

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

## Information pour le patient et formulaire de consentement

**Programme Médical d'urgence pour le Jakavi® (ruxolitinib) pour les patients atteints d'une maladie du greffon contre l'hôte aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce**

Promoteur du programme	<b>Novartis Pharma sa</b>
Personne de contact pour information	Nom: ..... Adresse: ..... ..... ..... Tél.: .....

## Information pour le patient et formulaire de consentement

### **Vous êtes invité(e)**

à participer de façon volontaire à un programme médical d'urgence avec le médicament Jakavi® (ruxolitinib) parce que vous êtes un patient atteint d'une maladie du greffon contre l'hôte aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches.

Le Jakavi® (ruxolitinib) est un médicament qui n'a pas été approuvé par l'agence fédérale des médicaments et des produits de santé (afmps) pour le traitement des personnes atteintes de la maladie du greffon contre l'hôte aiguë. Toutefois, le Jakavi® (ruxolitinib) a été approuvé dans de nombreux pays (la Belgique incluse) pour le traitement d'autres pathologies comme la myélofibrose et la polycythemia vera (toutes deux des maladies de la moelle osseuse), et est donc disponible « sur le marché » pour être prescrit aux patients atteints de ces maladies.

Avant de participer, vous devez savoir pourquoi ce programme est exécuté et en quoi il consiste. Veuillez lire attentivement ces informations et en discuter avec d'autres personnes de votre choix, par exemple un ami ou un membre de votre famille. Si vous avez des questions, veuillez les poser à votre médecin ou au personnel soignant.

Ce programme médical d'urgence a été soumis à une Commission d'éthique médicale.

### **Objectif de ce programme**

Ce traitement s'inscrit dans le cadre d'un Programme médical d'urgence (MNP) ayant pour but de mettre Jakavi® (ruxolitinib) à la disposition de patients comme vous.

Ce programme propose gratuitement ce médicament à titre d'usage médical d'urgence.

### **Quelles données sont recueillies avant et pendant votre participation à ce programme?**

Si vous acceptez de participer à ce programme, vous serez invité(e) à signer le formulaire de consentement ci-joint avant de pouvoir commencer le traitement par Jakavi® (ruxolitinib).

Le médecin parcourra vos antécédents médicaux et procèdera à quelques examens afin de vérifier si l'on peut vous administrer Jakavi® (ruxolitinib). Il vous interrogera également sur les médicaments que vous prenez actuellement.

Pendant le traitement, on vous demandera de venir régulièrement à l'hôpital pour des examens de sécurité.

### **Prise du traitement médical d'urgence**

Si vous acceptez de participer à ce programme et que vous êtes éligible, vous recevrez Jakavi® (ruxolitinib).

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

Les instructions générales pour la prise du traitement sont les suivantes:

Jakavi® (ruxolitinib) sera administré par voie orale deux fois par jour. Jakavi® (ruxolitinib) doit être pris à la même heure chaque jour, à environ 12 heures d'intervalle (matin et soir) sans se soucier de la nourriture. Les comprimés doivent être avalés entiers, et pas écrasés ou machés. Votre médecin vous informera sur le dosage que vous devrez prendre.

Il est primordial que vous preniez le traitement en respectant les instructions du médecin. Veuillez informer le personnel traitant de tous les autres médicaments que vous prenez pendant votre participation au programme. Cela englobe les médicaments sur ordonnance, les médicaments en vente libre, les vitamines, les préparations à base de plantes et les médicaments homéopathiques. Il est très important d'informer le personnel traitant si vous arrêtez la prise d'un médicament que vous preniez auparavant. Veuillez également informer le médecin ou le personnel si vous développez tout symptôme inhabituel, à tout moment du traitement.

Vous irez régulièrement voir votre médecin afin qu'il suive votre état de santé. Pendant la durée du traitement, votre médecin peut effectuer des examens supplémentaires selon son jugement pour évaluer votre réponse au traitement.

Si vous éprouvez des effets secondaires graves, vous devez appeler immédiatement votre médecin. Il pourrait vous conseiller d'arrêter l'utilisation de Jakavi® (ruxolitinib) dans le cadre du programme médical d'urgence, ou de réduire la dose. Votre médecin peut également décider que vous devez arrêter complètement le traitement par Jakavi® (ruxolitinib). Il prendra sa décision en se basant sur son expertise clinique, en tenant compte de l'intensité des effets indésirables présentés et/ou des résultats de vos analyses biologiques.

Votre médecin peut consulter le Conseiller/Directeur médical de Novartis à propos des interruptions ou des modifications de traitement.

A la fin du programme, ou si vous quittez le programme, vous devrez restituer tous les médicaments (Jakavi® (ruxolitinib)) au médecin et/ou son personnel.

**Combien de temps ce programme va-t-il durer?**

Vous recevrez le traitement avec le Jakavi® (ruxolitinib) aussi longtemps que vous en bénéficiez. Si vous avez trop d'effets secondaires ou si votre médecin pense que le traitement ne vous aide plus, il peut être arrêté.

Si le Jakavi® (ruxolitinib) est enregistré et remboursé pour les patients adultes avec une maladie du greffon contre l'hôte réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, vous recevrez une prescription pour le traitement commercial dès que disponible.

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

Si vous décidez à un moment donné de quitter le programme médical d'urgence, il convient d'en informer votre médecin ou ses collaborateurs. Ils veilleront à ce que les procédures adéquates soient suivies et à ce qu'une visite finale soit effectuée pour votre sécurité.

Si vous décidez non seulement d'interrompre le traitement mais aussi de ne plus être contacté(e) par le médecin ou ses collaborateurs, vous pouvez retirer votre consentement. Il est important que votre médecin en soit informé. Vous pouvez parler avec lui de votre traitement ultérieur. Si vous choisissez de retirer votre consentement, cela n'aura aucun effet sur vos soins médicaux.

### **Quels sont les risques et désagréments éventuels du Jakavi® (ruxolitinib)?**

Les effets secondaires décrits ci-dessous proviennent d'une évaluation des données actuellement disponibles. Tout ce qui est possible sera fait pour limiter les effets secondaires, mais il n'est pas possible de savoir quels effets secondaires se produiront ainsi que leurs sévérités. Contactez dès que possible votre médecin si vous présentez un de ces effets secondaires pendant la prise du médicament.

#### Effets secondaires de Jakavi® (ruxolitinib)

Les effets secondaires très fréquents de Jakavi® (ruxolitinib) observés chez les patients (touchant plus de 1 patient sur 10) atteints de myélofibrose ou de polycythemia vera comprenaient de faibles taux de globules rouges (anémie), de faibles taux de certains types de globules blancs (neutropénie) ou de faibles taux de plaquettes (thrombocytopenie), des ecchymoses, une infection urinaire, un taux élevé de cholestérol ou la présence de triglycérides (graisse) dans le sang (hypercholestérolémie ou hypertriglycéridémie), des vertiges, des maux de tête, un gain de poids et des résultats anormaux au bilan hépatique. Cela signifie que pendant que vous prenez le médicament, le risque d'infection est plus grand, par exemple risque de pneumonie et de bronchite, et vous pouvez devenir anémique (faible numération de globules rouges) et/ou avoir des problèmes de saignement, fatigue et/ou essoufflement. Dans la majorité des cas, les faibles numérations de cellules sanguines peuvent être inversées en quelques jours en réduisant la dose ou en arrêtant temporairement le Jakavi® (ruxolitinib) ; pendant votre participation à ce programme, vous serez examiné régulièrement afin de déceler ces effets secondaires. Si les numérations des cellules sanguines ne retournent pas rapidement à un niveau normal, Jakavi® (ruxolitinib) pourrait être interrompu pour une durée plus longue en attendant qu'elles redeviennent normales ; ensuite, Jakavi® (ruxolitinib) pourrait être repris à une dose réduite.

