

## FORMULAIRE D'INFORMATION AU PATIENT

### Utilisation du Mylotarg® pour le traitement d'une leucémie aiguë myéloïde ou d'une leucémie aiguë promyélocytaire dans un programme d'usage compassionnel chez des enfants

#### **Proposition de participation**

Ton médecin estime que ta leucémie aiguë myéloïde ou promyélocytaire (des cancers des globules blancs) pourrait être traitée avec un médicament appelé Mylotarg®. Le Mylotarg® peut être utilisé pour le traitement de patients dont la maladie a récidivé après différents traitements en qui ne peuvent pas recevoir d'autres types de chimiothérapie intensive. Parce que le Mylotarg® n'est pas vendu en Belgique, il est mis à la disposition de patients comme toi, pour qui il n'y a pas d'autre traitement actuellement disponibles en Belgique sous forme d'un programme d'usage compassionnel.

Avant d'accepter de recevoir ce traitement, il est important de lire et de comprendre les explications suivantes relatives au médicament. Si tu as des questions concernant le médicament, attends d'avoir obtenu une réponse à toutes tes questions avant de décider de participer ou non au programme. Tu peux également parler en discuter avec tes parents avant de prendre une décision.

#### **Traitement avec le médicament**

Tu seras suivi(e) de près pendant toute la durée de ce traitement. Si tu observes des effets secondaires pendant le traitement, il faut en informer immédiatement tes parents et/ou ton médecin. Il/elle prendra une décision quant aux mesures à prendre en cas d'effets secondaires.

#### **Quelles seront les données recueillies avant ou pendant votre participation à ce programme ?**

Si tu acceptes de prendre part à ce programme, on te demandera de signer ce document de consentement avant de commencer le traitement.

Pour déterminer si tu peux être admis(e) dans ce programme, des informations médicales importantes seront transmises à Pfizer, telles que,

- ton nom et ta date de naissance
- tes antécédents médicaux
- ta consommation de médicaments actuelle

Si pendant le programme, tu ressens des effets secondaires, ceux-ci seront rapportés à Pfizer.

#### **Que se passe-t-il si de nouvelles informations sont disponibles ?**

Si de nouvelles informations deviennent disponibles au sujet du médicament avec lequel tu seras traité, ton médecin t'en informera et examinera avec toi si tu souhaites poursuivre le

traitement. Tu seras alors invité(e) à signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement. Si tu décides d'arrêter le traitement, ton médecin continuera à te traiter de la meilleure façon possible.

Il se pourrait que ton médecin décide, sur la base des nouvelles informations, qu'il est dans ton intérêt d'arrêter le traitement. Il/elle t'en expliquera les raisons et veillera également à ce que tu continues d'être traité de la meilleure façon qui soit.

### **Participation volontaire / Droit d'arrêter le traitement**

Ta décision concernant ta participation au programme est entièrement volontaire. Même si tu décides de commencer ce traitement, tu es libre de décider d'arrêter le traitement à n'importe quel moment. Tu en discuteras avec tes parents et ton médecin traitant. Cette décision n'affectera en aucune manière ton traitement médical ultérieur.

De même, ton médecin peut décider d'arrêter le traitement s'il/si elle estime que c'est dans ton intérêt ou si tu ne suis pas les instructions en cours de traitement.

### **Que se passe-t-il au terme du traitement ?**

La durée du traitement dépendra de ta réponse à Mylotarg®. Tu pourras poursuivre le traitement aussi longtemps que ton médecin estime que tu en tires un bénéfice. Le traitement peut être arrêté, même sans ton consentement, si ta maladie s'aggrave, s'il apparaît que tu ne tolères pas le médicament en raison d'effets secondaires graves, si tu ne te conformes pas aux instructions relatives au traitement, si de nouvelles informations indiquent que tu ne tires plus un bénéfice du traitement.

### **Indemnité**

Pfizer met le médicament gratuitement à votre disposition pour la durée du programme d'usage compassionnel.

### **Confidentialité**

Ton identité et ta participation au traitement seront traitées de manière strictement confidentielle c'est-à-dire que ton nom ne sera pas visible sur les documents envoyés à Pfizer. Les documents communiqués à Pfizer dans le cadre de ce traitement comporteront les données suivantes : tes initiales, ta date de naissance, des informations relatives à tes antécédents médicaux et ta consommation actuelle de médicaments. Pfizer maintiendra ces informations dans un registre qui sera conservé pendant au moins 10 ans après la fin du programme.

### **Questions**

Si tu as des questions concernant le traitement ou en cas d'effets secondaires liés au traitement, il faudra contacter ton médecin.

Ne signes pas ce formulaire de consentement avant d'avoir eu l'occasion de poser des questions et d'obtenir une réponse satisfaisante à toutes tes questions.

## FORMULAIRE D'ASSENTIMENT

### Utilisation du Mylotarg<sup>®</sup> pour le traitement d'une leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou d'une leucémie aiguë promyélocytaire (LAP) dans un programme d'usage compassionnel chez des enfants

Mon médecin traitant m'a proposé un traitement avec Mylotarg<sup>®</sup>.

Il/elle a expliqué le traitement de manière détaillée, de même que les effets, effets secondaires et risques potentiels connus ayant trait au médicament que je vais recevoir.

Il/elle m'a clairement informé(e) que je suis libre de refuser le traitement et que je peux arrêter le traitement à tout moment, sans avoir à donner de motif et sans préjudice pour mon traitement médical.

J'ai lu le formulaire d'information au patient et j'en ai compris le contenu. J'ai eu l'occasion de poser toutes les questions qui me paraissaient utiles et j'ai obtenu une réponse satisfaisante à toutes mes questions.

Je vais recevoir un exemplaire du formulaire d'information, ainsi que du présent formulaire de consentement éclairé. Une copie de ce formulaire sera également envoyé à Pfizer qui le conservera pendant au moins 10 ans après la fin du programme.

#### **JE CONSENS DE MON PLEIN GRÉ À PARTICIPER À CE PROGRAMME**

\_\_\_\_\_  
Nom en caractères d'imprimerie du patient

\_\_\_\_\_  
Signature du patient

\_\_\_\_\_  
Date de signature

*Veillez dater votre signature au moment où vous signez.*

**LE MEDECIN TRAITANT RECUEILLANT LE CONSENTEMENT**

<hr/>	
Nom en caractères d'imprimerie du médecin traitant	
<hr/>	<hr/>
Signature du médecin traitant	Date de signature

## FORMULAIRE D'INFORMATION AUX PARENTS DU PATIENT

### Utilisation du Mylotarg<sup>®</sup> pour le traitement d'une leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou d'une leucémie aiguë promyélocytaire (LAP) dans un programme d'usage compassionnel chez des patients de moins de 18 ans

#### **Proposition de participation**

Votre médecin estime que votre enfant pourrait bénéficier d'un traitement avec gemtuzumab ozogamicine (Mylotarg<sup>®</sup>) pour le traitement de l'affection suivante: leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou leucémie aiguë promyélocytaire (LAP)

Avant d'accepter de recevoir ce traitement, il est important de lire et de comprendre les explications suivantes relatives au médicament. Si vous avez des questions concernant le médicament, attendez d'avoir obtenu une réponse à toutes vos questions et aux questions de votre enfant avant de décider de suivre ou non le traitement. Votre médecin traitant vous donnera des explications sur le traitement et répondra à vos questions. Vous pouvez également parler de votre décision avec votre famille et vos amis.

Ce traitement s'inscrit dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel ayant pour but de mettre Mylotarg<sup>®</sup> à la disposition de patients comme votre enfant, pour lesquels il n'existe pas d'autre traitement disponible et qui, selon l'avis et l'évaluation clinique du médecin traitant, pourraient tirer un bénéfice d'un traitement à base de ce médicament.

Mylotarg<sup>®</sup> est un médicament qui a été développé par Pfizer pour des patients atteints de leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou leucémie aiguë promyélocytaire (LAP). Ces deux affections sont des cancers des globules blancs. Le mylotarg peut être utilisé pour traiter les patients dont la maladie a récidivé après différents traitements et qui ne peuvent pas recevoir d'autres types de chimiothérapie intensive. Le Mylotarg<sup>®</sup> peut être utilisé chez les patients 'CD33-positifs', c'est-à-dire dont les globules blancs cancéreux portent à leur surface une protéine appelée CD33.

Des études cliniques sont en cours avec Mylotarg<sup>®</sup>. Une demande d'autorisation de mise sur le marché devrait être introduite auprès de l'agence européenne du médicament en 2016.

#### **Traitement avec le médicament**

Votre enfant sera suivi(e) de près pendant toute la durée de ce traitement. Si vous observez des effets secondaires pendant le traitement, veuillez en aviser immédiatement votre médecin. Il/elle prendra une décision quant au traitement avec ce produit et des mesures à prendre en cas d'effets secondaires.

#### **Quelles seront les données recueillies avant ou pendant votre participation à ce programme ?**

Si vous acceptez que votre enfant prenne part à ce programme, nous vous demanderons de signer ce document de consentement avant de commencer toute activité en rapport avec le programme.

Pour déterminer si votre enfant peut être admis dans ce programme, des informations médicales importantes seront transmises à Pfizer, telles que,

- Le nom de votre enfant
- Sa date de naissance
- Les antécédents médicaux de votre enfant
- La consommation de médicaments actuelle de votre enfant

Si votre enfant ressent un effet secondaire, si il/elle se blesse et/ou si il/elle ressent des symptômes pendant la participation à ce programme, toute information importante sera recueillie et transmise à Pfizer.

### **Qu'attend-on de vous pendant ce programme?**

Si vous observez des effets secondaires pendant le traitement de votre enfant, veuillez en aviser immédiatement votre médecin.

### **Quels sont les effets secondaires possibles du médicament ?**

La liste d'effets indésirables ci-dessous était initialement basée sur les données de 3 études cliniques de phase 2, à bras unique et en ouvert, menées par Pfizer. La liste a ensuite été adaptée sur base des effets secondaires graves identifiés comme étant des effets indésirables potentiels dans les études cliniques menées en dehors de Pfizer et sur base de l'expérience acquise après la commercialisation du produit. Mylotarg était utilisé aussi bien en monothérapie qu'en combinaison avec d'autres chimiothérapies. La fréquence de survenue des tous les effets indésirables est basée sur l'expérience acquise dans les 3 études de phase 2.

