Papier à en-tête de l'hôpital

Fiche d'information destinée au patient

Titre du projet	Programme Médical d'Urgence (Medical Need program, MNP) pour la mexilétine LP chez les patients atteints de myotonie non dystrophique ayant participé à l'étude ACHILLES en Belgique
Promoteur	Lupin Atlantis Holdings S.A. Landis + Gyr Strasse 1 6300 Zoug - Suisse
Responsable	Alla Zozulya-Weidenfeller, PhD Lupin Atlantis Holdings S.A.
Médecin responsable	Pr Kristl Claeys Département de neurologie UZ Leuven | campus Gasthuisberg | Herestraat 49 | B - 3000 Louvain | Belgique
Médecin traitant	**Nom** …… **Téléphone** …… **E-mail** ……

Dans cette fiche d'information destinée au patient et ce formulaire de consentement éclairé, le terme « vous » désigne toujours le patient inscrit au MNP. Cette fiche d'information destinée au patient contient des informations importantes pour vous aider à décider de participer ou non à ce programme.

Veuillez lire attentivement cette fiche d'information destinée au patient

N'hésitez pas à poser des questions sur ce qui n'est pas clair, quel que soit le moment. Votre médecin vous expliquera en détail les informations contenues dans ce document et vous exposera les risques éventuels. Vous pouvez emporter chez vous une copie non signée de cette fiche d'information destinée aux patients afin d'y réfléchir et d'en discuter avec votre famille ou vos amis.

- **La participation à un MNP est volontaire : c'est à vous de décider si vous souhaitez y prendre part ou non.**
- **Si vous adhérez à ce programme, vous pouvez vous en retirer à tout moment sans avoir à vous justifier.**
- **Ne participez pas à ce programme tant que vous n'avez pas obtenu de réponse à toutes vos questions.**

Après avoir lu et discuté des informations contenues dans cette fiche d'information destinée aux patients, vous devriez comprendre :

- Pourquoi ce programme est mis en place ;
- Ce qui se passera pendant le programme ;
- Les avantages éventuels pour vous ;
- Les risques éventuels pour vous ;
- Les autres options qui s'offrent à vous à la place de ce programme ;

- La manière dont vos informations médicales personnelles seront traitées pendant le programme et après ;
- Si la participation à ce programme pourrait entraîner des frais pour vous ; et
- Que faire si vous rencontrez des problèmes ou avez des questions concernant ce programme.

Vous êtes invité(e) à envisager de participer volontairement à un programme médical d'urgence (Medical Need Program MNP) afin de pouvoir bénéficier d'un traitement par mexilétine LP pour votre myotonie non dystrophique après votre participation à l'étude ACHILLES. Votre médecin traitant vous recommande ce traitement car il pourrait améliorer votre état de santé.

Les MNP permettent aux patients atteints de maladies graves ou mettant immédiatement leur vie en danger, et qui ne disposent d'aucune option thérapeutique alternative comparable ou satisfaisante, y compris la participation à des essais cliniques, d'accéder à des médicaments qui ne sont pas encore disponibles dans le commerce.

Vous recevrez la mexilétine LP gratuitement jusqu'à ce que ce médicament soit commercialisé en Belgique. Au cours de votre participation à l'étude ACHILLES, vous avez déjà reçu ce traitement sous forme de granulés de mexilétine à libération prolongée (LP) pour suspension buvable, et votre médecin traitant a estimé que vous en aviez tiré un bénéfice. Si vous estimez ne pas avoir tiré de bénéfice de ce traitement et ne souhaitez pas le poursuivre, il vous suffit d'en faire part à votre médecin traitant. Si vous souhaitez le poursuivre, ce document vous aidera à comprendre le traitement et ce qu'implique votre participation à ce programme. Afin de vous permettre de prendre une décision éclairée quant à votre participation à ce programme, ce document décrit l'objectif du programme, vos droits et obligations, ainsi que les risques liés à la participation au programme. Veuillez prendre le temps de lire attentivement les informations suivantes. Votre médecin traitant ou le personnel vous expliquera le programme. Vous pouvez discuter de votre décision avec votre famille et vos amis.

Une fois que vous aurez pris connaissance du programme et des procédures qui seront mises en œuvre, il vous sera demandé de signer un formulaire de consentement pour participer à ce programme. La participation à ce programme relève de votre libre choix. Si vous décidez d'y participer, vous pouvez vous retirer à tout moment sans avoir à fournir de justification. Quelle que soit votre décision, vous ne subirez aucune conséquence défavorable et votre retrait n'aura aucune incidence sur vos soins médicaux habituels ni sur vos relations avec les professionnels de santé qui vous traitent. Si vous choisissez de ne pas participer à ce programme, vous pouvez discuter de vos soins médicaux habituels avec le médecin traitant du programme. En participant à ce programme, vous contribuez à l'avancement des connaissances médicales et aidez potentiellement à améliorer les traitements pour d'autres personnes à l'avenir.

DESCRIPTION DU PROGRAMME

Objectif du programme

L'objectif du MNP est de permettre l'accès à la mexilétine LP aux patients atteints de myotonie non dystrophique ayant participé à l'étude ACHILLES. Ce n'est pas une étude clinique comme l'était ACHILLES.

Le médicament expérimental Mexilétine LP sera fourni aux patients éligibles inscrits dans ce MNP. Dans ce cas, le terme « médicament expérimental » signifie que la Mexilétine LP n'a pas encore été approuvée par l'Agence fédérale des médicaments

et des produits de santé (AFMPS), l'Agence européenne des médicaments (EMA) ou toute autre autorité sanitaire.

Le médicament

Le médicament utilisé dans ce programme s'appelle Mexilétine granulés à libération prolongée pour suspension buvable (mexilétine LP). Un médicament à libération prolongée est un médicament dont la libération est contrôlée dans le temps, de sorte qu'il se diffuse plus lentement et plus longtemps dans l'organisme.

La poudre de mexilétine LP pour suspension buvable a été développée pour faciliter la déglutition, améliorer la tolérance et permettre une prise unique quotidienne, avec un ajustement facile de la dose afin d'améliorer l'expérience du patient.

Le traitement vous sera administré par voie orale (par la bouche) si vous participez au programme. Il se présente sous forme de poudre granuleuse de couleur blanc cassé à jaune, conditionnée en sachets unidoses. La méthode de reconstitution du médicament du programme dans l'eau sera fournie dans un document séparé (instructions de dosage). Vous prendrez votre médicament du programme une fois par jour à domicile, avec de la nourriture, à peu près à la même heure chaque jour, de préférence le matin.

Médicaments utilisés pour les problèmes cardiaques :

Prendre de la mexilétine avec certains médicaments utilisés pour traiter les troubles du rythme cardiaque peut augmenter le risque de troubles graves du rythme cardiaque, qui peuvent mettre la vie en danger. À cause de ce risque, la mexilétine ne doit pas être utilisée avec certains médicaments pour le cœur. Votre médecin saura quels médicaments éviter. D'autres médicaments pour le cœur peuvent aussi influencer le fonctionnement de la mexilétine ou augmenter le risque d'effets secondaires. Ces combinaisons ne sont généralement pas recommandées ou nécessitent une surveillance rapprochée. Votre médecin décidera si ces médicaments peuvent être pris ensemble.

Il est très important que vous informiez complètement votre médecin traitant et son équipe de toutes vos conditions médicales passées et actuelles, ainsi que de tous les médicaments que vous prenez, y compris les produits en vente libre. Il est également crucial de ne jamais prendre un médicament prescrit par un autre médecin sans en informer votre médecin traitant.

