

Titel van het programma: Toediening van romiplostim (Nplate®) in het kader van een 'medical need' programma voor volwassen patiënten met primaire immuun thrombocytopenie (ITP) binnen de eerste 12 maanden vanaf diagnose en die niet beantwoordde aan een anderebehandeling (bijvoorbeeld corticosteroiden (CS) of immunoglobulines (IVIg)).

Opdrachtgever van het programma: Amgen nv, Telecomlaan 5-7, 1831 Diegem

Comité voor Medische Ethiek: Universitair Ziekenhuis Brussel, Laarbeeklaan 101, 1090 Jette

I. Noodzakelijke informatie voor uw beslissing om deel te nemen

Inleiding

U wordt uitgenodigd om deel te nemen aan dit programma om u de mogelijkheid te bieden u te voorzien van romiplostim (Nplate®) voor de behandeling van uw ziekte, primaire immuun thrombocytopenie (ITP) binnen de eerste 12 maanden vanaf diagnose die niet beantwoordde aan een andere behandeling (bijvoorbeeld corticosteroiden (CS), immunoglobulines (IVIg)).

De opdrachtgever en arts hopen dat dit geneesmiddel voordelen biedt voor de behandeling van patiënten die getroffen zijn door dezelfde ziekte als u. Er is evenwel geen garantie dat uw deelname aan dit programma u voordeel zal opleveren.

Voordat u beslist over uw deelname aan dit "medical need" programma willen we u wat meer informatie geven over wat dit betekent op organisatorisch vlak en wat de eventuele voordelen en risico's voor u zijn. Zo kan u een beslissing nemen op basis van de juiste informatie. Dit wordt "geïnformeerde toestemming" genoemd.

Wij vragen u de volgende pagina's met informatie aandachtig te lezen. Hebt u vragen, dan kan u terecht bij uw arts of zijn of haar vertegenwoordiger. Dit document bestaat uit 2 delen: de essentiële informatie die u nodig heeft voor het nemen van uw beslissing en uw schriftelijke toestemming.

Als u aan dit programma deelneemt, moet u het volgende weten:

- Dit programma wordt opgestart na evaluatie door één ethisch comité.
- Uw deelname is vrijwillig; er kan op geen enkele manier sprake zijn van dwang. Voor deelname is uw ondertekende toestemming nodig. Ook nadat u hebt getekend, kan u op elk moment de arts laten weten dat u uw deelname wilt stopzetten. De beslissing om al dan niet (verder) deel te nemen zal geen enkele negatieve invloed hebben op de kwaliteit van de zorgen noch op de relatie met de behandelende arts.
- De gegevens die in het kader van uw deelname worden verzameld, zijn vertrouwelijk. Bij de publicatie van de resultaten in kader van dit programma is uw anonimiteit verzekerd.
- Indien u extra informatie wenst, kan u altijd contact opnemen met de arts of een medewerker van zijn of haar team.

Doelstelling en beschrijving van het programma

Uw arts heeft u gevraagd of u een behandeling wenst met romiplostim gezien u lijdt aan primaire immuun thrombocytopenie (ITP) waarvan de diagnose nog geen 12 maanden geleden werd gesteld en dewelke niet beantwoordde aan een andere behandeling (bijvoorbeeld corticosteroiden (CS), immunoglobulines (IVIg)).

Romiplostim is een eiwit dat wordt gebruikt om lage aantallen bloedplaatjes (trombocyten) te behandelen bij patiënten met immuun (idiopathische) trombocytopenische purpura (ook wel ITP genoemd). ITP is een ziekte waarbij het immuunsysteem van uw lichaam zijn eigen bloedplaatjes vernietigt. In uw bloed helpen bloedplaatjes bij het dichten van wonden en het vormen van bloedproppen. Zeer lage aantallen bloedplaatjes kunnen bloeduitstortingen en ernstige bloedingen veroorzaken. Romiplostim werkt door het beenmerg (deel van het bot dat bloedcellen aanmaakt) te stimuleren om meer bloedplaatjes te produceren. Dit zou moeten helpen om bloeduitstortingen en bloedingen geassocieerd met ITP te voorkomen.

Romiplostim is goedgekeurd door de Europese Autoriteiten (EMA – Europees geneesmiddelenagentschap) voor de behandeling van volwassen patiënten (van 18 jaar en ouder) bij wie de milt al dan niet is verwijderd vanwege chronische ITP en die eerder behandeld zijn met corticosteroiden of immunoglobulines en waarbij deze behandelingen niet werken.

Klinische gegevens ter evaluatie van de veiligheid en werkzaamheid van romiplostim bij volwassen patiënten met een ITP binnen de eerste 12 maanden vanaf de diagnose zijn beschikbaar uit een gepoolde analyse van negen klinische studies. De goedkeuring voor de behandeling van volwassen patiënten (van 18 en ouder) met ITP binnen de eerste 12 maanden vanaf diagnose en die niet beantwoorden aan een voorafgaande behandeling (met bijvoorbeeld corticosteroiden (CS) en / of intraveneuze immunoglobulinen (IVIg)) is momenteel in aanvraag bij EMA.

U zal romiplostim krijgen in het kader van een “medical need” programma.

Wat is een “medical need” programma?

Het doel van een “medical need” programma is een geneesmiddel dat nog niet beschikbaar is op de markt en nog niet is goedgekeurd om een specifieke ziekte te behandelen, beschikbaar te maken voor één of meer patiënten die lijden aan een chronische of ernstige ziekte en die onvoldoende kunnen behandeld worden met de beschikbare behandelingsopties.

Uw arts zal de goedkeuring van Amgen en van de Ethische Commissie gekregen hebben en zal ook voldoen aan alle wettelijke eisen die nodig zijn om u te kunnen behandelen met romiplostim in het kader van dit programma.

Romiplostim zal gratis geleverd worden door Amgen op individuele basis tot het terugbetaald is voor de behandeling van patiënten met een ITP binnen de eerste 12 maanden vanaf de diagnose.

Amgen behoudt zich het recht om dit programma stop te zetten ingeval de aanvraag tot tegemoetkoming voor de cohortaanvraag in deze indicatie wordt geweigerd of in het kader van nieuwe wetenschappelijke en veiligheidsgegevens.

Verloop van het programma

Om aan dit programma te kunnen deelnemen, zal u moeten voldoen aan een aantal voorwaarden die uw behandelende arts zal nakijken. Indien u voldoet aan alle voorwaarden, zal u romiplostim kunnen toegediend krijgen tot het beschikbaar is in de handel voor de behandeling van ITP binnen de eerste 12 maanden vanaf de diagnose in België.

Romiplostim wordt toegediend als een injectie onder de huid (subcutaan) éénmaal per week. Uw aanvangsdosis is 1 microgram romiplostim per kilogram lichaamsgewicht één keer per week. Uw arts zal u vertellen hoeveel u moet gebruiken. Romiplostim dient één keer per week te worden geïnjecteerd om uw bloedplaatjesaantal op peil te houden. Uw arts zal regelmatig bloedmonsters afnemen om te meten hoe uw bloedplaatjes reageren en kan uw dosis aanpassen indien dit noodzakelijk is.

