

Informatiebrief en Toestemmingsformulier

Titel:	Compassionate use Program (CUP) met sparsentan voor de behandeling van volwassenen met primaire immunoglobuline A-nefropathie (IgAN) met een urine-eiwitafscheiding > 1 g per dag
Nummer behandelingsrichtlijn:	HQ-MAP-SPT-056
Geneesmiddel:	Sparsentan
Behandelend arts:	[Naam] [Instelling] [Adres] [Telefoonnummer] [E-mailadres]
Contactpersoon voor noodgevallen:	+ #-###-###-####
Versie / datum:	2.0 / 04 oktober 2023

Hierbij ontvangt u een informatiebrochure voor patiënten en het toestemmingsformulier ('Informed Consent').

INFORMATIEBROCHURE VOOR PATIËNTEN

We vragen u om deel te nemen aan dit Compassionate use Program. Om u te helpen een weloverwogen beslissing te nemen over deelname aan dit programma, is het belangrijk dat u het doel van het programma, de procedures, de risico's/voordelen, de ongemakken en de voorzorgsmaatregelen kent. Het informatieblad beschrijft ook uw recht om u op elk moment uit het programma terug te trekken. Er kunnen geen garanties of toezeggingen worden gedaan over hoe de behandeling van het programma u ten goede kan komen.

Dit proces wordt "geïnformeerde toestemming (Informed Consent)" genoemd. Neem de tijd om de volgende informatie zorgvuldig door te lezen en bespreek deze met uw familie of verzorgers. Dit toestemmingsformulier kan woorden of informatie bevatten die u niet kent of die u niet begrijpt. Het staat u vrij om uw behandelend arts of het personeel te vragen om woorden of informatie die u niet helemaal begrijpt, uit te leggen. Het staat u vrij om in de loop van het programma vragen te stellen, persoonlijk of telefonisch via uw behandelend arts via het nummer dat in dit toestemmingsformulier staat vermeld.

Het Compassionate use Program is een programma / procedure die het gebruik van een niet-toegelaten geneesmiddel toestaat (een niet-toegelaten geneesmiddel betekent dat het in uw land niet is goedgekeurd ter behandeling van uw medische aandoening). Onder strikte voorwaarden kunnen producten in ontwikkeling beschikbaar worden gesteld aan groepen patiënten die een ziekte hebben waarvoor geen bevredigende goedgekeurde behandelingen bestaan en die niet aan klinische studies kunnen deelnemen.

U beslist zelf of u wel of niet wilt deelnemen. Het staat u vrij om deelname te weigeren. Als u niet aan het programma wenst deel te nemen, ondervindt hier u op geen enkele manier nadeel van, met inbegrip van uw reguliere medische behandeling en zorg. Als u besluit om deel te nemen, kunt u op elk moment en om welke reden dan ook van gedachten veranderen en besluiten om u uit het programma terug te trekken. U hoeft niet uit te leggen waarom u zich terugtrekt. Als u zich terugtrekt krijgt u geen boete en u verliest geen voordelen met betrekking tot uw reguliere zorg.

Als u besluit om aan dit programma deel te nemen, verzoeken wij u om dit toestemmingsformulier te ondertekenen. U ontvangt een kopie van dit ondertekende formulier om zelf te bewaren; het origineel blijft in het bezit van het centrum van uw behandelend arts .

1. ACHTERGROND

Immunoglobuline A-nefropathie (IgAN), ook bekend als de ziekte van Berger, is een nierziekte die optreedt wanneer een antilichaam, genaamd immunoglobuline A, zich ophoopt in uw nieren. Dit leidt tot plaatselijke ontstekingen die na verloop van tijd het vermogen van uw nieren om afval uit uw bloed te filteren kunnen belemmeren. Dit kan leiden tot nierfalen (nieren stoppen met werken).

Er is geen geneesmiddel voor IgA-nefropathie, maar bepaalde geneesmiddelen kunnen het verloop ervan vertragen. Het ziekteverloop wordt vertraagd door uw bloeddruk onder controle te houden en uw cholesterolgehalte te verlagen.

Sparsentan blokkeert de werking van angiotensine II, een hormoon dat betrokken is bij het onder controle houden van de bloeddruk en schadelijk kan zijn voor de nieren. Sparsentan blokkeert ook de werking van een hormoon in het lichaam genaamd endotheline, waarvan bekend is dat het schadelijk is voor de nieren bij patiënten met IgAN. Andere geneesmiddelen met vergelijkbare effecten zijn reeds goedgekeurd en beschikbaar voor gebruik door patiënten om andere redenen, zoals hoge bloeddruk of nieraandoeningen.

U wordt uitgenodigd om deel te nemen aan dit Compassionate use Program omdat u IgAN heeft en u niet op de reeds aangeboden behandeling heeft gereageerd.

2. DOEL VAN HET PROGRAMMA

Het doel van dit Compassionate use Program is om behandeling met sparsentan te bieden aan patiënten met IgAN bij wie de huidige zorgstandaard, in de instelling van de behandelend arts, niet heeft geleid tot een voldoende verbetering van de toestand van de patiënt en voor wie deelname aan een klinische studie niet mogelijk is.

3. OPDRACHTGEVER VAN HET PROGRAMMA

Sparsentan wordt verstrekt door Vifor (International) AG, Rechenstrasse 37, 9014 St. Gallen, Zwitserland (de opdrachtgever). Bionical Emas is gecontracteerd om het programma namens Vifor te beheren.

4. BESCHRIJVING VAN HET PROGRAMMA

Dit is een Compassionate use Program voor patiënten met IgAN. De opdrachtgever verstrekt sparsentan gratis tijdens uw deelname aan het programma. Zodra sparsentan wordt goedgekeurd

om voorgeschreven te worden door artsen in uw land aan andere patiënten met IgAN, eindigt dit Compassionate use Program en wordt sparsentan mogelijk niet langer gratis aangeboden.

Als u akkoord gaat met deelname aan het programma, duurt uw deelname zo lang als door uw behandelend arts wordt aanbevolen. Uw behandelend arts vraagt u om gedurende het programma het ziekenhuis te bezoeken. Voor uw veiligheid kan uw behandelend arts u vragen om extra bezoeken bij te wonen volgens de standaardpraktijk.

5. MOET IK DEELNEMEN AAN HET PROGRAMMA?

Nee. Uw deelname is geheel uw eigen keuze. Als u ervoor kiest om niet aan het programma deel te nemen of het programma op een bepaald moment verlaat, heeft dit geen invloed op uw medische zorg.

Als u ervoor kiest om aan het programma deel te nemen, kunt u op elk moment stoppen door uw behandelend arts hiervan op de hoogte te stellen en uw toestemming in te trekken. Uw behandelend arts kan u doorverwijzen naar een andere arts en andere zorgopties uitleggen die voor u beschikbaar zijn.

6. GESCHIKTHEID VOOR HET PROGRAMMA

Voordat u aan het programma kunt deelnemen, zullen uw behandelend arts en het personeel u vragen stellen over uw gezondheid, de status van uw IgAN en alle geneesmiddelen die u gebruikt of in het verleden heeft gebruikt. Uw behandelend arts zal ook testen uitvoeren om er zeker van te zijn dat u in staat bent om aan het programma deel te nemen. Uw behandelend arts gebruikt deze informatie om u te helpen adviseren of deelname aan dit programma een geschikte keuze voor u is.

7. GENEESMIDDEL VAN HET PROGRAMMA

U begint uw behandeling met sparsentan met een verlaagde dosis. Na ongeveer 2 weken zal uw behandelend arts beslissen of het veilig voor u is om uw dosis sparsentan te verhogen. Als uw behandelend arts na de eerste dosis van mening is dat het veilig is om de dosis te verhogen, kunt u het programma misschien met een hogere dosis voortzetten. Als uw bloeddruk na het innemen van de begin dosis laag is, kunt u het programma mogelijk met de begin dosis voortzetten. Als u de eerste dosis niet verdraagt, kan uw behandelend arts u uit het programma terugtrekken.

Uw behandelend arts kan uw dagelijkse dosis sparsentan gedurende uw deelname aan het programma aanpassen op basis van veranderingen met betrekking tot uw gezondheid.

8. PROCEDURES

Voordat u aan dit programma deelneemt, krijgt u de tijd om deze informatiebrochure en dit toestemmingsformulier volledig te lezen en te begrijpen. U krijgt de kans om al uw vragen te stellen voordat u het toestemmingsformulier ondertekent.

