proefpersoon (kind)

Handtekening van de ouder of voogd

Datum

CERTIFICERING VAN GEÏNFORMEERDE TOESTEMMING:

Ik verklaar hierbij dat ik de aard en het doel van dit compassionate use programma heb uitgelegd aan de bovengenoemde perso(o)n(en) en dat ik de mogelijke voordelen en risico's van de behandeling heb besproken. Alle vragen die de persoon (personen) heeft (hebben) over de behandeling en de follow-up werden beantwoord, en wij zullen altijd klaarstaan om toekomstige vragen te beantwoorden wanneer ze worden gesteld.

Naam van de persoon die de toestemming verkrijgt, in drukletters

Functie

Handtekening van de persoon die de toestemming verkrijgt

Datum

INFORMATIE- EN TOESTEMMINGSFORMULIER

Protocoltitel: Een open label, uitgebreid toegangsprotocol voor jongens met Duchenne spierdystrofie die het protocol VBP15-004 volgen

Behandelende arts:

Naam van de sponsor: Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd

INLEIDING:

Deze toestemming wordt weer aan jou voorgelegd vanwege een verandering van het farmaceutische bedrijf ('sponsor') van dit programma voor het gebruik van een niet-goedgekeurd geneesmiddel in schrijnende gevallen (compassionate use programma). ReveraGen heeft het programma op 12 september 2022 overgedragen naar Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd. Deze overdracht heeft geen invloed op jou of het programma waaraan je deelneemt.

Je hebt vamorolone, een nieuw geneesmiddel voor Duchenne spierdystrofie ('DMD', Duchenne Muscular Dystrophy), genomen in het kader van een studie om te onderzoeken of vamorolone werkt en of het een veilig geneesmiddel is. Deze studie is nu afgelopen. Je mag vamorolone blijven gebruiken in dit programma als jij en je ouders/voogd en je dokter denken dat dit het beste is voor jou.

We zullen eerst de toestemming van jouw ouders vragen. Als jouw ouders niet akkoord gaan, kan je vamorolone niet gebruiken. Als ze akkoord gaan, kies jij daarna zelf of je vamorolone blijft gebruiken. Als je besluit om deze behandeling te volgen, kan je je later altijd bedenken en de behandeling stopzetten. Als je besluit niet deel te nemen aan dit programma, zal je dokter jou met dezelfde zorg blijven behandelen.

Voordat je een beslissing neemt:

- Lees dit formulier aandachtig door of laat het voorlezen.
- Laat de behandelende arts of het personeel van het programma de behandeling aan jou uitleggen.
- Stel vragen over alles wat niet duidelijk is.
- Als jij en je ouders beiden akkoord gaan, zal de dokter eerst nagaan of je gezond genoeg bent om vamorolone te blijven innemen.

Als je akkoord gaat, zal jouw dokter, die op dit formulier wordt genoemd, vamorolone ter beschikking gesteld krijgen. Je ontvangt het geneesmiddel tijdens je bezoek bij de dokter of het wordt naar jou thuis verzonden.

Je neemt het geneesmiddel elke dag precies zoals je dokter heeft gezegd en als je je niet goed voelt op eender welk moment, vertel je dat onmiddellijk aan je ouders en je dokter. Je zal naar de dokter moeten gaan als je dat gevraagd wordt, zodat de dokter kan controleren hoe je je voelt. Je dokter zal met jou afspraken plannen voor jouw bezoeken, bloedtesten en onderzoeken, net zoals met elk kind met DMD dat steroïden neemt. Terwijl je het studiegeneesmiddel vamorolone inneemt, zullen je studiedokter en zijn/haar onderzoeksteam veiligheidsproblemen of -voорvalen die zich voordoen verzamelen, documenteren en rapporteren.

Zal vamorolone mij helpen?

Dit geneesmiddel kan je wel of niet helpen of beter maken. Je kan een beetje beter worden, of hetzelfde blijven, of je slechter voelen. Je dokter kan beslissen om een andere behandeling aan te raden, of helemaal geen behandeling.

Zal het innemen van het geneesmiddel op een bepaald moment pijn doen of eng zijn?

De meeste geneesmiddelen kunnen soms problemen met de gezondheid veroorzaken, die bijwerkingen worden genoemd. De meeste bijwerkingen kunnen behandeld worden en de dokters die voor jou zorgen, zullen dit met jou bespreken. Je ouders hebben een volledige lijst gekregen van mogelijke bijwerkingen die we kennen, maar er kunnen bijwerkingen zijn waarvan we nog niets weten, zoals misselijkheid, braken, zweten, duizeligheid, een hard of snel kloppend hart, en het rood worden van je gezicht of een zeer warm gevoel krijgen. Daarom is het belangrijk dat je het aan ons, je ouders en je dokters vertelt als je je niet goed voelt.