Als uw bloedplaatjesaantal eenmaal onder controle is, zal uw arts uw bloed regelmatig blijven controleren. Uw dosis kan verder worden aangepast om uw bloedplaatjesaantal op lange termijn onder controle te blijven houden.

Na een passende training kan uw arts ook tegen u zeggen dat u romiplostim zelf mag toedienen. Lees hiervoor de instructies voor toediening van romiplostim in de bijsluiter, zoals besproken met uw arts. Als u van uw arts zelf de injecties mag toedienen, moet u elke maand voor controle bij uw arts terugkomen zodat de arts kan vaststellen of romiplostim bij u werkt of dat een andere behandeling moet worden overwogen.

Na de eerste maand van zelftoediening van romiplostim, moet u laten zien dat u nog steeds zelf uw romiplostim injectie correct kunt voorbereiden en toedienen.

Uw behandeling met romiplostim kan worden stopgezet zoals verder in dit document wordt beschreven onder de rubriek ‘stopzetting van de behandeling met romiplostim’.

Risico's en ongemakken

A: Wisselwerking met andere geneesmiddelen of andere wisselwerkingen

Vertel de arts over alle geneesmiddelen die u gebruikt, onlangs heeft gebruikt of van plan bent te gebruiken, waaronder kruidenmiddelen, supplementen en geneesmiddelen die u kan verkrijgen zonder voorschrift.

Als u geneesmiddelen gebruikt die het ontstaan van bloedproppen voorkomen (antistollingsmiddelen of antibloedplaatjetherapie) is er een grotere kans op bloedingen. Uw arts zal dit met u bespreken.

Als u corticosteroïden, danazol en/of azathioprine gebruikt, waarmee u behandeld kan worden voor ITP, kan de dosis die u moet gebruiken worden verlaagd of kan met het gebruik ervan worden gestopt indien gegeven in combinatie met romiplostim.

Overleg met uw arts voordat u gaat rijden of machines gaat bedienen, omdat enkele bijwerkingen (bijvoorbeeld tijdelijke aanvallen van duizeligheid) uw vermogen om dit veilig te doen, kunnen verslechteren.

B: Bijwerkingen van het geneesmiddel in het programma

Alle geneesmiddelen hebben zowel bekende als onvoorspelbare bijwerkingen. Hoewel vroegere studies hebben aangetoond dat romiplostim algemeen goed wordt verdragen, is het mogelijk dat u geen, één of meerdere van de hierna volgende bijwerkingen zal ondervinden. Deze bijwerkingen kunnen mild zijn maar ze kunnen ook ernstig zijn of zelfs leiden tot de dood. Het is mogelijk dat er nog onbekende bijwerkingen optreden bij de toediening van romiplostim alleen of in combinatie met andere geneesmiddelen die u eventueel gebruikt.

Tijdens de ganse duur van dit programma, zal u uw dokter moeten inlichten over alle veranderingen die zich voordoen in uw gezondheidstoestand.

Bijwerkingen die door andere mensen in klinische studies gemeld werden en die mogelijk veroorzaakt werden door romiplostim, zijn:

Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (die kunnen voorkomen bij meer dan 1 op 10 mensen):

- hoofdpijn;
- allergische reactie;
- bovenste luchtweginfectie.

Vaak voorkomende bijwerkingen (die kunnen voorkomen bij minder dan 1 tot 10 mensen):

- beenmergaandoening, waaronder toename van vezels in het beenmerg (reticuline);
- problemen met slapen (slapeloosheid);
- duizeligheid;
- jeuk of tintelingen in de handen of voeten (paresthesie);
- migraine;
- roodheid van de huid (blozen);
- bloedstolsel in een longslagader (longembolie);
- misselijkheid;
- diarree;
- buikpijn;
- spijsverteringsstoornis (dyspepsie);
- verstopping (obstipatie);
- jeuken van de huid (pruritus);
- bloeding onder de huid (ecchymose);
- blauwe plek (kneuzing);
- huiduitslag;

- gewrichtspijn (artralgie);
- spierpijn of spierslakte (myalgie);
- pijn in uw handen of voeten;
- spierspasmen;
- rugpijn;
- botpijn;
- vermoeidheid;
- injectieplaatsreacties;
- gezwollen handen en voeten (perifeer oedeem);
- griepachtige symptomen (influenza-achtig ziektebeeld);
- pijn;
- algehele zwakte (asthenie);
- koorts (pyrexie);
- rillingen;
- kneuzing;
- zwelling van het gezicht, de lippen, mond, tong of keel wat moeite met slikken of ademen zou kunnen veroorzaken (angio-oedeem);
- maag- en darmontsteking;
- hartkloppingen.

Vaak voorkomende bijwerkingen (die kunnen voorkomen bij minder dan 1 tot 10 mensen) die kunnen worden ontdekt bij bloed- of urinetests:

- laag bloedplaatjesaantal (trombocytopenie) en laag bloedplaatjesaantal (trombocytopenie) na het stoppen met romiplostim;
- hoger dan normaal bloedplaatjesaantal (trombocytose);
- bloedarmoede (anemie).

Soms voorkomende bijwerkingen (die kunnen voorkomen bij minder dan 1 tot 100 mensen):

- beenmergfalen; aandoening van het beenmerg dat littekens veroorzaakt (myelofibrose); vergrote milt (splenomegalie); vaginale bloeding, rectale bloeding; mondbloeding; injectieplaatsbloeding;
- hartaanval (myocardinfarct); verhoogde hartslag;
- duizeligheid of een draaiurig gevoel (vertigo);
- problemen met de ogen waaronder: oogbloeding; moeilijkheden met focussen of een troebel zicht (accommodatiestoornissen, papiloedeem of oogaandoening); blindheid; jeukende ogen (oogpruritus); toename van traanvocht; of visuele stoornissen;
- problemen met het maag-darmstelsel waaronder: braken; slechte adem (ademgeur); slikstoornis (dysfagie); indigestie of zuurbranden (gastro-oesofageale reflux); bloed in de ontlasting (hematochezie); maagproblemen; mondzweren of mondblaren (stomatitis); tandverkleuring;
- gewichtsafname; gewichtstoename; intolerantie voor alcohol; gebrek aan eetlust (anorexie); uitdroging;
- algeheel onwel gevoel (malaise); pijn op de borst; geïrriteerdheid; gezichtszwelling (gelaatsoedeem); opvliegers; verhoogde lichaamstemperatuur; nerveus gevoel;
- griep; plaatselijke infectie; ontsteking van neus- en keelholten (nasofaryngitis);
- problemen met de neus en keel waaronder: hoesten; neusloop (rinorroe); droge keel; kortademigheid of moeite met ademen (dyspneu); neusverstopping; pijnlijke ademhaling;