Les effets secondaires fréquents chez les patients (touchant plus de 1 patient sur 100 mais moins de 1 sur 10) atteints de myélofibrose ou de polycythemia vera comprennent le zona (herpès zoster), l'excès de gaz dans les intestins (flatulence), des selles peu fréquentes et difficiles à passer (constipation) et une tension artérielle élevée (hypertension) qui pourrait également être la cause d'étourdissements et de maux de tête.

La tuberculose a été signalée peu souvent chez les patients recevant Jakavi® (ruxolitinib) pour le traitement de la myélofibrose (moins d'un patient sur 100). Les symptômes de la tuberculose

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

comprennent une toux chronique avec expectorations teintées de sang, de la fièvre, des sueurs nocturnes ou une perte de poids. Si vous avez ces symptômes, informez-en votre médecin.

Certains risques peuvent être associés à l'arrêt brutal de Jakavi® (ruxolitinib). Les patients atteints de myélofibrose ayant cessé brutalement Jakavi® (ruxolitinib) ont présenté une poussée de leurs symptômes. Les patients atteints de myélofibrose, en particulier ceux atteints d'une maladie en cours, ayant arrêté brutalement de prendre Jakavi® (ruxolitinib) ont signalé des symptômes associés à une inflammation, y compris de l'anxiété, de l'insomnie ou de la fatigue, et une récurrence des signes et symptômes de la myélofibrose. Si vous présentez l'un de ces symptômes, vous devez en avertir votre médecin.

L'effet de Jakavi® (ruxolitinib) sur la réplication virale chez les patients atteints d'un virus chronique de l'hépatite B n'est pas connu. Si vous êtes atteint d'une hépatite virale chronique ou que vous avez été atteints d'une hépatite virale par le passé, vous devez en avertir votre médecin. Vous serez testé afin de savoir si vous êtes atteint d'une infection virale et si c'est le cas, vous ne serez pas traité par le Jakavi® (ruxolitinib).

Une maladie rare appelée leucoencéphalopathie multifocale progressive (LEMP) survient souvent chez les patients ayant subi une allogreffe de cellules souches. La LEMP a été observée chez des participants à une recherche qui ont pris Jakavi® (ruxolitinib). La LEMP est due à une infection virale qui provoque des lésions cérébrales et peut être mortelle. On ne sait pas si elle est due au traitement par Jakavi® (ruxolitinib) puisque la LEMP s'est également manifestée chez des patients atteints de cancers du sang, y compris de myélofibrose, qui n'étaient pas traités par Jakavi® (ruxolitinib).

Des cancers de la peau non mélanomes, y compris des carcinomes basocellulaires, des carcinomes épidermoïdes et un type de cancer de la peau rare et agressif appelé carcinome à cellules de Merkel, ont été signalés chez des patients ayant pris Jakavi® (ruxolitinib). On ne sait pas si cela est dû au traitement par Jakavi® (ruxolitinib) car bon nombre de ces patients avaient reçu un diagnostic de cancer de la peau non mélanome antérieurement ou avait déjà été traités par hydroxyurée, qui est associée à plusieurs types de cancers de la peau. Après une allogreffe de cellules souches, les cancers de la peau non mélanomes surviennent souvent chez environ 1 à 3 patients sur 100 après dans les 2 ans suivant la procédure.

Pendant ce traitement par Jakavi® (ruxolitinib), prévenez immédiatement votre médecin:

- si vous présentez de manière inattendue des ecchymoses et/ou des saignements, une fatigue inhabituelle, un manque de souffle lors d'effort ou au repos, de la pâleur ou des infections fréquentes (symptômes de troubles sanguins)
- si vous présentez des symptômes d'infections ou si vous développez des éruptions cutanées douloureuses avec des cloques (signes d'un zona)

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

- si vous présentez une toux chronique avec expectorations teintées de sang, de la fièvre, des sueurs nocturnes ou une perte de poids. Un suivi sera peut-être nécessaire puisque des cas de tuberculose ont été signalés

- si vous ressentez l'un des symptômes suivants ou si quelqu'un de votre entourage remarque que vous présentez l'un de ces symptômes: confusion ou troubles de la pensée, perte d'équilibre ou problèmes de marche, maladresse, troubles de la parole, diminution de la force ou faiblesse d'un côté du corps, vision floue et / ou perte de vision (signes de LEMP)

- si vous remarquez des changements cutanés ou des lésions. Cela peut nécessiter une observation plus poussée car certains types de cancer de la peau (non mélanome) ont été rapportés

#### Interactions médicamenteuses ou autres

Veillez informer votre médecin de tous les médicaments que vous prenez pendant la durée du programme. Cela comprend tous les médicaments sur ordonnance, les médicaments en vente libre et les vitamines. Cela est extrêmement important étant donné que d'autres médicaments peuvent influencer les quantités de Jakavi® (ruxolitinib) présentes dans votre organisme. De même, Jakavi® (ruxolitinib) peut influencer les quantités d'autres médicaments présentes dans votre organisme. En conséquence, les médicaments peuvent ne pas fonctionner ou cela peut entraîner des effets secondaires. Associer Jakavi® (ruxolitinib) à d'autres médicaments peut entraîner des effets secondaires graves, pouvant mettre la vie en danger. Veuillez demander à votre médecin, une liste des médicaments que vous devrez utiliser avec prudence ou qui sont interdits durant ce programme.

Vous devrez toujours discuter de l'utilisation d'autres médicaments (y compris des médicaments en vente libre, des médicaments vendus sur ordonnance, des drogues illicites, des remèdes à base de plantes ou des compléments alimentaires) avec votre médecin, avant de prendre Jakavi® (ruxolitinib) et pendant votre participation à ce programme.

#### **Qui ne peut pas participer à ce programme?**

Participant féminin : Les femmes qui sont enceintes ou qui allaitent ne peuvent pas participer à ce programme. Vous devez confirmer, au mieux de vos connaissances, que vous n'êtes PAS enceinte actuellement, et que vous ne prévoyez pas de devenir enceinte pendant ce programme. Les risques pour le bébé à naître ou qui est allaité avec Jakavi® (ruxolitinib) sont inconnus.

Si vous choisissez de participer à ce programme, vous devrez utiliser l'une des méthodes contraceptives autorisées (de manière à ce que vous ne deveniez pas enceinte) pendant la durée du traitement et encore 90 jours après la fin du traitement. Votre médecin discutera avec vous des différentes options appropriées.

#### Participant masculin :

Il n'existe aucune preuve de la présence de Jakavi® (ruxolitinib) dans le sperme chez l'homme. Par conséquent, si vous êtes un participant de sexe masculin traité par Jakavi® (ruxolitinib), l'utilisation de préservatifs n'est pas exigée.