Als er problemen zijn, zal je dokter er zijn om voor jou te zorgen.

Welke keuzes heb ik als ik 'nee' zeg?

Als je ouders akkoord gaan, mag je vamorolone nemen als jij dat wilt. Je moet dit niet doen, jij kiest dit zelf. Niemand zal boos op jou worden als je het geneesmiddel vamorolone niet wilt nemen. Je studiedokter zal met jou en je ouders praten en uitleggen welke andere geneesmiddelen er misschien voor jou beschikbaar zijn.

Als je beslist om vamorolone nu te nemen en je je later bedenkt, is dat ook goed. Vertel het gewoon aan je studiedokter of aan de medewerkers als je van gedachten veranderd bent. Niemand zal boos op jou worden als je je bedenkt.

Je dokter kan een andere behandeling aanraden, of helemaal geen behandeling.

Wie krijgt informatie over mij?

De informatie over jou blijft veilig en geheim. Als je bijwerkingen hebt, zal je dokter deze bijwerkingen melden en kunnen de mensen die vamorolone onderzoeken deze informatie bekijken. Maar jouw naam zal nergens vermeld worden. Je naam en je privé-informatie worden beschermd door de wet en alleen degenen die bevoegd zijn kunnen je privé-informatie zien. Niemand zal aan je vrienden of aan iemand anders vertellen of jij beslist om vamorolone te nemen of niet.

Zal ik betaald worden om deel te nemen aan dit programma?

Je krijgt geen geld om vamorolone te nemen in dit programma.

Jij en je ouders/voogd kunnen een geld krijgen als vergoeding voor de reiskosten van en naar de afspraken met de dokter.

Wat als ik een vraag heb?

Je kunt alle vragen over de studie stellen die je wilt.

Wat als ik later vragen heb?

Als je later vragen hebt over deze studie, waar je nu niet aan dacht, kan je zelf bellen of je ouders/voogd laten bellen naar _____ op _____.

Je krijgt een exemplaar van dit papier dat je moet bijhouden.

ZOU JE GRAAG DEELNEMEN AAN DIT PROGRAMMA?

Ja, ik wil vamorolone nemen in het kader van dit programma.

Naam v/h kind

Handtekening (indien van toepassing)

Datum

De instemming werd mondeling verkregen

Ik heb deze studie besproken in een taal die verstaanbaar en geschikt is voor de deelnemer. Ik denk dat ik hem/haar volledige informatie heb gegeven over de aard van de studie en de mogelijke risico's en voordelen. Ik ben van mening dat de deelnemer deze uitleg en de instemming om deel te nemen aan deze studie heeft begrepen.

Persoon die de instemming verkrijgt

Handtekening

Datum

Consentement parental pour recevoir un traitement (vamorolone) dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel d'un médicament non approuvé

Titre : Protocole d'usage compassionnel pour des garçons atteints de dystrophie musculaire de Duchenne ayant terminé le protocole de l'étude VBP15-004

Médecin traitant pour ce protocole : _____

Nom du promoteur : Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd

Introduction

Ce consentement vous est présenté à nouveau en raison d'un changement du promoteur de ce programme d'usage compassionnel. Reveragen a transféré le parrainage du programme à Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd le 12 septembre 2022. Cela n'a aucun d'impact sur la conduite du programme. En même temps, nous aimerions vous informer que la formulation et l'emballage du médicament ainsi que les recommandations liées à la conservation et à la prise du médicament ont été modifiés. Les principaux changements sont détaillés dans ce formulaire. Le médecin traitant de votre fils vous donnera également toutes les explications nécessaires.

Nous proposons à votre fils de continuer de bénéficier de vamorolone, médicament qui n'a pas encore été approuvé par les autorités réglementaires. Ce formulaire a été conçu pour vous fournir des éléments auxquels vous devez réfléchir avant de décider si vous souhaitez ou non que votre fils continue de suivre ce traitement. **Cette décision relève exclusivement de votre choix. Si vous décidez de continuer le traitement pour votre fils, vous pourrez changer d'avis ultérieurement et arrêter le traitement.** La décision de continuer ou non ce traitement ne nuira pas aux soins dont bénéficie votre fils. Si vous décidez de ne pas inclure votre fils dans ce programme d'usage compassionnel, son médecin traitant continuera de prendre soin de lui de la même manière.

Avant de prendre votre décision :

- Lisez attentivement ce formulaire ou demandez à vous le faire lire ;
- Écoutez les explications données par le médecin traitant ou le personnel responsable du programme, concernant le traitement ;
- Posez des questions sur tout ce qui ne vous paraît pas clair.