Uw behandelend arts zal bepalen welke testen nodig zijn tijdens het programma. De testen die deel uitmaken van uw gewone, routinematige medische zorg blijven uitgevoerd worden. Er kunnen extra testen worden uitgevoerd als een van uw eerste testresultaten afwijkend is.

De beoordelingen die uitgevoerd kunnen worden, worden hieronder in meer detail beschreven:

- **Vragen over u en uw medische geschiedenis:** tijdens het eerste bezoek en gedurende uw deelname wordt uw hele medische voorgeschiedenis doorgenomen, inclusief de geneesmiddelen die u op dit moment gebruikt en eerder heeft gebruikt. U wordt ook gevraagd naar uw levensstijl en algemene kenmerken.
- **Bloedonderzoeken:** Er wordt bloed afgenomen om 1) de verschillende celtypen in uw bloed te controleren en te kijken hoe goed uw bloed stolt, en 2) de niveaus van verschillende stoffen zoals glucose, mineralen, vetten en eiwitten in uw bloed te bekijken en te controleren hoe goed uw lever, nieren en stofwisseling werken. Tijdens de bezoeken wordt er 5-10 ml bloed afgenomen door uw behandelend arts of het personeel.
- **Urineonderzoeken:** Urinestalen worden gebruikt om uw gezondheid te controleren en om te meten hoe goed uw nieren werken. Uw behandelend arts zal u meer informatie geven over de wijze waarop u uw urine kunt verzamelen.
- **Zwangerschapstest:** Als u een vrouw bent en kinderen kunt krijgen, moet u bij het eerste bezoek een negatieve zwangerschapstest hebben voordat u met sparsentan kunt beginnen. Er kunnen tijdens het programma extra zwangerschapstesten worden uitgevoerd. Als u vermoedt dat u zwanger bent, moet u ter bevestiging een zwangerschapstest doen. Als u zwanger wordt tijdens het programma, wordt de behandeling met sparsentan onmiddellijk stopgezet.
- **Lichamelijk onderzoek:** Bij elk bezoek aan het programmacentrum kan een lichamelijk onderzoek plaatsvinden om uw algehele gezondheid en vitale functies te controleren. Uw behandelend arts zal ook controleren op zwellingen in uw armen en benen (perifeer oedeem genoemd).

9. WAT MOET U DOEN?

- Sparsentan innemen zoals voorgeschreven door uw behandelend arts en/of personeel.
- Het ziekenhuis bezoeken wanneer dit van u gevraagd wordt.
- Bloed- en urinestalen afstaan als dat nodig is bij een bezoek.
- Informeer uw behandelend arts als u niet langer aan het programma wilt deelnemen.
- U moet uw dagelijkse dosis sparsentan elke dag rond hetzelfde tijdstip vóór uw ontbijt innemen.
- **Belangrijk:** U moet de tabletten in hun geheel doorslikken. Het is niet de bedoeling dat u de tablet(ten) opent, breekt, kauwt, fijnmaakt of splitst voordat u ze inneemt.
- **Belangrijk:** Neem alleen meer of minder tabletten in als uw behandelend arts u dit heeft voorgeschreven.
- **Belangrijk:** Breng tijdens uw afspraken met uw behandelend arts steeds uw voorraad sparsentan mee in de originele flessen, inclusief alle lege flessen sparsentan. U bent de enige die het programmageneesmiddel mag innemen en u moet ervoor zorgen dat niemand anders het inneemt.

- Als u vergeet om uw sparsentan voorafgaand aan uw ontbijt in te nemen, neem het dan in zodra u eraan denkt op dezelfde dag. Als u op een dag helemaal vergeet om sparsentan in te nemen, begint u de volgende dag opnieuw. U mag geen extra dosis nemen om de gemiste dosis in te halen.
- Als er problemen zijn met het geneesmiddel of de bewaartemperatuur (zoals aangegeven op de fles), **neem het geneesmiddel dan niet in**. Bel uw behandelend arts voor verdere instructies.
- Als u een vrouw bent die kinderen kan krijgen:
 - **U MOET DE ANTICONCEPTIEMETHODEN** die verderop in dit toestemmingsformulier worden beschreven, ononderbroken gebruiken volgens de instructies van uw behandelend arts vanaf ten minste 1 maand vóór de eerste dosis sparsentan tot 1 maand na uw laatste dosis sparsentan.
 - **Als de anticonceptie op enig moment door u wordt gestopt of onderbroken, moet u de behandelend arts hiervan onmiddellijk op de hoogte stellen.**
 - **Als u zwanger wordt of denkt zwanger te zijn tijdens het programma, moet u de behandelend arts hiervan onmiddellijk op de hoogte stellen.**
 - **Als u tijdens het programma zwanger wilt worden, moet u de behandelend arts hiervan onmiddellijk op de hoogte stellen.**
- Bespreek met uw behandelend arts welke geneesmiddelen u gebruikt (voorgeschreven en vrij verkrijgbaar). Uw behandelend arts zal u vertellen met welke geneesmiddelen u moet stoppen en welke u kunt blijven gebruiken.
- Als u veranderingen in uw gezondheid of nieuwe symptomen opmerkt, moet u onmiddellijk contact opnemen met uw behandelend arts.

Aan het einde van het programma, of als u stopt met uw deelname aan het programma, zal uw behandelend arts de mogelijkheden voor uw verdere zorg met u bespreken.

10. WELKE ALTERNATIEVE BEHANDELINGEN ZIJN ER BESCHIKBAAR?

U hoeft niet aan dit Compassionate use Program deel te nemen om de gebruikelijke medische zorg voor IgAN te ontvangen. Momenteel schrijven artsen steroïden (geneesmiddelen die uw immuniteit aanpassen) en RAAS-remmers voor, zoals irbesartan en andere geneesmiddelen om de hoeveelheid eiwitten in uw urine te helpen verminderen. Er kunnen ook andere geneesmiddelen worden gegeven om de hoge bloeddruk te verlagen, het cholesterolgehalte te verlagen, het extra vocht uit het lichaam te verwijderen of uw immuunsysteem te onderdrukken.

Uw behandelend arts zal eventuele andere behandelingen met u bespreken en ook de risico's en voordelen ervan. Als u besluit om niet aan dit programma deel te nemen, heeft dit geen invloed op uw mogelijkheid om medische zorg te ontvangen.

11. ONKOSTEN EN BETALING

U wordt niet betaald voor deelname aan dit Compassionate use Program. Ook kost het u niets om aan het programma deel te nemen. Er worden geen extra bezoeken gepland specifiek in dit programma en de bezoeken worden uitgevoerd volgens de gebruikelijke praktijk van de arts. Daarom is er geen vergoeding gepland voor het bijwonen van bezoeken. Sparsentan wordt gratis aan u verstrekt. U of uw gebruikelijke zorgverzekeraar kan verantwoordelijk zijn voor eventuele andere zorgkosten.

12. WAT KUNNEN DE BIJWERKINGEN ZIJN VAN DEELNAME AAN HET PROGRAMMA?

Er zijn bepaalde risico's en ongemakken verbonden aan dit programma. Dit kunnen bijwerkingen van sparsentan zijn of programmaprocedures. Zoals bij alle experimentele geneesmiddelen kunnen er aan het gebruik van sparsentan risico's verbonden zijn die onbekend zijn en op dit moment niet voorspeld kunnen worden. Het is mogelijk dat het innemen van sparsentan samen met uw reguliere geneesmiddelen, vitaminen of supplementen de werking ervan verandert. Het is erg belangrijk dat u uw behandelend arts op de hoogte stelt van alle geneesmiddelen of supplementen die u gebruikt of veranderingen in uw gezondheid tijdens uw deelname aan dit programma. Als u vragen heeft over mogelijke bijwerkingen, stel deze dan aan uw behandelend arts.

Risico's in verband met het gebruik van sparsentan

Bijwerkingen die werden ervaren door patiënten met een andere nierziekte (FSGS) in een klinische studie, die door een studiearts als gerelateerd aan sparsentan werden beschouwd, zijn samengevat in de volgende tabel en gepresenteerd volgens hoe vaak ze voorkwamen bij patiënten van >1,0% tot ≤ 5,0% en > 5,0% van de patiënten in de studie.