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

### **Si vous deviez présenter d'autres problèmes médicaux ...**

Si les examens réalisés avant ou pendant le programme devaient révéler d'autres problèmes médicaux jusqu'alors inconnus, il se pourrait que votre médecin vous exclut du programme. Dans ce cas, il vous cherchera un autre traitement adéquat.

### **Quels sont les avantages possibles de ma participation ?**

Si vous acceptez de participer à ce programme, Jakavi® (ruxolitinib) pourra ou non s'avérer bénéfique pour le traitement de la maladie dont vous êtes atteints ou diminuer vos symptômes.

### **Quels sont les droits des participants à ce programme ?**

Si vous participez à ce programme médical d'urgence, vous devez savoir que :

\* votre participation est **volontaire** et vous devez signer un formulaire de consentement. Même après avoir signé le formulaire de consentement, vous avez le droit de mettre fin à votre participation en avertissant votre médecin. Le retrait de votre consentement n'entraînera aucun désavantage ni perte d'avantage. Votre décision n'aura aucune répercussion sur votre traitement médical futur. Votre décision n'aura pas non plus de répercussion sur vos relations avec votre médecin traitant.

\* le médecin, le Comité d'éthique médicale ou le promoteur du programme, Novartis Pharma Services A.G., peuvent également mettre fin à tout moment à votre **participation au programme**, sans votre accord. Parmi les motifs à la base de cette décision, citons notamment les possibilités suivantes :

- Vous ne respectez pas les instructions liées à la participation à l'étude ;
- La poursuite du programme serait dangereuse pour votre santé ;
- Il a été constaté en cours du programme que vous ne remplissiez pas les conditions d'admission au programme.
- Vous êtes enceinte
- Il n'est pas dans votre intérêt de continuer Jakavi® (ruxolitinib)
- Jakavi® (ruxolitinib) est enregistré et remboursé pour les patients atteints d'une maladie du greffon contre l'hôte réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches.

\* votre **identité** et votre participation à ce programme seront traitées de façon strictement confidentielle. Le médecin codera vos données personnelles pour que votre identité reste toujours secrète. Ces données seront éventuellement transmises à des instances publiques nationales et/ou étrangères de pays membres ou non membres de l'Espace Economique Européen, au Comité d'éthique médicale et à d'autres médecins et/ou organisations qui travaillent en collaboration avec le promoteur. Ces données peuvent éventuellement aussi être transmises à d'autres filiales du promoteur, en Belgique et dans d'autres pays où les normes relatives à la gestion des données personnelles sont au moins du même niveau que la législation belge.

Information pour le patient, MNP Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë, FR, V 0.0, juillet 2018. Page 7 de

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

Vos données liées au programme seront traitées et analysées par voie électronique (c.-à-d. par ordinateur) ou à la main pour déterminer les résultats de ce programme. Ces données seront protégées contre tout usage abusif.

Vous avez le droit de demander au médecin du programme quelles sont les données vous concernant qui sont recueillies dans le cadre de ce programme, et dans quel but. Vous avez aussi le droit de demander au médecin de consulter vos données personnelles et éventuellement d'y apporter les corrections nécessaires. La protection des données personnelles est fixée légalement par la loi et la réglementation en vigueur concernant la protection de la vie privée (Loi du 8 décembre 1992 et ses arrêtés d'exécution) et par la Loi du 22 août 2002 relative aux droits du patient.

Si vous arrêtez prématurément votre participation au programme, votre consentement initial autorisera l'utilisation de vos données relatives à la période durant laquelle vous avez participé au programme.

\* Votre **médecin généraliste** sera informé de votre participation au programme.

Pendant le programme, il se pourrait que votre médecin du programme prenne contact avec votre médecin généraliste pour un échange d'informations vous concernant. Ces contacts sont nécessaires afin d'assurer le meilleur suivi possible de votre état de santé. Si vous le souhaitez, vous pouvez consulter cette correspondance.

**Quels sont les devoirs des participants à ce programme ?**

\* Vous devrez vous rendre **régulièrement** à l'hôpital pour le suivi de votre état de santé. Le médecin vous demandera comment vous vous sentez.

\* Votre médecin vous informera également de certaines **limites** concernant ce que vous pouvez et ce que vous ne pouvez pas faire pendant ce programme (comme décrit ci-dessus : certains médicaments ne peuvent pas être utilisés).

\* Il est très important que vous preniez les **médicaments** comme votre médecin vous le prescrit. Informez le personnel de tous les autres médicaments (sur ordonnance, sans ordonnance, phytothérapies ou vitamines) que vous prenez pendant le programme. C'est extrêmement important. Veuillez signaler à votre médecin du programme tout symptôme inhabituel éventuel.

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

## **Formulaire de consentement**

**Programme Médical d'urgence pour pour le Jakavi® (ruxolitinib) pour les patients atteints d'une maladie du greffon contre l'hôte aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce**

### **Déclaration du patient ou de son représentant légal :**

Je soussigné(e), confirme par la présente avoir été informé(e) sur le programme médical d'urgence et avoir reçu une copie du document « Information du patient et Formulaire de consentement ».

J'ai lu et compris leur contenu et j'ai eu suffisamment de temps pour réfléchir à ma participation et poser d'éventuelles questions.

Mon médecin m'a suffisamment informé(e) sur les conditions et la durée de ce programme, ainsi que sur l'action et les effets indésirables de ce traitement.

- Je sais que ma participation à ce programme est entièrement volontaire et que je peux me retirer de l'étude à tout moment, après en avoir informé mon médecin, sans devoir en subir un quelconque désavantage.
- J'autorise les responsables du promoteur et les autorités compétentes à consulter mon dossier médical. Mes données médicales seront traitées en toute confidentialité. Je connais le but dans lequel ces données sont recueillies, traitées et utilisées dans le cadre de ce programme.
- Je consens à la collecte, au traitement et à l'utilisation de ces données médicales, comme cela est décrit dans le document d'information du patient. Je consens également au transfert et au traitement de ces données dans d'autres pays que la Belgique.
- J'autorise le promoteur du programme à utiliser ces données médicales cryptées à d'autres fins de recherche, à condition que le Comité d'éthique médicale donne à nouveau son approbation.
- Je consens tout à fait volontairement à participer à ce programme et à collaborer à tous les examens demandés. Je suis prêt(e) à fournir des informations relatives à mes antécédents médicaux, à ma consommation de médicaments et à ma participation éventuelle à d'autres études.
- Je consens à ce que mon médecin généraliste/spécialiste et les autres prestataires de soins impliqués dans mon traitement soient informés de ma participation à ce programme.

\_\_\_\_\_  
**Nom et prénom du patient**  
(En majuscules)

\_\_\_\_\_  
Date (jour/mois/année)

\_\_\_\_\_  
Signature

**Parent / Représentant légal**

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes  
suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des  
alternatives disponibles dans le commerce

**Nom et prénom (Parent 1)  
du représentant légal**  
(En majuscules)

Date (jour/mois/année)

Signature

\_\_\_\_\_  
**Nom et prénom (Parent 2)  
du représentant légal**  
(En majuscules)

\_\_\_\_\_  
Date (jour/mois/année)

\_\_\_\_\_  
Signature

Nom de l'enfant (la personne représentée) : \_\_\_\_\_

Lien de parenté avec la personne représentée : \_\_\_\_\_

**Déclaration du médecin :**

Je soussigné(e), confirme par la présente avoir fourni verbalement les informations nécessaires sur ce programme d'usage compassionnel, avoir remis une copie, signée par les différentes parties, du document d'information et du formulaire de consentement, être prêt(e) à répondre, si nécessaire, à toutes les questions supplémentaires et n'avoir exercé aucune pression pour que le patient participe au programme.