Vous pouvez garder un exemplaire de ce formulaire de consentement. Prenez tout votre temps pour réfléchir avant de prendre votre décision. Il est possible que vous souhaitiez en parler avec votre famille et vos proches. Signez ce formulaire de consentement uniquement si vous avez pu poser toutes les questions qui vous préoccupent et que vous avez obtenu des réponses qui ont du sens pour vous. En signant ce formulaire, vous ne renoncez à aucun des droits reconnus par la loi. Après la signature du consentement, vous recevrez une copie pour vos dossiers.

Il est important de savoir que la participation à ce programme d'usage compassionnel exclut la possibilité de participer à d'autres études. Le médecin traitant de votre fils discutera de l'admissibilité de votre fils à d'autres essais cliniques avant que vous ne preniez de décision quant à sa participation à ce programme d'usage compassionnel.

Quel est l'objectif de ce programme ?

Le médecin traitera votre fils avec vamorolone. Vamorolone n'a pas été approuvée par les autorités réglementaires pour un usage chez l'humain. Votre fils a été traité avec vamorolone dans le cadre d'une étude de recherche menée auprès d'enfants atteints de dystrophie musculaire de Duchenne (DMD), étude qui est maintenant terminée. Le programme qui vous est aujourd'hui proposé prévoit de continuer à avoir accès à un traitement de vamorolone, si vous et le médecin de votre enfant souhaitez qu'il continue de recevoir vamorolone.

Que devrai-je faire ?

- Le traitement de vamorolone continuera de vous être fourni par le médecin traitant de votre fils, dont le nom figure sur ce formulaire de consentement. Le traitement vous sera expédié chez vous ou remis en main propre à l'occasion d'une consultation.
- Vous devrez administrer la dose de vamorolone prescrite par le médecin traitant sachant qu'elle sera plafonnée à 300mg dès lors que le poids de votre enfant atteint 50 kg ou plus.
- Dû au changement de formulation, vous pourrez maintenir le médicament à température ambiante (inférieur à 25°C) avant la première ouverture de la bouteille puis le placer au réfrigérateur (entre 2°C et 8°C), comme indiqué sur l'étiquette de la bouteille. Cette nouvelle formulation est appelée « formulation à visée commerciale 2.5 ». Les prescriptions futures se feront avec cette nouvelle formulation. Votre enfant pourrait remarquer une légère différence

de goût, cependant les propriétés du médicament restent inchangées. La bouteille sera présentée dans une boîte incluant deux seringues réutilisables et un adaptateur.

- Le médecin traitant recommandera à votre fils les mêmes consultations, analyses de sang et d'urine et procédures de suivi et de contrôle que dans le cadre d'une prise en charge standard d'un enfant atteint de DMD traité avec des stéroïdes.
- Le médecin traitant devra collecter, documenter et signaler au fournisseur du médicament (Santhera) tout problème de sécurité ou tout événement qui pourrait affecter votre fils pendant son traitement de vamorolone. Vous devrez respecter le plan d'administration recommandé pour la prise du traitement et vous plier aux procédures standards en matière de suivi et de contrôle, en suivant les recommandations du médecin traitant.
- Tout problème de sécurité éventuel devra obligatoirement être signalé au médecin traitant de votre fils (dont le nom figure sur ce formulaire de consentement) soit par vous directement, soit par un autre membre de votre famille, soit par un autre médecin ou prestataire de soins (par exemple, une personne travaillant dans le service des urgences d'un hôpital).
- Vous recevrez une carte indiquant que votre fils est exposé à un risque de crise d'insuffisance surrénalienne aiguë en cas de maladie grave ou d'intervention chirurgicale.

Qui aura accès aux informations concernant ce traitement ?

Si vous décidez de continuer ce traitement, des informations sur vamorolone seront communiquées à vos médecins, au fabricant du médicament, Santhera, ainsi que les autorités réglementaires. Vous ne percevrez aucune rémunération pour votre participation et si vos informations sont utilisées pour concevoir un nouveau produit. Si vous décidez d'arrêter le traitement, les informations déjà collectées pourront être utilisées pour ce programme.

Quels sont les risques ou désagréments potentiels ?

Il est possible que votre fils ressente des effets secondaires ou un inconfort pendant son traitement de vamorolone. Le fait de consulter son médecin traitant, comme cela est recommandé, permettra un suivi attentif de votre enfant. En cas d'apparition d'effets secondaires, contactez votre médecin traitant

[nom du contact dans le centre participant] à ces coordonnées _____ [coordonnées de contact]. Il s'efforcera alors d'atténuer/traiter, voire d'éliminer ces effets secondaires.

Les effets secondaires susceptibles d'affecter votre enfant sont énumérés ci-dessous. D'autres effets secondaires, inconnus à ce jour, ne sont pas exclus.