Qui peut participer au programme ?

Les personnes âgées de 18 ans et plus, chez lesquelles un diagnostic de myotonie non dystrophique a été confirmé génétiquement et qui ont participé à l'étude ACHILLES, peuvent rejoindre le programme.

Conditions de participation au programme

Avant de pouvoir participer au programme, votre médecin traitant devra soumettre une demande à un autre médecin, appelé « médecin responsable », qui évaluera si vous êtes éligible au MNP. Le médecin responsable supervise le MNP en Belgique. Si le médecin responsable donne son accord, votre médecin traitant pourra demander à Lupin de mettre la Mexilétine LP à votre disposition.

Pour participer à l'étude ACHILLES, votre médecin traitant a vérifié que vous remplissiez certains critères. Certains d'entre eux pourraient être vérifiés à nouveau et de manière régulière pendant votre participation au programme.

Informez votre médecin traitant de tout médicament que vous prenez ou de tout changement dans votre traitement actuel. Cela inclut les médicaments sur ordonnance, les médicaments en vente libre et les vitamines. Veuillez informer immédiatement votre médecin traitant ou le personnel du site si vous présentez des symptômes inhabituels ou inattendus.

Si l'on vous propose de participer à un autre essai clinique portant sur un médicament expérimental, veuillez en informer votre médecin traitant.

En signant le formulaire de consentement pour ce programme, vous autorisez votre médecin traitant à effectuer des tests et des évaluations afin de déterminer si vous pouvez continuer à participer. Si votre médecin traitant vous examine et constate que vous ne remplissez plus les critères pour continuer à participer à ce programme, il discutera avec vous des autres options de traitement auxquelles vous pourriez avoir droit.

- **Examen physique**
  Un examen physique complet sera effectué à différents moments au cours du programme. L'examen physique portera sur les régions et les systèmes suivants : aspect général, tête et cou, cœur, poumons, abdomen, thorax et dos, membres supérieurs, membres inférieurs, système neurologique et système dermatologique. De plus, votre taille et votre poids seront mesurés.
- **Signes vitaux**
  Votre rythme cardiaque, votre tension artérielle, votre température et votre fréquence respiratoire seront mesurés à différents moments au cours du programme.
- **Effets indésirables**
  Tout au long de votre participation à ce programme, on vous demandera comment vous vous sentez et si vous avez constaté des changements dans votre état de santé ou ressenti des effets indésirables.

QU'ATTEND-ON DE MOI EN TANT QUE PARTICIPANT ?

Les patients participant au programme médical d'urgence ont certaines responsabilités. Pendant toute la durée du programme, vous devez :

- Suivre les instructions données par votre médecin traitant et son équipe.
- Vous rendre sur site pour toutes les consultations avec le médecin traitant ou son équipe.
- Conserver le contrôle exclusif et la possession du médicament après qu'il vous a été remis.
- Restituer tout médicament non utilisé au médecin traitant ou à son équipe.

- Informer le médecin traitant ou son équipe de tout changement dans votre état de santé ou dans la façon dont vous vous sentez, que vous pensiez ou non que cela soit lié au programme.
- Signaler au médecin traitant ou au personnel tout changement concernant les médicaments que vous prenez, y compris les vitamines, les plantes médicinales et les remèdes traditionnels.

Il est important que vous restiez en contact régulier avec votre médecin traitant, même si vous ne souhaitez plus participer au programme, afin qu'il puisse surveiller votre état de santé, car des effets secondaires inconnus ou inattendus du ou des médicament(s) pourraient encore survenir.

Droit de retrait

La participation est volontaire. Si vous choisissez de mettre fin à votre participation à ce programme, contactez votre médecin traitant afin d'établir un plan pour la poursuite de vos soins médicaux. Vous êtes libre de décider de mettre fin à votre participation à tout moment. Si vous décidez de ne plus participer au MNP, vous ne subirez aucune conséquence défavorable et ne perdrez aucun des avantages auxquels vous avez droit.

Veuillez informer votre médecin traitant ou son personnel si vous décidez d'interrompre ou d'arrêter la prise du médicament. Il se peut qu'on vous demande de revenir au centre pour vérifier votre état de santé. Vous devez rapporter tous les médicaments non utilisés à la clinique.

Durée du programme

Le programme se poursuivra jusqu'à la commercialisation de la mexilétine LP en Belgique. Vous pourrez poursuivre ce programme aussi longtemps que vous le souhaitez et, lorsque la mexilétine LP sera disponible en Belgique, vous passerez au produit commercialisé si votre médecin estime que cela reste la meilleure option thérapeutique pour vous.

Arrêt du programme

Le médecin traitant ou le promoteur peut vous retirer du programme sans votre autorisation, à tout moment, pour les raisons suivantes :

- Si vous ne suivez pas les instructions du médecin
- Si nous constatons que vous ne devriez pas participer au programme
- Si un traitement dont vous avez besoin n'est pas compatible avec la mexilétine LP
- Si vous tombez enceinte
- Si le programme est interrompu
- Si votre participation continue devient préjudiciable à votre santé ou s'il est jugé dans votre intérêt de ne plus participer au programme

RISQUES, EFFETS SECONDAIRES ET GÊNES POUR LES PARTICIPANTS

Les traitements médicaux entraînent souvent des effets indésirables. Vous pouvez ne ressentir aucun, certains ou tous les effets énumérés ci-dessous, et ceux-ci peuvent être légers, modérés ou graves. Si vous ressentez des effets indésirables ou si ceux-ci vous inquiètent, parlez-en à votre médecin traitant. Votre médecin vous posera des questions sur les effets indésirables et discutera avec vous de la meilleure façon de les gérer.

De nombreux effets secondaires disparaissent après peu de temps. Cependant, ils peuvent parfois être graves, durables ou permanents. Si un effet secondaire ou une réaction grave survient, votre médecin devra peut-être mettre fin à votre participation au programme.

Vous devez contacter votre médecin traitant ou le personnel infirmier dès que possible si vous pensez avoir un problème médical, des effets indésirables ou un changement dans votre état de santé. Les risques et inconforts possibles sont énumérés ci-dessous. Le médicament de ce programme étant encore en cours de développement, il peut exister d'autres risques ou effets indésirables qui ne sont pas encore connus.

Effets indésirables possibles de la mexilétine LP

Comme tous les médicaments, ce médicament peut provoquer des effets indésirables, bien que tout le monde n'en souffre pas.

Les effets indésirables les plus graves sont les suivants :

- Syndrome de Stevens-Johnson (SJS) : réaction allergique grave se manifestant par des éruptions cutanées, souvent sous forme de cloques et de lésions dans la bouche, les yeux et d'autres muqueuses. Il s'agit d'un effet indésirable très rare pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10 000.

- Une affection appelée DRESS, se caractérisant par des cloques cutanées, un malaise général et de la fièvre. Il s'agit d'un effet indésirable très rare pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 1 000.

- Arythmie et autres troubles du rythme cardiaque (bloc auriculo-ventriculaire, accélération du rythme cardiaque, fibrillation ventriculaire). Il s'agit d'effets indésirables fréquents, pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10 ; consultez la rubrique « Mises en garde et précautions » pour connaître les symptômes et obtenir plus d'informations.

- Allergie grave à la mexilétine (avec des symptômes tels qu'une éruption cutanée sévère accompagnée de fièvre) ; il s'agit d'un effet indésirable très rare, pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 1 000.