- pijnlijke gezwollen gewrichten veroorzaakt door urinezuur (afbraakproduct van voedsel) (jicht);
- gespannen spieren; spierzwakte; schouderpijn; spiertrekkingen;
- problemen met uw zenuwstelsel waaronder onvrijwillige spiercontracties (clonus); smaakstoornis (dysgeusie); vermindering van smaak (hypogeusie); verminderde gevoeligheid, vooral in de huid (hypesthesie); veranderingen in de zenuwfuncties van de armen en benen (perifere neuropathie); bloedprop in de zogenaamde transverse sinus (transverse sinustrombose);
- depressie; abnormale dromen;
- haarverlies (alopecia); lichtgevoeligheid (fotosensitiviteitsreactie); acne; allergische reactie in de huid na contact met allergenen (contactdermatitis); huidverschijnselen met uitslag en blaren (eczeem); droge huid; roodheid van de huid (erytheem); ernstige schilferende of vervellende huiduitslag (exfoliatieve huiduitslag); abnormale haargroei; verdikking en jeuken van de huid als gevolg van herhaald krabben (prurigo); bloeding onder het huidoppervlak of blauwe plekken op de huid (purpura); huiduitslag met bulten (papulaire huiduitslag); jeukende huiduitslag (pruritische huiduitslag); algehele jeukende huiduitslag (urticaria); huidknobbels; abnormale geur van de huid;
- problemen met de circulatie waaronder bloedprop in de ader van de lever (poortadertrombose); diepe veneuze trombose; lage bloeddruk (hypotensie); verhoogde bloeddruk; blokkade van een bloedvat (perifeer embolisme); afname van de doorbloeding in de handen, enkels en voeten (perifere ischemie); zwelling en stolling in een ader, die bij aanraking extreem gevoelig kan zijn (flebitis of oppervlakkige tromboflebitis); bloedprop (trombose).
- een zeldzame aandoening die wordt gekenmerkt door periodes van branderige pijn, roodheid en warm aanvoelen van handen en voeten (erytromelalgie).

Soms voorkomende bijwerkingen (die kunnen voorkomen bij minder dan 1 tot 100 mensen) die kunnen worden ontdekt bij bloed- of urinetests:

- een zeldzaam type van bloedarmoede waarbij de rode bloedcellen, witte bloedcellen en bloedplaatjes allemaal in aantal zijn afgenomen (aplastische anemie);
- verhoogd aantal witte bloedcellen (leukocytose);
- bovenmatige bloedplaatjesproductie (trombocytemie); toename van bloedplaatjesaantallen; abnormaal aantal cellen in het bloed dat bloedingen voorkomt (abnormale bloedplaatjesaantallen);
- wijzigingen in sommige bloedtesten (toename in transaminase; verhoogd bloedlactaatdehydrogenase);
- of kanker van de witte bloedcellen (multipel myeloom);
- eiwitten in de urine.

U dient extra voorzichtig te zijn met dit middel wanneer:

- Als u stopt met het gebruik van romiplostim treedt een laag bloedplaatjesaantal (trombocytopenie) waarschijnlijk opnieuw op. Als u stopt met het gebruik van romiplostim dient uw bloedplaatjesaantal te worden gecontroleerd, en uw arts zal passende voorzorgsmaatregelen met u bespreken.
- Als u risico loopt op bloedproppen of wanneer bloedproppen voorkomen in uw familie. Het risico op bloedproppen is verhoogd wanneer u:
 - leverproblemen heeft;
 - ouder bent (≥ 65 jaar);
 - bedlegerig bent;
 - kanker heeft;
 - de anticonceptiepil of hormoonvervangende therapie gebruikt;
 - recent een ingreep of een verwonding heeft gehad;
 - overgewicht heeft;
 - rookt.

- Als u een zeer hoog bloedplaatjesaantal heeft, kan dit de kans op bloedproppen vergroten. Uw arts zal uw dosis romiplostim aanpassen om ervoor te zorgen dat uw aantal bloedplaatjes niet te hoog wordt.

Veranderingen in het beenmerg (toename van reticuline en mogelijke beenmergfibrose)

Langdurig gebruik van romiplostim kan veranderingen in uw beenmerg veroorzaken. Deze veranderingen kunnen leiden tot abnormale of minder bloedcellen. De milde vorm van deze veranderingen in het beenmerg wordt “toename van reticuline” genoemd en is waargenomen in klinische onderzoeken met romiplostim. Het is niet bekend of dit kan verergeren tot een ernstigere vorm die bekend staat als “fibrose”. Tekenen van veranderingen in het beenmerg kunnen optreden als afwijkingen in uw bloedonderzoeken. In het geval van afwijkende bloedonderzoeken, zal uw arts besluiten of dit betekent dat u een beenmergonderzoek zou moeten ondergaan of dat u moet stoppen met het gebruik van romiplostim.

Verergering van bloedkankervormen

Uw arts kan beslissen om een beenmergbiopsie te doen indien het nodig is om er zeker van te zijn dat u ITP heeft en geen andere ziekte zoals myelodysplastisch syndroom (MDS), een ziekte van het beenmerg waarbij de aanmaak van bloedcellen gestoord is. Als u MDS heeft en Nplate[®] krijgt, kan uw blastcellenaantal stijgen en is het mogelijk dat uw MDS verergert tot acute myeloïde leukemie; dit is een bepaald type bloedkanker.

Verlies op respons van romiplostim

Als u behandeld wordt met romiplostim kan een verlies van respons of het onvermogen om voldoende bloedplaatjes te behouden, optreden. Uw arts zal in dat geval de oorzaak trachten te achterhalen en daarbij onder andere overwegen of u een toename van vezels in het beenmerg (reticuline) heeft of antilichamen heeft ontwikkeld die de activiteit van romiplostim kunnen neutraliseren.

C: Contraceptie, zwangerschap en borstvoeding.

Vrouwelijke deelnemer: De gevolgen van het gebruik van romiplostim voor het ongeborn kind of voor de zuigeling zijn niet volledig gekend. Het is eveneens niet bekend of romiplostim wordt uitgescheiden in de moedermelk. U mag daarom niet deelnemen aan dit programma als u zwanger bent, zwanger wenst te worden of borstvoeding geeft.

Indien u kiest om aan dit programma deel te nemen, dient u gebruik te maken van één van de erkende contraceptiemethoden (om te voorkomen dat u zwanger wordt).

Mannelijke deelnemer: Mannelijke deelnemers moeten geen anticonceptiemethode gebruiken tijdens de behandeling met romiplostim. U moet uw vrouwelijke partner echter wel verwittigen dat u deelneemt aan dit programma.

Melding van nieuwe informatie

Het is mogelijk dat er tijdens het verloop van dit programma belangrijke nieuwe informatie over romiplostim beschikbaar wordt. Men zal u op de hoogte brengen van nieuwe belangrijke informatie die invloed kan hebben op uw beslissing om uw deelname aan dit programma voort te zetten.

Indien u in het licht van de nieuwe belangrijke informatie besluit om uw deelname aan het programma te beëindigen, zal uw arts erop toezien dat u ook nadien op de best beschikbare wijze behandeld wordt.

Voordelen

Indien u besluit om aan dit programma deel te nemen, kan romiplostim al dan niet gunstig blijken te zijn voor de behandeling van uw ziekte, namelijk ITP of het verlichten van je symptomen. Zelfs als het effect gunstig blijkt, is een terugkeer of verergering van de symptomen, de ziekte of de aandoening nog altijd mogelijk.

Andere behandelingen

U kan verkiezen om uw gangbare behandeling bij uw dokter verder te zetten. Dit kan andere behandelingen omvatten die beschikbaar zijn in België.

U kan ook beslissen om:

- aan een klinische studie deel te nemen;
- momenteel geen behandeling te volgen.

Bespreek met uw behandelende arts de mogelijke behandelingen die er zijn voor u.