Risques liés à la prise de vamorolone

INHIBITION DE LA FONCTION SURRENALIENNE

Après administration de vamorolone pendant 24 semaines dans le cadre de l'étude VBP15-003, une inhibition de la fonction surrénalienne a été constatée avec les 2 plus fortes doses de vamorolone : une inhibition de la fonction surrénalienne a été observée chez 5 enfants sur 12 (42 %) dans le groupe d'enfants traités à raison de 2,0 mg/kg/jour et chez 8 enfants sur 9 (89 %) parmi ceux traités à raison de 6,0 mg/kg/jour. Cet effet a uniquement été constaté dans les analyses de sang (diminution des taux de cortisol) et n'a entraîné aucun symptôme. L'inhibition de la fonction surrénalienne résulte d'une diminution du fonctionnement des glandes surrénales. Les glandes surrénales produisent des hormones dans le corps. Il est fréquent que les enfants atteints d'inhibition de la fonction surrénalienne ne présentent aucun symptôme, ou uniquement des symptômes non spécifiques. Les signes et symptômes d'une insuffisance surrénalienne peuvent comprendre :

- Fatigue / épuisement
- Nausées / vomissements
- Douleur abdominale / douleur à l'estomac
- Douleurs musculaires
- Faiblesse musculaire
- Vertiges
- Pensée confuse, difficulté à penser clairement
- Troubles de la croissance
- Perte de poids
- Modifications du comportement

Une inhibition de la fonction surrénalienne peut également être observée chez les personnes qui prennent ou ont récemment arrêté de prendre des stéroïdes traditionnels (prednisone, déflazacort). Certains de ces signes et symptômes sont également observés chez des personnes atteintes de DMD

mais qui n'ont pourtant aucun problème surrénalien. Les enfants atteints d'inhibition de la fonction surrénalienne ont un risque de tomber très malades. Cela se produit rarement, mais on parle alors de crise d'insuffisance surrénalienne aiguë. La crise d'insuffisance surrénalienne aiguë peut être associée à une hypotension artérielle (basse pression artérielle) et/ou à une hypoglycémie (taux de sucre dans le sang est réduit). Elle se produit le plus souvent lorsqu'un enfant atteint d'insuffisance surrénalienne non diagnostiquée est exposé à un stress physique, tel qu'une maladie, une intervention chirurgicale ou une lésion/blessure. Aucun des volontaires sains adultes ayant pris vamorolone dans le cadre des essais cliniques de l'étude VBP15-001 n'a fait de crise d'insuffisance surrénalienne aiguë. Aucun des sujets ayant participé aux études VBP15-002 et VBP15-003 n'a fait de crise surrénalienne aiguë. La crise d'insuffisance surrénalienne aiguë peut être évitée par l'administration d'un traitement stéroïdien substitutif, sous forme de « doses de stress », durant l'épisode de stress aigu. Si votre fils présente l'un des symptômes énoncés ci-dessus, son médecin traitant doit en être averti. Vous pourrez alors être orientés vers un endocrinologue pour tester la fonction surrénalienne de votre enfant et éventuellement lui prescrire un traitement stéroïdien substitutif. Par ailleurs, si votre fils doit subir une intervention chirurgicale, s'il se blesse gravement ou s'il tombe malade pendant sa participation à ce programme, vous devrez immédiatement en informer le médecin traitant de votre fils, afin d'obtenir ses conseils pour réduire le risque de survenue d'effets indésirables liés à une potentielle insuffisance surrénalienne.

ÉLÉVATION DES ENZYMES HÉPATIQUES

Dans une étude antérieure portant sur l'administration de vamorolone chez des volontaires adultes sains, un adulte du groupe à qui était administrée la dose la plus élevée (20 mg/kg/jour) a présenté une élévation passagère des enzymes hépatiques, ce qui peut être le signe d'une potentielle atteinte du foie. La vamorolone est donc aussi associée à un risque d'élévation des taux d'enzymes hépatiques et d'atteinte du foie. Les tests sanguins les plus courants pour dépister les problèmes au niveau du foie sont les tests évaluant les enzymes ASAT et ALAT. Cependant, chez les patients atteints de DMD, les taux de ces enzymes sont déjà élevés en raison des lésions musculaires ; ces enzymes ne peuvent donc pas être utilisées pour évaluer les éventuels problèmes d'atteinte du foie chez les patients souffrant de DMD. Par conséquent, dans les études VBP15-002 et VBP15-003 sur la vamorolone menées auprès de garçons atteints de DMD, la surveillance des atteintes potentielles du foie a été effectuée en contrôlant d'autres enzymes du foie, dont les taux ne sont pas élevés en cas de DMD. Les résultats de ces études

sont rassurants. Néanmoins, si les analyses médicales de votre enfant indiquent des taux anormaux d'enzymes hépatiques, cela devra être signalé au médecin traitant de votre enfant.