Bijwerkingen (tussen 1 en 5 op de 100 patiënten)	Bijwerkingen (meer dan 5 op de 100 patiënten)
Buikzwellig (opgezette buik)	Bloedarmoede (laag aantal rode bloedcellen)
Buikpijn	Verhoogd creatininegehalte in het bloed (een teken van verminderde nierfunctie)
Pijn in de bovenbuik	Duizeligheid
Acute nierschade (afname van de nierfunctie)	Verlaagde glomerulaire filtratiesnelheid (een teken van verminderde nierfunctie)
Algemene zwakte (asthenie)	Hoofdpijn
Verhoogd creatinefosfokinasegehalte in het bloed (kan duiden op spierletsel)	Hyperkaliëmie (hoog kaliumgehalte in het bloed)
Chronische nierziekte (langdurige nierziekte)	Hypotensie (lage bloeddruk)
Diarree	Misselijkheid
Posturale duizeligheid (draaiurig gevoel)	Perifeer oedeem (zwellig, meestal in de benen en voeten)
Oprisping (boeren)	Braken
Vermoeidheid	

Bijwerkingen (tussen 1 en 5 op de 100 patiënten)	Bijwerkingen (meer dan 5 op de 100 patiënten)
Verlaagd hemoglobinegehalte (afname van de stof in rode bloedcellen die zuurstof transporteert)	
Hypokaliëmie (laag kaliumgehalte in het bloed)	
Orthostatische hypotensie (lage bloeddruk bij rechtstaan)	
Huiduitslag	
Syncope (flauwvallen)	

Naast de bovenstaande risico's zijn de volgende risico's gemeld als ernstig en mogelijk verwant aan het gebruik van sparsentan in de klinische studie:

- acute nierschade (plotse nierschade)
- bloedarmoede (laag aantal rode bloedcellen)
- verlaagde glomerulaire filtratiesnelheid (een test die gebruikt wordt om de nierfunctie te meten)
- hyperaldosteronisme (te veel aldosteron, een hormoon geproduceerd door het lichaam)
- hyperkaliëmie (hoog kaliumgehalte in het bloed)
- hypokaliëmie (laag kaliumgehalte in het bloed)
- leverletsel (schade aan de lever)
- melena (bloed in ontlasting)
- syncope (flauwvallen)
- spontane abortus (miskraam)

Het is belangrijk dat u alle bijwerkingen en veranderingen in uw normale gezondheid onmiddellijk en bij elk bezoek aan uw behandelend arts meldt, zelfs als u ze misschien niet belangrijk vindt.

Risico's in verband met de klinische standaardprocedures

Bloedonderzoeken: U kunt wat ongemak ervaren wanneer er bloed wordt afgenomen, zoals pijn op de plaats waar het bloed is afgenomen, blauwe plekken, roodheid of zwelling van de ader, af en toe licht in het hoofd en, in zeldzame gevallen, flauwvallen of infectie op de plaats waar het bloed is afgenomen. Er kan een strakke band (manchet) rond uw bovenarm worden geplaatst terwijl er bloed wordt afgenomen, wat ongemak of blauwe plekken kan veroorzaken.

Leverfunctie: Sparsentan kan veranderingen in de leveronderzoeken veroorzaken. Uw behandelend arts zal bloedonderzoeken uitvoeren om uw lever te controleren voordat u met de behandeling begint en regelmatig tijdens de behandeling met sparsentan. Uw behandelend arts kan de behandeling met sparsentan tijdelijk of definitief stopzetten als u veranderingen in uw leveronderzoeken heeft.

Voortplantingsrisico's, zwangerschap en anticonceptie

Sparsentan kan onbekende risico's inhouden voor een zwangere vrouw, een ongeboren kind of een kind dat borstvoeding krijgt. Als u zwanger bent of zwanger wordt, kan de behandeling met sparsentan leiden tot nieuwe, voorheen onbekende, bijwerkingen die een risico kunnen inhouden voor u en/of uw ongeboren baby. Sommige geneesmiddelen kunnen ervoor zorgen dat vrouwen te vroeg bevallen (vroeggeboorte) of baby's krijgen met geboortefwijkingen.

Van andere geneesmiddelen die tot dezelfde klasse behoren of hetzelfde effect hebben als sparsentan, is aangetoond dat ze ernstige geboortefwijkingen, letsel en zelfs de dood van het ongeboren kind kunnen veroorzaken.

U mag niet zwanger worden tijdens dit programma.

Een zeer effectieve anticonceptiemethode moet worden gebruikt vanaf ten minste één maand vóór de eerste dosis sparsentan, tijdens de behandeling en één maand na uw laatste dosis van het geneesmiddel. Onthouding wordt niet beschouwd als een betrouwbare anticonceptiemethode.

Daarom kunt u niet deelnemen aan dit Compassionate use Program als u zwanger bent of van plan bent zwanger te worden of borstvoeding geeft. Als u zwanger wordt tijdens het programma, moet u dit onmiddellijk aan uw behandelend arts laten weten. De behandeling met sparsentan zal worden stopgezet en uw behandelend arts zal uw toestemming vragen om de voortgang van uw zwangerschap te volgen (inclusief informatie over uw gezondheid, de datum van conceptie (indien bekend), het verloop van de zwangerschap, de medische behandelingen die u mogelijk krijgt) en de gezondheid van uw baby gedurende minimaal 8 weken na de geboorte.

Het is belangrijk dat u alle bijwerkingen en veranderingen in uw normale gezondheid onmiddellijk en bij elk bezoek aan uw behandelend arts meldt, zelfs als u ze misschien niet belangrijk vindt. Alle bijwerkingen of andere gezondheidsproblemen die zich tijdens het programma voordoen, worden opgevolgd door uw behandelend arts.

13. WAT ZIJN DE MOGELIJKE VOORDELEN VAN DEELNAME AAN DIT PROGRAMMA?

Er bestaat geen garantie dat u medisch voordeel zult ondervinden van deelname aan dit programma. Sparsentan is een experimenteel geneesmiddel en op dit moment zijn er niet genoeg gegevens om te garanderen dat het uw aandoening zal verbeteren. Uw gezondheid kan verbeteren, hetzelfde blijven of verslechteren tijdens het gebruik van sparsentan.

14. WAT ZIJN DE MOGELIJKE NADELEN OF RISICO'S VAN DEELNAME AAN DIT PROGRAMMA?

Het is mogelijk dat de symptomen van uw aandoening niet verbeteren tijdens het programma of zelfs verergeren. De behandeling met sparsentan kan ook risico's voor uw toekomstige gezondheid met zich meebrengen waarover we op dit moment nog niets weten.

15. MET WIE KAN IK CONTACT OPNEMEN IN GEVAL VAN VRAGEN, BIJ HET MELDEN VAN EEN MOGELIJK PROGRAMMAGERELATEERD LETSEL OF EEN MOGELIJKE REACTIE?

Als u vragen heeft over dit Compassionate use Program of uw rechten, op welk moment dan ook, of als u denkt dat u letsel heeft opgelopen of een reactie heeft gehad op sparsentan, dient u onmiddellijk contact op te nemen met uw behandelend arts.

Behandelend arts: Dr. [naam en contactgegevens van de arts invoegen]

16. WAT GEBEURT ER ALS ER NIEUWE INFORMATIE BESCHIKBAAR KOMT?

Soms wordt nieuwe informatie over sparsentan ontvangen. U zult op de hoogte gebracht worden zodra er relevante nieuwe informatie beschikbaar komt die uw bereidheid om aan het programma deel te nemen kan beïnvloeden. Als dit gebeurt, zal uw behandelend arts zo snel mogelijk contact met u opnemen en met u bespreken of u door kunt gaan met het programma. Als u besluit om niet door te gaan, zal uw behandelend arts ervoor zorgen dat uw zorg wordt voortgezet. Als u besluit om verder te gaan met het programma, kan u gevraagd worden om een nieuw toestemmingsformulier te ondertekenen.

Als er nieuwe informatie beschikbaar komt, kan uw behandelend arts uw deelname zonder uw toestemming stopzetten. Als dit gebeurt, zullen de redenen hiervoor worden uitgelegd en zullen er maatregelen worden genomen voor uw verdere zorg.

17. WAT GEBEURT ER ALS U NIET (MEER) WILT DEELNEMEN AAN DIT PROGRAMMA?

U kiest zelf of u deel wilt nemen aan dit Compassionate use Program en u kunt op elk moment van gedachten veranderen. Als u besluit om niet deel te nemen, of als u stopt met deelname nadat het programma is begonnen, zal dit geen invloed hebben op uw toekomstige behandeling en zorg. Als u zich uit het programma wilt terugtrekken, neemt u contact op met uw behandelend arts of het personeel.