Stopzetting van de behandeling met romiplostim

Uw deelname aan dit programma gebeurt vrijwillig en mag nooit onder druk gebeuren. Dit betekent dat u het recht hebt om niet deel te nemen aan dit programma. U mag zich ook op elk moment terugtrekken zonder dat u hiervoor een reden hoeft te geven, zelfs al heb u eerder toegestemd om deel te nemen. Uw beslissing zal geen invloed hebben op je relatie met de onderzoeker of je behandelende arts, noch op de kwaliteit van uw toekomstige medische zorgen. Het is ook mogelijk dat de arts uw deelname aan het programma stopzet omdat u zwanger bent of omdat hij/zij van mening is dat dit beter is voor uw gezondheid.

Het kan eveneens gebeuren dat het ethisch comité of de bevoegde nationale of internationale autoriteiten die aanvankelijk goedkeuring hadden gegeven voor het programma of Amgen het programma stopzet.

Het programma wordt gestopt wanneer één van onderstaande mogelijkheden zich voordoet:

- Nplate® (romiplostim) in de handel beschikbaar is voor de behandeling van volwassen patiënten met primaire immuun thrombocytopenie (ITP) binnen de eerste 12 maanden vanaf diagnose en die niet beantwoordde aan een andere behandeling (bijvoorbeeld corticosteroiden (CS), immunoglobulines (IVIg)).
- Ten laatste tot en met 31 december 2021.

Nplate® zal via het MNP aan u worden verstrekt totdat u de diagnose van chronische ITP (= 12 maanden ITP) heeft bereikt. Op dat moment dient de behandelende arts – afhankelijk van het plaatjesaantal – de verdere behandelingsopties met u te bespreken.

Daarenboven behoudt Amgen zich het recht om dit programma stop te zetten ingeval de aanvraag tot tegemoetkoming voor de cohortaanvraag in deze indicatie wordt geweigerd of in het kader van nieuwe wetenschappelijke gegevens.

Behandeling na stopzetting van het programma

In alle situaties waarbij de deelname aan het programma wordt stopgezet, zal uw arts uw gezondheid onderzoeken en u de beste behandeling die beschikbaar is voorschrijven of u doorverwijzen naar een andere behandelende arts van uw keuze.

Contact

Als u bijkomende informatie wenst, maar ook ingeval van problemen of als u zich zorgen maakt, kan u contact opnemen met uw behandelende arts:

Dokter:Telefoon:

Of iemand van zijn team: Telefoon:

In geval van nood, kan u contact opnemen met
op het telefoonnummer

Buiten de consultatie-uren moet u zich aanmelden op de spoedafdeling van uw ziekenhuis en vermelden dat u deelneemt aan dit programma. Uw dossier zal nuttige informatie bevatten voor de dienstdoende arts met betrekking tot het programma.

Als u, als gevolg van deze geïnformeerde toestemming of op om het even welk ander moment, nog meer vragen hebt met betrekking tot het gebruik van uw persoonsgegevens, kan u steeds contact opnemen met uw arts.

De functionarissen voor gegevensbescherming van Amgen en van het centrum staan ook tot uw beschikking. Hieronder vindt u hun contactgegevens:

Functionaris voor gegevensbescherming van Amgen: privacyoffice@amgen.com

Om de bescherming van uw identiteit tegenover de opdrachtgever van het programma te verzekeren, zal de functionaris voor gegevensbescherming van het centrum fungeren als tussenpersoon en de functionaris voor gegevensbescherming van de opdrachtgever contacteren als er vragen zijn.

Tenslotte kan u ook een klacht indienen betreffende de manier waarop uw gegevens worden verwerkt bij de Belgische autoriteit die erop toeziet dat de wetgeving inzake de bescherming van de persoonsgegevens wordt nageleefd :

Gegevensbeschermingsautoriteit (GBA)

Drukpersstraat 35,

1000 Brussel

Tel. +32 2 274 48 00

e-mail: contact@apd-gba.be

Website: <https://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be/>

Titel van het programma: Toediening van romiplostim (Nplate®) in het kader van een 'medical need' programma voor volwassen patiënten met primaire immuun thrombocytopenie (ITP) binnen de eerste 12 maanden vanaf diagnose en die niet beantwoordde aan een andere behandeling (corticosteroiden (CS), immunoglobulines (IVIg)).

II. Geïnformeerde toestemming

Deelnemer

- ✓ Ik verklaar dat ik geïnformeerd ben over de aard, het doel, de duur, de eventuele voordelen en risico's van het programma en dat ik weet wat van mij wordt verwacht. Ik heb kennis genomen van het informatiedocument en de bijlagen ervan.
- ✓ Ik heb voldoende tijd gehad om na te denken en om te praten met een door mij gekozen persoon, zoals mijn huisarts of een familielid.
- ✓ Ik heb alle vragen kunnen stellen die bij me opkwamen en ik heb een duidelijk antwoord gekregen op mijn vragen.
- ✓ Ik begrijp dat mijn deelname aan dit programma vrijwillig is en dat ik vrij ben mijn deelname aan dit programma stop te zetten zonder dat dit mijn relatie schaadt met het therapeutisch team dat instaat voor mijn gezondheid.
- ✓ Ik begrijp dat er tijdens mijn deelname aan dit programma gegevens over mij zullen worden verzameld en dat de arts en de opdrachtgever de vertrouwelijkheid van deze gegevens verzekeren.
- ✓ Met de ondertekening van dit document geef ik de toestemming dat mijn persoonlijke gegevens worden gebruikt in overeenstemming met de Belgische wetgeving en het advies 24/2014 van 2 april 2014 betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer.
- ✓ Ik ga ermee akkoord dat mijn huisarts en andere specialisten die voor mijn gezondheid instaan op de hoogte worden gesteld van mijn deelname aan dit programma **(gelieve deze zin te schrappen indien u niet akkoord gaat)**.
- ✓ Ik ga ermee akkoord dat de gegevens die voor deze studie worden verzameld, later zullen worden verwerkt, op voorwaarde dat deze verwerking beperkt blijft tot de context van de hier vermelde studie voor een betere kennis van de ziekte en de behandeling ervan.

Naam, voornaam van de patiënt

Datum en handtekening van de patiënt

Wettelijke vertegenwoordiger (indien van toepassing)

Ik verklaar dat men mij heeft geïnformeerd over de vraag om een beslissing te nemen over deelname aan dit programma door de persoon die ik in diens beste belang vertegenwoordig, rekening houdend met zijn of haar mogelijke wens. Mijn toestemming is van toepassing op alle items opgenomen in het toestemmingsformulier voor de deelnemer.

Ik ben eveneens geïnformeerd dat zodra de klinische situatie het toelaat, de persoon die ik vertegenwoordig op de hoogte zal worden gesteld van zijn/haar deelname aan een programma en op dat moment vrij is om toestemming te geven voor een verdere deelname of om deelname stop te zetten door het huidige toestemmingsformulier al dan niet te ondertekenen

Naam, voornaam en relatie
met de vertegenwoordigde persoon

Datum en handtekening van de
wettelijke vertegenwoordiger

Getuige / Tolk (indien van toepassing)

Ik ben tijdens het volledige proces van informatieverstrekking aan de deelnemer aanwezig geweest en ik bevestig dat de informatie over de doelstellingen en procedures van het programma op adequate wijze is verstrekt, dat de deelnemer (of diens wettelijke vertegenwoordiger) het programma naar alle waarschijnlijkheid heeft begrepen en dat de toestemming tot deelname aan het programma uit vrije wil is gegeven.