PRISE DE POIDS

Entre le début de l'étude VBP15-002 et la fin de l'étude VBP15-003, une augmentation plus importante de l'IMC (indice de masse corporelle) a été observée chez les garçons du groupe traité avec la plus forte dose de vamorolone (6,0 mg/kg/jour) comparativement aux garçons traités avec de plus faibles doses. Cette augmentation de l'IMC a été similaire à celle observée chez les garçons ayant pris de la prednisone sur une durée identique. Il est possible que de nouvelles informations concernant les risques associés au traitement pour les garçons atteints de DMD, obtenues à partir des études VBP15-002 et VBP15-003, soient disponibles au moment de l'inclusion de votre fils dans ce programme. Ces informations devront être abordées avec le médecin traitant de votre fils. D'autres risques potentiellement associés à l'administration du traitement chez des garçons atteints de DMD ne sont pas connus à ce jour, notamment les effets potentiels sur le développement à long terme et sur le système reproducteur.

RISQUE DE PERTE DE CONFIDENTIALITÉ DES DONNÉES

La confidentialité de tous les dossiers sera protégée conformément au règlement général sur la protection des données (RGPD). Tout effet indésirable signalé durant la période de traitement vamorolone de votre fils sera enregistré dans une base de données sécurisée, pour des fins d'analyse. Votre fils sera identifié uniquement par un numéro de référence dans le programme, afin de protéger sa confidentialité. Néanmoins, bien qu'il soit peu probable, le risque de perte de confidentialité des données ne peut être totalement exclu.

Chez vous, veillez à conserver les médicaments hors de la portée des enfants ou de toute autre personne qui ne serait pas en mesure de lire ou de comprendre l'étiquette. Ne laissez personne d'autre que votre fils prendre le traitement.

Il est possible que les médecins découvrent de nouveaux éléments, pendant le traitement de votre fils, concernant les risques associés au traitement. Si cela arrive, vous en serez informés. Vous pourrez alors décider de continuer ou d'interrompre sa participation à ce programme. Si vous choisissez de continuer le traitement, il pourra alors vous être demandé de signer un nouveau formulaire de consentement, incluant ces nouveaux éléments d'information.

Pendant toute la durée de ce programme, évitez les médicaments suivants et si quelqu'un vous conseille des médicaments ou traitements de ce type, consultez le médecin traitant avant de commencer à les donner à votre enfant :

- Vaccins vivants ;
- Médicaments appartenant au groupe appelé « antagonistes des récepteurs des minéralocorticoïdes » (par ex. : spironolactone et éplérénone) ;
- Corticostéroïdes systémiques chroniques (hors « doses de stress » éventuellement nécessaires) ;
- Autres médicaments immunsupresseurs.

Si vous n'êtes pas certain(e) de pouvoir donner à votre enfant, pendant sa période de traitement de vamorolone, un traitement qui lui a été prescrit par un médecin autre que le médecin traitant, veuillez svp contactez son médecin traitant.

Tirerons-nous un bénéfice direct de ce traitement ?

Vamorolone n'a pas encore été approuvée par les autorités réglementaires, car nous ne disposons pas suffisamment de données pour garantir son innocuité et son efficacité chez les garçons atteints de DMD. Selon les informations déjà obtenues, vamorolone pourrait constituer une bonne option de traitement, mais nous n'en sommes pas encore certains. Il se peut que ce traitement soit bénéfique pour votre fils, ou pas, ou bien qu'il aggrave son état. Parlez bien de tous les aspects liés au bénéfice du traitement avec le médecin traitant, afin de vous assurer de faire le bon choix pour votre fils.

QUELS SONT LES BÉNÉFICES POTENTIELS ?

Il se peut que le traitement retarde le déclin de la fonction musculaire de votre fils, comparativement à des garçons atteints de DMD qui ne sont pas traités avec des stéroïdes et/ou il se peut que votre fils ressente moins d'effets secondaires que les garçons atteints de DMD traités avec d'autres types de stéroïdes. Globalement, dans l'étude VBP15-003, une amélioration a été observée chez les garçons traités à raison de 2,0 mg/kg/jour et de 6,0 mg/kg/jour, lors de certaines évaluations fonctionnelles réalisées dans le cadre de l'étude, telles que le test de vitesse pour se lever, le test de vitesse de course/marche sur 10 mètres et l'épreuve de marche de 6 minutes. Les résultats des tests sanguins suggèrent qu'il se peut également que la vamorolone permette une meilleure stabilisation de la glycémie et du métabolisme osseux que la prednisone. Sur la base de ces données, il est possible qu'en

participant à ce programme, votre enfant connaisse une amélioration plus importante de son état que s'il ne prenait aucun stéroïde ou s'il prenait de la prednisone. Néanmoins, nous ne savons pas si le fait de prendre vamorolone pendant plus de 24 semaines peut améliorer davantage la force musculaire et/ou la fonction musculaire. Il est donc également possible qu'il ne retire aucun bénéfice personnel supplémentaire du fait de sa participation à ce programme. Il n'en reste pas moins que d'autres enfants pourraient tirer un bénéfice des informations obtenues par les médecins au cours du traitement de votre fils.