Contactez votre médecin ou rendez-vous immédiatement au service des urgences le plus proche si vous présentez l'un des effets indésirables mentionnés ci-dessus :

Autres effets indésirables pouvant survenir :

- Effets indésirables très fréquents (peuvent toucher plus d'une personne sur dix) :

- Douleurs abdominales (au ventre)

- Insomnie (difficultés à dormir)

- Effets indésirables fréquents (peuvent toucher jusqu'à 1 personne sur 10) :

- Somnolence (envie de dormir)
- Maux de tête
- Fourmillements dans les bras et les jambes
- Vision trouble
- Vertiges (sensation de perte d'équilibre)
- Accélération du rythme cardiaque
- Rougeurs
- Hypotension (qui peut provoquer des vertiges et une sensation de malaise)
- Nausées (sensation de malaise)
- Acné
- Douleurs dans les bras et les jambes
- Fatigue
- Faiblesse
- Gêne thoracique (dans la poitrine)
- Malaise (sensation générale d'inconfort et de maladie)

- Effets indésirables peu fréquents (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 100) :

- Convulsions (crises)
- Troubles de la parole
- Ralentissement du rythme cardiaque

- Effets indésirables rares (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 1 000) :

- Anomalies de la fonction hépatique (observées après analyse sanguine).

- Effets indésirables très rares (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10 000) :

- Lésions hépatiques (du foie), y compris une inflammation (hépatite)

- Fréquence inconnue (ne peut être estimée d'après les données disponibles) :

- Diminution du nombre de globules blancs ou de plaquettes
- Syndrome lupique (maladie du système immunitaire)
- Rougeurs et desquamation (décollement) de la peau
- Hallucinations (voir ou entendre quelque chose qui n'existe pas).
- Confusion passagère (incapacité temporaire à penser clairement ou à se concentrer)
- Vision double
- Altération du goût
- Évanouissement
- Bouffées de chaleur

- Fibrose pulmonaire (maladie des poumons)
- Diarrhée
- Vomissements
- Lésion de l'œsophage (conduit digestif)

Outre les risques et les désagréments énumérés ci-dessus, la mexilétine peut entraîner des effets secondaires inconnus, imprévus ou inattendus. Il existe toujours un risque que vous présentiez une réaction qui n'est actuellement ni connue ni attendue. Tous les médicaments peuvent provoquer une réaction allergique qui, si elle n'est pas traitée rapidement, peut mettre votre vie en danger. Il est donc très important que vous signaliez immédiatement tout problème de santé nouveau ou aggravé au médecin traitant, que vous pensiez ou non qu'il soit lié à la mexilétine LP. Si vous devez prendre d'autres médicaments, discutez-en avec le médecin traitant avant de les prendre.

Si, pour quelque raison que ce soit, vous consultez un autre médecin que votre médecin traitant ou le médecin responsable pendant le programme, vous devez l'informer que vous participez à un programme médical d'Urgence et lui présenter votre carte d'urgence.

Contraception et grossesse

Les femmes 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 n'avez pas l'intention de le devenir pendant le programme.

Les risques liés au médicament du programme pour un fœtus humain ou un nourrisson allaité ne sont pas connus à l'heure actuelle.

Si vous êtes une participante en âge de procréer, il est important que vous utilisiez une méthode contraceptive hautement efficace pendant toute la durée du programme et pendant les 30 jours suivant l'arrêt du traitement par la mexilétine LP. Les méthodes de contraception hautement efficaces présentent un risque de grossesse non désirée inférieur à 1 % sur une année, si elles sont utilisées correctement, conformément aux instructions du fabricant. Veuillez discuter avec votre médecin traitant de la méthode de contraception la plus appropriée pour vous, qui respecte également votre situation culturelle et religieuse. Voici quelques exemples de méthodes de contraception hautement efficaces :

1. L'abstinence totale (aucun rapport sexuel) lorsque cela correspond à votre mode de vie habituel et préféré. Les méthodes d'abstinence périodique telles que le calendrier, l'ovulation, la méthode symptothermique, la méthode post-ovulatoire et le retrait ne sont pas des méthodes de contraception acceptables.
2. La stérilisation féminine avant l'entrée dans le programme (ablation des deux ovaires et de l'utérus) ou la ligature des trompes au moins six semaines avant de prendre le médicament du programme.
3. Votre partenaire masculin a déjà été stérilisé.

4. Vous êtes dans une relation homosexuelle.
5. Utilisation de méthodes contraceptives hormonales orales, injectables ou implantables, ou pose d'un dispositif intra-utérin (DIU) ou d'un système intra-utérin (SIU), ou d'autres formes de contraception hormonale présentant une efficacité comparable (taux d'échec < 1 %), par exemple un anneau vaginal hormonal ou une contraception hormonale transdermique (en cas de contraception orale, vous devez avoir utilisé la même pilule à dose stable pendant au moins 3 mois avant de prendre le médicament du programme).

Si vous tombez enceinte ou pensez être enceinte pendant le programme ou dans les 30 jours suivant l'arrêt de la mexilétine LP, vous devez en informer immédiatement le médecin traitant et cesser immédiatement de prendre le médicament. Vous ne serez pas autorisée à poursuivre le traitement par la mexilétine LP si vous êtes enceinte. Votre médecin traitant assurera le suivi médical de votre grossesse afin de surveiller votre sécurité et celle de votre enfant.

En tant que participant masculin au programme, vous devez accepter d'utiliser un préservatif lors de vos rapports sexuels avec une partenaire féminine et de ne pas engendrer d'enfant pendant le programme et pendant les 30 jours suivant l'arrêt de la mexilétine LP. Votre partenaire féminine doit utiliser une méthode contraceptive hautement efficace si elle est sexuellement active et susceptible de tomber enceinte. Si vous engendrez un enfant pendant ce programme, il vous sera demandé de signaler la grossesse au médecin traitant. Le consentement de votre partenaire sera nécessaire pour permettre à votre médecin traitant de suivre médicalement le déroulement de cette grossesse afin de surveiller la sécurité de la mère et de l'enfant.

Nouvelles découvertes

Si de nouvelles informations concernant la sécurité du médicament du programme sont disponibles ou s'il y a d'autres nouvelles découvertes importantes susceptibles d'affecter les risques ou les bénéfices de ce programme, votre médecin traitant vous en informera. Vous pourrez alors décider si vous souhaitez continuer à participer au programme. Il se peut qu'on vous demande de signer une nouvelle version du formulaire de consentement après avoir discuté des nouvelles informations avec un membre du personnel du programme.

Comité d'éthique

Le Comité d'Ethique de la recherche UZ/KU Leuven et l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS) ont approuvé la conduite de ce programme et n'ont soulevé aucune objection quant aux objectifs, au traitement, aux méthodes et aux procédures du programme. Un comité d'éthique est un groupe indépendant de personnes qui veille à la protection des droits des participants.

Avantages potentiels du traitement

Comme vous avez reçu de la mexilétine LP dans le cadre de l'étude ACHILLES et si vous acceptez de poursuivre le traitement dans le cadre de ce programme, on s'attend

à ce que l'amélioration de votre myotonie non dystrophique observée précédemment soit maintenue.

Autres procédures ou traitements

Vous n'êtes pas obligé de participer à ce programme pour bénéficier d'un traitement adapté à votre affection. Vous pouvez également choisir de recevoir d'autres médicaments approuvés ou expérimentaux (si disponibles) plutôt que la mexilétine LP. Nous vous recommandons de discuter des différentes options avec votre médecin traitant avant de prendre votre décision quant à votre participation à ce programme.