Les fréquences des événements sont définies comme suit : très fréquent ( $\geq 1/10$ ), fréquent ( $\geq 1/100$  à  $< 1/10$ ), peu fréquent ( $\geq 1/1\ 000$  à  $< 1/100$ ), rare ( $\geq 1/10\ 000$  à  $< 1/1\ 000$ ), très rare ( $< 1/10\ 000$ ), fréquence indéterminée (ne peut être estimée sur la base des données disponibles).

Le médecin doit être informé immédiatement si le patient ressent des effets indésirables pendant le traitement. Le médecin traitant décidera alors (de la suite) du traitement par Mylotarg et des mesures à prendre.

<b>Système Organe Classe</b>	<b>Fréquence</b>	<b>Effets indésirables</b>
<b>Affections hématologiques et du système lymphatique</b>	Très fréquent	leucopénie <sup>a</sup> , neutropénie <sup>a</sup> , anémie <sup>a</sup> , thrombocytopénie <sup>a</sup> , neutropénie fébrile
	Fréquent	pancytopénie, coagulation intravasculaire disséminée <sup>b</sup>
	Rare	insuffisance médullaire
<b>Affections gastro-intestinales</b>	Très fréquent	vomissements, diarrhée, stomatite, nausée
	Fréquent	ascite, méléna
<b>Troubles généraux et anomalies au site d'administration</b>	Très fréquent	pyrexie, frissons
	Fréquence indéterminée <sup>c</sup>	insuffisance multiorganique <sup>b</sup>
<b>Affections hépatobiliaires</b>	Très fréquent	bilirubinémie augmentée <sup>a</sup> , Aspartate aminotransférase augmentée <sup>a</sup>
	Fréquent	maladie hépatique veno-occlusive <sup>b</sup> , Alanine aminotransférase augmentée <sup>a</sup> , fonction hépatique anormale <sup>a</sup> , jaunisse insuffisance hépatique <sup>b</sup>
	Rare	syndrome de Budd-Chiari, thrombose de la veine hépatique, thrombose de la veine porte
	Fréquence indéterminée <sup>c</sup>	
<b>Infections et infestations</b>	Très fréquent	sepsis <sup>b</sup> (dont sepsis bactérienne, virale, et fongique et sepsis suite à une infection opportuniste), pneumonie <sup>b</sup> , herpes simplex infection
	Fréquent	
	Fréquence indéterminée <sup>c</sup>	choc septique <sup>b</sup>
<b>Lésions, intoxications et complications liées à l'intervention</b>	Très fréquent	Réaction liée à l'injection <sup>a</sup>
<b>Troubles du métabolisme et de la nutrition</b>	Très fréquent	Hyperglycémie
	Fréquent	syndrome de lyse tumorale <sup>b</sup>
<b>Affections du système nerveux</b>	Très fréquent	Céphalée
	Fréquent	AVC hémorragique <sup>b</sup> , hémorragie cérébrale <sup>b</sup> , hémorragie intracranienne <sup>b</sup>
<b>Affections du rein et des voies urinaires</b>	Fréquent	hématurie
<b>Affections respiratoires, thoraciques et médiastinales</b>	Très fréquent	épistaxis, dyspnée <sup>a</sup>
	Fréquent	hypoxie
<b>Affections de la peau et du tissu sous-cutané</b>	Très fréquent	pétéchie, éruption
	Fréquent	prurit
<b>Affections vasculaires</b>	Très fréquent	hémorragie, hypotension, hypertension
	Fréquent	choc <sup>b</sup>

a. Fréquence rapporté pour les effets indésirables de grade 3/4 seulement.

b. Ces effets indésirables peuvent être fatals

c. Fréquence définie sur base de la règle 3/N – pas d'événements rapportés dans les études de phase 2 mais des cas ont été identifiés comme effets indésirables potentiels dans des études cliniques menées ultérieurement et non-sponsorisées Pfizer.

### **Qu'advient-il si de nouvelles informations sont disponibles ?**

Dans certains cas, il arrive que de nouvelles informations deviennent disponibles au sujet du traitement que votre enfant va suivre ou du médicament avec lequel votre enfant sera traité. Le cas échéant, votre médecin vous en informera et examinera avec vous si vous souhaitez poursuivre le traitement. Dans ce cas, vous serez invité(e) à signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement. Si vous décidez de mettre un terme au traitement, votre médecin veillera à ce que votre enfant continue d'être traité de la meilleure façon qui soit.

Par ailleurs, il est possible que votre médecin décide, sur la base des nouvelles informations, qu'il est dans l'intérêt de votre enfant d'arrêter le traitement. Il/elle en expliquera les raisons et veillera également à ce que votre enfant continue d'être traité de la meilleure façon qui soit.

### **Participation volontaire / Droit d'arrêter le traitement**

Votre décision concernant la participation de votre enfant au programme est entièrement volontaire. Même si vous décidez d'entamer ce traitement, vous êtes libre de décider d'arrêter le traitement à n'importe quel moment. Vous aborderez cette décision avec votre médecin traitant. Cette décision n'affectera en aucune manière le traitement médical ultérieur de votre enfant.

De même, votre médecin peut mettre un terme au traitement s'il/si elle estime que c'est dans l'intérêt de votre enfant ou si vous et/ou votre enfant ne vous conformez pas aux instructions en cours de traitement.

Si de nouvelles informations apparaissent, Pfizer ou les autorités réglementaires ou encore le comité d'éthique peut décider de mettre fin à ce programme médical d'urgence.

### **Que se passe-t-il au terme du traitement ?**

La durée du traitement dépendra de la réponse de votre enfant à Mylotarg®. Il/elle pourra poursuivre le traitement aussi longtemps que votre médecin estime qu'il/elle en tire un bénéfice. Le traitement peut être arrêté, même sans votre consentement, si la maladie de votre enfant s'aggrave, s'il apparaît que votre enfant ne tolère pas le médicament en raison d'effets secondaires graves, si vous et/ou votre enfant ne vous conformez pas aux instructions relatives au traitement, si de nouvelles informations indiquent que votre enfant ne tire plus un bénéfice du traitement ou si, du fait de certaines circonstances, vous ne pouvez donner votre consentement de manière libre et éclairée.

### **Indemnité**

Pfizer met le médicament gratuitement à la disposition de votre enfant pour la durée du programme d'usage compassionnel.

Toutes les autres interventions et tous les autres examens et médicaments nécessaires relèvent des critères de remboursement habituels.

## **Evaluation d'éthique médicale**

Le comité d'éthique indépendant de l'hôpital St-Jan Brugge-Oostende a examiné le présent document, les objectifs et la proposition de déroulement du traitement et a émis un avis favorable.

## **Confidentialité**

L'identité de votre enfant et sa participation au traitement seront traitées de manière strictement confidentielle. Néanmoins, les documents communiqués à Pfizer dans le cadre de ce traitement comporteront les données suivantes : la date de naissance de votre enfant, sa date de naissance, des informations relatives à ses antécédents médicaux et sa consommation actuelle de médicaments. Conformément à la loi en vigueur, Pfizer maintiendra ces informations dans un registre qui sera conservé pendant au moins 10 ans après la fin du programme. Ce registre permettra aux autorités réglementaires de vérifier que le programme se déroule correctement et assurera la traçabilité des médicaments distribués dans le cadre du programme.

Un médecin responsable sera désigné chez Pfizer. Il vérifiera que les patients qui participent au programme répondent bien à tous les critères d'inclusion. Ce médecin sera également responsable pour le maintien du registre cité plus haut.

## **Divulgence et utilisation de vos informations**

Vous acceptez que les entités et agences citées ci-dessous aient accès à vos informations et les examinent afin que cette société puisse s'assurer que ce traitement gratuit et exceptionnel soit administré conformément aux dispositions légales applicables : (i) les représentants de Pfizer, ses filiales et ses fournisseurs de services/représentants agréés, (ii) le comité d'éthique qui a approuvé ce programme (iii) et les agences de réglementation nationales et étrangères. L'examen du dossier médical par ces personnes, comme décrit ci-dessus, se fera exclusivement sous le contrôle du médecin traitant ou d'un membre de son équipe médicale. Les personnes qui ont accès au dossier médical de votre enfant sont soumises à l'obligation stricte de secret.

Certaines des entités susmentionnées peuvent être basées dans d'autres pays que le pays où vous résidez, y compris les États-Unis et des pays situés dans d'autres parties du monde, où la protection des données et les lois de respect de la vie privée pourraient être moins strictes que dans votre pays, mais Pfizer prendra les mesures qui s'imposent pour garantir le même niveau de protection. Le promoteur a adhéré aux principes de la sphère de sécurité (Safe Harbor Program) de l'Union européenne/des États-Unis et se conforme aux exigences de ce programme lors du traitement de vos informations. Vous trouverez davantage d'informations à ce sujet sur le site internet du Département du Commerce américain : <http://www.export.gov/safeharbor>.

Conformément à la loi du 8 décembre 1992 relative à la protection de la vie privée, vous avez le droit d'accéder à votre dossier personnel par simple demande à votre médecin et d'éventuellement y apporter les corrections nécessaires.

En signant le formulaire de consentement, vous nous autorisez à recueillir, utiliser et divulguer vos informations, comme décrit ci-dessus.

## **Questions**

Si vous, votre enfant ou vos proches avez des questions concernant le traitement ou en cas de lésion liée au traitement, vous devez prendre contact avec votre médecin. Si vous faites appel à un service d'aide médicale urgente ou si votre enfant doit être hospitalisé(e), signalez au médecin traitant qu'il est traité avec Mylotarg®.

Ne signez pas ce formulaire de consentement avant d'avoir eu l'occasion de poser des questions et d'obtenir une réponse satisfaisante à toutes vos questions et celles de votre enfant.

## FORMULAIRE DE CONSENTEMENT

### Utilisation du Mylotarg<sup>®</sup> pour le traitement d'une leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou d'une leucémie aiguë promyélocytaire (LAP) dans un programme d'usage compassionnel chez des patients de moins de 18 ans

Le médecin traitant de mon enfant m'a proposé un traitement avec Mylotarg<sup>®</sup>.