Aurons-nous une contrepartie pour le temps et les efforts investis ?

Aucune rémunération ne vous sera accordée pour la prise de ce traitement.

Quelles sont nos autres options ?

Si vous décidez de ne pas suivre ce traitement, d'autres options s'offrent à vous. Votre médecin pourra prescrire de la prednisone ou du déflazacort, ou bien aucun traitement.

Sachez néanmoins que si votre fils prend ce traitement, il est possible qu'il ne puisse pas participer à des études de recherche, si ces études excluent les personnes ayant pris certains traitements spécifiques.

Pensez à aborder cette question avec le médecin traitant de votre fils. Vous avez également la possibilité de chercher d'autres programmes de recherche envisageables, en consultant des sites Internet tels que clinicaltrials.gov et ResearchMatch.org.

Comment seront protégées les données à caractère personnel collectées dans le cadre de ce programme ?

Le centre d'investigation auquel vous êtes rattachés préservera la confidentialité des données obtenues dans le cadre de ce programme, dans toute la mesure exigée par la loi. Autant que possible, c'est un numéro, plutôt que son nom, qui sera utilisé pour identifier votre enfant dans les dossiers destinés au fabricant du médicament, Santhera, ou aux autorités réglementaires. Si nous présentons ou publions des informations concernant le traitement, nous ne ferons apparaître ni son nom ni aucune autre donnée d'identification.

Dossier médical

Des copies du formulaire de consentement que vous signerez seront incluses dans le dossier médical de votre fils.

Certaines informations liées au traitement de votre fils pourront être utiles à son médecin, aux fins de sa prise en charge, par exemple les résultats des examens ou des procédures. Ces résultats seront intégrés au dossier médical de votre fils. Toute personne ayant accès aux dossiers médicaux de votre fils aura accès à toutes les informations qui y seront intégrées. La confidentialité des données qui figurent dans le dossier médical de votre fils est protégée par la loi.

Si vous décidez de continuer le traitement, il est important que les autres prestataires de soins qui s'occupent de votre fils en soient informés. Il est essentiel que tout médecin amené à s'occuper de votre fils soit informé du fait qu'il prend un traitement dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel, et que tout problème de sécurité soit communiqué au médecin traitant chargé de prescrire la vamorolone pour votre fils.

Coûts

Tous les aspects de la prise en charge de votre fils, notamment les consultations, les analyses d'urine ou de sang et autres procédures, se dérouleront comme dans le cadre d'une prise en charge clinique standard. Santhera fournira gratuitement vamorolone pendant toute la durée du programme d'usage compassionnel. Santhera vous remboursera vos frais de déplacement, d'hébergement et de repas et autres frais directs liés aux consultations cliniques, conformément aux directives de Santhera en matière de remboursement.

Arrêt du traitement

Vous avez le droit de décider d'arrêter le traitement à tout moment, sans que cela n'entraîne de pénalité.

Votre fils peut présenter des effets secondaires graves s'il arrête brusquement de prendre le médicament à l'étude, étant donné que celui-ci doit être diminué progressivement. Pour la sécurité de votre fils, avertissez-en son médecin traitant et suivez ses conseils quant à la manière d'arrêter le traitement.

Le médecin traitant aura également le droit d'arrêter le traitement de votre fils, sans votre consentement, pour une quelconque raison, notamment s'il estime qu'il n'est plus dans l'intérêt de

votre fils de prendre le traitement, ou dans l'éventualité où vous vous opposeriez à un changement ultérieur du plan de traitement.

COMMENT L'ANONYMAT SERA-T-IL PRÉSERVÉ ?

Les données obtenues dans le cadre de ce programme resteront confidentielles. Les dossiers cliniques seront conservés au moins aussi longtemps que l'imposent la législation locale, les exigences institutionnelles ou les autorités réglementaires (selon la durée la plus longue).

Les entités énumérées ci-dessous pourront être amenées à consulter les dossiers médicaux (y compris, dans de rares cas, les données d'identification de votre fils) afin de vérifier que la prise en charge clinique est réalisée correctement, que nous respectons la législation et que nous protégeons correctement les enfants dans le cadre de ce programme : autorités réglementaires, notamment la US Food and Drug Administration (FDA), l'Agence européenne des médicaments (EMA), la MHRA, les National Institutes of Health (NIH) ou autres autorités réglementaires, les représentants de Santhera ou ceux agissant au nom de Santhera ; ainsi que l'organisme de soins où votre fils est traité.