\_\_\_\_\_  
**Nom (en majuscules)**

\_\_\_\_\_  
Date (jour/mois/année)

\_\_\_\_\_  
Signature

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

## Information pour le patient et formulaire de consentement réservé aux enfants

**Programme Médical d'urgence pour le Jakavi® (ruxolitinib) pour les patients atteints d'une maladie du greffon contre l'hôte aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce**

Promoteur du programme	<b>Novartis Pharma sa</b>
Personne de contact pour information	Nom: ..... Adresse: ..... ..... ..... Tél.: .....

## **Information pour le patient et formulaire de consentement réservé aux enfants**

Vous êtes ici pour participer de façon volontaire à un programme médical d'urgence avec le médicament Jakavi® (ruxolitinib) dans la maladie du greffon contre l'hôte aiguë. C'est une maladie qui peut survenir après avoir une greffe de sang. Ce programme est d'une entreprise appelée Novartis qui fabrique de nouveaux médicaments et est fait avec le médicament Jakavi® (ruxolitinib). Il est déjà utilisé chez les adultes atteints de la maladie du greffon contre l'hôte.

### **Que va-t-il m'arriver :**

Il te sera demandé de consulter le médecin traitant régulièrement pendant votre participation à ce programme. Les visites auront lieu à l'hôpital ou à la clinique.

Tu prendras le médicament Jakavi® (ruxolitinib) deux fois par jour au cours de ce programme. Ton médecin peut également décider de te donner d'autres médicaments pour ta maladie. Le médecin traitant pourra ajuster la quantité et la fréquence à laquelle tu devras prendre le médicament Jakavi® (ruxolitinib).

Chaque fois que tu verras le médecin de l'étude, il te sera demandé comment tu te sens, si tu as été malade et si tu prends de nouveaux médicaments. Des questions pourront vous être posées, à toi et tes parents/représentants légaux, au sujet de ta santé.

Si tu décides de participer à cette étude, et si tu en as la possibilité, nous aimerions que tu saisisse tes nom et prénom sur ce formulaire, avec les signatures de ton médecin et de tes parents ou de la personne responsable de toi. Ces signatures prouveront que tu as été informé(e) de cette étude et que tu sais que tu peux arrêter d'y participer à tout moment, si tu le souhaites.

### **Le programme m'aidera-t-il ?**

Toutes les personnes participant à ce programme peuvent ne pas aller mieux. Le Jakavi® (ruxolitinib) peut s'avérer utile pour garder ta maladie sous contrôle, mais il se peut également que tu ne tires aucun avantage à participer à ce programme. Nous ne pouvons pas te garantir que ce programme t'aidera.

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

**Que faire si j'ai des questions ?**

Tu peux poser toutes les questions que tu pourrais avoir au sujet de ce programme au médecin traitant ou au personnel.

Toutes les questions sont de bonnes questions. Si tu as une question plus tard, à laquelle tu ne penses pas maintenant, tu peux appeler \_\_\_\_\_ (saisir les nom, prénom et numéro de téléphone du médecin traitant et/ou d'un membre du personnel).

**Mes parents sont-ils au courant de ce programme?**

Nous avons parlé de ce programme avec tes parents/tuteurs et ils nous ont dit que tu avais le droit d'y participer si tu le souhaitais. Tu peux en parler avec eux avant de nous faire part de ta décision de participer ou non à ce programme.

Tes parents/tuteurs reçoivent davantage d'informations au sujet de ce programme. Si tu veux en savoir plus sur le programme, tu peux lire et parler des informations que tes parents/tuteurs ont reçues, ainsi que des documents qu'ils ont signé.

**Suis-je obligé(e) de prendre part à ce programme ?**

Tu n'es pas obligé(e) de prendre part à ce programme. Si tu ne souhaites pas prendre part à ce programme, il te suffit de prévenir ton médecin ou tes parents/tuteurs. Tu as le droit d'accepter maintenant, mais de changer d'avis plus tard.

La décision te revient. Ton médecin continuera de prendre soin de toi, quelle que soit ta décision. Même si tu décides de prendre part à ce programme, le médecin traitant sera en mesure de mettre un terme à ta participation plus tard, si cela est nécessaire.

Programme Médical d'Urgence Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce

**Partie 2 –Page où figure la signature de l'enfant  
(à signer si l'enfant sait lire et écrire)**

**Titre : Programme Médical d'urgence pour le Jakavi® (ruxolitinib) pour les patients atteints d'une maladie du greffon contre l'hôte aiguë réfractaire aux corticostéroïdes suite à une allogreffe de cellules souches, qui ne peuvent pas être adéquatement traités avec des alternatives disponibles dans le commerce** Je reconnais avoir lu ce document / que le contenu de ce document m'a été expliqué. J'ai compris quel est l'objectif de ce programme et ce à quoi je m'expose pendant ce programme. Je reconnais être volontaire pour participer à ce programme, telle qu'elle est décrite dans le présent document.

Âge du/de la patient(e) : ..... ans

\_\_\_\_\_  
**Nom et prénom du patient**  
(En majuscules)

\_\_\_\_\_  
Date (jour/mois/année)

\_\_\_\_\_  
Signature

**Parent / Représentant légal**

\_\_\_\_\_  
**Nom et prénom (Parent 1)  
du représentant légal**  
(En majuscules)

\_\_\_\_\_  
Date (jour/mois/année)

\_\_\_\_\_  
Signature

\_\_\_\_\_  
**Nom et prénom (Parent 2)  
du représentant légal**  
(En majuscules)

\_\_\_\_\_  
Date (jour/mois/année)

\_\_\_\_\_  
Signature

Nom de l'enfant (la personne représentée) : \_\_\_\_\_

Lien de parenté avec la personne représentée : \_\_\_\_\_

**Médecin Investigateur**

\_\_\_\_\_  
**Nom de l'investigateur**  
(En majuscules)

\_\_\_\_\_  
Date (jour/mois/année)

\_\_\_\_\_  
Signature

Information pour le patient - enfant, MNP Jakavi® (ruxolitinib) en GvHD aiguë, FR, V 0.0, juillet 2018.

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroiden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

## Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier

**Medisch Noodprogramma met Jakavi® (ruxolitinib) voor de behandeling van patiënten met corticosteroiden-refractaire acute graft-versus-host-ziekte na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven**

Opdrachtgever van het programma	<b>Novartis Pharma nv</b>
Contactpersoon voor informatie	Naam: ..... Adres: ..... ..... ..... Tel.: .....

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

## **Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier**

### **U wordt uitgenodigd**

om vrijwillig deel te nemen aan een medisch noodprogramma met het geneesmiddel Jakavi® (ruxolitinib) omdat de behandeling met corticosteroïden niet langer de afstotingsverschijnselen na de beenmergtransplantatie onderdrukken.