Il/elle a expliqué le traitement de manière détaillée, de même que les effets, effets secondaires et risques potentiels connus ayant trait au médicament que mon enfant va recevoir.

Il/elle m'a clairement informé(e) que je suis libre de refuser le traitement et que je peux arrêter le traitement à tout moment, sans avoir à donner de motif et sans préjudice pour le traitement médical de mon enfant.

J'ai lu le formulaire d'information aux parents du patient et j'en ai compris le contenu. J'ai eu l'occasion de poser toutes les questions qui me paraissaient utiles et j'ai obtenu une réponse satisfaisante à toutes mes questions.

Je vais recevoir un exemplaire du formulaire d'information aux parents du patient, ainsi que du présent formulaire de consentement éclairé. Une copie de ce formulaire sera également envoyé à Pfizer qui le conservera pendant au moins 10 ans après la fin du programme.

#### **JE CONSENS DE MON PLEIN GRÉ À FAIRE PARTICIPER MON ENFANT À CE PROGRAMME**

\_\_\_\_\_  
Nom en caractères d'imprimerie du patient

\_\_\_\_\_  
Nom en caractères d'imprimerie du parent

\_\_\_\_\_  
Signature du parent

\_\_\_\_\_  
Date de signature

*Veillez dater votre signature au moment où vous signez.*

## LE MEDECIN TRAITANT RECUEILLANT LE CONSENTEMENT

<hr/>	
Nom en caractères d'imprimerie du médecin traitant	
<hr/>	
Signature du médecin traitant	<hr/> Date de signature

## CONSENTEMENT DESTINÉ AUX PARENTS QUI NE SAVENT PAS LIRE OU ÉCRIRE

Le parent du patient a signalé qu'il/elle est incapable de lire. Le médecin traitant a lu le formulaire de d'information aux parents du patient et le formulaire de consentement au parent, en a discuté avec lui/elle et lui a donné l'occasion de poser des questions.

La signature d'un témoin impartial est requise si le patient ou le représentant légal du patient ne sait pas lire (conformément à la CIH – Conférence Internationale d'Harmonisation) ou ne sait pas écrire (comme stipulé dans la loi Belge relative aux expérimentations sur la personne humaine du 7 mai 2004)

---

Nom en caractères d'imprimerie du témoin impartial

---

Signature du témoin impartial

---

Date de signature

*Témoin impartial : Une personne qui est indépendante du programme, qui ne peut être arbitrairement influencée par le médecin traitant, qui assiste à la procédure de consentement éclairé si le patient ou le représentant légal du patient ne sait pas lire et qui lit au patient le consentement éclairé et toute autre information écrite fournie. Directives à l'intention de l'industrie E6 Bonnes pratiques cliniques: Directives consolidées*

## FORMULAIRE D'INFORMATION AU PATIENT

### Utilisation du Mylotarg<sup>®</sup> pour le traitement d'une leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou d'une leucémie aiguë promyélocytaire (LAP) dans un programme d'usage compassionnel

#### **Proposition de participation**

Votre médecin estime que vous pourriez bénéficier d'un traitement avec gemtuzumab ozogamicine (Mylotarg<sup>®</sup>) pour le traitement de l'affection suivante: leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou leucémie aiguë promyélocytaire (LAP)

Avant d'accepter de recevoir ce traitement, il est important de lire et de comprendre les explications suivantes relatives au médicament. Si vous avez des questions concernant le médicament, attendez d'avoir obtenu une réponse à toutes vos questions avant de décider de suivre ou non le traitement. Votre médecin traitant vous donnera des explications sur le traitement et répondra à vos questions. Vous pouvez également parler de votre décision avec votre famille et vos amis.

Ce traitement s'inscrit dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel ayant pour but de mettre Mylotarg<sup>®</sup> à la disposition de patients comme vous, pour lesquels il n'existe pas d'autre traitement disponible et qui, selon l'avis et l'évaluation clinique du médecin traitant, pourraient tirer un bénéfice d'un traitement à base de ce médicament.

Mylotarg<sup>®</sup> est un médicament qui a été développé par Pfizer pour des patients atteints de leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou leucémie aiguë promyélocytaire (LAP). Ces deux affections sont des cancers des globules blancs. Le mylotarg peut être utilisé pour traiter les patients dont la maladie a récidivé après différents traitements en qui ne peuvent pas recevoir d'autres types de chimiothérapie intensive. Le Mylotarg<sup>®</sup> peut être utilisé chez les patients 'CD33-positifs', c'est-à-dire dont les globules blancs cancéreux portent à leur surface une protéine appelée CD33.

Des études cliniques sont en cours avec Mylotarg<sup>®</sup>. Une demande d'autorisation de mise sur le marché devrait être introduite auprès de l'agence européenne du médicament en 2016.

#### **Traitement avec le médicament**

Vous serez suivi(e) de près pendant toute la durée de ce traitement. Si vous observez des effets secondaires pendant le traitement, veuillez en aviser immédiatement votre médecin. Il/elle prendra une décision quant au traitement avec ce produit et des mesures à prendre en cas d'effets secondaires.

#### **Quelles seront les données recueillies avant ou pendant votre participation à ce programme ?**

Si vous acceptez de prendre part à ce programme, nous vous demanderons de signer ce document de consentement avant de commencer toute activité en rapport avec le programme.

Pour déterminer si vous pouvez être admis dans ce programme, des informations médicales importantes seront transmises à Pfizer, telles que,

- Votre nom et votre date de naissance
- Vos antécédents médicaux
- Votre consommation de médicaments actuelle

Si vous ressentez un effet secondaire, si vous vous blessez et/ou si vous ressentez des symptômes pendant la participation à ce programme, toute information importante sera recueillie et transmise à Pfizer.

### **Qu'attend-on de vous pendant ce programme?**

Si vous observez des effets secondaires pendant votre traitement, veuillez en aviser immédiatement votre médecin.

### **Quels sont les effets secondaires possibles du médicament ?**

La liste d'effets indésirables ci-dessous était initialement basée sur les données de 3 études cliniques de phase 2, à bras unique et en ouvert, menées par Pfizer. La liste a ensuite été adaptée sur base des effets secondaires graves identifiés comme étant des effets indésirables potentiels dans les études cliniques menées en dehors de Pfizer et sur base de l'expérience acquise après la commercialisation du produit. Mylotarg était utilisé aussi bien en monothérapie qu'en combinaison avec d'autres chimiothérapies. La fréquence de survenue des tous les effets indésirables est basée sur l'expérience acquise dans les 3 études de phase 2.

Les fréquences des événements sont définies comme suit : très fréquent ( $\geq 1/10$ ), fréquent ( $\geq 1/100$  à  $< 1/10$ ), peu fréquent ( $\geq 1/1\ 000$  à  $< 1/100$ ), rare ( $\geq 1/10\ 000$  à  $< 1/1\ 000$ ), très rare ( $< 1/10\ 000$ ), fréquence indéterminée (ne peut être estimée sur la base des données disponibles).

Le médecin doit être informé immédiatement si le patient ressent des effets indésirables pendant le traitement. Le médecin traitant décidera alors (de la suite) du traitement par Mylotarg et des mesures à prendre.

<b>Système Organe Classe</b>	<b>Fréquence</b>	<b>Effets indésirables</b>
<b>Affections hématologiques et du système lymphatique</b>	Très fréquent	leucopénie <sup>a</sup> , neutropénie <sup>a</sup> , anémie <sup>a</sup> , thrombocytopénie <sup>a</sup> , neutropénie fébrile
	Fréquent	pancytopénie, coagulation intravasculaire disséminée <sup>b</sup>
	Rare	insuffisance médullaire
<b>Affections gastro-intestinales</b>	Très fréquent	vomissements, diarrhée, stomatite, nausée
	Fréquent	ascite, méléna
<b>Troubles généraux et anomalies au site d'administration</b>	Très fréquent	pyrexie, frissons
	Fréquence indéterminée <sup>c</sup>	insuffisance multiorganique <sup>b</sup>
<b>Affections hépatobiliaires</b>	Très fréquent	bilirubinémie augmentée <sup>a</sup> , Aspartate aminotransférase augmentée <sup>a</sup>
	Fréquent	maladie hépatique veno-occlusive <sup>b</sup> , Alanine aminotransférase augmentée <sup>a</sup> , fonction hépatique anormale <sup>a</sup> , jaunisse insuffisance hépatique <sup>b</sup>
	Rare	syndrome de Budd-Chiari, thrombose de la veine hépatique, thrombose de la veine porte
	Fréquence indéterminée <sup>c</sup>	
<b>Infections et infestations</b>	Très fréquent	sepsis <sup>b</sup> (dont sepsis bactérienne, virale, et fongique et sepsis suite à une infection opportuniste), pneumonie <sup>b</sup> , herpes simplex infection
	Fréquent	
	Fréquence indéterminée <sup>c</sup>	choc septique <sup>b</sup>
<b>Lésions, intoxications et complications liées à l'intervention</b>	Très fréquent	Réaction liée à l'injection <sup>a</sup>
<b>Troubles du métabolisme et de la nutrition</b>	Très fréquent	Hyperglycémie
	Fréquent	syndrome de lyse tumorale <sup>b</sup>
<b>Affections du système nerveux</b>	Très fréquent	Céphalée
	Fréquent	AVC hémorragique <sup>b</sup> , hémorragie cérébrale <sup>b</sup> , hémorragie intracrânienne <sup>b</sup>
<b>Affections du rein et des voies urinaires</b>	Fréquent	hématurie
<b>Affections respiratoires, thoraciques et médiastinales</b>	Très fréquent	épistaxis, dyspnée <sup>a</sup>
	Fréquent	hypoxie
<b>Affections de la peau et du tissu sous-cutané</b>	Très fréquent	pétéchie, éruption
	Fréquent	prurit
<b>Affections vasculaires</b>	Très fréquent	hémorragie, hypotension, hypertension
	Fréquent	choc <sup>b</sup>

a. Fréquence rapporté pour les effets indésirables de grade 3/4 seulement.

b. Ces effets indésirables peuvent être fatals

c. Fréquence définie sur base de la règle 3/N – pas d'événements rapportés dans les études de phase 2 mais des cas ont été identifiés comme effets indésirables potentiels dans des études cliniques menées ultérieurement et non-sponsorisées Pfizer.