Coordonnées de contact

Vous pouvez contacter _____ [personne(s) à contacter dans l'équipe responsable du traitement] au _____ [numéro(s) de téléphone] :

- si vous avez des questions à poser concernant vamorolone ;
- si vous avez le sentiment que votre fils a subi un préjudice en lien avec le traitement ou qu'il réagit mal à vamorolone ; ou
- si vous avez des questions, des inquiétudes ou des réclamations concernant le traitement de votre fils.

CONSENTEMENT VOLONTAIRE :

Les informations qui précèdent m'ont été expliquées, et j'ai obtenu des réponses à toutes mes questions.

Je comprends que je suis encouragé(e) à poser des questions à tout moment et que j'obtiendrai systématiquement une réponse de la part d'une personne qualifiée ou bien du ou des médecins

traitants désignés sur la première page de ce formulaire de consentement, pour toutes les questions que je pourrais poser à l'avenir, en appelant au(x) _____ numéro(s) de téléphone indiqué(s). Je comprends que je pourrai systématiquement exiger que ce soit le médecin traitant qui réponde à mes questions, inquiétudes ou réclamations.

Je comprends que je suis autorisé(e) à accéder aux informations contenues dans les dossiers médicaux de mon fils. En signant ce formulaire, je consens à ce que mon fils reçoive vamorolone dans le cadre du programme d'usage compassionnel et je donne mon autorisation pour que, le cas échéant, les effets indésirables et les effets indésirables graves soient communiqués au fabricant du médicament.

Nom du sujet (de l'enfant) (EN LETTRES MAJUSCULES)

Je comprends, étant donné que l'enfant désigné ci-dessus a moins de 16 ans, qu'il n'est pas autorisé à participer à ce programme d'usage compassionnel sans mon consentement. Par conséquent, en signant ce formulaire, je donne mon consentement pour sa participation. Je comprends les bénéfices et les risques. Je sais que je peux décider à tout moment de mettre fin à la participation de mon fils à ce programme, auquel cas mon fils continuera de bénéficier d'une prise en charge médicale classique. En signant ce formulaire de consentement éclairé, je ne renonce à aucun des droits reconnus à mon fils par la loi. Une copie de ce formulaire de consentement me sera remise.

Nom du parent ou du tuteur légal (EN LETTRES MAJUSCULES)

Lien avec le sujet (l'enfant)

Signature du parent ou du tuteur légal

Date

ATTESTATION DE CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ :

Je certifie avoir expliqué la nature et l'objectif de ce programme d'usage compassionnel à la ou aux personnes nommées ci-dessus et avoir discuté des bénéfices et risques potentiels du traitement. Nous avons répondu à toutes les questions posées par cette ou ces personnes concernant le traitement et le suivi, et nous serons toujours disponibles pour répondre à toutes les autres questions qu'elle ou elles pourraient poser à l'avenir.

Nom de la personne ayant obtenu le consentement (EN LETTRES MAJUSCULES)

Fonction

Signature de la personne ayant obtenu le consentement

Date

FORMULAIRE D'INFORMATION ET D'ASSENTIMENT

Titre du protocole : Protocole ouvert d'accès étendu pour les garçons atteints de dystrophie musculaire de Duchenne qui terminent le protocole de l'étude VBP15-004

Médecin traitant :

Nom du promoteur : Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd

INTRODUCTION :

Ce formulaire d'assentiment t'est présenté à nouveau en raison du changement de promoteur de ce programme d'usage compassionnel. Reveragen a transféré la responsabilité de ce programme à une nouvelle compagnie pharmaceutique, Santhera Pharmaceuticals (Switzerland) Ltd le 12 septembre 2022. Cela n'aura aucun impact sur toi ou sur la conduite du programme.

Tu as pris vamorolone, un nouveau médicament contre la Dystrophie Musculaire de Duchenne ("DMD"), dans le cadre d'une étude de recherche visant à déterminer si vamorolone fonctionne et s'il est sans danger. Cette étude de recherche, VBP15-0004, est maintenant terminée. Dans le cadre de ce programme, tu pourras continuer à recevoir le traitement de vamorolone si toi et tes parents/tuteurs ainsi que ton médecin pensent que c'est le mieux pour toi.

Tout d'abord, nous demanderons la permission à tes parents. Si tes parents ne sont pas d'accord, tu ne pourras pas prendre vamorolone. S'ils sont d'accord, prendre ou non vamorolone relèvera exclusivement de ton choix. Si tu décides de prendre ce traitement, tu pourras changer d'avis plus tard et arrêter le traitement. Si tu décides de ne pas participer à ce programme, ton médecin continuera de s'occuper de toi de la même manière.

Avant de prendre ta décision :

- Lis attentivement ce formulaire ou demande à quelqu'un de te le lire
- Écoute les explications données par le médecin traitant ou le personnel responsable du programme, concernant le traitement
- Pose des questions sur tout ce qui ne te paraît pas clair
- Si tes parents et toi êtes d'accord, le médecin vérifiera que ton état de santé est assez bon pour continuer à prendre vamorolone.