QUI ORGANISE ET FINANCE LE PROGRAMME ?

Lupin Atlantis Holdings S.A., une société pharmaceutique, est le promoteur de ce programme. Lupin est responsable du lancement, de la collecte des données de sécurité, de la gestion et du financement du programme**.**

Coûts et compensation liés à la participation à ce programme

Vous ne recevrez aucune compensation financière pour votre participation à ce programme. Vous n'aurez pas à payer pour la mexilétine LP, car Lupin Atlantis Holding SA vous la fournira gratuitement

Indemnisation en cas de préjudice résultant du traitement

Il est important que vous suiviez attentivement toutes les instructions données par le médecin traitant et son équipe concernant ce traitement et que vous informiez votre médecin traitant dès que vous vous sentez mal ou que vous subissez un préjudice pendant votre participation à ce programme. Vous pouvez en informer votre médecin traitant en personne ou l'appeler au numéro de téléphone indiqué sur la première page de ce formulaire.

Si, au cours de ce programme, vous subissez une blessure, une maladie ou un effet indésirable, vous bénéficierez de soins médicaux appropriés, mais les frais ne seront pris en charge ni par Lupin ni par le site. Comme ce programme n'est pas une étude clinique, contrairement à l'étude ACHILLES précédente, aucune assurance spécifique ne le couvrira. Les règles de responsabilité générale restent applicables. Vous/votre assurance maladie prendra en charge les frais comme d'habitude. Aucune indemnisation financière pour des éléments tels que la perte de salaire, l'invalidité ou la gêne due à la blessure ou à la maladie ne sera versée par le promoteur.

Financement

Votre médecin traitant ne recevra aucun financement de la part de Lupin ou de ses agents pour sa participation au MNP.

VIE PRIVÉE ET CONFIDENTIALITÉ

Responsable du traitement

En tant que prestataire de soins de santé, votre médecin est le principal responsable du traitement de vos données à caractère personnel. Dans le cadre du MNP, la pseudonymisation (codage) de vos données à caractère personnel est effectuée sous la responsabilité du médecin responsable. En outre, le promoteur est le responsable du traitement lié à la tenue des dossiers concernant l'éligibilité et la sécurité des patients.

Finalités du traitement

Dans le cadre d'un programme médical d'urgence en Belgique, le promoteur du programme ne reçoit que les informations nécessaires pour confirmer que vous êtes éligible au traitement et pour garantir votre sécurité tout au long de son utilisation. Le promoteur ne reçoit aucune donnée identifiante mais uniquement votre code patient et des informations médicales essentielles fournies par votre médecin traitant. Le promoteur ne reçoit pas l'intégralité de votre dossier médical, et votre médecin reste le principal gardien de vos informations de santé.

Des données minimales relatives à l'efficacité et à la sécurité recueillies lors du suivi médical de routine par le médecin traitant peuvent être analysées et présentées sous une forme agrégée et anonymisée. Ces données anonymisées peuvent être partagées avec le promoteur et, le cas échéant, avec la communauté scientifique et médicale au sens large dans le cadre de publications scientifiques, de présentations lors de congrès ou de forums professionnels similaires.

Vos données sont protégées par le cadre juridique belge relatif à l'usage compassionnel, notamment l'arrêté royal du 25 avril 2014 régissant les programmes médicaux d'urgence et l'usage compassionnel, ainsi que le Règlement général sur la protection des données (RGPD). Ces lois exigent que vos informations ne soient partagées qu'à des fins clairement définies, stockées de manière sécurisée et accessibles uniquement aux personnes autorisées impliquées dans la conduite sûre et conforme du programme. Des mesures de sécurité techniques et organisationnelles sont en place pour empêcher tout accès non autorisé, et toutes les parties concernées doivent respecter des obligations de confidentialité strictes. L'accès est limité aux personnes autorisées impliquées dans vos soins ou dans la garantie d'une utilisation sûre du traitement.

Événement indésirable

Si vous subissez un effet indésirable alors que vous suivez un traitement dans le cadre d'un programme médical d'urgence en Belgique, votre médecin traitant pourrait être amené à communiquer des informations médicales supplémentaires au promoteur. Cela est nécessaire pour comprendre ce qui s'est passé, pour garantir votre sécurité et pour respecter les obligations légales en matière de surveillance et de notification des problèmes de sécurité. Même dans ce cas, seules les informations strictement nécessaires à l'évaluation de l'effet indésirable sont communiquées, et votre dossier médical complet n'est jamais divulgué.

Inspection

Dans de rares cas, l'Agence fédérale belge des médicaments et des produits de santé (AFMPS) peut inspecter le programme afin de vérifier qu'il est mené en toute sécurité et conformément à la loi. Au cours d'une telle inspection, les autorités

peuvent examiner les dossiers des patients ou les registres du promoteur, mais uniquement dans le respect de règles de confidentialité strictes et à des fins de contrôle réglementaire. Votre vie privée reste protégée à tout moment, et tout accès à vos informations est régi par les mêmes garanties légales.

Transfert de données

Dans certaines situations, certaines parties de vos données peuvent être transférées vers des pays situés en dehors de l'Union européenne, par exemple lorsque le promoteur ou ses équipes de surveillance de la sécurité sont basés à l'étranger. Même dans ces cas, vos informations restent pleinement protégées. Tout transfert doit respecter les garanties requises par le Règlement général sur la protection des données (RGPD), telles que l'utilisation de protections contractuelles approuvées, de systèmes sécurisés et de contrôles d'accès stricts. Ces mesures garantissent que votre vie privée, la confidentialité de vos informations médicales et la sécurité de vos données sont préservées selon les mêmes normes élevées qu'au sein de l'UE.

Conservation des données

Le promoteur est tenu par la loi de conserver les données d'éligibilité et de sécurité pendant au moins 10 ans après la fin du programme.

Vos droits en tant que participant

En tant que participant, vous disposez également des droits suivants concernant vos données à caractère personnel :

- Droit de demander l'accès à vos données à caractère personnel détenues par votre médecin traitant et le promoteur.
- Droit de corriger toute inexactitude dans vos données personnelles.
- Droit à l'effacement (droit à l'oubli), ce qui signifie que, sur votre demande, votre médecin traitant et le promoteur doivent effacer les données à caractère personnel vous concernant qui sont stockées. Le droit à l'oubli n'est pas absolu (garanti) et ne s'applique que sous certaines conditions.
- Droit de limiter le traitement de vos données à caractère personnel ; par exemple, si le traitement est illicite ou si les données à caractère personnel ne sont plus nécessaires aux fins du traitement mais sont requises par vous pour la constatation, l'exercice ou la défense de droits, par exemple à titre de documentation ou de preuve.
- Droit de vous opposer au traitement de vos données à caractère personnel ; cela ne s'applique que sous certaines conditions.
- Droit de recevoir vos données à caractère personnel et de les transférer à un tiers.
- Droit de retirer votre consentement au traitement des données (le cas échéant) ; s'il existe une autre base juridique, toutes les données collectées avant votre retrait peuvent toujours être traitées.

Où pouvez-vous obtenir plus d'informations sur l'utilisation de vos données ?

