



[Informations résumées](#)

Informations résumées\_français

Nom du produit	Vamorolone
Substance active	17 $\alpha$ ,21-dihydroxy-16 $\alpha$ -méthylprègna-1,4,9(11)-triène-3,20-dione
Indication et conditions d'utilisation	<p>Traitement des garçons atteints de dystrophie musculaire de Duchenne qui participent à l'essai VBP15-004 de ReveraGen, à la condition qu'ils retirent un bienfait clinique de ce traitement, d'après leur médecin, et qu'ils ne présentent pas d'effets indésirables liés au traitement empêchant l'utilisation sûre du produit chez ces patients.</p> <p>Un contrôle et un suivi médicaux doivent être assurés par le médecin comme il/elle le ferait habituellement pour des patients atteints de DMD traités par des corticostéroïdes conventionnels. Le patient/la famille doit porter une carte indiquant la nécessité d'administrer une « dose de stress » de stéroïdes en cas de maladie grave ou d'intervention chirurgicale.</p> <p>La vamorolone pourra être prescrite à une dose de 2, 4 ou 6 mg/kg/jour, administrée en une prise quotidienne le matin. La vamorolone sera administrée par voie orale à l'aide d'une seringue volumétrique. Après son administration, la seringue sera remplie d'eau et utilisée pour administrer cette eau par voie orale. Le patient devra ensuite boire environ 50 ml d'eau pour garantir que l'intégralité de la dose a été ingérée. La dose quotidienne du médicament à l'étude doit être prise avec un verre de lait entier (environ 8 grammes de matière grasse) ou un autre aliment à teneur similaire en matière grasse, au choix du participant. Il n'y a pas d'autres restrictions en matière de boissons ou d'aliments avant ou après l'administration.</p>

<p>Conditions, délais et autres règles de participation des patients</p>	<p><b>Conditions de participation :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Le parent ou tuteur légal du patient a donné son consentement éclairé écrit, conformément aux règlements applicables en matière de protection des données comme le RGPD.</li> <li>• Le patient a donné son assentiment par écrit, le cas échéant.</li> <li>• Le patient a précédemment participé à l'essai VBP15-004 jusqu'aux évaluations de la semaine 48 incluses.</li> <li>• Le patient et le parent/tuteur ont la volonté et la capacité de se conformer au plan d'administration recommandé de la vamorolone et aux recommandations du médecin traitant en matière de suivi et de surveillance de la qualité des soins.</li> <li>• Le patient n'est pas admissible à l'heure actuelle à un essai clinique portant sur la vamorolone à la recherche de participants ni à tout autre essai clinique recrutant des patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne.</li> <li>• Le patient ne peut pas être traité de façon satisfaisante par les traitements de substitution approuvés et disponibles sur le marché, conformément aux principes directeurs des activités cliniques, pour des raisons de sécurité liées aux corticostéroïdes (par ex. retard de croissance, fragilité osseuse, apparence caractéristique du syndrome de Cushing, changements d'humeur).</li> </ul> <p><b>Conditions excluant la participation :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Le patient présente ou a présenté un effet indésirable grave ou sévère au cours de l'étude VBP15-004 ou de l'accès compassionnel qui, de l'avis du médecin traitant, était probablement ou certainement lié à l'utilisation de vamorolone et qui empêche une utilisation sûre de la vamorolone pour le patient.</li> <li>• Le patient et/ou le parent/tuteur n'a/ont pas la capacité et/ou la volonté de respecter les soins médicaux et le suivi réguliers recommandés par le médecin traitant.</li> </ul> <p>Une demande de traitement sera envoyée au médecin responsable par le médecin traitant au moins 4 semaines avant la visite de la semaine 48 de l'essai VBP15-004, si possible, afin d'éviter d'avoir à réduire progressivement la vamorolone à la fin de l'essai. Le médecin responsable aura 3 semaines pour évaluer la demande. Dès que le médecin responsable aura transmis l'accord au promoteur, la vamorolone pourra dans la plupart des cas être distribuée à la pharmacie du centre dans un délai de 7 jours ouvrables.</p>
<p>Durée du programme</p>	<p>La vamorolone sera distribuée par ReveraGen à chaque patient conformément aux critères établis dans ce programme à partir de l'autorisation/la mise en place du programme d'usage compassionnel en Belgique jusqu'à la commercialisation du produit en Belgique pour traiter la dystrophie musculaire de Duchenne ou jusqu'à ce que, de l'avis clinique du médecin traitant, le traitement n'apporte plus de bienfaits au patient, selon la première éventualité.</p>