Si tu es d'accord, vamorolone sera fourni à ton médecin, dont le nom est indiqué sur ce formulaire d'assentiment. Tu récupèreras le médicament lors de tes visites, ou il sera envoyé chez toi. Tu devras prendre le médicament tous les jours, exactement comme te le demandera ton médecin; tu devras aussi avertir tes parents et ton médecin si tu ne te sens pas bien, et ce, à n'importe quel moment. Tu devras te rendre aux visites chez le médecin aux moments où on te le demande, pour que le médecin puisse vérifier comment tu te sens. Ton médecin programmera tes visites médicales, tes analyses de sang et les procédures médicales comme il le ferait pour n'importe quel enfant atteint de DMD qui est traité avec des stéroïdes.

Est-ce que vamorolone va m'aider ?

Ce médicament pourrait faire que tu te sentes mieux, ou pas, ou que ton état de santé s'améliore, ou pas. Ton état de santé pourrait un peu s'améliorer, ou bien il pourrait rester inchangé, ou encore il pourrait empirer. Ton médecin pourrait décider de recommander un autre traitement, ou aucun traitement.

Certaines parties du traitement pourraient-elles me faire mal ou me faire peur ?

La plupart des médicaments peuvent parfois causer des problèmes de santé, appelés effets secondaires. La majorité des effets secondaires peuvent être soignés, et les médecins qui s'occupent de toi en discuteront avec toi. Tes parents ont reçu la liste complète des possibles effets secondaires que l'on connaît déjà, mais il peut y avoir d'autres effets secondaires, que nous ne connaissons pas encore, comme avoir mal à l'estomac, vomir, transpirer, avoir des vertiges, avoir l'impression que ton cœur bat très fort ou très vite ou avoir le visage qui devient rouge ou qui semble chaud. C'est pourquoi il est important, si tu ne te sens pas bien, d'en avertir tes parents et les médecins.

Si quelque chose se passe mal, ton médecin sera là pour prendre soin de toi.

Quels sont mes choix si je dis non ?

Si tes parents sont d'accord, tu peux prendre vamorolone si tu le souhaites. Tu n'y es pas obligé ; c'est à toi de décider. Personne ne se fâchera contre toi si tu ne veux pas prendre ce médicament. Le médecin responsable de l'étude en discutera avec toi et tes parents et il vous expliquera quels autres médicaments pourraient être disponibles pour toi.

Si tu décides maintenant de prendre vamorolone, mais que tu changes d'avis plus tard, il n'y aura aucun problème non plus. Tu devras alors juste le dire au médecin ou à l'équipe qui s'occupera de toi pendant le programme, dès que tu auras changé d'avis. Personne ne se fâchera contre toi si tu changes d'avis. Ton médecin pourrait recommander un autre traitement, ou aucun traitement.

Qui pourra consulter des informations sur moi ?

Les informations te concernant seront conservées en toute sécurité et confidentialité. Si tu ressens des effets secondaires, ton médecin les signalera et les personnes qui font des recherches sur vamorolone pourront consulter ces informations. Cependant, ton nom ne sera pas indiqué. Ton nom et tes informations personnelles sont protégés par la loi et seules les personnes autorisées pourront y avoir accès.. Personne ne dira à tes amis ou à quelqu'un d'autre si tu décides de prendre vamorolone ou non.

Serai-je payé pour participer à ce programme ?

Tu ne recevras pas d'argent pour prendre vamorolone dans le cadre de ce programme.

Il est possible que tes parents/tuteurs et toi receviez de l'argent pour couvrir les frais de déplacement et les frais liés aux rendez-vous médicaux.

Que dois-je faire si j'ai des questions ?

Tu peux poser toutes les questions que tu veux concernant cette étude.

Et si j'ai des questions, mais plus tard ?

Si, plus tard, tu as des questions auxquelles tu n'as pas pensé maintenant, concernant cette étude, tu pourras appeler ou demander à tes parents/tuteurs d'appeler _____ le _____.

Une copie de ce formulaire te sera donnée, il faudra la conserver.

EST-CE QUE TU AIMERAIS PARTICIPER À CE PROGRAMME ?

Oui, je vais prendre vamorolone dans le cadre de ce programme.

Nom de l'enfant

Signature (s'il y a lieu)

Date

Assentiment obtenu verbalement

J'ai discuté avec l'enfant de cette étude de recherche, en employant un langage compréhensible et adapté. Je pense l'avoir entièrement informé de la nature de l'étude, ainsi que de ses risques et bénéfices potentiels. J'estime que l'enfant a compris ces explications, ainsi que la notion d'assentiment à la participation.

Personne ayant obtenu l'assentiment Signature

Date