- en vous adressant à votre médecin traitant

- en envoyant un e-mail au délégué à la protection des données du promoteur : dpo@lupin.com

Vous disposez également d'un droit de recours auprès d'une autorité de contrôle de la protection des données. Si vous avez des préoccupations concernant le traitement de vos données à caractère personnel, vous pouvez contacter les organismes suivants :

Autorité belge de protection des données (APD, Autorité de protection des données en français ou GBA, Gegevensbeschermingsautoriteit en néerlandais)

Rue de la Presse 35
Drukpersstraat 35 1000 Bruxelles / Brussel
Belgique
E-mail : contact@apd-gba.be
www.dataprotectionauthority.be

Contacts

Si vous avez des questions concernant le programme, veuillez contacter :

Fonction	Nom	Numéro de téléphone

Papier à en-tête de l'hôpital

Formulaire de consentement éclairé

Titre du projet	Programme Médical d'Urgence (Medical Need program, MNP)pour la mexilétine LP chez les patients atteints de myotonies non dystrophiques ayant participé à l'étude ACHILLES en Belgique
Promoteur	Lupin Atlantis Holdings S.A. Landis + Gyr Strasse 1 6300 Zoug Suisse
Responsable	Alla Zozulya-Weidenfeller, PhD Lupin Atlantis Holdings S.A.
Médecin responsable	Pr Kristl Claeys Département de neurologie UZ Leuven | campus Gasthuisberg | Herestraat 49 | B - 3000 Louvain | Belgique
Médecin traitant :	Nom …… Téléphone …… E-mail ……

	Veuillez apposer vos initiales
1. Je confirme avoir lu et compris la fiche d'information destinée aux patients datée du <insérer la date> Version <insérer le numéro de version> relative au programme susmentionné et avoir eu la possibilité de poser des questions auxquelles j'ai obtenu des réponses exhaustives.	
2. Je comprends que ma participation est volontaire et que je suis libre de me retirer à tout moment, sans avoir à fournir de motif, sans que cela n'affecte les soins médicaux auxquels j'ai droit en dehors du programme, ni mes droits légaux.	
3. Je comprends que certaines parties de mon dossier médical ou des dossiers du programme peuvent être examinées par des personnes responsables/autorisées de Lupin, de l'équipe médicale et/ou des autorités sanitaires et réglementaires. J'autorise ces parties et ces personnes à accéder à mes dossiers lorsque cela est pertinent pour ce programme.	

4. J'accepte que les données anonymisées et agrégées relatives à l'efficacité et à la sécurité issues de mon suivi de routine puissent être partagées avec le promoteur et, le cas échéant, présentées par mes médecins traitants lors de forums scientifiques ou médicaux.	
5. Je comprends que j'ai le droit de demander l'accès à mon dossier médical, de rectifier, d'effacer ou de restreindre l'accès à mes notes personnelles, et on m'a expliqué comment procéder ainsi que les éventuelles limitations qui pourraient s'appliquer.	
6. Je comprends que mes données personnelles codées pourraient être transmises en dehors de la Belgique et de l'Espace économique européen.	
7. Je comprends que mes données à caractère personnel seront collectées, utilisées et divulguées comme décrit dans la fiche d'information du patient datée du <insérer la date> version <insérer le numéro de version> pour le programme susmentionné.	
8. Je comprends que je recevrai une copie du formulaire de consentement éclairé signé et daté, ainsi que de toute mise à jour.	
9. J'accepte de participer au programme susmentionné et mon consentement reste valable jusqu'à ce que je le révoque.	

Patient – nom	Signature	Date
Aide-soignant (le cas échéant) **–** nom en lettres majuscules (légalement autorisé à agir en tant que représentant personnel pour signer au nom de [nom du patient])	Signature	Date

Moi, le soussigné [nom, prénom], médecin traitant de [nom patient, prénom], déclare avoir fourni oralement les informations nécessaires sur le traitement avec mexilétine ainsi qu'avoir remis une copie du document d'information au patient. Je confirme qu'aucune pression n'a été exercée sur le patient pour qu'il accepte ce traitement et

je suis prêt à répondre à toute question supplémentaire. Je déclare que [nom patient, prénom] souffre de (à remplir : maladie/affection) et ne peut pas être correctement traité avec les médicaments actuellement disponibles sur le marché belge ou sous dérogation hospitalière, ou avec une préparation magistrale. Sans traitement adapté (ou lors du traitement avec des médicaments enregistrés), on peut s'attendre à ce que le risque de conséquences dû au manque de traitement soit supérieur au risque de conséquences liées au début du traitement. Je suis conscient que commencer et suivre le traitement avec la mexilétine pour ce patient spécifique relève entièrement de ma responsabilité

Représentant de l'équipe médicale – saisir le nom (médecin traitant qui a présenté/expliqué le document)	Signature	Date

Briefpapier van het ziekenhuis

Informatieformulier voor patiënten

Projecttitel	Medisch Noodprogramma (MNP) voor Mexiletine PR bij patiënten met niet-dystrofische myotonie die hebben deelgenomen aan de ACHILLES-studie in België
Opdrachtgever	Lupin Atlantis Holdings S.A. Landis + Gyr Strasse 1 6300 Zug - Zwitserland
Verantwoordelijke	Alla Zozulya-Weidenfeller, PhD Lupin Atlantis Holdings S.A.
Verantwoordelijke arts	Prof. dr. Kristl Claeys Afdeling Neurologie UZ Leuven | campus Gasthuisberg | Herestraat 49 | B-3000 Leuven | België
Behandelend arts	**Naam** …… **Telefoon** …… **E-mail** ……

In dit informatieformulier voor patiënten met betrekking tot geïnformeerde toestemming verwijst 'u' altijd naar de patiënt die is ingeschreven voor het MNP. Dit informatieformulier voor patiënten bevat belangrijke informatie om u te helpen beslissen of u aan dit programma wilt deelnemen.

Lees dit informatieformulier zorgvuldig door

Stel op elk moment vragen over alles wat onduidelijk is. Uw arts zal de informatie in dit document uitvoerig met u bespreken en eventuele risico's aan u uitleggen. U kunt een ongetekend exemplaar van dit informatieblad mee naar huis nemen om erover na te denken en het met familie of vrienden te bespreken.

- **Deelname aan een MNP is vrijwillig – het is uw keuze of u al dan niet deelneemt.**
- **Als u aan dit programma deelneemt, kunt u op elk moment stoppen zonder opgave van redenen.**
- **Doe niet mee aan dit programma voordat al uw vragen zijn beantwoord.**

Na het lezen en bespreken van de informatie in dit informatieblad dient u het volgende te begrijpen:

- Waarom dit programma wordt uitgevoerd;
- Wat er tijdens het programma zal gebeuren;
- De mogelijke voordelen voor u;
- De mogelijke risico's voor u;
- Andere opties waaruit u kunt kiezen in plaats van deelname aan dit programma;
- Hoe uw persoonlijke gezondheidsgegevens zullen worden behandeld tijdens het programma en nadat het programma is afgelopen;

- Of deelname aan dit programma kosten voor u met zich mee kan brengen; en
- Wat u moet doen als u problemen of vragen heeft over dit programma.

U wordt uitgenodigd om een vrijwillige deelname aan een Medisch Noodprogramma (MNP) te overwegen, zodat u na uw deelname aan de ACHILLES-studie toegang krijgt tot een behandeling met mexiletine PR voor uw niet-dystrofische myotonie. Uw behandelend arts adviseert deze behandeling omdat deze uw toestand kan verbeteren.

'MNP's bieden toegang tot geneesmiddelen die nog niet in de handel verkrijgbaar zijn voor patiënten die lijden aan ernstige of onmiddellijk levensbedreigende ziekten en die geen vergelijkbare of bevredigende alternatieve behandelingsopties hebben, met inbegrip van deelname aan klinische studies.