Uw behandelend arts kan ook besluiten dat u niet langer mag deelnemen aan het Compassionate use Program als dit in uw beste belang is of als u de instructies die u ontvangt tijdens uw deelname niet opvolgt. De opdrachtgever of de regelgevende autoriteit kan ook op elk moment besluiten om het programma om welke reden dan ook te stoppen.

18. HOE WORDT UW PERSOONLIJKE INFORMATIE GEBRUIKT EN HOE WORDT UW DEELNAME AAN DIT PROGRAMMA VERTROUWELIJK BEHANDELD?

Dit gedeelte legt uit wie uw gezondheidsinformatie zal gebruiken en delen, als u ermee akkoord gaat om sparsentan te krijgen als onderdeel van een Compassionate use Program. Als u dit formulier niet ondertekent, kunt u niet aan het programma deelnemen.

De opdrachtgever is verantwoordelijk voor de beslissing welke persoonsgegevens tijdens het programma verzameld moeten worden en hoe deze gegevens gebruikt zullen worden. Uw gegevens worden verwerkt om te bepalen of u in aanmerking komt voor het programma en om de veiligheid van het in het programma gebruikte product te beoordelen. Uw behandelend arts en het personeel zijn verantwoordelijk voor het verzamelen van de vereiste persoonsgegevens, zodat u kunt deelnemen.

Naast medische gegevens worden er ook gegevens verzameld over uw geslacht, leeftijd, etniciteit, lichaamsgewicht en -lengte, de naam en het adres van de instelling waar u behandeld wordt en de naam van uw behandelend arts. In de verzamelde gegevens wordt uw naam vervangen door een code, zodat u niet direct geïdentificeerd kunt worden. Alleen uw behandelend arts en het personeel kunnen u identificeren aan de hand van deze code. De opdrachtgever en de andere bedrijven die met de opdrachtgever samenwerken in dit programma (de vertegenwoordigers van de opdrachtgever) kunnen u niet rechtstreeks identificeren. De opdrachtgever en zijn vertegenwoordigers zijn verantwoordelijk voor de verwerking van uw gecodeerde gegevens en zorgen ervoor dat deze vertrouwelijk blijven, zoals vereist door de Belgische wetgeving (wet op de gegevensbescherming, 2018) en de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming (2016/679) (AVG). Uw persoonsgegevens die door de opdrachtgever of zijn vertegenwoordigers worden bewaard, worden tot 25 jaar na afloop van het programma bewaard.

Door dit formulier te ondertekenen, gaat u ermee akkoord dat uw behandelend arts uw huisarts op de hoogte stelt van uw deelname aan het programma en medische informatie over u opvraagt.

Uw behandelend arts kan uw gegevens ook delen met regelgevende autoriteiten en ethische comités. Deze instanties kunnen uw gegevens gebruiken om de informatie over de behandeling en de veiligheid van de deelnemers te controleren.

U heeft bepaalde rechten inzake toegang tot uw persoonsgegevens en het laten corrigeren van eventuele fouten. In bepaalde omstandigheden kunt u verzoeken om het gebruik van uw persoonsgegevens te beperken of om uw persoonsgegevens te laten wissen, maar de opdrachtgever kan verplicht zijn om bepaalde gegevens te bewaren voor registratiedoeleinden, legitieme belangen en wettelijke verplichtingen. U kunt deze rechten uitoefenen door contact op te nemen met uw behandelend arts. Als u besluit om niet langer deel te nemen aan het programma, worden er geen verdere persoonsgegevens verzameld.

De opdrachtgever en de aan hem gelieerde bedrijven en hun dienstverleners hebben toegang tot uw gecodeerde persoonsgegevens om het programma te beheren. Sommige van deze bedrijven kunnen gevestigd zijn in de Verenigde Staten of andere landen buiten de Europese Unie/Europese Economische Ruimte die door de bevoegde autoriteiten mogelijk niet worden beschouwd als landen die persoonsgegevens adequaat beschermen. De opdrachtgever zal ervoor zorgen dat de juiste voorzorgsmaatregelen worden genomen zoals vereist door de wet, waaronder de standaardcontractbepalingen van de EU. U kunt op verzoek een exemplaar van dergelijke clausules ontvangen.

De gecodeerde gegevens van dit programma kunnen worden gepresenteerd op bijeenkomsten of in publicaties. Uw identiteit zal niet bekend worden gemaakt. U hoeft deze toestemming niet te ondertekenen, maar als u dat niet doet, kunt u niet deelnemen aan het programma. Als u ervoor kiest om te weigeren, heeft dit geen invloed op uw behandeling. U kunt op elk moment van gedachten veranderen en deze toestemming intrekken. Zelfs als u deze toestemming intrekt, kunnen de opdrachtgever en zijn dienstverleners voor het programma de gecodeerde persoonsgegevens die zij al van u hebben verkregen nog steeds gebruiken en openbaar maken als dit nodig is om de integriteit of betrouwbaarheid van het programma te behouden en voor administratieve doeleinden.

19. VERDERE VRAGEN, ZORGEN OF KLACHTEN

Als u vragen, zorgen of klachten hebt, of als u denkt dat de behandeling u schade heeft toegebracht, neem dan contact op met uw behandelend arts op de bovenstaande nummers.

U kunt contact opnemen met de functionaris voor gegevensbescherming van de opdrachtgever op GroupDPO@viforpharma.com als u zich zorgen maakt over de privacy van de gegevens van het programma. Houd er rekening mee dat alle ontvangers, behalve uw behandelend arts, alleen toegang hebben tot gecodeerde gegevens, het is dus niet mogelijk om uw recht te verifiëren of om u te identificeren als een individuele persoon of om de persoonsgegevens te identificeren die aan u zijn toegewezen zonder de vertrouwelijkheid van uw gegevens in gevaar te brengen. Om uw rechten uit te oefenen (en identificatie te voorkomen) kunt u contact opnemen met de behandelend arts, ook al wilt u uw rechten ten opzichte van een andere beheerder uitoefenen. Uw behandelend arts stuurt uw verzoek in een gepseudonimiseerde vorm (en zonder uw identiteit bekend te maken) door naar de betreffende beheerder.

U heeft het recht om klachten in te dienen bij de bevoegde gegevensbeschermingsautoriteit.

De contactgegevens van de functionaris voor gegevensbescherming van het centrum van uw behandelend arts zijn:

Naam van het programmacentrum: <Naam programmacentrum>

Adres van het centrum: <Geregistreerd adres programmacentrum>

E-mail van de functionaris voor gegevensbescherming van het centrum: <e-mail>

Contactpersoon voor gegevensbescherming in de EU:

Naam en adres: Vifor Pharma Deutschland GmbH, Baierbrunner Strasse
29, 81379, München, Duitsland

E-mail: dataprivacy_EEArep@viforpharma.com

Tot slot, mocht u een klacht hebben over de manier waarop uw persoonsgegevens worden gebruikt door uw behandelend arts of door de opdrachtgever, dan kunt u contact opnemen met de relevante gegevensbeschermingsautoriteit. Een lijst met toezichhoudende autoriteiten in de EU vindt u hier: https://edpb.europa.eu/about-edpb/about-edpb/members_en

Bedankt voor het doorlezen van deze informatie en het overwegen om aan dit programma deel te nemen.

TOESTEMMINGSFORMULIER

Compassionate use Program (CUP) met sparsentan voor de behandeling van volwassenen met primaire immunoglobuline A-nefropathie (IgAN) met een urine-eiwitafscheiding > 1 g per dag

Met het ondertekenen van dit formulier geeft u toestemming voor het ontvangen van sparsentan in het kader van het Compassionate use Program beschreven in deze informatiebrochure en in dit toestemmingsformulier. Door te ondertekenen begrijpt u dat sparsentan een experimenteel geneesmiddel is dat niet is goedgekeurd door het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten, FAGG), dat het mogelijk geen voordeel biedt en bijwerkingen kan veroorzaken.

Door dit formulier te ondertekenen gaat u akkoord dat uw persoonsgegevens (inclusief gezondheidsgegevens) worden verwerkt voor het programma zoals beschreven in dit formulier en dat uw persoonsgegevens worden doorgegeven aan andere landen die niet hetzelfde niveau van gegevensbescherming hebben als uw eigen land.