### **Qu'advient-il si de nouvelles informations sont disponibles ?**

Dans certains cas, il arrive que de nouvelles informations deviennent disponibles au sujet du traitement que vous allez suivre ou du médicament avec lequel vous serez traité. Le cas échéant, votre médecin vous en informera et examinera avec vous si vous souhaitez poursuivre le traitement. Dans ce cas, vous serez invité(e) à signer une nouvelle version adaptée du formulaire de consentement. Si vous décidez de mettre un terme au traitement, votre médecin veillera à ce que vous continuez d'être traité de la meilleure façon qui soit.

Par ailleurs, il est possible que votre médecin décide, sur la base des nouvelles informations, qu'il est dans votre intérêt d'arrêter le traitement. Il/elle en expliquera les raisons et veillera également à ce que vous continuez d'être traité de la meilleure façon qui soit.

### **Participation volontaire / Droit d'arrêter le traitement**

Votre décision concernant votre participation au programme est entièrement volontaire. Même si vous décidez d'entamer ce traitement, vous êtes libre de décider d'arrêter le traitement à n'importe quel moment. Vous aborderez cette décision avec votre médecin traitant. Cette décision n'affectera en aucune manière votre traitement médical ultérieur.

De même, votre médecin peut mettre un terme au traitement s'il/si elle estime que c'est dans votre intérêt ou si vous ne vous conformez pas aux instructions en cours de traitement.

Si de nouvelles informations apparaissent, Pfizer ou les autorités réglementaires ou encore le comité d'éthique peut décider de mettre fin à ce programme médical d'urgence.

### **Que se passe-t-il au terme du traitement ?**

La durée du traitement dépendra de votre réponse à Mylotarg®. Vous pourrez poursuivre le traitement aussi longtemps que votre médecin estime que vous en tirez un bénéfice. Le traitement peut être arrêté, même sans votre consentement, si votre maladie s'aggrave, s'il apparaît que vous ne tolérez pas le médicament en raison d'effets secondaires graves, si vous ne vous conformez pas aux instructions relatives au traitement, si de nouvelles informations indiquent que vous ne tirez plus un bénéfice du traitement ou si, du fait de certaines circonstances, vous ne pouvez donner votre consentement de manière libre et éclairée.

### **Indemnité**

Pfizer met le médicament gratuitement à votre disposition pour la durée du programme d'usage compassionnel.

Toutes les autres interventions et tous les autres examens et médicaments nécessaires relèvent des critères de remboursement habituels.

## **Evaluation d'éthique médicale**

Le comité d'éthique indépendant de l'hôpital St-Jan Brugge-Oostende a examiné le présent document, les objectifs et la proposition de déroulement du traitement et a émis un avis favorable.

## **Confidentialité**

Votre identité et votre participation au traitement seront traitées de manière strictement confidentielle. Néanmoins, les documents communiqués à Pfizer dans le cadre de ce traitement comporteront les données suivantes : votre date de naissance, des informations relatives à vos antécédents médicaux et votre consommation actuelle de médicaments. Conformément à la loi en vigueur, Pfizer maintiendra ces informations dans un registre qui sera conservé pendant au moins 10 ans après la fin du programme. Ce registre permettra aux autorités réglementaires de vérifier que le programme se déroule correctement et assurera la traçabilité des médicaments distribués dans le cadre du programme.

Un médecin responsable sera désigné chez Pfizer. Il vérifiera que les patients qui participent au programme répondent bien à tous les critères d'inclusion. Ce médecin sera également responsable pour le maintien du registre cité plus haut.

## **Divulgence et utilisation de vos informations**

Vous acceptez que les entités et agences citées ci-dessous aient accès à vos informations et les examinent afin que cette société puisse s'assurer que ce traitement gratuit et exceptionnel soit administré conformément aux dispositions légales applicables : (i) les représentants de Pfizer, ses filiales et ses fournisseurs de services/représentants agréés, (ii) le comité d'éthique qui a approuvé ce programme (iii) et les agences de réglementation nationales et étrangères. L'examen du dossier médical par ces personnes, comme décrit ci-dessus, se fera exclusivement sous le contrôle du médecin traitant ou d'un membre de son équipe médicale. Les personnes qui ont accès à votre dossier médical sont soumises à l'obligation stricte de secret.

Certaines des entités susmentionnées peuvent être basées dans d'autres pays que le pays où vous résidez, y compris les États-Unis et des pays situés dans d'autres parties du monde, où la protection des données et les lois de respect de la vie privée pourraient être moins strictes que dans votre pays, mais Pfizer prendra les mesures qui s'imposent pour garantir le même niveau de protection. Le promoteur a adhéré aux principes de la sphère de sécurité (Safe Harbor Program) de l'Union européenne/des États-Unis et se conforme aux exigences de ce programme lors du traitement de vos informations. Vous trouverez davantage d'informations à ce sujet sur le site internet du Département du Commerce américain : <http://www.export.gov/safeharbor>.

Conformément à la loi du 8 décembre 1992 relative à la protection de la vie privée, vous avez le droit d'accéder à votre dossier personnel par simple demande à votre médecin et d'éventuellement y apporter les corrections nécessaires.

En signant le formulaire de consentement, vous nous autorisez à recueillir, utiliser et divulguer vos informations, comme décrit ci-dessus.

## **Questions**

Si vous ou vos proches avez des questions concernant le traitement ou en cas de lésion liée au traitement, vous devez prendre contact avec votre médecin. Si vous faites appel à un service d'aide médicale urgente ou si vous devez être hospitalisé(e), signalez au médecin traitant que vous êtes traité avec Mylotarg®.

Ne signez pas ce formulaire de consentement avant d'avoir eu l'occasion de poser des questions et d'obtenir une réponse satisfaisante à toutes vos questions.

## FORMULAIRE DE CONSENTEMENT

### Utilisation du Mylotarg<sup>®</sup> pour le traitement d'une leucémie aiguë myéloïde (LAM) ou d'une leucémie aiguë promyélocytaire (LAP) dans un programme d'usage compationnel

Mon médecin traitant m'a proposé un traitement avec Mylotarg<sup>®</sup>.

Il/elle a expliqué le traitement de manière détaillée, de même que les effets, effets secondaires et risques potentiels connus ayant trait au médicament que je vais recevoir.

Il/elle m'a clairement informé(e) que je suis libre de refuser le traitement et que je peux arrêter le traitement à tout moment, sans avoir à donner de motif et sans préjudice pour mon traitement médical.

J'ai lu le formulaire d'information au patient et j'en ai compris le contenu. J'ai eu l'occasion de poser toutes les questions qui me paraissaient utiles et j'ai obtenu une réponse satisfaisante à toutes mes questions.

Je vais recevoir un exemplaire du formulaire d'information au patient, ainsi que du présent formulaire de consentement éclairé. Une copie de ce formulaire sera également envoyé à Pfizer qui le conservera pendant au moins 10 ans après la fin du programme.

#### **JE CONSENS DE MON PLEIN GRÉ À PARTICIPER À CE PROGRAMME**

\_\_\_\_\_  
Nom en caractères d'imprimerie du patient

\_\_\_\_\_  
Signature du patient

\_\_\_\_\_  
Date de signature

*Veillez dater votre signature au moment où vous signez.*

## LE MEDECIN TRAITANT RECUEILLANT LE CONSENTEMENT

<hr/>	
Nom en caractères d'imprimerie du médecin traitant	
<hr/>	
Signature du médecin traitant	<hr/> Date de signature

## CONSENTEMENT DESTINÉ AUX PATIENTS QUI NE SAVENT PAS LIRE OU ÉCRIRE

Le patient a signalé qu'il/elle est incapable de lire. Le médecin traitant a lu le formulaire de d'information au patient et le formulaire de consentement au patient, en a discuté avec lui/elle et lui a donné l'occasion de poser des questions.

La signature d'un témoin impartial est requise si le patient ou le représentant légal du patient ne sait pas lire (conformément à la CIH – Conférence Internationale d'Harmonisation) ou ne sait pas écrire (comme stipulé dans la loi Belge relative aux expérimentations sur la personne humaine du 7 mai 2004)

---

Nom en caractères d'imprimerie du témoin impartial

---

Signature du témoin impartial

---

Date de signature

*Témoin impartial : Une personne qui est indépendante du programme, qui ne peut être arbitrairement influencée par le médecin traitant, qui assiste à la procédure de consentement éclairé si le patient ou le représentant légal du patient ne sait pas lire et qui lit au patient le consentement éclairé et toute autre information écrite fournie. Directives à l'intention de l'industrie E6 Bonnes pratiques cliniques: Directives consolidées*

## INFORMATIEFORMULIER VOOR DE PATIËNT

### Het gebruik van Mylotarg® voor de behandeling van acute myeloïde leukemie (AML) of acute promyelocyten leukemie (APL) in een compassionate use programma bij kinderen

#### **Voorstel tot deelname**

Je arts denkt dat je acute myeloïde of promyelocyten leukemie (vormen van kanker van de witte bloedcellen) met het geneesmiddel Mylotarg® zou kunnen behandeld worden. Mylotarg® kan gebruikt worden voor de behandeling van patiënten bij wie de ziekte na eerdere behandelingen is teruggekomen en die niet in aanmerking kwamen voor andere vormen van intensieve chemotherapie. Omdat Mylotarg niet in België verkocht wordt, wordt het ter beschikking gesteld via een Compassionate Use programma, dat tot doel heeft om Mylotarg® beschikbaar te maken voor patiënten zoals jij waarvoor er geen andere afdoende behandeling beschikbaar is in België.

Voordat je toestemt om de behandeling te ontvangen, is het belangrijk dat je volgende uitleg over de behandeling leest en begrijpt. Indien je vragen hebt omtrent het geneesmiddel, beslis dan pas om al dan niet de behandeling te ondergaan nadat al je vragen beantwoord zijn. Je kan je beslissing ook met je ouders bespreken.