U ontvangt Mexiletine PR kosteloos, en dit totdat Mexiletine PR in België op de markt wordt gebracht. Tijdens uw deelname aan ACHILLES heeft u deze behandeling met Mexiletine PR-granulaat voor orale suspensie al ontvangen en heeft uw behandelend arts vastgesteld dat u baat heeft gehad bij deze behandeling. Als u vindt dat u geen baat heeft gehad bij deze behandeling en niet wilt doorgaan, hoeft u dit alleen maar aan uw behandelend arts te melden. Mocht u willen doorgaan, dan helpt dit document u om de behandeling te begrijpen en te weten wat uw deelname aan dit programma inhoudt. Om u in staat te stellen een weloverwogen beslissing te nemen over uw deelname aan dit programma, beschrijft dit document het doel van het programma, uw rechten en plichten, en de risico's van deelname aan het programma. Neem alstublieft de tijd om de volgende informatie zorgvuldig door te lezen. Uw behandelend arts of het personeel zal het programma aan u uitleggen. U kunt uw beslissing bespreken met uw familie en vrienden.

Zodra u op de hoogte bent van het programma en de procedures die zullen worden uitgevoerd, wordt u gevraagd een toestemmingsformulier te ondertekenen om aan dit programma deel te nemen. Deelname aan dit programma is uw eigen keuze. Als u besluit deel te nemen aan dit programma, kunt u op elk moment zonder opgave van redenen uit het programma stappen. Wat u ook besluit te doen, er zijn geen nadelige gevolgen voor u en het verlaten van dit programma heeft geen invloed op uw reguliere medische zorg of uw relatie met degenen die u behandelen. Als u ervoor kiest om niet aan dit programma deel te nemen, kunt u uw reguliere medische zorg bespreken met de behandelend arts van het programma. Door deel te nemen aan dit programma draagt u bij aan de vooruitgang van de medische kennis en helpt u mogelijk om behandelingen voor anderen in de toekomst te verbeteren.

BESCHRIJVING VAN HET PROGRAMMA

Het doel van het programma

Het doel van het MNP is om Mexiletine PR beschikbaar te stellen aan patiënten met niet-dystrofische myotonie die hebben deelgenomen aan de ACHILLES klinische studie. Dit is geen klinische studie zoals ACHILLES was.

Het geneesmiddel voor onderzoek Mexiletine PR zal worden verstrekt aan in aanmerking komende patiënten die zijn ingeschreven in dit MNP. Een 'geneesmiddel voor onderzoek' betekent in dit geval dat Mexiletine PR nog niet is goedgekeurd door

het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG), het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) of enige andere gezondheidsautoriteit.

Het geneesmiddel

Het geneesmiddel dat in dit programma wordt gebruikt, heet Mexiletine granulaat met vertraagde afgifte voor orale suspensie (mexiletine PR). Een geneesmiddel met vertraagde afgifte is een geneesmiddel waarvan de afgifte in de loop van de tijd wordt gereguleerd, zodat het langzamer en gedurende een langere periode in het lichaam wordt opgenomen.

Mexiletine PR-poeder voor orale suspensie is ontwikkeld om de slikbaarheid en de verdraagbaarheid te verbeteren en om eenmaal dagelijkse dosering mogelijk te maken, met eenvoudige dosisaanpassing ter ondersteuning van een betere ervaring voor de patiënt.

Het geneesmiddel wordt u oraal (via de mond) toegediend als u aan het programma deelneemt. Het wordt geleverd als gebroken wit tot geel gekleurd korrelig poeder in zakjes met een enkele dosis. De methode voor het oplossen van het geneesmiddel in water wordt in een apart document (doseringsinstructies) verstrekt. U neemt uw medicatie dagelijks eenmaal thuis in, bij de maaltijd, elke dag op ongeveer hetzelfde tijdstip, bij voorkeur 's ochtends.

Medicijnen voor hartproblemen:

Het innemen van mexiletine samen met sommige medicijnen die worden gebruikt om hartritmestoornissen te behandelen, kan het risico op ernstige hartritmestoornissen verhogen, wat levensbedreigend kan zijn. Vanwege dit risico mag mexiletine niet samen met bepaalde hartritmemedicijnen worden gebruikt. Uw arts weet welke medicijnen u moet vermijden.

Sommige andere hartmedicijnen kunnen ook invloed hebben op hoe mexiletine werkt of het risico op bijwerkingen verhogen. Deze combinaties worden over het algemeen niet aangeraden of vereisen nauwlettend toezicht. Uw arts zal bepalen of deze medicijnen samen gebruikt kunnen worden.

Het is heel belangrijk dat u uw behandelend arts en team volledig informeert over al uw eerdere en huidige medische aandoeningen, evenals alle medicijnen die u gebruikt, inclusief niet-voorgeschreven producten. Het is ook essentieel dat u nooit medicijnen slikt die door een andere arts zijn voorgeschreven zonder uw behandelend arts hiervan op de hoogte te stellen.

Wie komt in aanmerking voor het programma?

Mensen vanaf 18 jaar met een genetisch bevestigde diagnose van niet-dystrofische myotonieën die hebben deelgenomen aan de ACHILLES-studie, kunnen aan het programma deelnemen.

Vereisten voor deelname aan het programma

Voordat u aan het programma kunt deelnemen moet uw behandelend arts een verzoek indienen bij een andere arts, de zogenaamde 'verantwoordelijke arts', die zal beoordelen of u in aanmerking komt voor het MNP. De verantwoordelijke arts houdt toezicht op het MNP in België. Als de verantwoordelijke arts goedkeuring verleent, kan

uw behandelend arts Lupin verzoeken om Mexiletine PR voor u beschikbaar te stellen.

Om deel te nemen aan de ACHILLES-studie heeft uw behandelend arts gecontroleerd of u aan bepaalde criteria voldeed. Sommige daarvan kunnen tijdens uw deelname aan het programma opnieuw en op regelmatige basis worden gecontroleerd.

Vertel de behandelende arts welke medicijnen u gebruikt of als er wijzigingen zijn in uw huidige medicatie. Dit omvat zowel geneesmiddelen op voorschrift, vrij verkrijgbare geneesmiddelen en vitamines. Neem onmiddellijk contact op met uw behandelende arts of het personeel van de onderzoekscentra als u ongewone of onverwachte symptomen ervaart.

Als u wordt gevraagd om deel te nemen aan een andere klinische studie met een geneesmiddel voor onderzoek, dient u uw behandelend arts hiervan op de hoogte te stellen.

Door het toestemmingsformulier voor dit programma te ondertekenen, geeft u uw behandelend arts toestemming om tests en evaluaties uit te voeren om te bepalen of u kunt blijven deelnemen. Als uw behandelend arts u beoordeelt en vaststelt dat u niet in aanmerking komt om door te gaan met dit programma, zal hij of zij andere behandelingsopties met u bespreken die voor u mogelijk zijn.

- **Lichamelijk onderzoek**
  Tijdens het programma zal op verschillende momenten een volledig lichamelijk onderzoek worden uitgevoerd. Het lichamelijk onderzoek omvat de volgende gebieden en systemen: algemeen uiterlijk, hoofd en nek, hart, longen, buik, borstkas en rug, bovenste ledematen, onderste ledematen, neurologisch en dermatologisch. Daarnaast worden uw lengte en gewicht geregistreerd.
- **Vitale functies**
  Uw hartslag, bloeddruk, temperatuur en ademhalingsfrequentie worden op verschillende momenten tijdens het programma gemeten.
- **Bijwerkingen**
  Tijdens uw deelname aan dit programma wordt u gevraagd hoe u zich voelt en of er veranderingen in uw gezondheid zijn opgetreden of dat u bijwerkingen heeft ondervonden.