Jakavi®(ruxolitinib) is een geneesmiddel dat niet werd goedgekeurd door het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) voor de behandeling van mensen met steroïden-refractaire acute graft-versus-host-ziekte. Jakavi®(ruxolitinib) is wel goedgekeurd in veel landen (ook in België) voor de behandeling van andere aandoeningen zoals myelofibrose en polycythemia vera (beiden zijn beenmergaandoeningen), en is daarom “in de handel” verkrijgbaar om voor te schrijven voor patiënten met deze ziekten.

Voor u deelneemt, moet u weten waarom dit programma wordt uitgevoerd en wat het inhoudt. Lees de informatie zorgvuldig door en bespreek ze vrij met wie u ook wilt, bijvoorbeeld een vriend of familielid. Eventuele vragen kunt u stellen aan de behandelende arts of het behandelende personeel.

Dit medisch noodprogramma werd voorgelegd aan een Commissie voor Medische Ethiek.

### **Doel van dit programma**

Het doel van dit programma is om Jakavi®(ruxolitinib) ter beschikking te stellen aan patiënten met uw aandoening. In dit programma wordt deze behandeling kosteloos ter beschikking gesteld als medische nood medicatie.

### **Welke gegevens worden verzameld voor en tijdens uw deelname aan dit programma?**

Indien u akkoord gaat om aan dit programma deel te nemen, dan zal men u vragen om het bijgevoegde toestemmingsformulier te ondertekenen voor u de behandeling met Jakavi®(ruxolitinib) kunt starten.

De arts zal uw medische voorgeschiedenis overlopen en zal enkele onderzoeken uitvoeren om na te gaan of u Jakavi®(ruxolitinib) kunt krijgen. Hij/zij zal ook vragen naar de medicatie die u nu inneemt.

Tijdens de behandeling zal men u vragen om geregeld naar het ziekenhuis te komen voor veiligheidsonderzoeken.

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

## **De inname van de medische nood medicatie**

De algemene richtlijnen voor inname van Jakavi®(ruxolitinib) zijn als volgt:

Uw arts al u vragen om Jakavi®(ruxolitinib) tweemaal per dag via de mond in te nemen. Het is belangrijk dat u de medicatie elke dag op hetzelfde tijdstip inneemt, ongeveer 12 uur na elkaar ('s ochtends en' s avonds), ongeacht het voedsel. Tabletten moeten in hun geheel worden doorgeslikt en mogen niet worden geplet of gekauwd. Uw arts zal u zeggen welke dosis u moet nemen.

Het is zeer belangrijk dat u de medicatie inneemt volgens de aanwijzingen van uw behandelende arts. Laat het behandelende personeel weten welke andere geneesmiddelen u tijdens uw deelname aan dit programma gebruikt. Dit geldt onder meer voor geneesmiddelen op voorschrift, geneesmiddelen zonder voorschrift, natuur- of kruidengeneesmiddelen, alternatieve geneesmiddelen en vitaminen. Breng het behandelende personeel op de hoogte als u ophoudt met het innemen van een geneesmiddel dat u voordien innam. Dit is heel belangrijk. Breng uw behandelende arts of het behandelende personeel op de hoogte als u ongewone klachten hebt.

U gaat op gezette tijden naar uw behandelende arts zodat uw gezondheidstoestand kan worden opgevolgd. Gedurende de gehele behandeling kunnen naar goeddunken van uw behandelende arts tests worden uitgevoerd om vast te stellen of u op de behandeling reageert.

Als u last krijgt van ernstige nevenwerkingen, moet u onmiddellijk contact opnemen met uw behandelende arts. De behandelende arts kan u adviseren om te stoppen met het nemen van de medische noodmedicatie ruxolitinib of om de dosis te verlagen. Het gebruik van Jakavi®(ruxolitinib) kan, naar het oordeel van uw behandelende arts, ook volledig worden stopgezet. Uw behandelende arts zal zijn/haar klinische expertise gebruiken, rekening houdend met de intensiteit van de bijwerking en/of de resultaten van uw laboratoriumonderzoeken, om een beslissing te nemen.

De behandelende arts kan de Medical Advisor/Director van Novartis raadplegen over onderbrekingen of aanpassingen van de dosis.

Indien u dit programma vroeger verlaat, moet u aan de arts alle Jakavi®(ruxolitinib) medicatie die u nog heeft teruggeven.

### **Hoe lang zal dit programma duren?**

U zal de behandeling met Jakavi®(ruxolitinib) krijgen zolang u er baat bij heeft. Wanneer u teveel bijwerkingen zou ondervinden, of wanneer uw arts denkt dat de behandeling niet meer helpt, kan er gestopt worden.

Indien Jakavi®(ruxolitinib) geregistreerd en terugbetaald wordt voor uw aandoening, zult u een

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

voorschrift krijgen en u zult de commerciële medicatie krijgen zodra deze beschikbaar is.

Indien u op een bepaald moment beslist om het medisch noodprogramma te verlaten, dan moet u uw arts of zijn/haar medewerkers op de hoogte brengen. Zij zullen ervoor zorgen dat de gepaste procedures worden gevolgd en dat een eindbezoek plaatsvindt voor uw veiligheid.

Indien u beslist dat u niet alleen de behandeling wilt stoppen maar ook niet meer wilt gecontacteerd worden door de arts of zijn medewerkers, dan kunt u uw toestemming intrekken. Het is belangrijk om uw arts hiervan op de hoogte te brengen. U kunt uw verdere behandeling met hem bespreken. Uw keuze om uw toestemming in te trekken heeft geen gevolgen voor uw medische zorg.

**Wat zijn de mogelijke risico's en ongemakken van Jakavi®(ruxolitinib)?**

De mogelijke bijwerkingen hieronder beschreven komen uit een beoordeling van de huidige beschikbare gegevens. Al het mogelijke zal gedaan worden om bijwerkingen te beperken, maar het is niet mogelijk te weten welke bijwerkingen zullen optreden of hoe ernstig ze zullen zijn. Contacteer zo snel mogelijk uw arts indien u één van deze bijwerkingen vertoont tijdens de inname van de geneesmiddelen.

De vaak voorkomende bijwerkingen van Jakavi®(ruxolitinib) waargenomen bij patiënten (bij meer dan 1 op de 10 patiënten) met myelofibrose of polycythemia vera, omvatten lage rode-bloedcelconcentraties (anemie), lage concentraties van bepaalde soorten witte bloedcellen (neutropenie) of lage concentraties bloedplaatjes (trombocytopenie), kneuzingen, urineweginfectie, hoge concentraties cholesterol of triglyceride (vet) in het bloed (hypercholesterolemie of hypertriglyceridemie), duizeligheid, hoofdpijn, gewichtstoename en abnormale leverfunctietestresultaten. Dit betekent dat u meer kans hebt om een infectie te krijgen zolang u dit geneesmiddel neemt, waaronder longontsteking en bronchitis, en u kan anemisch worden (lage concentratie rode bloedcellen) en/of problemen krijgen met bloedingen, vermoeidheid en/of kortademigheid. In de meeste gevallen kunnen de lage bloedcelconcentraties worden omgekeerd in enkele dagen door de dosis van ruxolitinib te verminderen of tijdelijk te stoppen; u zal regelmatig worden gecontroleerd op deze bijwerking tijdens uw deelname aan dit programma. Indien uw bloedcelconcentraties niet snel herstellen, kan ruxolitinib voor een langere periode worden gestopt totdat deze terug normaal zijn en ruxolitinib kan dan opnieuw worden opgestart aan een lagere dosis.