U begrijpt dat u op elk moment met de behandeling kunt stoppen. U bevestigt dat de bovenstaande punten met u zijn besproken en dat u dit document zorgvuldig heeft gelezen, de gelegenheid heeft gehad om vragen te stellen en dat alle gestelde vragen duidelijk zijn beantwoord.

U ontvangt een kopie van dit ondertekend document.

Naam van de patiënt (in blokletters)

Handtekening van de patiënt

Datum

Handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt

Wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt*: Door hieronder te ondertekenen, geeft u aan dat u namens de patiënt toestemming geeft om mee te doen aan dit programma.

**De handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt is vereist voor mensen die niet in staat zijn om zelf toestemming te geven.*

Naam van de wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt (in blokletters)

Handtekening van de wettelijke vertegenwoordiger van de patiënt

Datum

Ik heb het programma aan de deelnemer of zijn/haar wettelijke vertegenwoordiger uitgelegd en al zijn/haar vragen beantwoord. Ik geloof dat hij/zij de informatie in dit document begrijpt en vrijwillig akkoord gaat met deelname.

Naam van de behandelend arts (in blokletters)

Handtekening van de behandelend arts

Datum

Note d'information et formulaire de consentement

Titre :	Programme d'usage compassionnel (PUC) pour le traitement avec le sparsentan chez des adultes atteints de néphropathie à immunoglobulines A (NlgA) primaire avec une excrétion urinaire de protéine > 1g/jour
Numéro de directive de traitement :	HQ-MAP-SPT-056
Médicament :	Sparsentan
Médecin traitant :	[Nom] [Établissement] [Adresse] [Numéro de téléphone] [Adresse e-mail]
Personne à contacter en cas d'urgence :	+#-###-###-####
Version/Date :	2.0 / 4 octobre 2023

Vous recevrez un exemplaire de cette note d'information destinée aux patients et une déclaration du formulaire de consentement.

NOTE D'INFORMATION DESTINÉE AUX PATIENTS

Vous êtes invité(e) à participer à un programme d'usage compassionnel. Pour vous aider à prendre une décision éclairée quant à votre participation à ce programme, vous devez connaître l'objectif du programme, les procédures, les risques/bénéfices, les désagréments et les précautions prises au cours du programme. Ce document décrit également votre droit de vous retirer du programme à tout moment. Aucune garantie ou assurance ne peut être donnée quant à la manière dont le traitement du programme vous sera bénéfique.

Ce processus est appelé « consentement éclairé ». Prenez le temps de lire attentivement les informations qui suivent et discutez-en avec votre famille ou vos soignants. Ce formulaire de consentement peut contenir des mots ou des informations qui ne vous sont pas familiers ou que vous ne comprenez pas. Vous êtes libre de demander au médecin traitant ou au personnel de vous expliquer les mots ou les informations que vous ne comprenez pas clairement. Vous pouvez poser des questions tout au long du programme, en personne ou en appelant le médecin traitant par téléphone au numéro indiqué dans ce formulaire de consentement.

L'usage compassionnel est une option de traitement qui permet l'utilisation d'un médicament non autorisé (c'est-à-dire qui n'a pas été approuvé dans votre pays pour traiter votre affection médicale). Dans des conditions strictes, les médicaments en développement peuvent être mis à la disposition de groupes de patients atteints d'une maladie pour laquelle il n'existe pas de traitements autorisés satisfaisants et qui ne peuvent pas participer à des essais cliniques.

C'est à vous de décider si vous souhaitez participer ou non. Vous êtes libre de refuser de participer. Si vous ne souhaitez pas participer au programme, vous ne serez en aucun cas défavorisé(e), y

compris en termes de traitement médical et des soins que vous êtes en droit de recevoir. Si vous décidez de participer, vous pouvez changer d'avis et décider de vous retirer du programme à tout moment et pour n'importe quelle raison. Vous n'êtes pas tenu(e) d'expliquer les raisons de votre retrait. Si vous vous retirez, vous ne subirez aucune pénalité ou perte d'avantages concernant vos soins futurs.

Si vous décidez de participer à ce programme, il vous sera demandé de signer ce formulaire de consentement éclairé. Vous recevrez un exemplaire du formulaire signé à conserver, l'original restant au centre participant au programme.

1. CONTEXTE

La néphropathie à immunoglobulines A (NlgA), également connue sous le nom de maladie de Berger, est une maladie rénale qui survient lorsqu'un anticorps appelé immunoglobuline A s'accumule dans les reins. Cela entraîne une inflammation locale qui, avec le temps, peut entraver la capacité des reins à filtrer les déchets du sang, ce qui peut conduire à une insuffisance rénale (les reins cessent de fonctionner).

La néphropathie à IgA ne se guérit pas, mais certains médicaments peuvent en ralentir l'évolution. Le contrôle de la tension artérielle et la réduction du taux de cholestérol permettent également de ralentir la maladie.

Le sparsentan bloque l'action de l'angiotensine II, une hormone impliquée dans le contrôle de la tension artérielle et qui peut être nocive pour les reins. Le sparsentan bloque également l'action d'une hormone appelée endothéline, dont on sait qu'elle est nocive pour les reins des patients atteints de NlgA. D'autres médicaments ayant des effets similaires sont déjà approuvés et disponibles pour être utilisés par les patients pour différentes raisons, comme une hypertension ou une maladie rénale.

Vous êtes invité(e) à participer à ce programme d'usage compassionnel parce que vous êtes atteint(e) d'une NlgA qui n'a pas répondu au traitement.

2. OBJECTIF DU PROGRAMME

L'objectif de ce programme d'usage compassionnel est de fournir un traitement avec le sparsentan aux patients atteints de NlgA pour lesquels le traitement recommandé actuellement dans l'établissement du médecin traitant n'a pas conduit à une amélioration suffisante de l'état du/de la patient(e), et pour lesquels aucune participation à un essai clinique n'est possible.

3. PROMOTEUR DU PROGRAMME

Le sparsentan est fourni par Vifor (International) AG, Rechenstrasse 37, 9014 Saint-Gall, Suisse (le promoteur). Bionical Emass est chargée de gérer le programme en son nom.

4. DESCRIPTION DU PROGRAMME

Il s'agit d'un programme d'usage compassionnel ouvert aux patients atteints de NlgA. Le promoteur vous fournira gratuitement le sparsentan pendant votre participation au programme. Si le sparsentan est approuvé pour être prescrit à d'autres patients souffrant de NlgA par les médecins de votre pays, ce programme d'usage compassionnel prendra fin, et le sparsentan ne sera peut-être plus proposé gratuitement.

Si vous acceptez de participer au programme, votre participation durera aussi longtemps que le recommande le médecin traitant. Votre médecin traitant vous demandera de vous rendre à l'hôpital

tout au long du programme. Pour votre sécurité, votre médecin traitant pourra vous demander de vous rendre à des visites supplémentaires, conformément à la pratique habituelle.

5. SUIS-JE OBLIGÉ(E) DE PARTICIPER AU PROGRAMME ?

Non. Votre participation est entièrement volontaire. Si vous choisissez de ne pas participer au programme ou de le quitter à tout moment, cela n'aura pas d'incidence sur vos soins médicaux.

Si vous choisissez de participer au programme, vous pouvez arrêter à tout moment en le faisant savoir à votre médecin traitant et en retirant votre consentement. Votre médecin traitant peut vous orienter vers un autre médecin et vous expliquer les différentes possibilités de soins qui s'offrent à vous.

6. ÉLIGIBILITÉ AU PROGRAMME

Avant de pouvoir participer au programme, le médecin traitant et le personnel vous poseront des questions sur votre état de santé, sur le statut de votre NIgA et sur tous les médicaments que vous prenez ou que vous avez pris par le passé. Votre médecin traitant effectuera également des tests pour s'assurer que vous êtes en mesure de participer au programme. Votre médecin traitant utilise ces informations pour vous aider à déterminer si la participation à ce programme est un choix approprié pour vous.

7. MÉDICAMENT DU PROGRAMME

Vous commencerez votre traitement avec le sparsentan à une dose réduite. Votre médecin traitant décidera si une augmentation de la dose de sparsentan est possible en toute sécurité après environ 2 semaines. Si, après avoir pris la dose initiale, votre médecin traitant estime qu'il est possible d'augmenter la dose sans danger, vous pourrez peut-être poursuivre le programme à une dose plus élevée. Si, après avoir pris la dose initiale, votre tension artérielle est basse, vous pourrez peut-être poursuivre le programme à la dose initiale. Si vous ne tolérez pas la dose initiale, votre médecin traitant pourra vous retirer du programme.