Naam, voornaam en kwalificatie van
de getuige / tolk

Datum en handtekening van de getuige / tolk

Arts

Ik ondergetekende _____ (naam en voornaam),
verklaar de benodigde informatie inzake dit programma mondeling te hebben verstrekt, evenals een
exemplaar van het informatiedocument aan de deelnemer te hebben verstrekt.

Ik bevestig dat geen enkele druk op de deelnemer is uitgeoefend om hem/haar te doen toestemmen tot
deelname aan het programma en ik ben bereid om op alle eventuele bijkomende vragen te antwoorden.

Handtekening van de arts

Datum

Titre du programme: Administration du romiplostim (Nplate®) dans le cadre d'un "programme médical d'urgence" chez des patients adultes présentant une thrombopénie auto-immune primaire (ancienne dénomination : purpura thrombopénique idiopathique - PTI) dans les 12 premiers mois suivant le diagnostic et qui est réfractaire aux autres traitements (par ex. corticostéroïdes (CS), immunoglobulines (IVIg)).

Promoteur du programme: s.a. Amgen, Telecomlaan 5-7, 1831 Diegem

Comité d'Éthique Médicale: Universitair Ziekenhuis Brussel, Laarbeeklaan 101, 1090 Jette

I. Information essentielle à votre décision de participation

Introduction

Vous êtes invité-e à participer à ce programme qui vous offre la possibilité de recevoir du romiplostim (Nplate®) pour le traitement de votre maladie, la thrombopénie auto-immune primaire (ou purpura thrombopénique idiopathique - PTI) dans les 12 premiers mois suivant le diagnostic et qui est réfractaire aux autres traitements (par ex. corticostéroïdes (CS), immunoglobulines (IVIg)).

Le promoteur et le médecin espèrent que ce médicament peut présenter des avantages pour le traitement des patients atteints de la même maladie que la vôtre. Néanmoins, il n'y a aucune garantie que vous profiterez d'un bénéfice de votre participation à ce programme.

Avant que vous n'acceptiez de participer à ce "programme médical d'urgence", nous vous invitons à prendre connaissance de ses implications en termes d'organisation, d'avantages et de risques éventuels, afin que vous puissiez prendre une décision en toute connaissance de cause. Ceci s'appelle « donner un consentement éclairé ».

Veillez lire attentivement ces quelques pages d'information et poser toutes les questions que vous souhaitez à votre médecin ou à la personne qui le représente. Ce document comprend 2 parties : l'information essentielle à votre prise de décision et votre consentement écrit.

Si vous participez à ce programme, vous devez savoir que :

- Ce programme est mis en œuvre après évaluation par un comité d'éthique.
- Votre participation est volontaire et doit rester libre de toute contrainte. Elle nécessite la signature d'un document exprimant votre consentement. Même après l'avoir signé, vous pouvez arrêter de participer à tout moment en informant le médecin. Votre décision de ne pas ou de ne plus participer au programme n'aura aucun impact sur la qualité de vos soins ni sur vos relations avec le médecin traitant.
- Les données recueillies à cette occasion sont confidentielles et votre anonymat est garanti lors de la publication des résultats sur le programme.
- Vous pouvez toujours contacter le médecin ou un membre de son équipe si vous avez besoin d'informations complémentaires.

Objectifs et description du programme

Votre médecin vous a demandé si vous souhaitez être traité-e par romiplostim parce que vous présentez une thrombopénie auto-immune (PTI) dans les 12 premiers mois suivant le diagnostic et qui est réfractaire aux autres traitements (par ex. corticostéroïdes (CS), immunoglobulines (IVIg)).

Le romiplostim est une protéine utilisée pour traiter le faible taux de plaquettes sanguines chez les patients atteints d'une thrombopénie auto-immune ou PTI. Le PTI est une affection dans laquelle votre système immunitaire détruit vos propres plaquettes. Les plaquettes sont des cellules présentes dans votre sang et aident à la cicatrisation des plaies et à la formation de caillots sanguins. Un très faible taux de plaquettes peut entraîner l'apparition de contusions et des saignements importants.

Le romiplostim est approuvé par les autorités européennes (EMA – Agence européenne des médicaments) pour le traitement des patients adultes (âgés de 18 ans et plus) ayant déjà eu ou non une ablation de la rate pour PTI chronique et pour lesquels les traitements préalables par corticostéroïdes ou immunoglobulines intraveineuses (IVIg) se sont montrés inefficaces.

Les données cliniques évaluant la sécurité et l'efficacité du romiplostim chez les patients adultes atteints de PTI dans les 12 premiers mois suivant le diagnostic sont disponibles à partir d'une analyse groupée de neuf études cliniques. Le traitement des patients adultes (18 ans et plus) atteints de PTI dans les 12 premiers mois du diagnostic et qui ne répondent pas au traitement antérieur (par exemple, corticostéroïdes (CS) et / ou immunoglobulines intraveineuses (IVIg)) est actuellement en attente d'approbation auprès de l'Agence Européenne des Médicaments (European Medicines Agency – EMA).

Vous recevrez le romiplostim dans le cadre d'un "programme médical d'urgence".

Qu'est-ce qu'un "programme médical d'urgence" ?

Le but d'un "programme médical d'urgence " est de mettre un médicament qui n'est pas encore disponible sur le marché et qui n'est pas encore approuvé pour traiter une maladie spécifique à la disposition d'un ou plusieurs patients qui souffrent d'une maladie chronique ou sévère et qui ne peuvent pas être suffisamment traités au moyen des options thérapeutiques existantes.

Votre médecin aura reçu l'approbation d'Amgen et du Comité d'éthique et satisfera à toutes les exigences légales nécessaires pour pouvoir vous traiter au moyen du romiplostim dans le cadre de ce programme.

Le romiplostim sera fourni par Amgen gratuitement sur une base individuelle jusqu'à ce qu'il soit remboursé en Belgique pour le traitement des patients atteints de PTI dans les 12 premiers mois suivant le diagnostic.

Amgen se réserve le droit de mettre un terme à ce programme au cas où la demande d'intervention dans cette indication serait refusée ou à la lumière de nouvelles données scientifiques.

Déroulement du programme

Pour pouvoir participer à ce programme, vous devrez répondre à un certain nombre de conditions que votre médecin traitant examinera. Si vous répondez à toutes les conditions, vous pourrez recevoir du romiplostim jusqu'à ce qu'il soit remboursé en Belgique pour le traitement des patients atteints de PTI dans les 12 premiers mois suivant le diagnostic.

Le romiplostim est administré une fois par semaine par injection sous la peau (sous-cutanée). La dose initiale est de 1 microgramme de romiplostim par kilogramme de poids corporel, une fois par semaine. Votre médecin vous indiquera quelle dose vous devrez prendre. Le romiplostim doit être injecté une fois par semaine de façon à maintenir votre taux de plaquettes suffisamment élevé. Votre médecin sera amené à vous prescrire régulièrement des examens sanguins afin de contrôler votre taux de plaquettes et, le cas échéant, d'adapter les doses prescrites.