WAT WORDT ER VAN MIJ ALS DEELNEMER VERWACHT?

Patiënten die deelnemen aan het Medisch Noodprogrammahebben bepaalde verantwoordelijkheden. Zolang u aan het programma deelneemt, dient u:

- De instructies opvolgen die u krijgt van uw behandelend arts en zijn of haar medewerkers.
- Naar het ziekenhuis komen voor alle bezoeken aan de behandelende arts of het personeel.
- Zelf de volledige controle en het bezit van het geneesmiddel behouden nadat het aan u is verstrekt.

- Alle ongebruikte medicatie teruggeven aan de behandelende arts of het personeel.
- De behandelende arts of het personeel op de hoogte brengen van eventuele veranderingen in uw gezondheid of hoe u zich voelt, ongeacht of u denkt dat deze verband houden met het programma.
- Breng de behandelende arts of het personeel op de hoogte van eventuele veranderingen in de medicijnen die u gebruikt, inclusief vitamines, kruiden- en traditionele geneesmiddelen.

Het is belangrijk dat u regelmatig contact houdt met uw behandelend arts, zelfs als u niet langer aan het programma wilt deelnemen, zodat hij/zij uw gezondheidstoestand kan volgen, aangezien er nog steeds onbekende of onverwachte bijwerkingen van het medicijn of de medicijnen kunnen optreden.

Recht op terugtrekking

Deelname is vrijwillig. Als u ervoor kiest om uw deelname aan dit programma te beëindigen, neem dan contact op met uw behandelend arts om een plan op te stellen voor uw verdere medische zorg. U bent vrij om op elk moment te besluiten uw deelname te beëindigen. Als u besluit om niet langer deel te nemen aan het MNP, zijn er geen negatief gevolg voor u en verliest u geen voordelen waarop u recht heeft.

Informeer uw behandelend arts of zijn/haar medewerkers als u besluit de medicatie te onderbreken of te stoppen. Mogelijk wordt u gevraagd terug te keren naar het ziekenhuis om te controleren hoe het met u gaat. U dient dan alle ongebruikte medicatie in te leveren bij de kliniek.

Duur van het programma

Het programma loopt door totdat mexiletine PR in België op de markt wordt gebracht. U kunt dit programma zo lang voortzetten als u wilt en wanneer mexiletine PR in België beschikbaar komt, wordt u overgeschakeld op het in de handel verkrijgbare product als uw arts van mening is dat dit nog steeds de beste behandelingsoptie voor u is.

Beëindiging van het programma

De behandelende arts of de sponsor kan u op elk moment zonder uw toestemming uit het programma halen om de volgende redenen:

- Als u de instructies van de arts niet opvolgt
- Als wij vaststellen dat u niet aan het programma zou mogen deelnemen
- Als een behandeling die u nodig heeft niet compatibel is met mexiletine PR
- Als u zwanger wordt
- Als het programma wordt stopgezet
- Als uw voortgezette deelname schadelijk wordt voor uw gezondheid of als het anderszins in uw belang wordt geacht om niet langer aan het programma deel te nemen

RISICO'S, BIJWERKINGEN EN ONGEMAKKEN VOOR DEELNEMERS

Medische behandelingen veroorzaken vaak bijwerkingen. U kunt geen, enkele of alle hieronder genoemde bijwerkingen ondervinden, en deze kunnen mild, matig of ernstig zijn. Als u bijwerkingen heeft of u zich hierover zorgen maakt, neem dan contact op met uw behandelend arts. Uw arts zal u vragen stellen over bijwerkingen en zal met u bespreken wat de beste manier is om eventuele bijwerkingen te behandelen.

Veel bijwerkingen verdwijnen na korte tijd. Soms kunnen bijwerkingen echter ernstig, langdurig of blijvend zijn. Als er een ernstige bijwerking of reactie optreedt, kan het zijn dat uw arts uw deelname aan het programma moet stopzetten.

Neem zo snel mogelijk contact op met uw behandelend arts of verpleegkundigen als u denkt dat u een medisch probleem, bijwerkingen of een verandering in uw medische toestand of gezondheid heeft. Mogelijke risico's en ongemakken staan hieronder vermeld. Aangezien het MNP geneesmiddel nog in ontwikkeling is, kunnen er andere risico's of bijwerkingen zijn die nog niet bekend zijn.

Mogelijke bijwerkingen van Mexiletine PR

Zoals alle geneesmiddelen kan dit geneesmiddel bijwerkingen veroorzaken, hoewel niet iedereen deze krijgt.

De ernstigste bijwerkingen zijn:

- Stevens-Johnson-syndroom (SJS): een ernstige allergische reactie met huiduitslag, vaak in de vorm van blaren en zweertjes in de mond en ogen en op andere slijmvliezen. Dit is een zeer zeldzame bijwerking die bij maximaal 1 op de 10.000 mensen kan voorkomen.
- Een aandoening genaamd DRESS met blaren op de huid en een gevoel van onwelzijn met koorts. Dit is een zeer zeldzame bijwerking die bij maximaal 1 op de 1.000 mensen kan voorkomen.
- Aritmie en andere hartritmestoornissen (atrioventriculair blok, snelle hartslag, ventriculaire fibrillatie). Dit zijn veel voorkomende bijwerkingen die bij maximaal 1 op de 10 mensen kunnen voorkomen; zie de rubriek ‘Waarschuwingen en voorzorgsmaatregelen’ voor symptomen en meer informatie.
- Ernstige allergie voor mexiletine (met symptomen zoals ernstige huiduitslag met koorts); dit is een zeer zeldzame bijwerking die bij maximaal 1 op de 1.000 mensen kan voorkomen.

Neem onmiddellijk contact op met uw arts of ga naar de dichtstbijzijnde spoedeisende hulp als u een van de bovengenoemde bijwerkingen ervaart.

Andere bijwerkingen die kunnen optreden:

- *Zeer vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen bij meer dan 1 op de 10 mensen voorkomen):*
  - Buikpijn
  - Slapeloosheid (moeilijkheden met slapen)

- *Vaak voorkomende bijwerkingen (kunnen bij maximaal 1 op de 10 mensen voorkomen):*
  - Slaperigheid
  - Hoofdpijn
  - Tintelingen in de armen en benen
  - Wazig zicht
  - Duizeligheid (gevoel van evenwichtsverlies)
  - Snelle hartslag
  - Blozen
  - Lage bloeddruk (wat duizeligheid en een flauw gevoel kan veroorzaken)
  - Misselijkheid
  - Acne
  - Pijn in de armen en benen
  - Vermoeidheid
  - Zwakte
  - Ongemak op de borst
  - Algeheel onwelzijn (een gevoel van algemeen ongemak en ziekte)

- *Soms voorkomende bijwerkingen (kunnen bij maximaal 1 op de 100 mensen voorkomen):*
  - Convulsies (stuiptrekkingen)
  - Spraakstoornissen
  - Trage hartslag

- *Zeldzame bijwerkingen (kunnen bij maximaal 1 op de 1.000 mensen voorkomen):*
  - Afwijkende leverfunctie (vastgesteld na bloedonderzoek).