Votre médecin traitant pourra ajuster votre dose quotidienne de sparsentan tout au long de votre participation au programme en fonction des changements liés à votre état de santé.

8. PROCÉDURES

Avant de participer à ce programme, vous aurez le temps de lire attentivement et de comprendre cette note d'information et ce formulaire de consentement. Vous aurez la possibilité de poser toutes les questions que vous souhaitez avant de signer le formulaire de consentement.

Votre médecin traitant déterminera les examens nécessaires au cours du programme. Les examens qui font partie de vos soins médicaux habituels et de routine continueront d'être effectués. Des examens supplémentaires pourront être réalisés si l'un des résultats des examens initiaux est anormal.

Les évaluations qui pourront être effectuées sont décrites plus en détail ci-dessous :

- **Questions à votre sujet et au sujet de vos antécédents médicaux :** un examen de l'ensemble de vos antécédents médicaux, y compris les médicaments que vous prenez actuellement et que vous avez pris précédemment, sera effectué lors de la visite initiale et tout au long de votre participation. Vous serez également interrogé(e) sur votre mode de vie et vos caractéristiques générales.

- **Analyses de sang** : une prise de sang sera effectuée pour 1) vérifier les différents types de cellules dans votre sang et la façon dont votre sang coagule, et 2) examiner les taux de diverses substances comme le glucose, les minéraux, les graisses et les protéines dans votre sang, et vérifier le bon fonctionnement de votre foie, de vos reins et de votre métabolisme. Entre 1 et 2 cuillères à café (5 à 10 ml) de sang seront prélevées par votre médecin traitant ou le personnel lors des visites.
- **Analyses d'urine** : des échantillons d'urine seront utilisés pour vérifier votre état de santé et mesurer le fonctionnement de vos reins. Votre médecin traitant vous donnera plus d'informations sur la manière de recueillir votre urine.
- **Test de grossesse** : si vous êtes une femme en mesure d'avoir des enfants, vous devrez présenter un test de grossesse négatif lors de la visite initiale avant de commencer à prendre le sparsentan, et des tests de grossesse supplémentaires pourront être effectués au cours du programme. Si vous pensez être enceinte, vous devrez faire un test de grossesse pour le confirmer. Si vous devenez enceinte au cours du programme, le sparsentan sera immédiatement arrêté.
- **Examen physique** : un bilan de santé physique pourra être effectué à chaque visite au centre participant au programme afin de vérifier votre état de santé général et vos signes vitaux. Votre médecin traitant vérifiera également tout gonflement des bras et des jambes (appelé œdème périphérique).

9. QUE DEVREZ-VOUS FAIRE ?

- Prendre le sparsentan conformément aux instructions de votre médecin traitant et/ou du personnel.
- Vous rendre à l'hôpital lorsqu'on vous le demande.
- Fournir des échantillons de sang et d'urine si nécessaire lors d'une visite.
- Vous devez informer le médecin traitant si vous ne souhaitez plus participer au programme.
- Vous devrez prendre votre dose quotidienne de sparsentan tous les jours à peu près à la même heure chaque matin, avant le repas du matin.
- **Important** : vous devez avaler le ou les comprimés en entier. N'ouvrez pas, ne cassez pas, ne mâchez pas, n'écrasez pas et ne divisez pas le ou les comprimés avant de les prendre.
- **Important** : ne prenez pas plus ou moins de comprimé(s), sauf si votre médecin traitant vous le demande.
- **Important** : apportez toujours votre réserve de sparsentan dans ses flacons d'origine ainsi que les flacons de sparsentan vides lors de vos rendez-vous avec le médecin traitant. Vous êtes la seule personne à devoir prendre le médicament du programme, et vous devez vous assurer que personne d'autre ne le prend.
- Si vous oubliez de prendre le sparsentan avant le repas du matin, prenez-le dès que vous vous en apercevez le même jour. Si vous oubliez complètement de prendre le sparsentan un jour, recommencez le jour suivant. Vous ne devez pas prendre une dose supplémentaire pour compenser la dose oubliée.
- En cas de problème avec le médicament ou la température de conservation (indiquée sur le flacon), **ne prenez pas le médicament**. Appelez votre médecin traitant pour obtenir des

instructions supplémentaires.

- Si vous êtes une femme en mesure d'avoir des enfants :
 - **VOUS DEVEZ UTILISER LES MÉTHODES DE CONTRACEPTION** décrites plus loin dans ce formulaire de consentement, comme indiqué par votre médecin traitant, de façon continue à partir d'au moins 1 mois avant la première dose de sparsentan jusqu'à 1 mois après la dernière dose de sparsentan.
 - **En cas d'arrêt ou d'interruption de la contraception à tout moment, vous devez en informer immédiatement le médecin traitant.**
 - **Si vous devenez enceinte ou pensez que vous pourriez l'être au cours du programme, vous devez en informer immédiatement le médecin traitant.**
 - **Si, au cours du programme, vous souhaitez devenir enceinte, vous devez en informer immédiatement le médecin traitant.**
- Vous devez discuter avec votre médecin traitant des médicaments que vous prenez (sur ordonnance et en vente libre). Votre médecin traitant indiquera quel médicament doit être arrêté et lesquels peuvent être poursuivis.
- Si vous constatez des changements dans votre état de santé ou de nouveaux symptômes, vous devez immédiatement contacter le médecin traitant.

À la fin du programme, ou si vous cessez d'y participer, votre médecin traitant discutera avec vous des options qui s'offrent à vous pour la poursuite de vos soins.

10. QUELS SONT LES AUTRES TRAITEMENTS DISPONIBLES ?

Vous n'êtes pas obligé(e) de participer à ce programme d'usage compassionnel pour recevoir les soins médicaux courants pour la NlgA. Actuellement, les médecins prescrivent des stéroïdes (médicaments qui modulent l'immunité), des inhibiteurs du SRAA comme l'irbésartan et d'autres médicaments pour aider à réduire la quantité de protéines dans l'urine. D'autres médicaments peuvent également être administrés pour réduire l'hypertension artérielle, abaisser le taux de cholestérol, éliminer l'excès de liquide dans l'organisme ou inhiber le système immunitaire.

Votre médecin traitant discutera avec vous des autres traitements disponibles, et de leurs risques et bénéfices. Si vous décidez de ne pas participer à ce programme, cela n'affectera pas votre capacité à recevoir des soins médicaux.

11. DÉPENSES ET RÉMUNÉRATION

Vous ne recevrez aucune rémunération pour votre participation à ce programme d'usage compassionnel. La participation au programme est gratuite. Aucune visite supplémentaire n'est prévue spécifiquement dans le cadre de ce programme, et les visites sont effectuées selon la pratique habituelle du médecin. Par conséquent, aucune indemnisation n'est prévue pour la participation aux visites. Le sparsentan vous sera fourni gratuitement. Les autres coûts des soins de santé peuvent être à votre charge ou à celle de l'organisme payeur des soins de santé.

12. QUELS POURRAIENT ÊTRE LES EFFETS SECONDAIRES LIÉS À LA PARTICIPATION AU PROGRAMME ?

Certains risques et désagréments peuvent être associés à ce programme. Il peut s'agir d'effets secondaires du sparsentan ou découlant des procédures du programme. Comme pour tous les

médicaments expérimentaux, l'utilisation du sparsentan peut entraîner des risques inconnus et impossibles à prévoir à l'heure actuelle. Il est possible que la prise du sparsentan en même temps que vos médicaments, vitamines ou suppléments habituels modifie leur mode d'action. Il est très important que vous informiez le médecin traitant de tous les médicaments ou suppléments que vous prenez, ou de tout changement dans votre état de santé pendant votre participation à ce programme. Si vous avez des questions au sujet des effets secondaires possibles, veuillez vous adresser à votre médecin traitant.

RISQUES ASSOCIÉS À LA PRISE DE SPARSENTAN

Les effets secondaires présentés par les patients atteints d'une autre maladie rénale (GSF) dans le cadre d'une étude clinique et considérés comme liés au sparsentan par un médecin de l'étude sont résumés dans le tableau suivant, et présentés en fonction de la fréquence à laquelle ils sont survenus chez les patients, de > 1,0 % à ≤ 5,0 % et > 5,0 % des patients de l'étude.