#### **Behandeling met het geneesmiddel**

Je zal nauwlettend gevolgd worden tijdens de gehele duur van deze behandeling. Indien je bijwerkingen ondervindt tijdens de behandeling, moet je je ouders en/of je arts daar onmiddellijk van op de hoogte brengen. Je behandelende arts zal beslissen over de nodige stappen te ondernemen in geval van bijwerkingen.

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

Indien je beslist om aan dit programma deel te nemen zal men je vragen dit toestemmingsformulier te ondertekenen, voor de behandeling wordt opgestart.

Om te bepalen of je voor deelname aan dit programma in aanmerking komt, zullen er aantal relevante medische gegevens doorgegeven worden aan Pfizer, zoals,

- Je naam en geboortedatum
- Je medische voorgeschiedenis
- De andere medicatie die je momenteel inneemt

Indien je tijdens de deelname aan dit programma een bijwerking ondervindt, zal dat aan Pfizer doorgegeven worden.

#### **Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar is?**

Als er nieuwe informatie beschikbaar wordt over het geneesmiddel waarmee je zal worden behandeld, zal je arts je hierover inlichten en zal hij/zij met je overleggen of je de behandeling al

dan niet wenst voort te zetten. Indien dit het geval is, dan wordt je verzocht een nieuwe, aangepaste versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen. Beslis je de behandeling te stoppen, dan zal je arts ervoor zorgen dat je op de beste manier verder wordt behandeld.

Daarnaast is het mogelijk dat je arts op basis van de nieuwe informatie bepaalt dat het in je belang is om je behandeling stop te zetten. Hij/zij zal de redenen hiervoor uitleggen en er eveneens voor zorgen dat je op de beste manier verder wordt behandeld.

### **Vrijwillige toestemming / Recht om te stoppen met behandeling**

Je beslist volledig vrijwillig of je deze behandeling zal ondergaan. Zelfs wanneer je nu beslist om deze behandeling te starten, mag je nog altijd later beslissen om de behandeling op eender welk moment stop te zetten. Je bespreekt dit met je ouders en je behandelende arts. Dit zal in geen geval een invloed hebben op je verdere medische verzorging.

Verder kan je dokter de behandeling stopzetten indien hij/zij vindt dat dit in jouw belang is of indien jij je niet aan zijn instructies houdt tijdens de behandeling.

### **Wat gebeurt er na afloop van de behandeling?**

De duur van de behandeling zal afhangen van je respons op Mylotarg®. Je kan de behandeling verder zetten zolang je arts meent dat je baat hebt bij de behandeling. De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder jouw instemming, indien de ziekte verergert, indien blijkt dat je het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, indien jij je niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt, indien er nieuwe informatie aan het licht komt die uitwijst dat je niet langer baat hebt bij de behandeling.

### **Vergoeding**

Pfizer stelt het geneesmiddel gratis ter beschikking tijdens de duur van het Compassionate Use Programma.

### **Vertrouwelijkheid**

Je identiteit en je deelname aan deze behandeling worden strikt vertrouwelijk behandeld. Je naam zal niet vermeld staan op de documenten die in het kader van je behandeling aan Pfizer overgemaakt worden. De documenten zullen enkel volgende gegevens bevatten: je initialen, je geboortedatum, informatie betreffende je medische voorgeschiedenis en je huidige gebruik van medicatie. Pfizer zal deze gegevens bijhouden in een register dat tenminste 10 jaar na de beëindiging van het programma zal bewaard worden.

### **Vragen**

Indien je vragen hebt omtrent de behandeling of in geval van een behandelingsgebonden letsel, moet je contact opnemen met je arts.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat je de kans hebt gehad vragen te stellen en een bevredigend antwoord op al je vragen gekregen hebt.

## TOESTEMMINGSFORMULIER

### Het gebruik van Mylotarg<sup>®</sup> voor de behandeling van acute myeloïde leukemie (AML) of acute promyelocyten leukemie (APL) in een compassionate use programma voor kinderen

Mijn behandelende arts heeft mij een behandeling voorgesteld met Mylotarg<sup>®</sup>.

Hij/zij heeft de behandeling uitvoerig uitgelegd, evenals de gekende mogelijke effecten, neveneffecten en risico's in verband met het geneesmiddel dat ik zal krijgen.

Hij/zij heeft duidelijk gemaakt dat het mij vrij staat deze behandeling te weigeren en dat ik op elk ogenblik de behandeling kan stopzetten, zonder hiervoor een reden te geven en zonder dat dit mijn medische behandeling in het gedrang zal brengen.

Ik heb het informatieformulier gelezen en de inhoud ervan begrepen. Ik heb de gelegenheid gekregen alle vragen te stellen en ik heb een bevredigend antwoord op mijn vragen gekregen.

Ik zal een exemplaar ontvangen van dit informatieformulier en van dit geïnformeerd toestemmingsformulier. Een kopie van dit formulier zal ook naar Pfizer gestuurd worden en zal door hen gedurende tenminste 10 jaar na de beëindiging van het programma bewaard worden.

#### IK NEEM VRIJWILLIG DEEL AAN DEZE BEHANDELING

\_\_\_\_\_  
Naam van de patiënt in drukletters

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de patiënt

\_\_\_\_\_  
Datum van ondertekening

*Gelieve uw handtekening te dateren bij ondertekening.*

**DE BEHANDELENDE ARTS DIE DE TOESTEMMING VERKRIJGT**

---

Naam van de behandelende arts (in drukletters)

---

Handtekening van de behandelende arts

---

Datum van ondertekening

## INFORMATIEFORMULIER VOOR DE OUDERS VAN DE PATIËNT

### Het gebruik van Mylotarg<sup>®</sup> voor de behandeling van acute myeloïde leukemie (AML) of acute promyelocyten leukemie (APL) in een compassionate use programma bij patiënten jonger dan 18 jaar

#### Voorstel tot deelname

Uw arts vindt dat uw kind gebaat zou zijn met een behandeling met gemtuzumab ozogamicine (Mylotarg<sup>®</sup>) voor de behandeling van de volgende aandoening: acute myeloïde leukemie of acute promyelocyten leukemie

Voordat u toestemt om uw kind de behandeling te laten ontvangen, is het belangrijk dat u volgende uitleg over het geneesmiddel leest en begrijpt. Indien u vragen heeft omtrent het geneesmiddel, beslis dan pas om uw kind al dan niet de behandeling te laten ondergaan nadat al uw vragen beantwoord zijn. Uw behandelende arts zal u uitleg geven over de behandeling en zal uw vragen beantwoorden. U kunt uw beslissing ook met uw familie en vrienden bespreken.

Deze behandeling kadert in een Compassionate Use programma dat tot doel heeft om Mylotarg<sup>®</sup> beschikbaar te maken voor patiënten zoals uw kind, waarvoor er geen andere afdoende behandeling beschikbaar is en die, in de opinie en klinische beoordeling van de behandelende arts baat zouden hebben bij een behandeling met dit geneesmiddel.

Mylotarg<sup>®</sup> is een geneesmiddel dat werd ontwikkeld door Pfizer voor patiënten met acute myeloïde of acute promyelocyten leukemie. Beiden zijn een vorm van kanker van de witte bloedcellen. Mylotarg kan gebruikt worden voor de behandeling van patiënten bij wie de ziekte na eerdere behandelingen is teruggekomen en die niet in aanmerking kwamen voor andere vormen van intensieve chemotherapie. Mylotarg is bruikbaar bij patiënten die 'CD33-positief' zijn, wat wil zeggen dat op het oppervlak van hun kwaadaardige witte bloedcellen het eiwit CD33 voorkomt.

Er lopen momenteel klinische studies met Mylotarg<sup>®</sup>. In 2016 zou een dossier ingediend worden bij het Europees geneesmiddelenagentschap voor het verkrijgen van een vergunning voor het in de handel brengen van Mylotarg<sup>®</sup>.

#### Behandeling met het geneesmiddel

Uw kind zal nauwlettend gevolgd worden tijdens de gehele duur van deze behandeling. U dient uw arts onmiddellijk te contacteren indien uw kind bijwerkingen ondervindt tijdens de behandeling. De behandelende arts zal beslissen over de behandeling met dit geneesmiddel en de nodige stappen ondernemen in geval van bijwerkingen.

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

Indien u beslist om uw kind aan dit programma deel te laten nemen zal men u vragen dit toestemmingsformulier te ondertekenen, vóór er activiteiten die verband houden met dit programma plaatsvinden.

Om te bepalen of uw kind voor deelname aan dit programma in aanmerking komt, zullen er aantal relevante medische gegevens doorgegeven worden aan Pfizer, zoals,

- Naam van het kind
- Zijn/haar geboortedatum
- De medische voorgeschiedenis van uw kind
- De andere medicatie die uw kind momenteel inneemt,

Indien uw kind tijdens de deelname aan dit programma een bijwerking ondervindt, letsel oploopt en/of symptomen of klachten heeft, zal alle relevante informatie verzameld worden en doorgegeven worden aan Pfizer.

### **Wat wordt van u verwacht tijdens het programma?**

U dient uw arts onmiddellijk te contacteren indien uw kind bijwerkingen ondervindt tijdens de behandeling.

### **Welke zijn de mogelijke bijwerkingen op het geneesmiddel?**

Onderstaande lijst van bijwerkingen was initieel gebaseerd op de gegevens van 3 single-arm, open-label fase 2 klinische studies uitgevoerd door Pfizer. Deze lijst werd vervolgens bijgewerkt met de ernstige ongewenste voorvallen die geïdentificeerd werden als vermoedelijke bijwerkingen in klinische studies die niet door pfizer uitgevoerd en uit de ervaringen na commercialisatie van het product. Mylotarg werd hier zowel in monotherapie als in combinatie met anderen chemotherapieën gebruikt. De frequentie van optreden van alle bijwerkingen is gebaseerd op de ervaring die men heeft opgedaan in de 3 fase 2 studies.

Deze bijwerkingen zijn weergegeven volgens systeem/orgaanklasse en frequentie. De frequentie categorieën zijn als volgt gedefinieerd: zeer vaak ( $\geq 1/10$ ); vaak ( $\geq 1/100$ ,  $< 1/10$ ); soms ( $\geq 1/1.000$ ,  $< 1/100$ ); zelden ( $\geq 1/10.000$ ,  $< 1/1.000$ ); zeer zelden ( $< 1/10.000$ ), niet bekend (kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald).