Une fois votre taux de plaquettes stabilisé, votre médecin continuera à surveiller régulièrement vos analyses sanguines. La dose pourra être ajustée afin de maintenir la stabilité de votre taux de plaquettes à long terme.

Après avoir reçu une formation adéquate, votre médecin pourra vous autoriser à vous faire vous-même les injections de romiplostim. Veuillez lire dans la notice les instructions sur les modalités d'injection du romiplostim, telles que discutées avec votre médecin. Si votre médecin vous a autorisé à réaliser vous-même les injections, vous devrez consulter votre médecin tous les mois pour que celui-ci puisse déterminer si le traitement par romiplostim vous est efficace ou si un autre traitement doit être envisagé.

Après le premier mois d'auto-injection de romiplostim, il vous sera demandé de démontrer à nouveau votre aptitude à préparer et à vous administrer le romiplostim correctement.

Votre traitement par romiplostim peut être arrêté comme décrit plus en détail dans ce document sous la rubrique «Arrêt du traitement par romiplostim».

Risques et inconvénients

A: Interactions médicamenteuses ou autres

Avertissez le médecin des médicaments que vous prenez, que vous avez récemment pris ou que vous envisagez de prendre, y compris les remèdes à base de plantes, les suppléments alimentaires et les médicaments obtenus sans prescription.

Si vous prenez également un traitement de prévention pour la formation de caillots sanguins (anticoagulant ou traitement antiagrégant plaquettaire), le risque de saignement sera plus élevé. Votre médecin vous en informera.

Si vous prenez des corticoïdes, du danazol et/ou de l'azathioprine, qui peuvent être des traitements de votre PTI, ces traitements peuvent être réduits ou arrêtés lorsqu'ils sont administrés avec le romiplostim.

Demandez l'avis de votre médecin avant de conduire un véhicule ou d'utiliser des machines, certains effets indésirables (par exemple crises de vertige) pouvant avoir une influence sur votre capacité à le faire sans risque.

B: Effets secondaires du médicament utilisé dans le programme

Tous les médicaments ont des effets secondaires connus ou imprévisibles. Si les études précédentes ont montré que le romiplostim était généralement bien toléré, il se peut cependant que vous ressentiez tous les/certains/aucun des effets secondaires énumérés ci-dessous. Ces effets secondaires peuvent être légers mais ils peuvent également être sévères ou même être fatals. Il peut également y avoir des effets secondaires encore inconnus lors de l'administration du romiplostim seul ou en association avec d'autres médicaments que vous pourriez prendre.

Pendant toute la durée de ce programme, vous devrez informer votre médecin de toute modification de votre état de santé.

Les effets indésirables rapportés par d'autres personnes ayant participé aux études cliniques et potentiellement causés par le romiplostim, sont :

Effets indésirables très fréquents (pouvant affecter plus de 1 personne sur 10) :

- Maux de tête ;
- Réactions allergiques ;
- Infection des voies respiratoires supérieures.

Effets indésirables fréquents (pouvant affecter jusqu'à 1 sur 10) :

- Troubles de la moelle osseuse dont augmentation des fibres de la moelle osseuse (réticuline) ;
- Troubles du sommeil (insomnie) ;
- Vertiges ;
- Fourmillements ou engourdissements des mains ou des pieds (paresthésies) ;
- Migraine ;
- Rougeur de la peau (flush) ;
- Caillot sanguin dans une artère pulmonaire (embolie pulmonaire) ;
- Nausées ;
- Diarrhées ;
- Douleurs abdominales ;
- Digestion difficile (dyspepsie) ;
- Constipation ;
- Démangeaisons de la peau (prurit) ;
- Saignement sous la peau (ecchymose) ;
- Hématome (contusion) ;
- Éruption cutanée (rash) ;
- Douleur articulaire (arthralgie) ;
- Douleur ou faiblesse musculaire (myalgie) ;
- Douleurs aux mains et aux pieds ;

- Spasmes musculaires ;
- Douleurs du dos ;
- Douleurs osseuses ;
- Fatigue ;
- Réactions au site d'injection ;
- Gonflement dans les mains et dans les pieds (oedème périphérique) ;
- Symptômes de la grippe (syndrome grippal) ;
- Douleurs ;
- Faiblesse (asthénie) ;
- Fièvre (pyrexie) ;
- Frissons ;
- Contusions ;
- Gonflement du visage, des lèvres, de la bouche, de la langue ou de la gorge, pouvant entraîner des difficultés à avaler ou à respirer (angio-œdème) ;
- Gastroentérite ;
- Palpitations.

Effets indésirables fréquents (peuvent affecter jusqu'à 1 personne sur 10 (peuvent être révélés dans les analyses d'urine ou de sang)) :

- Faible taux sanguin de plaquettes (thrombopénie) et faible taux sanguin de plaquettes (thrombopénie) à l'arrêt de romiplostim ;
- Taux de plaquettes anormalement hauts (thrombocytose) ;
- Anémie.

Effets indésirables peu fréquents (peuvent affecter jusqu'à 1 personne sur 100) :

- Insuffisance de la moelle osseuse ; troubles de la moelle osseuse à l'origine de tissu cicatriciel (myélofibrose) ; augmentation de la taille de la rate (splénomégalie) ; saignement du vagin (hémorragie vaginale), saignement du rectum (hémorragie rectale) ; saignement de la bouche (hémorragie buccale) ; saignement au site d'injection (hémorragie au site d'injection) ;
- Crise cardiaque (infarctus du myocarde) ; augmentation de la fréquence cardiaque ;
- Étourdissement ou sensation de tournis (vertige) ;
- Troubles oculaires incluant : saignement dans l'œil (hémorragie conjonctivale) ; difficulté de mise au point ou vision floue (trouble de l'accommodation, œdème papillaire ou trouble de l'œil) ; perte de la vue ; œil qui démange (prurit oculaire) ; augmentation des larmes (augmentation de la sécrétion oculaire) ; ou perturbations visuelles ;
- Troubles du système digestif incluant : vomissements ; mauvaise haleine (odeur de l'haleine) ; difficulté à avaler (dysphagie) ; indigestion ou brûlures d'estomac (trouble du reflux gastro-œsophagien) ; sang dans les selles (hématochésie) ; gêne à l'estomac ; aphte ou cloques dans la bouche (stomatite) ; coloration anormale des dents (dyschromies dentaire) ;
- Perte de poids ; prise de poids ; intolérance à l'alcool ; perte de l'appétit (anorexie ou diminution de l'appétit) ; déshydratation ;
- Sensation de malaise général (malaise) ; douleur dans la poitrine ; irritabilité ; gonflement du visage (œdème du visage) ; sensation de chaleur ; augmentation de la température corporelle ; sensation de nervosité ;
- Grippe ; infection localisée ; inflammation du nez et de la gorge (rhino-pharyngite) ;
- Troubles du nez et de la gorge incluant : toux ; nez qui coule (rhinorrhée) ; gorge sèche ; souffle court ou difficulté à respirer (dyspnée) ; congestion nasale ; respiration douloureuse ;
- Articulations douloureuses et gonflées causées par l'acide urique (produit issu de la digestion) (goutte) ;
- Tension musculaire ; faiblesse musculaire ; douleur de l'épaule ; contractions musculaires ;
- Troubles du système nerveux incluant des contractions musculaires involontaires (clonus) ; altération du goût (dysgueusie) ; diminution du goût (hypogueusie) ; diminution de la sensibilité, particulièrement au niveau de la peau (hyposthésie) ; altération des fonctions nerveuses dans

les bras et les jambes (neuropathie périphérique) ; caillot sanguin dans le sinus transverse (thrombose du sinus transverse) ;