Effets secondaires (entre 1 et 5 patients sur 100)	Effets secondaires (plus de 5 patients sur 100)
Distension abdominale (gonflement du ventre)	Anémie (faible nombre de globules rouges)
Douleurs abdominales (maux de ventre)	Augmentation de la créatinine sanguine (signe d'une diminution de la fonction rénale)
Douleur abdominale supérieure (douleur dans la partie supérieure du ventre)	Étourdissements
Lésion rénale aiguë (diminution de la fonction rénale)	Diminution du taux de filtration glomérulaire (signe d'une réduction de la fonction rénale)
Asthénie (perte d'énergie ou faiblesse)	Maux de tête
Augmentation de la créatine phosphokinase dans le sang (peut représenter une lésion musculaire)	Hyperkaliémie (taux élevé de potassium dans le sang)
Maladie rénale chronique (maladie rénale de longue durée)	Hypotension (faible tension artérielle)
Diarrhée	Nausées
Vertiges posturaux (sensation de tête qui tourne)	Œdème périphérique (gonflement, généralement observé au niveau des jambes et des pieds)
Éructation (rots)	Vomissements
Fatigue	
Diminution de l'hémoglobine (diminution de la substance qui transporte l'oxygène dans les globules rouges)	
Hypokaliémie (faible taux de potassium dans le sang)	
Hypotension orthostatique (baisse de la tension artérielle en position debout)	
Éruption cutanée	
Syncope (évanouissement)	

En plus des risques indiqués ci-dessus, les risques suivants ont été signalés comme étant graves et potentiellement liés à l'utilisation du sparsentan dans le cadre de l'étude clinique :

- Lésion rénale aiguë (lésion soudaine du rein) ;
- Anémie (faible nombre de globules rouges) ;

- Diminution du taux de filtration glomérulaire (test utilisé pour mesurer la fonction rénale) ;
- Hyperaldostéronisme (excès d'aldostérone [une hormone] produite par l'organisme) ;
- Hyperkaliémie (taux élevé de potassium dans le sang) ;
- Hypokaliémie (faible taux de potassium dans le sang) ;
- Lésion hépatique (dommages au foie) ;
- Méléna (sang dans les selles) ;
- Syncope (évanouissement) ;
- Avortement spontané (fausse couche).

Il est important que vous signaliez immédiatement tous les effets secondaires et les changements de votre état de santé normal au médecin traitant, à chaque visite, même si vous ne les considérez pas comme importants.

Risques associés aux procédures cliniques standards

Analyses de sang : vous pourriez ressentir une certaine gêne lors du prélèvement des échantillons de sang, comme une douleur à l'endroit où le sang a été prélevé, des bleus, une rougeur ou un gonflement de la veine, des étourdissements occasionnels et, rarement, un évanouissement ou une infection à l'endroit de la prise de sang. Un élastique serrant (garrot) peut être placé autour de la partie supérieure de votre bras pendant la prise de sang et peut provoquer une gêne ou des bleus.

Fonction hépatique : le sparsentan peut provoquer des changements dans les tests hépatiques. Votre médecin traitant effectuera des analyses de sang pour vérifier votre foie avant de commencer le traitement et régulièrement pendant le traitement avec le sparsentan. Votre médecin traitant peut arrêter temporairement ou définitivement le traitement avec le sparsentan si vous présentez des changements dans vos tests hépatiques.

Risques pour la reproduction, grossesse et contraception

Le sparsentan peut comporter des risques inconnus pour une femme enceinte, un enfant à naître ou un enfant allaité. Si vous êtes enceinte ou le devenez, le traitement avec le sparsentan peut entraîner de nouveaux effets secondaires, inconnus jusqu'à présent, susceptibles de présenter un risque pour vous et/ou votre enfant à naître. Certains médicaments provoquent des accouchements prématurés (précoces) ou des anomalies congénitales.

D'autres médicaments appartenant à la même classe de médicaments ou agissant de manière similaire au sparsentan se sont révélés être à l'origine d'anomalies congénitales graves, de lésions et même de décès d'un enfant à naître.

Vous ne devez pas devenir enceinte au cours de ce programme.

Une méthode de contraception très efficace doit être utilisée au moins un mois avant la première dose de sparsentan, pendant le traitement et un mois après la dernière dose du médicament. L'abstinence n'est pas considérée comme une méthode de contraception fiable.

Par conséquent, si vous êtes enceinte, si vous prévoyez de l'être ou si vous allaitez un enfant, vous ne pouvez pas participer à ce programme d'usage compassionnel. Si vous devenez enceinte au cours du programme, vous devez en informer immédiatement votre médecin traitant. Le traitement avec le sparsentan sera interrompu, et le médecin traitant vous demandera l'autorisation de suivre l'évolution de votre grossesse (y compris les informations concernant votre santé, la date de conception [si elle

est connue], le déroulement de la grossesse, les traitements médicaux que vous pourriez recevoir) et la santé de votre bébé pendant un minimum de 8 semaines après la naissance.

Il est important que vous signaliez immédiatement tous les effets secondaires et les changements de votre état de santé normal au médecin traitant, à chaque visite, même si vous ne les considérez pas comme importants. Tout effet secondaire ou autre problème de santé survenant au cours du programme fera l'objet d'un suivi par votre médecin traitant.

13. QUELS SONT LES BÉNÉFICES POSSIBLES DE LA PARTICIPATION À CE PROGRAMME ?

Il n'y a aucune garantie que vous tirerez un bénéfice médical de votre participation à ce programme. Le sparsentan est un médicament expérimental et, à l'heure actuelle, il n'y a pas suffisamment de données pour garantir qu'il améliorera votre état. Votre état de santé pourrait s'améliorer, rester le même ou s'aggraver pendant la prise du sparsentan.

14. QUELS SONT LES INCONVÉNIENTS OU LES RISQUES ÉVENTUELS LIÉS À LA PARTICIPATION À CE PROGRAMME ?

Il est possible que les symptômes de votre affection ne s'améliorent pas au cours du programme, ou même qu'ils s'aggravent. Le traitement avec le sparsentan peut également comporter des risques pour votre santé future que nous ne connaissons pas actuellement.

15. QUI CONTACTER EN CAS DE QUESTIONS, OU POUR SIGNALER UN(E) ÉVENTUEL(LE) PRÉJUDICE OU RÉACTION LIÉ(E) AU PROGRAMME ?

Si vous avez des questions au sujet de ce programme d'usage compassionnel ou de vos droits, à tout moment, ou si vous pensez avoir subi un préjudice ou une réaction au sparsentan, vous devez contacter immédiatement votre médecin traitant.

Médecin traitant : Dr [insérer le nom et les coordonnées du médecin]

16. QUE SE PASSERA-T-IL SI DE NOUVELLES INFORMATIONS SONT DISPONIBLES ?

De nouvelles informations concernant le sparsentan sont parfois découvertes. Vous serez informé(e) de toute nouvelle information pertinente susceptible d'affecter votre volonté de continuer à participer au programme. Dans ce cas, votre médecin traitant vous contactera dès que possible et discutera avec vous pour savoir si vous devez continuer à participer au programme. Si vous décidez de ne pas continuer, votre médecin traitant prendra les dispositions nécessaires pour assurer la continuité de vos soins. Si vous décidez de poursuivre votre participation au programme, il se peut que l'on vous demande de signer un nouveau formulaire de consentement.

En outre, si de nouvelles informations voient le jour, votre médecin traitant pourra mettre fin à votre participation sans votre consentement. Dans ce cas, les raisons vous seront expliquées et des dispositions seront prises pour la poursuite de vos soins.

17. QUE SE PASSERA-T-IL SI VOUS NE SOUHAITEZ PAS CONTINUER À PARTICIPER À CE PROGRAMME ?

Vous pouvez choisir de participer ou non à ce programme d'usage compassionnel, et vous pouvez changer d'avis à tout moment. Si vous décidez de ne pas participer ou d'arrêter de participer après le

début du programme, cela n'affectera pas votre traitement et vos soins futurs. Si vous souhaitez vous retirer du programme, vous devez contacter votre médecin traitant ou le personnel.

Votre médecin traitant peut également décider que vous ne devez plus participer au programme d'usage compassionnel si cela est dans votre intérêt ou si vous ne suivez pas les instructions que vous recevez pendant votre participation au programme. Le promoteur ou les autorités réglementaires peuvent également décider d'arrêter le programme à tout moment et pour n'importe quelle raison.