De arts moet onmiddellijk verwittigd worden als de patiënt bijwerkingen ondervindt tijdens de behandeling. De behandelende art beslist over de (verdere) behandeling met Mylotarg en de te nemen maatregelen.

<b>Systeem/orgaanklasse</b>	<b>Frequentie</b>	<b>Bijwerkingen</b>
<b>Bloed- en lymfestelselaandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak Soms	leukopenie <sup>a</sup> , neutropenie <sup>a</sup> , anemie <sup>a</sup> , thrombocytopenie <sup>a</sup> , febriële neutropenie pancytopenie, gedissemineerde intravasculaire coagulatie <sup>b</sup> beenmergfalen
<b>Maagdarmsstelsel aandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak	braken, diarree, stomatitis, misselijkheid ascites, melena
<b>Algemene aandoeningen en toedieningsplaatsstoornissen</b>	Zeer vaak Niet bekend <sup>c</sup>	pyrexie, koude rillingen multi-organfalen <sup>b</sup>
<b>Lever- en galaandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak Soms Niet bekend <sup>c</sup>	hyperbilirubinemie <sup>a</sup> , aspartaataminotransferase verhoogd <sup>a</sup> veno-occlusieve leverziekte <sup>b</sup> , alanineaminotransferase verhoogd <sup>a</sup> , abnormale leverfunctietesten <sup>a</sup> , geelzucht leverfalen <sup>b</sup> Budd-Chiari syndroom, thrombose van de leverader, thrombose van de poortader
<b>Infecties en parasitaire aandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak Niet bekend <sup>c</sup>	sepsis <sup>b</sup> (waaronder bacteriële, virale, en fungale sepsis en sepsis tengevolge van opportunistische infectie), longontsteking <sup>b</sup> , herpes simplex infectie septische shock <sup>b</sup>
<b>Verwonding, vergiftiging and complicaties bij ingrepen</b>	Zeer vaak	infusie-gerelateerde reactie <sup>a</sup>
<b>Voedings- en stofwisselingsstoornissen</b>	Zeer vaak Vaak	Hyperglykemie tumor lysis syndroom <sup>b</sup>
<b>Zenuwstelselaandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak	Hoofdpijn hemorragische stroke <sup>b</sup> , cerebrale bloeding <sup>b</sup> , intracraniale bloeding <sup>b</sup>
<b>Nier- en urinewegaandoeningen</b>	Vaak	haematurie
<b>Ademhalingsstelsel-, borstkas- en mediastinumaandoeningen</b>	Zeer vaak vaak	epistaxis, dyspneu <sup>a</sup> hypoxie
<b>Huid- en onderhuidaandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak	petechiën, huiduitslag Pruritus
<b>Bloedvataandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak	bloeding, hypotensie, hypertensie shock <sup>b</sup>

a. Frequentie gerapporteerd voor Graad 3/4 bijwerkingen alleen.

b. Deze bijwerkingen kunnen een fatale afloop hebben.

c. Frequentie gedefinieerd obv de 3/N regel – geen voorval gerapporteerd in de fase 2 studies maar voorvallen geïdentificeerd als vermoedelijke bijwerkingen in daaropvolgende niet door Pfizer-gesponsorde klinische studies.

### **Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar is?**

In sommige gevallen kan er nieuwe informatie beschikbaar komen over de behandeling of het geneesmiddel waarmee uw kind zal worden behandeld. Als dit gebeurt, dan licht uw arts u hierover in en overlegt hij/zij met u of u de behandeling al dan niet wenst voort te zetten. Indien dit het geval is, dan wordt u verzocht een nieuwe, aangepaste versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen. Als u beslist de behandeling te stoppen, dan zal uw arts ervoor zorgen dat uw kind op de beste manier verder wordt behandeld.

Daarnaast is het mogelijk dat uw arts op basis van de nieuwe informatie bepaalt dat het in het belang van uw kind is om de behandeling stop te zetten. Hij/zij zal de redenen hiervoor uitleggen en er eveneens voor zorgen dat uw kind op de beste manier verder wordt behandeld.

### **Vrijwillige toestemming / Recht om te stoppen met behandeling**

U beslist volledig vrijwillig of uw kind deze behandeling zal ondergaan. Zelfs wanneer u nu beslist om deze behandeling te starten, staat het u vrij om te beslissen om de behandeling op eender welk moment stop te zetten. U bespreekt dit met de behandelende arts. Dit zal in geen geval een invloed hebben op de verdere medische verzorging van uw kind.

Verder kan uw dokter de behandeling stopzetten indien hij/zij vindt dat dit in het belang is van uw kind of indien u/uw kind zich niet aan de instructies houdt tijdens de behandeling.

Indien er nieuwe informatie aan het licht komt kan ook Pfizer, de reglementerende overheid of de commissie voor ethiek beslissen dit medisch noodprogramma te stoppen.

### **Wat gebeurt er na afloop van de behandeling?**

De duur van de behandeling zal afhangen van de respons van uw kind op Mylotarg®. U kan de behandeling verder zetten zolang uw arts meent dat uw kind baat heeft bij de behandeling. De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien de ziekte verergert, indien blijkt dat uw kind het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, indien u/uw kind zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt, indien er nieuwe informatie aan het licht komt die uitwijst dat uw kind niet langer baat heeft bij de behandeling, indien u door omstandigheden niet op een vrije en geïnformeerde manier kunt toestemmen.

### **Vergoeding**

Pfizer stelt het geneesmiddel gratis ter beschikking tijdens de duur van het Compassionate Use Programma.

Alle andere noodzakelijke ingrepen, onderzoeken en medicatie vallen onder de gewone terugbetalingsregeling.

## **Medisch-Ethische Toetsing**

De onafhankelijke commissie voor ethiek van het algemeen ziekenhuis St-Jan Brugge-Oostende heeft dit document nagelezen, de doelstellingen en het voorgestelde verloop van de behandeling onderzocht en daaromtrent een gunstig advies verleend.

## **Vertrouwelijkheid**

De identiteit van uw kind en zijn/haar deelname aan deze behandeling worden strikt vertrouwelijk behandeld. Niettemin, de documenten die in het kader van deze behandeling aan Pfizer overgemaakt worden, zullen de volgende gegevens bevatten: geboortedatum van uw kind, informatie betreffende de medische voorgeschiedenis van uw kind en zijn/haar huidig gebruik van medicatie. Overeenkomstig de wet in werking, zal Pfizer deze gegevens bijhouden in een register dat tenminste 10 jaar na de beëindiging van het programma zal bewaard worden. Dit register laat de controle toe door de regelgevende autoriteiten op de correcte uitvoering van het programma alsook op de traceerbaarheid van de geneesmiddelen afgegeven binnen het kader van dit programma.

Een verantwoordelijke arts zal bij Pfizer aangesteld worden. Hij/zij zal verantwoordelijk zijn om na te gaan dat de patiënten die deelnemen aan het programma aan alle inclusie criteria beantwoorden. Deze arts zal ook verantwoordelijk zijn voor het bijhouden van het bovenvermelde register.

## **Bekendmaking en gebruik van uw informatie**

U gaat ermee akkoord dat de hieronder vermelde entiteiten en agentschappen toegang hebben tot de informatie over uw kind en deze beoordelen om zich ervan te vergewissen dat deze gratis en uitzonderlijke behandeling aan alle wettelijke voorwaarden voldoet:

(i) de vertegenwoordigers van Pfizer en zijn bedrijven en bevoegde dienstverleners/vertegenwoordigers, (ii) de ethische commissie die dit programma goedkeurde, (iii) en binnen- en buitenlandse regelgevende agentschappen.

Het onderzoek van het medisch dossier van uw kind door derden, zoals hierboven beschreven, gebeurt alleen onder toezicht van de behandelende arts. De personen die toegang hebben tot het medisch dossier van uw kind zijn gehouden aan strikte geheimhouding.

Sommige van de bovenvermelde entiteiten kunnen in het buitenland gevestigd zijn, inclusief de Verenigde Staten en andere landen in andere werelddelen, waar de wetgeving inzake gegevensbescherming en privacy minder strikt zijn dan in uw land, maar Pfizer zal de gepaste maatregelen nemen om dezelfde bescherming te garanderen. De sponsor neemt deel aan het EU-US Safe Harbor programma en houdt zich aan zijn voorschriften bij het verwerken van uw informatie. Meer informatie over Safe Harbor is beschikbaar op de internetsite <http://www.export.gov/safeharbor>.

In overeenstemming met de wet van 8 december 1992 betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer, heeft U het recht tot inzage in het persoonlijk dossier en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen via eenvoudige vraag aan uw arts.

Door het toestemmingsformulier te ondertekenen gaat u ermee akkoord dat we de informatie over uw kind verzamelen, gebruiken en bekendmaken, zoals hierboven beschreven.

## **Vragen**

Indien u, uw kind of uw verwanten vragen hebben omtrent de behandeling of in geval van een behandelingsgebonden letsel, dient u contact op te nemen met uw arts. Indien u dringende hulp inroept of uw kind in het ziekenhuis moet worden opgenomen, meld dan aan de behandelende arts dat uw kind deelneemt aan een behandeling met Mylotarg®.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans gehad heeft vragen te stellen en een bevredigend antwoord op alle vragen gekregen heeft.

## TOESTEMMINGSFORMULIER

### Het gebruik van Mylotarg<sup>®</sup> voor de behandeling van acute myeloïde leukemie (AML) of acute promyeloïcyten leukemie (APL) in een compassionate use programma

De behandelende arts van mijn kind heeft voor mijn kind een behandeling voorgesteld met Mylotarg<sup>®</sup>.

Hij/zij heeft de behandeling uitvoerig uitgelegd, evenals de gekende mogelijke effecten, neveneffecten en risico's in verband met het geneesmiddel dat mijn kind zal krijgen.

Hij/zij heeft duidelijk gemaakt dat het mij vrij staat deze behandeling te weigeren en dat ik op elk ogenblik de behandeling kan stopzetten, zonder hiervoor een reden te geven en zonder dat dit de medische behandeling van mijn kind in het gedrang zal brengen.