De vaak voorkomende bijwerkingen bij patiënten (bij meer dan 1 op 100 patiënten maar minder dan 1 op 10 patiënten) met myelofibrose of polycythemia vera zijn gordelroos (herpes zoster), overmatige hoeveelheid gas in de darmen (winderigheid), stoelgang die onregelmatig is of moeilijk doorkomt (harde stoelgang) en hoge bloeddruk (hypertensie) die ook de oorzaak kan zijn van duizeligheid en hoofdpijn.

Er werd niet vaak tuberculose gemeld bij patiënten die Jakavi®(ruxolitinib) kregen om

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

myelofibrose te behandelen (minder dan één op 100 patiënten). De symptomen van tuberculose zijn onder andere chronische hoest met slijm waarin een beetje bloed zit, koorts, nachtelijk zweten en gewichtsverlies. U moet uw arts melden als u een van deze symptomen krijgt.

Er kunnen risico's verbonden zijn aan het snel stopzetten van Jakavi®(ruxolitinib). Patiënten met myelofibrose die ruxolitinib abrupt hebben gestopt, hebben een opflakking van hun symptomen vertoond. Patiënten met myelofibrose, vooral die met een actieve ziekte, die plots geen Jakavi®(ruxolitinib) meer hebben genomen, hebben symptomen gemeld die verband houden met ontsteking, inclusief angst, slapeloosheid of zwakte en het terugkomen van de tekenen en symptomen van myelofibrose. U moet de arts melden als u een van deze symptomen krijgt.

Het effect van Jakavi®(ruxolitinib) op virale replicatie bij patiënten met chronisch hepatitis B-virus is niet gekend. U moet de arts melden als u chronische virale hepatitis heeft of virale hepatitis heeft gehad in het verleden. U zal worden getest om te bepalen of u een actieve virale infectie heeft, en indien dit zo is, zal u niet worden behandeld met Jakavi®(ruxolitinib).

Het is geweten dat een zeldzame ziekte met de naam progressieve multifocale leuko-encefalopathie (PML) voorkomt bij patiënten die een allogene stamceltransplantatie hebben ondergaan. PML werd gemeld bij onderzoeksdeelnemers die Jakavi®(ruxolitinib) hebben genomen. PML ontstaat door een virale infectie die hersenschade veroorzaakt, en kan fataal zijn. Het is niet gekend of dit veroorzaakt werd door de Jakavi®(ruxolitinib) behandeling omdat PML is voorgekomen bij patiënten met bloedkankers, inclusief myelofibrose, die niet werden behandeld met Jakavi®(ruxolitinib).

Tijdens uw behandeling met Jakavi®(ruxolitinib), meld het uw arts onmiddellijk:

- als u onverwachte kneuzingen en/of bloedingen, ongewone vermoeidheid, kortademigheid bij lichaamsbeweging of in rust ervaart, er bleek uitziet of vaak infecties krijgt (tekenen van bloedstoornissen)
- als u infectiesymptomen krijgt of pijnlijke huiduitslag ontwikkelt met blaren (tekenen van gordelroos)
- als u chronische hoest krijgt met slijm waarin een beetje bloed zit, koorts, nachtelijk zweten en gewichtsverlies. Dit kan opvolging vereisen omdat er tuberculose is gemeld.
- als u een van de volgende symptomen krijgt of als iemand uit uw nabije omgeving merkt dat u een van deze symptomen krijgt: verwarring of problemen met nadenken, evenwichtsverlies of problemen met wandelen, onhandigheid, spraakproblemen, afgenomen kracht of zwakte aan één kant van uw lichaam, wazig zicht en/of gezichtsverlies (tekenen van PML)
- als u huidveranderingen of letsels merkt. Dit kan verdere observatie vereisen, omdat er bepaalde soorten huidkanker (niet-melanoom) zijn gemeld.

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

**Wisselwerking met andere geneesmiddelen of andere wisselwerkingen** Vertel uw arts welke andere medicatie u tijdens het programma gebruikt. Hieronder vallen op voorschrift verkrijgbare geneesmiddelen, vrij verkrijgbare geneesmiddelen, en vitaminen. Dit is zeer belangrijk omdat andere geneesmiddelen de hoeveelheid Jakavi®(ruxolitinib) in uw lichaam kunnen veranderen, en Jakavi®(ruxolitinib) kan de hoeveelheid van andere geneesmiddelen in uw lichaam ook veranderen. Hierdoor kunnen deze geneesmiddelen hun werkzaamheid verliezen of bijwerkingen veroorzaken. Het combineren van Jakavi®(ruxolitinib) met andere geneesmiddelen kan ernstige of zelfs levensbedreigende reacties veroorzaken.

Vraag uw arts naar de lijst van geneesmiddelen die met voorzichtigheid moeten worden genomen of die verboden zijn tijdens het programma.

Voordat u Jakavi®(ruxolitinib) gaat innemen en tijdens deelname aan dit programma moet u altijd uw arts raadplegen over het gebruik van geneesmiddelen (met inbegrip van vrij verkrijgbare geneesmiddelen, geneesmiddelen op voorschrift, drugs, kruidenmiddelen en voedingssupplementen).

### **Wie kan niet deelnemen?**

#### **Contraceptie, zwangerschap en borstvoeding.**

Vrouwelijke deelnemers: Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven mogen niet deelnemen aan dit programma. U moet bevestigen dat, voor zover u weet, u momenteel NIET zwanger bent, en dat u niet van plan bent om zwanger te worden tijdens het programma. De risico's voor een ongeboren menselijke foetus of zogende baby van Jakavi®(ruxolitinib) zijn momenteel niet gekend.

Indien u kiest om aan dit programma deel te nemen, moet u gebruik maken van één van de erkende contraceptiemethoden (om te voorkomen dat u zwanger wordt), tijdens de behandeling met Jakavi®(ruxolitinib) en tot 90 dagen na het beëindigen van de Jakavi®(ruxolitinib). Uw arts zal met u de verschillende doeltreffende opties bespreken.

**Mannelijke deelnemers:** Er is geen bewijs dat Jakavi®(ruxolitinib) werd teruggevonden in het zaad van mensen. Daarom zijn condooms niet vereist als u een mannelijke deelnemer bent die wordt behandeld met Jakavi®(ruxolitinib).

#### **Indien andere medische problemen aan het licht zouden komen**

Indien bij de onderzoeken voor of tijdens het programma andere medische problemen aan het licht zouden komen die tot nu toe onbekend waren, dan kan de arts u uit het programma uitsluiten. In dit geval zal hij een andere gepaste behandeling voor u zoeken.

#### **Wat zijn de mogelijke voordelen van mijn deelname?**

Indien u toestemt om aan dit programma deel te nemen kan de behandeling met Jakavi®(ruxolitinib) al dan niet nuttig zijn voor de behandeling van uw ziekte.