- Dépression ; rêves anormaux ;
- Perte des cheveux (alopécie) ; sensibilité à la lumière (réaction de photosensibilité) ; acné ; réaction allergique de la peau au contact d'un allergène (dermatite de contact) ; apparition sur la peau de rash et de cloques (eczéma) ; peau sèche ; rougeur de la peau (érythème) ; rash desquamant sévère (rash avec exfoliation) ; pousse anormale des cheveux ; épaississement et démangeaison de la peau dus à des grattages répétés (prurigo) ; saignement sous la surface de la peau ou contusion sous la peau (purpura) ; rash cutané irrégulier (rash papulaire) ; rash cutané qui démange (rash prurigineux) ; rash généralisé qui démange (urticaire) ; renflement de la peau (nodule cutané) ; odeur anormale de la peau ;
- Troubles de la circulation incluant caillot sanguin dans la veine hépatique (thrombose de la veine porte) ; thrombose veineuse profonde ; diminution de la pression artérielle (hypotension) ; augmentation de la pression artérielle ; obstruction d'un vaisseau sanguin (embolie périphérique) ; diminution du débit sanguin dans les mains, poignets ou pieds (ischémie périphérique) ; gonflement ou caillot dans une veine, pouvant être extrêmement sensible au toucher (phlébite ou thrombophlébite superficielle) ; caillot sanguin (thrombose) ;
- Trouble rare caractérisé par des épisodes de douleur de type brûlure, associée à une rougeur et une sensation de chaleur au niveau des pieds et des mains (érythromélgie). Si vous présentez l'un de ces effets indésirables, vous pourrez être traité-e au moyen d'un stéroïde (dexaméthasone ou médicament similaire) ou d'un autre médicament ou procédure afin de réduire l'éventuel inconfort. Si nécessaire, vous pourrez également être dirigé-e vers un spécialiste pour traitement ultérieur. Si vous présentez l'un de ces symptômes, vous devez contacter immédiatement votre médecin traitant.

Effets indésirables peu fréquents (peuvent affecter jusqu'à 1 personne sur 100 (pouvant être détectés dans les analyses de sang ou d'urine)) :

- Type rare d'anémie dans lequel les taux de globules rouges, globules blancs et plaquettes sont tous réduits (anémie aplasique) ;
- Augmentation du taux de globules blancs (hyperleucocytose) ;
- Excès de production des plaquettes (thrombocytémie) ; augmentation du taux de plaquettes ; taux anormal des cellules du sang qui préviennent le saignement (taux anormal de plaquettes) ;
- Modification des résultats de certains tests sanguins (augmentation des transaminases, augmentation de la lactate déshydrogénase) ;
- Cancer des globules blancs (myélome multiple) ;
- Protéines dans les urines.

Vous devez faire attention avec ce médicament :

- Si vous arrêtez de prendre le romiplostim, un faible taux sanguin de plaquettes (thrombopénie) peut de nouveau être observé. Si vous arrêtez de prendre le romiplostim, votre taux de plaquettes devra être surveillé et votre médecin discutera avec vous des précautions particulières à adopter.
- Si vous présentez un risque de formation de caillots sanguins ou si la formation des caillots sanguins est fréquente dans votre famille. Le risque de formation de caillots sanguins peut aussi être augmenté si vous :
 - Avez des problèmes au niveau du foie ;
 - Êtes âgé-e (≥ 65 ans) ;
 - Êtes alité-e ;
 - Avez un cancer ;
 - Prenez une pilule contraceptive ou un traitement hormonal de substitution ;
 - Avez récemment eu une chirurgie ou souffert d'une blessure ;
 - Êtes obèse (excès de poids) ;
 - Êtes fumeur-euse.
- Si vous avez un taux élevé de plaquettes, cela peut entraîner une augmentation du risque de formation de caillots sanguins. Votre médecin ajustera votre dose de romiplostim afin de s'assurer que votre taux de plaquettes n'atteint pas un niveau trop élevé.

Modifications de la moelle osseuse (augmentation de la réticuline et risque potentiel de fibrose de la moelle osseuse)

L'utilisation à long terme du romiplostim peut entraîner des modifications de votre moelle osseuse. Ces modifications peuvent être des cellules sanguines anormales ou une diminution de la fabrication des cellules sanguines par votre organisme. La forme modérée de ces modifications de la moelle osseuse est

connue sous le nom « d'augmentation de la réticuline » et a été observée dans les études cliniques menées avec le romiplostim. La possibilité de progression vers une forme plus sévère appelée « fibrose » n'est pas connue. Les signes de modification de la moelle osseuse peuvent être révélés par des anomalies de vos analyses sanguines. Votre médecin décidera si des anomalies d'analyse sanguine nécessitent des examens de la moelle osseuse ou l'arrêt du traitement par romiplostim.

Aggravation des cancers du sang

Votre médecin peut décider de réaliser une biopsie de la moelle osseuse s'il considère nécessaire de s'assurer que vous présentez un PTI et non une autre maladie telle que le Syndrome Myélodysplasique (SMD). Si vous présentez un SMD et recevez du romiplostim, vous pouvez avoir une augmentation des cellules blastiques et le SMD peut s'aggraver en évoluant vers une leucémie myéloïde aiguë, qui est un type de cancer du sang.

Perte de réponse au romiplostim

Si une perte de réponse au traitement ou un échec à maintenir le taux de plaquettes avec le romiplostim est constaté, votre médecin en recherchera les causes, notamment une augmentation de la réticuline dans la moelle osseuse ou le développement d'anticorps neutralisant l'activité du romiplostim.

C: Contraception, grossesse et allaitement

Participante féminine: Les effets du romiplostim sur un enfant à naître ou un nourrisson ne sont pas parfaitement connus. Il n'est pas connu non plus si le romiplostim passe dans le lait maternel. Vous ne pouvez dès lors pas participer à ce programme si vous êtes enceinte, si vous envisagez une grossesse ou si vous allaitez.

Si vous choisissez de participer à ce programme, vous devrez utiliser l'une des méthodes contraceptives autorisées (de manière à éviter une grossesse).

Participant masculin: Les participants masculins ne doivent pas utiliser de méthode contraceptive pendant le traitement par romiplostim. Néanmoins, vous devez informer votre partenaire féminine de votre participation à ce programme.

Notification d'informations nouvelles

Il se peut que pendant le déroulement de ce programme, de nouvelles informations importantes sur le romiplostim deviennent disponibles. Vous serez informé-e de tout élément nouveau susceptible d'affecter votre décision de poursuivre votre participation à ce programme.

Si, à la lumière de la nouvelle information, vous décidez de mettre un terme à votre participation au programme, votre médecin veillera à ce que vous continuiez d'être traité-e de la meilleure façon qui soit disponible.