Ik heb het informatieformulier voor de ouder van de patiënt gelezen en de inhoud ervan begrepen. Ik heb de gelegenheid gekregen alle, door mij noodzakelijk geachte vragen, te stellen en ik heb een bevredigend antwoord op mijn vragen gekregen.

Ik zal een exemplaar ontvangen van dit informatieformulier voor de ouder van de patiënt en van dit geïnformeerd toestemmingsformulier. Een kopie van dit formulier zal ook naar Pfizer gestuurd worden en zal door hen gedurende tenminste 10 jaar na de beëindiging van het programma bewaard worden.

#### IK LAAT MIJN KIND VRIJWILLIG DEELNEMEN AAN DEZE BEHANDELING

\_\_\_\_\_  
Naam van de patiënt in drukletters

\_\_\_\_\_  
Naam van de ouder in drukletters

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de ouder

\_\_\_\_\_  
Datum van ondertekening

*Gelieve uw handtekening te dateren bij ondertekening.*

## DE BEHANDELLENDE ARTS DIE DE TOESTEMMING VERKRIJGT

\_\_\_\_\_  
Naam van de behandelende arts (in drukletters)

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de behandelende arts

\_\_\_\_\_  
Datum van ondertekening

## TOESTEMMING VOOR EEN PATIËNT WAARVAN DE OUDER NIET KAN LEZEN OF SCHRIJVEN

De ouder van de patiënt heeft aangegeven dat hij/zij niet kan lezen. De behandelende arts heeft de ouder van de patiënt het informatieformulier en het toestemmingsformulier voorgelezen, het met de ouder besproken en patiënt de gelegenheid gegeven om vragen te stellen.

De handtekening van een onpartijdige getuige is vereist als de persoon of zijn/haar wettelijke vertegenwoordiger niet kan lezen (conform ICH) of niet kan schrijven (zoals bepaald in de Belgische wet op experimenten op de menselijke persoon van 7 mei 2004).

\_\_\_\_\_  
Naam van de onpartijdige getuige (in drukletters)

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de onpartijdige getuige

\_\_\_\_\_  
Datum van ondertekening

*Onpartijdige getuige: een persoon, die onafhankelijk is van dit onderzoek, die niet oneerlijk kan worden beïnvloed door personen die bij het onderzoek zijn betrokken, die de procedure van geïnformeerde toestemming bijwoont als de proefpersoon of de wettelijk aanvaardbare vertegenwoordiger van de proefpersoon niet kan lezen, en die de geïnformeerde toestemming en alle andere schriftelijke informatie voor de proefpersoon voorleest. Richtlijn voor de Industrie E6 Goede Klinische praktijken: Geconsolideerde Richtlijn*

## INFORMATIEFORMULIER VOOR DE PATIËNT

### Het gebruik van Mylotarg<sup>®</sup> voor de behandeling van acute myeloïde leukemie (AML) of acute promyelocyten leukemie (APL) in een compassionate use programma

#### Voorstel tot deelname

Uw arts vindt dat u gebaat zou zijn met een behandeling met gemtuzumab ozogamicine (Mylotarg<sup>®</sup>) voor de behandeling van de volgende aandoening: acute myeloïde leukemie of acute promyelocyten leukemie

Voordat u toestemt om de behandeling te ontvangen, is het belangrijk dat u volgende uitleg over het geneesmiddel leest en begrijpt. Indien u vragen heeft omtrent het geneesmiddel, beslis dan pas om al dan niet de behandeling te ondergaan nadat al uw vragen beantwoord zijn. Uw behandelende arts zal u uitleg geven over de behandeling en zal uw vragen beantwoorden. U kunt uw beslissing ook met uw familie en vrienden bespreken.

Deze behandeling kadert in een Compassionate Use programma dat tot doel heeft om Mylotarg<sup>®</sup> beschikbaar te maken voor patiënten zoals u, waarvoor er geen andere afdoende behandeling beschikbaar is en die, in de opinie en klinische beoordeling van de behandelende arts baat zouden hebben bij een behandeling met dit geneesmiddel.

Mylotarg<sup>®</sup> is een geneesmiddel dat werd ontwikkeld door Pfizer voor patiënten met acute myeloïde of acute promyelocyten leukemie. Beiden zijn een vorm van kanker van de witte bloedcellen. Mylotarg kan gebruikt worden voor de behandeling van patiënten bij wie de ziekte na eerdere behandelingen is teruggekomen en die niet in aanmerking kwamen voor andere vormen van intensieve chemotherapie. Mylotarg is bruikbaar bij patiënten die 'CD33-positief' zijn, wat wil zeggen dat op het oppervlak van hun kwaadaardige witte bloedcellen het eiwit CD33 voorkomt.

Er lopen momenteel klinische studies met Mylotarg<sup>®</sup>. In 2016 zou een dossier ingediend worden bij het Europees geneesmiddelenagentschap voor het verkrijgen van een vergunning voor het in de handel brengen van Mylotarg<sup>®</sup>.

#### Behandeling met het geneesmiddel

U zal nauwlettend gevolgd worden tijdens de gehele duur van deze behandeling. U dient uw arts onmiddellijk te contacteren indien u bijwerkingen ondervindt tijdens de behandeling. De behandelende arts zal beslissen over de behandeling met dit geneesmiddel en de nodige stappen ondernemen in geval van bijwerkingen.

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

Indien u beslist om aan dit programma deel te nemen zal men u vragen dit toestemmingsformulier te ondertekenen, vóór er activiteiten die verband houden met dit programma plaatsvinden.

Om te bepalen of u voor deelname aan dit programma in aanmerking komt, zullen er aantal relevante medische gegevens doorgegeven worden aan Pfizer, zoals,

- Uw naam en geboortedatum
- uw medische voorgeschiedenis
- De andere medicatie die u momenteel inneemt,

Indien u tijdens de deelname aan dit programma een bijwerking ondervindt, letsel oploopt en/of symptomen of klachten heeft, zal alle relevante informatie verzameld worden en doorgegeven worden aan Pfizer.

### **Wat wordt van u verwacht tijdens het programma?**

U dient uw arts onmiddellijk te contacteren indien u bijwerkingen ondervindt tijdens de behandeling.

### **Welke zijn de mogelijke bijwerkingen op het geneesmiddel?**

Onderstaande lijst van bijwerkingen was initieel gebaseerd op de gegevens van 3 single-arm, open-label fase 2 klinische studies uitgevoerd door Pfizer. Deze lijst werd vervolgens bijgewerkt met de ernstige ongewenste voorvallen die geïdentificeerd werden als vermoedelijke bijwerkingen in klinische studies die niet door pfizer uitgevoerd en uit de ervaringen na commercialisatie van het product. Mylotarg werd hier zowel in monotherapie als in combinatie met anderen chemotherapieën gebruikt. De frequentie van optreden van alle bijwerkingen is gebaseerd op de ervaring die men heeft opgedaan in de 3 fase 2 studies.

Deze bijwerkingen zijn weergegeven volgens systeem/orgaanklasse en frequentie. De frequentie categorieën zijn als volgt gedefinieerd: zeer vaak ( $\geq 1/10$ ); vaak ( $\geq 1/100$ ,  $< 1/10$ ); soms ( $\geq 1/1.000$ ,  $< 1/100$ ); zelden ( $\geq 1/10.000$ ,  $< 1/1.000$ ); zeer zelden ( $< 1/10.000$ ), niet bekend (kan met de beschikbare gegevens niet worden bepaald).

De arts moet onmiddellijk verwittigd worden als de patiënt bijwerkingen ondervindt tijdens de behandeling. De behandelende art beslist over de (verdere) behandeling met Mylotarg en de te nemen maatregelen.

<b>Systeem/orgaanklasse</b>	<b>Frequentie</b>	<b>Bijwerkingen</b>
<b>Bloed- en lymfestelselaandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak Soms	leukopenie <sup>a</sup> , neutropenie <sup>a</sup> , anemie <sup>a</sup> , thrombocytopenie <sup>a</sup> , febriële neutropenie pancytopenie, gedissemineerde intravasculaire coagulatie <sup>b</sup> beenmergfalen
<b>Maagdarmstelsel aandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak	braken, diarree, stomatitis, misselijkheid ascites, melena
<b>Algemene aandoeningen en toedieningsplaatsstoornissen</b>	Zeer vaak Niet bekend <sup>c</sup>	pyrexie, koude rillingen multi-orgaanfalen <sup>b</sup>
<b>Lever- en galaandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak Soms Niet bekend <sup>c</sup>	hyperbilirubinemie <sup>a</sup> , aspartaataminotransferase verhoogd <sup>a</sup> veno-occlusieve leverziekte <sup>b</sup> , alanineaminotransferase verhoogd <sup>a</sup> , abnormale leverfunctietesten <sup>a</sup> , geelzucht leverfalen <sup>b</sup> Budd-Chiari syndroom, thrombose van de leverader, thrombose van de poortader
<b>Infecties en parasitaire aandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak Niet bekend <sup>c</sup>	sepsis <sup>b</sup> (waaronder bacteriële, virale, en fungale sepsis en sepsis tengevolge van opportunistische infectie), longontsteking <sup>b</sup> , herpes simplex infectie septische shock <sup>b</sup>
<b>Verwonding, vergiftiging and complicaties bij ingrepen</b>	Zeer vaak	infusie-gerelateerde reactie <sup>a</sup>
<b>Voedings- en stofwisselingsstoornissen</b>	Zeer vaak Vaak	Hyperglykemie tumor lysis syndroom <sup>b</sup>
<b>Zenuwstelselaandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak	Hoofdpijn hemorragische stroke <sup>b</sup> , cerebrale bloeding <sup>b</sup> , intracraniale bloeding <sup>b</sup>
<b>Nier- en urinewegaandoeningen</b>	Vaak	haematurie
<b>Ademhalingsstelsel-, borstkas- en mediastinumaandoeningen</b>	Zeer vaak vaak	epistaxis, dyspneu <sup>a</sup> hypoxie
<b>Huid- en onderhuidaandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak	petechiën, huiduitslag Pruritus
<b>Bloedvataandoeningen</b>	Zeer vaak Vaak	bloeding, hypotensie, hypertensie shock <sup>b</sup>

a. Frequentie gerapporteerd voor Graad 3/4 bijwerkingen alleen.

b. Deze bijwerkingen kunnen een fatale afloop hebben.

c. Frequentie gedefinieerd obv de 3/N regel – geen voorval gerapporteerd in de fase 2 studies maar voorvallen geïdentificeerd als vermoedelijke bijwerkingen in daaropvolgende niet door Pfizer-gesponsorde klinische studies.