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

### **Wat zijn de rechten van de deelnemers aan dit programma?**

Indien u aan dit medisch noodprogramma deelneemt, moet u weten dat:

- \* Uw deelname **vrijwillig** is en dat u een toestemmingsformulier moet ondertekenen. Zelfs na ondertekening van het toestemmingsformulier hebt u het recht om uw deelname te beëindigen mits verwittiging van uw arts. Het intrekken van uw toestemming zal geen nadeel of verlies van voordeel met zich meebrengen. Uw beslissing zal geen weerslag hebben op uw toekomstige medische behandeling. Uw beslissing zal ook geen weerslag hebben op de relaties met uw behandelende arts.
  
- \* De arts, het Ethisch Comité of de promotor van het programma, Novartis Pharma Services A.G., kunnen ook op eender welk moment uw **deelname aan het programma beëindigen**, zonder uw toestemming. Mogelijke redenen voor deze beslissing worden hieronder vermeld:
  - U volgt de instructies voor deelname aan het programma niet
  - Het verderzetten van het programma zou gevaarlijk zijn voor uw gezondheid
  - Men heeft tijdens het programma vastgesteld dat u niet aan de inclusievoorwaarden voldeed
  - U bent zwanger
  - Het is niet in uw voordeel om de behandeling met Jakavi®(ruxolitinib) verder te zetten
  - Jakavi®(ruxolitinib) werd geregistreerd en is terugbetaald voor patiënten met corticosteroïden-refractaire graft-versus-host-ziekte na een allogene stamceltransplantatie. In dit geval zal u een voorschrift krijgen voor commerciële Jakavi®(ruxolitinib).
  
- \* Uw **identiteit** en uw deelname aan dit programma zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. De behandelende arts zal uw persoonsgegevens coderen zodat uw identiteit altijd geheim zal blijven. Deze informatie wordt mogelijk ook overgemaakt aan binnen- en/of buitenlandse overheidsinstanties in zowel landen binnen als buiten de Europese Economische Unie, aan de Commissie voor Medische Ethiek en aan andere artsen en/of organisaties die samenwerken met de opdrachtgever. Deze informatie kan eventueel ook overgemaakt worden aan andere vestigingen van de opdrachtgever in België en in andere landen waar de normen betreffende beheer van persoonlijke gegevens minstens gelijk zijn aan de Belgische wetgeving.

Uw medische gegevens worden elektronisch (d.w.z. in de computer) of handmatig verwerkt. Deze gegevens worden beschermd tegen verkeerd gebruik.

U hebt het recht aan de behandelende arts te vragen welke gegevens er over u worden verzameld in het kader van het programma en wat de bedoeling ervan is. U hebt ook het recht aan de behandelende arts te vragen om u inzage te verlenen in uw persoonlijke informatie en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen. De bescherming van de persoonlijke gegevens is wettelijk bepaald door de geldende wet- en regelgeving

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer (wet van 8 december 1992 en haar uitvoeringsbesluiten) en de wet van 22 augustus 2002 betreffende de rechten van de patiënt.

Indien uw deelname aan het programma voortijdig gestopt wordt, zal uw initiële toestemming het gebruik toelaten van uw programmeergegevens met betrekking tot de periode dat u in het programma ingesloten was.

\* Uw **huisarts** zal op de hoogte gebracht worden van uw deelname aan het programma. Tijdens het programma zou het kunnen gebeuren dat uw behandelende arts contact opneemt met uw huisarts om informatie over u uit te wisselen. Deze contacten zijn noodzakelijk om uw gezondheidstoestand zo goed mogelijk te kunnen opvolgen. Indien u dat wil, mag u de correspondentie inkijken.

**Welke zijn de plichten van de deelnemer aan dit programma?**

\* U zult op **regelmatige tijdstippen** naar het ziekenhuis moeten gaan om uw gezondheidstoestand te laten opvolgen. De arts zal u vragen hoe u zich voelt.

\* Uw arts zal u ook informeren over bepaalde **bependingen** met betrekking tot wat u wel en niet mag doen tijdens dit programma (zoals hierboven beschreven mag bv. bepaalde medicatie niet ingenomen worden).

\* Het is zeer belangrijk dat u de **medicatie** inneemt zoals voorgeschreven door uw arts. Breng het personeel op de hoogte van alle andere medicatie (medicatie op voorschrift, zonder voorschrift, kruidenpreparaten of vitamines) die u tijdens het programma neemt. Dit is zeer belangrijk. Breng uw arts op de hoogte als u een ongewoon symptoom opmerkt.

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroiden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

## Toestemmingsformulier

**Medisch Noodprogramma met Jakavi®(ruxolitinib) voor de behandeling van patiënten met corticosteroiden-refractaire acute graft-versus-host-ziekte na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven**

### **Verklaring van de patiënt of van zijn wettelijke vertegenwoordiger:**

Hierbij bevestig ik, ondergetekende, dat ik over het programma ben ingelicht en een kopie van de "Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier" ontvangen heb.

Ik heb de informatie gelezen en begrepen en heb voldoende tijd gehad om mijn deelname te overwegen en eventuele vragen te stellen.

Mijn arts heeft mij voldoende informatie gegeven met betrekking tot de voorwaarden en de duur van het programma, én het effect en de bijwerkingen van deze behandeling.

- Ik weet dat mijn deelname aan dit programma volledig vrijwillig is, en dat ik mij op elk ogenblik uit het programma kan terugtrekken nadat ik mijn arts hierover heb ingelicht, zonder dat dit mij enig nadeel kan berokkenen.
- Ik geef toestemming aan de verantwoordelijken van de opdrachtgever en aan regulerende overheden om inzage te hebben in mijn patiëntendossier. Mijn medische gegevens zullen strikt vertrouwelijk behandeld worden. Ik ben op de hoogte van het doel waarvoor deze gegevens verzameld, verwerkt en gebruikt worden in het kader van dit programma.
- Ik ga akkoord met de verzameling, de verwerking en het gebruik van deze medische gegevens, zoals beschreven in het informatieblad voor de patiënt. Ik ga eveneens akkoord met de overdracht en de verwerking van deze gegevens in andere landen dan België.
- Ik ga akkoord met het gebruik door de opdrachtgever van deze gecodeerde medische gegevens voor andere onderzoeksdoeleinden op voorwaarde van een nieuwe goedkeuring door de Commissie voor Medische Ethiek.
- Ik stem geheel vrijwillig toe om deel te nemen aan dit programma. Ik ben bereid informatie te verstrekken i.v.m. mijn medische voorgeschiedenis, mijn geneesmiddelengebruik en eventuele deelname aan andere studies.
- Ik ga akkoord dat mijn huisarts en andere gezondheidsmedewerkers die betrokken zijn bij mijn behandeling op de hoogte worden gebracht van mijn deelname aan dit programma.