Bénéfices

Si vous décidez de participer à ce programme, le romiplostim peut s'avérer bénéfique ou non dans le traitement de votre maladie, à savoir le PTI, ou pour soulager vos symptômes. Même si l'effet s'avère bénéfique, un retour ou une aggravation des symptômes, de la maladie ou de votre état est toujours possible.

Traitement alternatif

Vous pouvez choisir de poursuivre votre traitement habituel chez votre médecin. Cela peut comprendre d'autres traitements disponibles en Belgique.

Vous pouvez également décider de :

- Participer à une étude clinique ;
- Ne suivre momentanément aucun traitement.

Discutez avec votre médecin traitant des traitements à votre disposition.

Arrêt du traitement par romiplostim

Votre participation est volontaire. Vous avez le droit d'arrêter de participer au programme pour quelque raison que ce soit, sans devoir vous justifier. Il est aussi possible que ce soit le médecin qui arrête votre participation au programme parce que vous êtes enceinte ou parce qu'il pense que c'est mieux pour votre santé.

Il se peut aussi que le comité d'éthique ou les autorités compétentes nationales ou internationales qui ont initialement approuvé le programme, ou Amgen, arrêtent le programme.

Le programme sera de toute façon arrêté lorsque l'un des événements suivants se produit :

- Nplate® (romiplostim) est disponible dans le commerce pour le traitement des patients adultes atteints de thrombopénie auto-immune (PTI) primaire dans les 12 premiers mois suivant le diagnostic et qui ne répondent pas aux autres traitements (par ex. corticostéroïdes (CS), immunoglobulines (IVIg)) ;
- Jusqu'au 31 décembre 2021 au plus tard.

Nplate® vous sera fourni par le MNP jusqu'à ce que vous ayez atteint le diagnostic de PTI chronique (= 12 mois de PTI). À ce stade, le médecin traitant doit discuter avec vous d'autres options de traitement, en fonction de la numération plaquettaire.

En outre, Amgen se réserve le droit de mettre fin à ce programme au cas où la demande d'intervention dans cette indication serait refusée ou à la lumière de nouvelles données scientifiques.

Traitement après l'arrêt du programme

Dans toutes les situations où la participation au programme est arrêtée, votre médecin évaluera votre état de santé et vous prescrira le meilleur traitement disponible.

Contact

Si vous avez besoin d'informations complémentaires, mais aussi en cas de problème ou d'inquiétude, vous pouvez contacter votre médecin traitant :

Docteur :Téléphone:

Ou un membre de son équipe:..... Téléphone:

En cas d'urgence, vous pouvez contacter.....

Au numéro de téléphone suivant

En dehors des heures de consultation, adressez-vous aux urgences de votre hôpital en leur signalant que vous participez à ce programme. Votre dossier contiendra les informations utiles au médecin de garde concernant le programme.

Si, suite à ce consentement éclairé ou à un quelconque autre moment, vous avez d'autres questions concernant l'utilisation de vos données personnelles, vous pouvez toujours contacter le médecin.

Les Délégués à la Protection des Données d'Amgen et du centre où le programme est mené se tiennent également à votre disposition. Voici leurs coordonnées :

Délégué à la Protection des Données d'Amgen : privacyoffice@amgen.com

Afin de garantir la protection de votre identité vis-à-vis du promoteur du programme, le délégué à la protection des données du centre où le programme est mené agira comme personne de liaison et contactera le délégué à la protection des données du promoteur au cas où il y aurait des questions.

Enfin, vous avez également le droit d'introduire une plainte concernant la manière dont vos données sont traitées auprès de l'autorité belge de surveillance chargée de faire respecter la législation en matière de protection des données :

Autorité de protection des données, APD
Rue de la Presse 35,
1000 Bruxelles
Tél. +32 2 274 48 00
e-mail: contact@apd-gba.be
Site internet: <https://www.autoriteprotectiondonnees.be/>

Titre du programme: Administration du romiplostim (Nplate®) dans le cadre d'un "programme médical d'urgence" chez des patients adultes présentant une thrombopénie auto-immune primaire (ancienne dénomination : purpura thrombopénique idiopathique - PTI) dans les 12 premiers mois suivant le diagnostic et qui est réfractaire aux autres traitements (par ex. corticostéroïdes (CS), immunoglobulines (IVIg)).

II. Consentement éclairé

Participant·e

- ✓ Je déclare que j'ai été informé·e sur la nature du programme, son but, sa durée, les éventuels bénéfices et risques et les attentes de ma part. J'ai pris connaissance du document d'information et des annexes à ce document.
- ✓ J'ai eu suffisamment de temps pour y réfléchir et en parler avec une personne de mon choix comme mon médecin généraliste ou un membre de ma famille.
- ✓ J'ai eu l'occasion de poser toutes les questions qui me sont venues à l'esprit et j'ai obtenu une réponse satisfaisante à mes questions.
- ✓ J'ai compris que ma participation à ce programme est volontaire et que je suis libre de mettre fin à ma participation à ce programme sans que cela ne modifie mes relations avec l'équipe thérapeutique en charge de ma santé.
- ✓ J'ai compris que des données me concernant seront récoltées pendant ma participation à ce programme et que le médecin et le promoteur se portent garants de la confidentialité de ces données.
- ✓ En signant ce document, j'accepte que mes données personnelles soient utilisées conformément à la législation belge et à l'avis 24/2014 du 2 avril 2014 concernant la protection de la vie privée.
- ✓ J'accepte que mon médecin généraliste et d'autres médecins spécialistes en charge de ma santé soient informés de ma participation à ce programme (**biffer cette phrase si vous n'êtes pas d'accord**).
- ✓ J'accepte que les données récoltées pour les objectifs de ce programme puissent être traitées ultérieurement pour autant que ce traitement soit limité au contexte du présent programme pour une meilleure connaissance de la maladie et de son traitement.

Nom et prénom du patient

Date et signature du patient

Représentant·e légal·e (le cas échéant)

Je déclare que j'ai été informé·e sur ma prise de décision de participation à ce programme pour la personne que je représente au mieux de ses intérêts et en tenant compte de sa probable volonté. Mon consentement s'applique à tous les points repris dans le consentement du·de la participant·e.

J'ai également été informé·e que, dès que la situation clinique le permettra, la personne que je représente sera mise au courant de sa participation à un programme et sera libre à ce moment de consentir à poursuivre cette participation ou d'y mettre un terme en signant ou refusant de signer le présent document de consentement.

Nom, prénom et lien de parenté
avec la personne représentée

Date et signature du représentant légal.

Témoin / Interprète (le cas échéant)

J'ai été présent.e durant l'entièreté du processus d'information au.à la participant.e et je confirme que l'information sur les objectifs et procédures du programme a été fournie de manière adéquate, que le.la participant.e (ou son.sa représentant.e légal.e) a apparemment compris le programme et que le consentement à participer au programme a été donné librement.

Nom, prénom et qualification du témoin / interprète

Date et signature du témoin / interprète

Médecin

Je soussigné.e, _____(nom + prénom),

confirme avoir fourni oralement les informations nécessaires sur le programme et avoir fourni un exemplaire du document d'information au.à la participant.e.

Je confirme qu'aucune pression n'a été exercée pour que le.la participant.e accepte de participer au programme et que je suis prêt.e à répondre à toutes les questions supplémentaires, le cas échéant.

Signature du médecin

Date