### **Wat gebeurt er als er nieuwe informatie beschikbaar is?**

In sommige gevallen kan er nieuwe informatie beschikbaar komen over de behandeling of het geneesmiddel waarmee u zal worden behandeld. Als dit gebeurt, dan licht uw arts u hierover in en overlegt hij/zij met u of u de behandeling al dan niet wenst voort te zetten. Indien dit het geval is, dan wordt u verzocht een nieuwe, aangepaste versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen. Als u beslist de behandeling te stoppen, dan zal uw arts ervoor zorgen dat u op de beste manier verder wordt behandeld.

Daarnaast is het mogelijk dat uw arts op basis van de nieuwe informatie bepaalt dat het in uw belang is om uw behandeling stop te zetten. Hij/zij zal de redenen hiervoor uitleggen en er eveneens voor zorgen dat u op de beste manier verder wordt behandeld.

### **Vrijwillige toestemming / Recht om te stoppen met behandeling**

U beslist volledig vrijwillig of u deze behandeling zal ondergaan. Zelfs wanneer u nu beslist om deze behandeling te starten, staat het u vrij om te beslissen om de behandeling op eender welk moment stop te zetten. U bespreekt dit met de behandelende arts. Dit zal in geen geval een invloed hebben op uw verdere medische verzorging.

Verder kan uw dokter de behandeling stopzetten indien hij/zij vindt dat dit in uw belang is of indien u zich niet aan de instructies houdt tijdens de behandeling.

Indien er nieuwe informatie aan het licht komt kan ook Pfizer, de reglementerende overheid of de commissie voor ethiek beslissen dit medisch noodprogramma te stoppen.

### **Wat gebeurt er na afloop van de behandeling?**

De duur van de behandeling zal afhangen van uw respons op Mylotarg®. U kan de behandeling verder zetten zolang uw arts meent dat u baat heeft bij de behandeling. De behandeling kan stopgezet worden, zelfs zonder uw instemming, indien de ziekte verergert, indien blijkt dat u het geneesmiddel niet verdraagt omwille van ernstige bijwerkingen, indien u zich niet aan de aanwijzingen in verband met de behandeling houdt, indien er nieuwe informatie aan het licht komt die uitwijst dat u niet langer baat heeft bij de behandeling, indien u door omstandigheden niet op een vrije en geïnformeerde manier kunt toestemmen.

### **Vergoeding**

Pfizer stelt het geneesmiddel gratis ter beschikking tijdens de duur van het Compassionate Use Programma.

Alle andere noodzakelijke ingrepen, onderzoeken en medicatie vallen onder de gewone terugbetalingsregeling.

## **Medisch-Ethische Toetsing**

De onafhankelijke commissie voor ethiek van het algemeen ziekenhuis St-Jan Brugge-Oostende heeft dit document nagelezen, de doelstellingen en het voorgestelde verloop van de behandeling onderzocht en daaromtrent een gunstig advies verleend.

## **Vertrouwelijkheid**

Uw identiteit en uw deelname aan deze behandeling worden strikt vertrouwelijk behandeld. Niettemin, de documenten die in het kader van deze behandeling aan Pfizer overgemaakt worden, zullen de volgende gegevens bevatten: uw geboortedatum, informatie betreffende uw medische voorgeschiedenis en uw huidige gebruik van medicatie. Overeenkomstig de wet in werking, zal Pfizer deze gegevens bijhouden in een register dat tenminste 10 jaar na de beëindiging van het programma zal bewaard worden. Dit register laat de controle toe door de regelgevende autoriteiten op de correcte uitvoering van het programma alsook op de traceerbaarheid van de geneesmiddelen afgegeven binnen het kader van dit programma.

Een verantwoordelijke arts zal bij Pfizer aangesteld worden. Hij/zij zal verantwoordelijk zijn om te checken dat de patiënten die deelnemen aan het programma aan alle inclusie criteria beantwoorden. Deze arts zal ook verantwoordelijk zijn voor het bijhouden van het bovenvermelde register.

## **Bekendmaking en gebruik van uw informatie**

U gaat ermee akkoord dat de hieronder vermelde entiteiten en agentschappen toegang hebben tot uw informatie en deze beoordelen om zich ervan te vergewissen dat deze gratis en uitzonderlijke behandeling aan alle wettelijke voorwaarden voldoet:

(i) de vertegenwoordigers van Pfizer en zijn bedrijven en bevoegde dienstverleners/vertegenwoordigers, (ii) de ethische commissie die dit programma goedkeurde, (iii) en binnen- en buitenlandse regelgevende agentschappen.

Het onderzoek van uw medisch dossier door derden, zoals hierboven beschreven, gebeurt alleen onder toezicht van de behandelende arts. De personen die toegang hebben tot uw medisch dossier zijn gehouden aan strikte geheimhouding.

Sommige van de bovenvermelde entiteiten kunnen in het buitenland gevestigd zijn, inclusief de Verenigde Staten en andere landen in andere werelddelen, waar de wetgeving inzake gegevensbescherming en privacy minder strikt zijn dan in uw land, maar Pfizer zal de gepaste maatregelen nemen om dezelfde bescherming te garanderen. De sponsor neemt deel aan het EU-US Safe Harbor programma en houdt zich aan zijn voorschriften bij het verwerken van uw informatie. Meer informatie over Safe Harbor is beschikbaar op de internetsite <http://www.export.gov/safeharbor>.

In overeenstemming met de wet van 8 december 1992 betreffende de bescherming van de persoonlijke levenssfeer, heeft U het recht tot inzage in het persoonlijk dossier en er eventueel de nodige verbeteringen in te laten aanbrengen via eenvoudige vraag aan uw arts.

Door het toestemmingsformulier te ondertekenen gaat u ermee akkoord dat we uw informatie verzamelen, gebruiken en bekendmaken, zoals hierboven beschreven.

## **Vragen**

Indien u of uw verwanten vragen hebben omtrent de behandeling of in geval van een behandelingsgebonden letsel, dient u contact op te nemen met uw arts. Indien u dringende hulp inroept of u in het ziekenhuis moet worden opgenomen, meld dan aan de behandelende arts dat u deelneemt aan een behandeling met Mylotarg®.

Onderteken dit toestemmingsformulier niet voordat u de kans gehad heeft vragen te stellen en een bevredigend antwoord op alle vragen gekregen heeft.

## TOESTEMMINGSFORMULIER

### Het gebruik van Mylotarg<sup>®</sup> voor de behandeling van acute myeloïde leukemie (AML) of acute promyelocyten leukemie (APL) in een compassionate use programma

Mijn behandelende arts heeft mij een behandeling voorgesteld met Mylotarg<sup>®</sup>.

Hij/zij heeft de behandeling uitvoerig uitgelegd, evenals de gekende mogelijke effecten, neveneffecten en risico's in verband met het geneesmiddel dat ik zal krijgen.

Hij/zij heeft duidelijk gemaakt dat het mij vrij staat deze behandeling te weigeren en dat ik op elk ogenblik de behandeling kan stopzetten, zonder hiervoor een reden te geven en zonder dat dit mijn medische behandeling in het gedrang zal brengen.

Ik heb het informatieformulier voor de patiënt gelezen en de inhoud ervan begrepen. Ik heb de gelegenheid gekregen alle, door mij noodzakelijk geachte vragen, te stellen en ik heb een bevredigend antwoord op mijn vragen gekregen.

Ik zal een exemplaar ontvangen van dit informatieformulier voor de patiënt en van dit geïnformeerd toestemmingsformulier. Een kopie van dit formulier zal ook naar Pfizer gestuurd worden en zal door hen gedurende tenminste 10 jaar na de beëindiging van het programma bewaard worden.

#### IK NEEM VRIJWILLIG DEEL AAN DEZE BEHANDELING

\_\_\_\_\_  
Naam van de patiënt in drukletters

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de patiënt

\_\_\_\_\_  
Datum van ondertekening

*Gelieve uw handtekening te dateren bij ondertekening.*

## DE BEHANDELLENDE ARTS DIE DE TOESTEMMING VERKRIJGT

\_\_\_\_\_  
Naam van de behandelende arts (in drukletters)

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de behandelende arts

\_\_\_\_\_  
Datum van ondertekening

## TOESTEMMING VOOR EEN PATIËNT DIE NIET KAN LEZEN OF SCHRIJVEN

De patiënt heeft aangegeven dat hij/zij niet kan lezen. De behandelende arts heeft de patiënt het informatieformulier en het toestemmingsformulier voorgelezen, het met hem/zij besproken en patiënt de gelegenheid gegeven om vragen te stellen.

De handtekening van een onpartijdige getuige is vereist als de persoon of zijn/haar wettelijke vertegenwoordiger niet kan lezen of schrijven niet kan lezen (conform ICH) of niet kan schrijven (zoals bepaald in de Belgische wet op experimenten op de menselijke persoon van 7 mei 2004).

\_\_\_\_\_  
Naam van de onpartijdige getuige (in drukletters)

\_\_\_\_\_  
Handtekening van de onpartijdige getuige

\_\_\_\_\_  
Datum van ondertekening

*Onpartijdige getuige: een persoon, die onafhankelijk is van dit onderzoek, die niet oneerlijk kan worden beïnvloed door personen die bij het onderzoek zijn betrokken, die de procedure van geïnformeerde toestemming bijwoont als de proefpersoon of de wettelijk aanvaardbare vertegenwoordiger van de proefpersoon niet kan lezen, en die de geïnformeerde toestemming en alle andere schriftelijke informatie voor de proefpersoon voorleest. Richtlijn voor de Industrie E6 Goede Klinische praktijken: Geconsolideerde Richtlijn*