Conditions de distribution	<p>Une demande de traitement sera envoyée au médecin responsable par le médecin traitant au moins 4 semaines avant la visite de la semaine 48 de l'essai VBP15-004, si possible, afin d'éviter d'avoir à réduire progressivement la vamorolone à la fin de l'essai. Le médecin responsable aura 3 semaines pour évaluer la demande. Dès que le médecin responsable aura transmis l'accord au promoteur, la vamorolone pourra dans la plupart des cas être distribuée à la pharmacie du centre dans un délai de 7 jours ouvrables.</p> <p>En Belgique, un total de 8 à 10 patients devraient participer à ce programme d'usage compassionnel.</p>
Responsable du programme	<p>Laurie Conklin, MD laurie.conklin@revera.com</p>
Modalités d'élimination	<p>Tout médicament non utilisé doit être renvoyé à ReveraGen ou détruit dans une installation appropriée dès que possible après l'abandon du programme d'usage compassionnel par le patient. Les médicaments distribués pour un patient individuel dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel peuvent uniquement être utilisés pour ce patient spécifique.</p>
Informations relatives à l'enregistrement de suspicions de réactions indésirables graves inattendues	<p>D'après le Rapport actualisé de pharmacovigilance pour les produits en développement n° 5 (date de la version : 3 mars 2020), les éléments suivants ont été reconnus comme étant d'importants risques potentiels :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Enzymes hépatiques élevées</li> <li>• Inhibition de la fonction surrénalienne</li> <li>• Augmentation de l'indice de masse corporelle (IMC)</li> </ul>



[Samengevatte informatie](#)

Samengevatte informatie\_Nederlands

Productnaam	Vamorolone
Werkzaam bestanddeel	17 $\alpha$ ,21-dihydroxy-16 $\alpha$ -methyl-pregna-1,4,9(11)-trien-3,20-dion
Indicaties en gebruiksvoorwaarden	<p>De behandeling van jongens met Duchenne spierdystrofie die de ReveraGen VBP15-004-studie voltooien, op voorwaarde dat ze volgens hun arts klinisch voordeel hebben bij de behandeling en geen bijwerkingen hebben als gevolg van de behandeling, wat een veilig gebruik ervan uitsluit.</p> <p>De arts voert medische testen en controles uit, zoals hij/zij gewoonlijk zou doen voor een patiënt met DMD die wordt behandeld met conventionele corticosteroiden. De patiënt/familie draagt te allen tijde een kaart bij zich waarop wordt vermeld dat een stressdosering steroïden nodig is in geval van een ernstige ziekte of operatie.</p> <p>Vamorolone kan worden voorgeschreven in een dosis van 2, 4, of 6 mg/kg/dag, in een eenmaal daagse dosis 's ochtends. Vamorolone wordt oraal toegediend met een volumetrische pipet. Na de toediening wordt de pipet eenmaal met water gevuld en wordt het water oraal toegediend met de volumetrische pipet. Daarna moet de patiënt ongeveer 50 ml (ongeveer 56,70 g) water drinken om er zeker van te zijn dat de volledige dosis is ingenomen. De dagelijkse dosis studiemedicatie moet worden ingenomen met een glas volle melk (ongeveer 8 gram vet) of met een voedingsmiddel naar keuze van de deelnemer, dat evenveel vet bevat. Er zijn geen andere beperkingen voor voedsel of drank voor of na de toediening.</p>