18. VOTRE PARTICIPATION À CE PROGRAMME RESTERA-T-ELLE CONFIDENTIELLE, ET COMMENT VOS INFORMATIONS PERSONNELLES SERONT-ELLES UTILISÉES ?

Cette section explique qui utilisera et partagera vos informations de santé si vous acceptez de recevoir le sparsentan dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel. Si vous ne signez pas ce formulaire, vous ne pourrez pas participer au programme.

Le promoteur est chargé de décider quelles données à caractère personnel doivent être recueillies au cours du programme et comment ces données seront utilisées. Vos données seront traitées afin de déterminer si vous êtes éligible au programme et d'évaluer la sécurité d'emploi du médicament utilisé dans le cadre du programme. Votre médecin traitant et le personnel seront chargés de recueillir les données à caractère personnel nécessaires à votre participation. En plus des données médicales, les autres données recueillies comprendront le sexe, l'âge, l'origine ethnique, le poids corporel et la taille, le nom et l'adresse de l'établissement où vous êtes traité(e), et le nom de votre médecin traitant. Dans les données recueillies, votre nom sera remplacé par un code afin que vous ne puissiez pas être identifié(e) directement. Seuls votre médecin traitant et le personnel seront en mesure de vous identifier à partir du code. Le promoteur et les autres sociétés travaillant avec lui dans le cadre de ce programme (les représentants du promoteur) ne pourront pas vous identifier directement. Le promoteur et ses représentants seront chargés du traitement de vos données codées et veilleront à ce qu'elles restent confidentielles, comme l'exigent la loi belge (Loi belge sur la protection des données de 2018) et le Règlement général sur la protection des données (RGPD) de l'Union européenne (2016/679). Vos données à caractère personnel détenues par le promoteur ou ses représentants seront conservées jusqu'à 25 ans après la fin du programme.

En signant ce formulaire, vous acceptez que votre médecin traitant informe votre médecin généraliste de votre participation au programme et lui demande des informations médicales vous concernant.

Votre médecin traitant pourra également partager vos dossiers avec les autorités réglementaires et les comités d'éthique. Ces organismes pourraient utiliser vos dossiers pour vérifier les informations relatives au traitement et à la sécurité des participants.

Vous disposez de certains droits pour accéder à vos données à caractère personnel et faire corriger toute inexactitude. Dans certaines circonstances, vous pouvez demander que l'utilisation de vos données à caractère personnel soit limitée ou qu'elles soient effacées. Toutefois, le promoteur peut être tenu de conserver certaines données à des fins d'archivage, d'intérêt légitime et d'obligations légales. Vous pouvez exercer ces droits en contactant votre médecin traitant. Si vous décidez de ne plus participer au programme, aucune autre donnée à caractère personnel ne sera recueillie.

Le promoteur, ses sociétés affiliées et ses prestataires de services auront accès à vos données à caractère personnel codées pour gérer le programme. Certaines de ces sociétés peuvent être basées aux États-Unis ou dans d'autres pays en dehors de l'Union européenne/Espace économique européen, qui peuvent ne pas être considérés par les autorités compétentes comme assurant une protection adéquate des données à caractère personnel. Le promoteur veillera à ce que des mesures

de protection appropriées soient mises en place, comme l'exige la loi, notamment les clauses contractuelles types de l'UE. Vous pouvez recevoir une copie de ces clauses sur demande.

Les données codées de ce programme pourront être présentées lors de réunions ou dans des publications. Votre identité ne sera pas divulguée. Vous n'êtes pas obligé(e) de signer cette autorisation, mais si vous ne le faites pas, vous ne serez pas autorisé(e) à participer au programme. Le fait de refuser n'aura pas d'incidence sur votre traitement. Vous pouvez changer d'avis et révoquer (retirer) cette autorisation à tout moment. Même si vous révoquez cette autorisation, le promoteur et ses prestataires de services pour le programme pourront encore utiliser et divulguer les données à caractère personnel codées qu'ils ont déjà obtenues à votre sujet, si cela est nécessaire pour maintenir l'intégrité ou la fiabilité du programme, et à des fins d'archivage.

19. AUTRES QUESTIONS, INQUIETUDES OU PLAINTES

Si vous avez des questions, des inquiétudes, des plaintes, ou si vous pensez que le traitement vous a fait du tort, contactez votre médecin traitant aux numéros indiqués ci-dessus.

Vous pouvez contacter le délégué à la protection des données du promoteur à l'adresse GroupDPO@viforpharma.com si vous avez des inquiétudes concernant les aspects relatifs à la confidentialité des données du programme. Toutefois, veuillez garder à l'esprit que tous les destinataires, à l'exception de votre médecin traitant, n'ont accès qu'à des données codées, de sorte qu'il n'est pas possible de vérifier votre droit ou de vous identifier en tant que personne individuelle, ou d'identifier les données à caractère personnel qui vous ont été attribuées, sans compromettre la confidentialité de vos données. Afin d'exercer vos droits (et d'éviter toute identification), veuillez contacter votre médecin traitant, même si vous souhaitez exercer vos droits à l'égard d'un autre responsable du traitement. Votre médecin traitant transmettra votre demande sous forme pseudonymisée (et sans divulguer votre identité) au responsable du traitement concerné.

Vous avez le droit de déposer une plainte auprès de l'autorité de protection des données compétente.

Les coordonnées du délégué à la protection des données du centre de votre médecin traitant sont les suivantes :

Nom du centre du programme : <Nom du centre du programme>

Adresse du centre : <Adresse enregistrée du centre du programme>

Adresse e-mail du délégué à la protection des données du centre : <adresse e-mail>

Coordonnées du représentant à la protection des données pour l'UE :

Nom et adresse : Vifor Pharma Deutschland GmbH, Baierbrunner Strasse 29,
81379 Munich, Allemagne

Adresse-mail : dataprivacy_EEArep@viforpharma.com

Enfin, si vous avez une plainte à formuler concernant le traitement de vos données à caractère personnel par votre médecin traitant ou par le promoteur, vous pouvez contacter l'autorité de protection des données compétente. Vous trouverez une liste des autorités de contrôle de l'UE à l'adresse suivante : https://edpb.europa.eu/about-edpb/about-edpb/members_en

Nous vous remercions d'avoir pris le temps de lire ce document et d'envisager de participer à ce programme.

DÉCLARATION DE CONSENTEMENT

Programme d'usage compassionnel (PUC) pour le traitement avec le sparsentan chez des adultes atteints de néphropathie à immunoglobuline A (IgAN) primaire avec une excrétion urinaire de protéine > 1g/jour

Votre signature atteste de votre consentement à recevoir le sparsentan dans le cadre du programme d'usage compassionnel décrit dans cette note d'information et ce formulaire de consentement. En signant, vous comprenez que le sparsentan est un médicament expérimental qui n'est pas approuvé par l'organisme belge de réglementation des médicaments (Agence fédérale des médicaments et des produits de santé, AFMPS), et qu'il peut n'apporter aucun bénéfice et provoquer des effets secondaires.

En signant ce consentement, vous acceptez que vos données à caractère personnel (y compris les données de santé) soient traitées dans le cadre du programme de la manière décrite dans ce formulaire, et qu'elles soient transférées vers d'autres pays sans bénéficier du même niveau de garanties en matière de protection des données que dans votre pays.

Vous comprenez que vous pouvez arrêter le traitement à tout moment. Vous confirmez que les points indiqués ci-dessus ont été discutés avec vous, que vous avez lu attentivement ce document, que vous avez eu l'occasion de poser des questions et que vous avez reçu une réponse claire à toutes les questions posées.

Un exemplaire signé de ce document vous sera remis.

Nom du/de la patient(e) (en caractères d'imprimerie)

Signature du/de la patient(e)

Date

Signature du représentant légal du/de la patient(e)

Représentant légal du/de la patient(e)* : En signant ci-dessous, vous indiquez que vous donnez votre consentement à participer à ce programme au nom du/de la patient(e).

**La signature du représentant légal du/de la patient(e) est requise pour les personnes incapables de donner leur consentement par elles-mêmes.*

Nom du représentant légal du/de la patient(e) (en caractères d'imprimerie)

Signature du représentant légal du/de la patient(e)

Date

J'ai expliqué le programme au/à la participant(e) ou à son représentant légal, et j'ai répondu à toutes leurs questions. Je pense qu'il/elle comprend les informations décrites dans ce document et qu'il/elle consent librement à participer.

Nom du médecin traitant (en caractères d'imprimerie)

Signature du médecin traitant

Date