\_\_\_\_\_  
**Naam van de patiënt**  
*(in hoofdletters)*

\_\_\_\_\_  
**Handtekening**

\_\_\_\_\_  
**Datum**

### **Ouder / Wettelijke vertegenwoordiger (indien van toepassing)**

\_\_\_\_\_  
**Naam en voornaam (ouder 1)**  
**van de wettelijk vertegenwoordiger**

\_\_\_\_\_  
**Handtekening**

\_\_\_\_\_  
**Datum**

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

(in hoofdletters)

\_\_\_\_\_  
**Naam en voornaam (ouder 2)  
van de wettelijk vertegenwoordiger**  
(in hoofdletters)

\_\_\_\_\_  
**Handtekening**

\_\_\_\_\_  
**Datum**

Naam van het kind (persoon die je vertegenwoordigt): \_\_\_\_\_

Relatie met de persoon die je vertegenwoordigt: \_\_\_\_\_

**Verklaring van de arts:**

Ik, ondergetekende, bevestig hierbij dat ik mondeling de nodige informatie heb gegeven over dit programma, dat ik een kopie heb gegeven van het informatie- en toestemmingsformulier dat door de verschillende partijen werd getekend, dat ik bereid ben om zo nodig alle aanvullende vragen te beantwoorden en dat ik geen druk op de patiënt heb uitgeoefend om aan dit programma deel te nemen.

\_\_\_\_\_  
**Naam (in hoofdletters)**

\_\_\_\_\_  
**Handtekening**

\_\_\_\_\_  
**Datum**

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroiden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

## Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier voor kinderen

**Medisch Noodprogramma met Jakavi® (ruxolitinib) voor de  
behandeling van patiënten met corticosteroiden-refractaire acute  
graft-versus-host-ziekte na een allogene  
stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld  
met commercieel beschikbare alternatieven**

Opdrachtgever van het programma	<b>Novartis Pharma nv</b>
Contactpersoon voor informatie	Naam: ..... Adres: ..... ..... ..... Tel.: .....

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

## Patiënteninformatie en Toestemmingsformulier

Je bent hier om om vrijwillig deel te nemen aan een medisch noodprogramma met het geneesmiddel Jakavi® (ruxolitinib) in acute graft-versus-host-ziekte. Dit is een ziekte die kan optreden nadat je een bloedtransplantatie hebt gekregen. Dit programma is van een bedrijf genaamd Novartis dat nieuwe medicijnen maakt en wordt gedaan met de behandelende arts \_\_\_\_\_ (vul de naam van de behandelende arts in). Het wordt al gebruikt bij volwassenen met een graft-versus-hostziekte.

### **Wat gebeurt er met mij:**

Je wordt gevraagd om op regelmatige basis naar de behandelende arts te gaan tijdens jouw deelname aan dit programma. Voor deze bezoeken moet je naar het ziekenhuis of de kliniek komen.

Tijdens jouw deelname aan dit programma neem je Jakavi®(ruxolitinib) twee keer per dag in. Je arts kan besluiten om je ook andere medicijnen te geven voor je ziekte. Je arts kan veranderen hoeveel Jakavi®(ruxolitinib) je moet innemen of hoe vaak je dit moet doen.

Elke keer dat je de behandelende arts bezoekt, zal aan je worden gevraagd hoe je je voelt, of je ziek bent geweest en of je nieuwe medicijnen gebruikt. Aan jou en je ouder(s)/wettige voogd(en) kunnen enkele vragen over je gezondheid worden gesteld.

Als je besluit mee te doen aan dit onderzoek en als je dat kunt, vragen we je je naam op dit formulier te schrijven, samen met de handtekening van je arts en je ouder(s) of degene die voor jou verantwoordelijk is. Met deze handtekening laat je zien dat je informatie over dit onderzoek hebt gekregen en dat je weet dat je er op elk moment mee kunt stoppen als je dat wilt.

### **Zal dit programma me helpen?**

Het kan zijn dat niet iedereen in dit programma beter wordt. Jakavi®(ruxolitinib) kan helpen om je ziekte onder controle te houden of misschien brengt het programma voor jou geen voordelen met zich mee. We kunnen niet beloven dat het programma je zal helpen.

### **Wat als ik vragen heb?**

Je kunt met eventuele vragen die je over dit programma hebt terecht bij de behandelende arts of het personeel. Elke vraag die je hebt is een goede vraag. Als je later nog vragen hebt, kun je bellen met \_\_\_\_\_ (vul de naam en telefoonnummer van de behandelende arts en/of het behandelende personeel in).

### **Weten mijn ouders hiervan?**

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroïden-refractaire acute GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven

We hebben met je ouder(s)/voogd(en) over dit programma gepraat en zij zeiden dat je eraan mee mag doen als je dit wilt. Je kunt dit met hen bespreken voordat je zegt of je er wel of niet aan meedoet. Je ouder(s)/voogd(en) krijgt/krijgen meer informatie over dit programma. Als je meer over het programma wilt weten, kun je de informatie en de papieren die door je ouder(s)/voogd(en) zijn getekend lezen en bespreken.

**Moet ik aan dit medisch noodprogramma meedoen?**

Je hoeft niet aan dit programma mee te doen. Als je niet aan dit programma mee wilt doen, hoef je dit alleen maar tegen je arts en je ouder(s)/voogd(en) te zeggen. Je kunt nu 'Ja' zeggen en later van gedachten veranderen. Je beslist zelf. Je arts zal in elk geval goed voor je zorgen, wat je ook beslist. Ook als je aan dit programma meedoet, kan je behandelende arts je later uit het programma halen als dit nodig is.

**Deel 2 - Pagina met handtekening kind**

**(als het kan lezen en schrijven, dient dit ondertekend te worden)**

**Medisch Noodprogramma met Jakavi® (ruxolitinib) voor de behandeling van patiënten met corticosteroïden-refractaire acute graft-versus-host-ziekte na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met commercieel beschikbare alternatieven**

Ik heb dit document gelezen / de inhoud hiervan is aan mij uitgelegd. Ik begrijp waarom dit programma wordt uitgevoerd en wat er met me zal gebeuren tijdens dit programma. Ik stem vrijwillig in met deelname aan dit programma, zoals omschreven in dit document.

Leeftijd patiënt: ..... jaar

\_\_\_\_\_  
***Naam en voornaam van de patiënt***

*(in hoofdletters)*

\_\_\_\_\_  
Datum (*dag/maand/jaar*)

\_\_\_\_\_  
Handtekening

**Ouder / Wettelijke vertegenwoordiger**

\_\_\_\_\_  
***Naam en voornaam (ouder 1)  
van de wettelijk vertegenwoordiger***

*(in hoofdletters)*

\_\_\_\_\_  
Datum (*dag/maand/jaar*)

\_\_\_\_\_  
Handtekening

\_\_\_\_\_  
***Naam en voornaam (ouder 2)  
van de wettelijk vertegenwoordiger***

\_\_\_\_\_  
Datum (*dag/maand/jaar*)

\_\_\_\_\_  
Handtekening

Medisch Noodprogramma Jakavi®(ruxolitinib) voor patiënten met corticosteroiden-refractaire acute  
GVHD na een allogene stamceltransplantatie, die niet adequaat kunnen worden behandeld met  
commercieel beschikbare alternatieven

*(in hoofdletters)*

Naam van het kind (persoon die je vertegenwoordigt): \_\_\_\_\_

Relatie met de persoon die je vertegenwoordigt: \_\_\_\_\_

**Behandelende Arts**

\_\_\_\_\_  
**Naam en Voornaam  
van de behandelende arts**  
*(in hoofdletters)*

\_\_\_\_\_  
Datum (*dag/maand/jaar*)

\_\_\_\_\_  
Handtekening