<p>Voorwaarden, termijnen en nadere regels waaronder patiënten worden toegelaten</p>	<p><b>Voorwaarden voor deelname:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• De ouder of wettelijke voogd van de patiënt heeft schriftelijke geïnformeerde toestemming gegeven onder de toepasselijke bepalingen voor gegevensbescherming, zoals de AVG.</li> <li>• De patiënt heeft schriftelijk ingestemd, wanneer van toepassing.</li> <li>• De patiënt heeft eerder VBP15-004 voltooid tot en met de beoordelingen in week 48.</li> <li>• De patiënt en de ouder/voogd willen en kunnen zich houden aan het aanbevolen toedieningsplan van vamorolone en aan de monitoring en opvolging van de standaardzorg, zoals aanbevolen door de behandelende arts.</li> <li>• De patiënt komt momenteel niet in aanmerking voor een lopende klinische studie met vamorolone en/of een andere klinische studie met patiënten met Duchenne spierdystrofie.</li> <li>• De patiënt kan niet op voldoende wijze worden behandeld met andere goedgekeurde en in de handel verkrijgbare behandelingen, in overeenstemming met klinische richtlijnen, vanwege veiligheidsrisico's in verband met corticosteroiden (bv. groeiachterstand, botfragiliteit, cushinguiserlijk, stemmingswisselingen).</li> </ul> <p><b>Omstandigheden die deelname uitsluiten:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• De patiënt heeft of had een ernstige of zeer ernstige bijwerking in de VBP15-004-studie of tijdens 'Compassionate Use' die, naar de mening van de behandelende arts, waarschijnlijk of zeker verband hield met het gebruik van vamorolone en een veilig gebruik van vamorolone voor de patiënt uitsluit.</li> <li>• De patiënt en/of ouder/voogd kunnen en/of willen zich niet houden aan de reguliere medische zorg en opvolging zoals aanbevolen door hun behandelende arts.</li> </ul> <p>De behandelende arts zal indien mogelijk minstens 4 weken vóór het bezoek van Week 48 van de VBP15-004-studie een behandelingsaanvraag naar de verantwoordelijke arts sturen om de noodzaak tot het afbouwen van vamorolone aan het einde van de studie te vermijden. De verantwoordelijke arts zal de aanvraag binnen de 3 weken beoordelen. Zodra de verantwoordelijke arts de opdrachtgever van de goedkeuring op de hoogte heeft gebracht, kan vamorolone in de meeste gevallen binnen de 7 werkdagen aan de apotheek van het centrum worden geleverd.</p>
<p>Looptijd van het programma</p>	<p>Vamorolone zal door ReveraGen aan elke patiënt individueel volgens de criteria van dit programma worden verstrekt vanaf de toelating/het opstarten van het Compassionate Use-programma in België totdat het product in België in de handel beschikbaar is voor Duchenne spierdystrofie of totdat, naar het klinisch oordeel van de behandelende arts, de patiënt niet langer baat heeft bij de voortzetting van de behandeling, naargelang wat zich het eerst voordoet.</p>

Distributievoorzwaarden	<p>De behandelende arts zal indien mogelijk minstens 4 weken vóór het bezoek van Week 48 van de VBP15-004-studie een behandelingsaanvraag naar de verantwoordelijke arts sturen om de noodzaak tot het afbouwen van vamorolone aan het einde van de studie te vermijden. De verantwoordelijke arts zal de aanvraag binnen de 3 weken beoordelen. Zodra de verantwoordelijke arts de opdrachtgever van de goedkeuring op de hoogte heeft gebracht, kan vamorolone in de meeste gevallen binnen de 7 werkdagen aan de apotheek van het centrum worden geleverd.</p> <p>In België zullen naar verwachting in totaal 8 tot 10 patiënten aan dit Compassionate Use-programma deelnemen.</p>
Verantwoordelijke van het programma	Laurie Conklin, MD laurie.conklin@reveragen.com
Modaliteiten voor de behandeling van niet-gebruikt geneesmiddel	Alle ongebruikte medicatie moet worden teruggegeven aan ReveraGen of in een geschikte faciliteit worden vernietigd zodra de patiënt het Compassionate Use-programma heeft stopgezet. De medicatie die in het kader van een Compassionate Use-programma aan een individuele patiënt werd verstrekt, kan alleen door die specifieke patiënt worden gebruikt.
De informatie voor registratie van vermoedelijke onverwachte ernstige bijwerkingen	<p>Volgens het veiligheidsverslag (Development Safety Update Report) #5 (Versie van 03-Maart-2020) zijn de volgende symptomen erkend als belangrijke potentiële risico's:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• verhoogde leverenzymen</li> <li>• bijniersuppressie</li> <li>• verhoogde body mass index (BMI)</li> </ul>





[Summarized Information](#)

## Summarized Information\_English

Product Name	Vamorolone
Active substance	17 $\alpha$ ,21-dihydroxy-16 $\alpha$ -methyl-pregna-1,4,9(11)-triene-3,20-dione
Indication and conditions of use	The treatment of boys with Duchenne muscular dystrophy who are completing the ReveraGen VBP15-004 trial, under the conditions that they are deriving clinical benefit from the therapy according to their physician and are not experiencing adverse events related to the treatment that precludes safe use in that patient.
Conditions, delays and further rules for participation of patients	<p><b>Conditions for participation:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>•The Patient's parent or legal guardian has provided written informed consent under applicable Data Privacy Regulations such as GDPR.</li> <li>• The Patient has provided written assent, when appropriate.</li> <li>•Patient has previously completed VBP15-004 up to and including the Week 48 assessments.</li> <li>•Patient and parent/guardian are willing and able to comply with recommended vamorolone administration plan, and standard of care follow-up and monitoring as recommended by their Treating Physician.</li> <li>•The patient is not currently eligible for a currently enrolling clinical trial with vamorolone and/or another clinical trial enrolling patients with Duchenne muscular dystrophy.</li> <li>•The patient cannot be satisfactorily treated with the approved and commercially available alternative treatments, in accordance with clinical guidelines, because of safety concerns associated with corticosteroids (e.g. growth stunting, bone fragility, Cushingoid appearance, mood changes).</li> </ul> <p><b>Conditions excluding participation:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>•Patient has or had a serious or severe adverse event in study VBP15-004 or during compassionate use that, in the opinion of the Treating Physician, was probably or definitely related to vamorolone use and precludes safe use of vamorolone for the patient.</li> <li>•Patient and/or parent/guardian are unable and/or unwilling to comply with regular medical care and follow-up as recommended by their Treating Physician.</li> </ul> <p>A treatment request will be sent by the treating physician to the responsible physician at least 4 weeks before the Week 48 visit of the VBP15-004 trial if possible, to avoid the need for tapering vamorolone at the end of the trial. Within 3 weeks, the responsible physician should evaluate the request. Once the responsible physician has notified the responsible person of the approval, in most cases vamorolone may be delivered to Site Pharmacy within 7 working days.</p>
Duration of the program	The program will extend from the authorization/set-up of the Compassionate Use Program in Belgium until the product will be commercially available in Belgium in Duchenne muscular dystrophy.

<p>Conditions of distribution</p>	<p>Vamorolone will be provided by ReveraGen on an individual patient basis following the criteria stated in this program from the authorization/set-up of the Compassionate Use Program in Belgium until the product will be commercially available in Belgium in Duchenne muscular dystrophy or until, in the clinical judgement of the treating physician, the patient is no longer benefiting from continuation of the treatment, whichever is sooner.</p> <p>A treatment request will be sent by the treating physician to the responsible physician at least 4 weeks before the Week 48 visit of the VBP15-004 trial if possible, to avoid the need for tapering vamorolone at the end of the trial. Within 3 weeks, the responsible physician should evaluate the request. Once the responsible physician has notified the responsible person of the approval, in most cases vamorolone may be delivered to Site Pharmacy within 7 working days.</p>
<p>Responsible of the program</p>	<p>Laurie Conklin, MD laurie.conklin@reveragen.com</p>
<p>Modalities for the disposal</p>	<p>Any unused medication needs to be returned to ReveraGen or destroyed in an appropriate facility as soon as possible after the patient's discontinuation from the Compassionate use program. The medication delivered for an individual patient request in the context of a Compassionate use program can only be used for that particular patient.</p>
<p>The information for registration of suspected unexpected serious adverse reactions</p>	<p>From Development Safety Update Report #5 (Version date 03-Mar-2020), the following have been recognized as important potential risks:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Elevated liver enzymes</li> <li>• Adrenal suppression</li> <li>• Body mass index (BMI) increase</li> </ul>