- *Zeer zeldzame bijwerkingen (kunnen bij maximaal 1 op de 10.000 mensen voorkomen):*
  - Leverbeschadiging, waaronder ontsteking (hepatitis)

- *Niet bekend (de frequentie kan niet worden geschat op basis van de beschikbare gegevens):*
  - Afname van het aantal witte bloedcellen of bloedplaatjes
  - Lupussyndroom (aandoening van het immuunsysteem)
  - Roodheid en vervelling van de huid
  - Hallucinaties (iets zien of horen dat er niet is).
  - Voorbijgaande verwarring (een tijdelijk onvermogen om helder te denken of zich te concentreren)
  - Dubbel zicht

- Veranderd smaakgevoel
- Flauwvallen
- Opvliegers
- Longfibrose (longziekte)
- Diarree
- Braken
- Letsel aan de slokdarm

Naast de hierboven genoemde risico's en ongemakken kan mexiletine onbekende, onvoorziene of onverwachte bijwerkingen hebben. Er bestaat altijd de mogelijkheid dat u een reactie krijgt die op dit moment niet bekend of verwacht is. Alle medicijnen kunnen een allergische reactie veroorzaken die, indien deze niet onmiddellijk wordt behandeld, levensbedreigend kan zijn. Daarom is het van groot belang dat u nieuwe of verergerde gezondheidsproblemen onmiddellijk meldt aan uw behandelend arts, ongeacht of u denkt dat dit verband houdt met de mexiletine PR of niet. Als u andere medicijnen moet gebruiken, bespreek dit dan met uw behandelend arts voordat u deze inneemt.

Als u om welke reden dan ook tijdens het programma met een andere arts dan uw behandelend arts of de verantwoordelijke arts spreekt, moet u hem/haar informeren dat u deelneemt aan een Medisch Noodprogrammaen uw noodkaart tonen.

Anticonceptie en zwangerschap

Vrouwen die zwanger zijn of borstvoeding geven, kunnen niet aan dit programma deelnemen. U moet naar beste vermogen bevestigen dat u op dit moment niet zwanger bent en dat u niet van plan bent zwanger te worden tijdens het programma.

De risico's van de medicatie in het programma voor een ongeboren menselijke foetus of een zuigeling zijn momenteel niet bekend.

Als u een vrouwelijke deelnemer bent in de vruchtbare leeftijd, is het belangrijk dat u gedurende het hele programma en gedurende 30 dagen na het staken van mexiletine PR een zeer effectieve vorm van anticonceptie gebruikt. Zeer effectieve anticonceptiemethoden hebben een kans van minder dan 1% op een ongewenste zwangerschap gedurende één jaar, mits ze correct worden gebruikt volgens de instructies van de fabrikant. Bespreek met uw behandelend arts welke anticonceptiemethode voor u het meest geschikt is en tevens rekening houdt met uw culturele en religieuze situatie. Voorbeelden van zeer effectieve anticonceptiemethoden zijn:

1. Volledige onthouding (geen seksuele betrekkingen) wanneer dit in overeenstemming is met uw gewenste en gebruikelijke levensstijl. Periodieke onthouding, zoals de kalendermethode, de ovulatiemethode, de symptothermische methode, de post-ovulatiemethode en de terugtrekmethode, zijn geen aanvaardbare anticonceptiemethoden.

2. Sterilisatie van de vrouw vóór aanvang van het programma (verwijdering van beide eierstokken en de baarmoeder) of tubaligatie (het 'afbinden van de eileiders') ten minste zes weken vóór het innemen van het medicijn van het programma.
3. Uw mannelijke partner is al gesteriliseerd.
4. U hebt een relatie met iemand van hetzelfde geslacht.
5. Gebruik van orale, geïnjecteerde of geïmplanteerde hormonale anticonceptiemethoden of het plaatsen van een spiraaltje (IUD) of een intra-uterien systeem (IUS) of andere vormen van hormonale anticonceptie met een vergelijkbare werkzaamheid (falingspercentage <1%), bijvoorbeeld een hormonale vaginale ring of transdermale hormonale anticonceptie (in het geval van orale anticonceptie dient u minimaal 3 maanden vóór het innemen van het programmageneesmiddel dezelfde pil in een stabiele dosering te hebben gebruikt).

Als u zwanger wordt of denkt dat u zwanger bent tijdens het programma of binnen 30 dagen na het stoppen met mexiletine PR, moet u de behandelend arts onmiddellijk op de hoogte stellen en moet u onmiddellijk stoppen met het innemen van de medicatie. U mag de behandeling met mexiletine PR niet voortzetten als u zwanger bent. Uw behandelend arts zal de uitkomst van uw zwangerschap medisch volgen om de veiligheid van u en uw kind te bewaken.

Als mannelijke deelnemer aan het programma moet u ermee instemmen om een condoom te gebruiken tijdens geslachtsgemeenschap met een vrouwelijke partner en om geen kind te verwekken tijdens het programma en gedurende de periode van 30 dagen na het stoppen met mexiletine PR. Uw vrouwelijke partner moet een zeer effectieve vorm van anticonceptie gebruiken als zij seksueel actief is en zwanger zou kunnen worden. Als u tijdens dit programma een kind verwekt, wordt u gevraagd de zwangerschap aan de behandelend arts te melden. Er is toestemming van uw partner nodig om uw behandelend arts in staat te stellen de uitkomst van deze zwangerschap medisch te volgen om de veiligheid van de moeder en het kind te bewaken.

Nieuwe bevindingen

Als er nieuwe informatie over de veiligheid van het geneesmiddel in het programma beschikbaar komt of als er andere belangrijke nieuwe bevindingen zijn die van invloed kunnen zijn op de risico's of voordelen van dit programma, zal uw behandelend arts u hiervan op de hoogte stellen. U kunt dan beslissen of u aan het programma wilt blijven deelnemen. Mogelijk wordt u gevraagd een nieuwe versie van het toestemmingsformulier te ondertekenen nadat u de nieuwe informatie met een medewerker van het programma heeft besproken.

Ethische commissie

De Ethische Commissie voor Onderzoek UZ/KU Leuven en het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) hebben met het uitvoeren van dit programma ingestemd en hebben geen bezwaren tegen de doelstellingen,

behandeling, methoden en procedures van het programma.Een ethische commissie is een onafhankelijke groep mensen die ervoor zorgt dat de rechten van de proefpersonen worden beschermd.

Mogelijke voordelen van de behandeling

Aangezien u in het ACHILLES-onderzoek mexiletine PR heeft gekregen en als u ermee instemt de behandeling voort te zetten als onderdeel van dit programma, wordt verwacht dat de verbetering van uw niet-dystrofische myotonie ten opzichte van voorheen zal aanhouden.

Alternatieve procedures of behandelingen

U hoeft niet aan dit programma deel te nemen om voor uw aandoening behandeld te worden. U kunt er ook voor kiezen om andere goedgekeurde of geneesmiddelen voor onderzoek (indien beschikbaar) te gebruiken in plaats van mexiletine PR. Bespreek de mogelijkheden met uw behandelend arts voordat u een beslissing neemt over deelname aan dit programma.

WIE ORGANISEERT EN FINANCIERT HET PROGRAMMA?

Lupin Atlantis Holdings S.A., een farmaceutisch bedrijf, is de sponsor van dit programma. Lupin is verantwoordelijk voor de start, het verzamelen van veiligheidsgegevens, het onderhoud en de financiering van het programma**.**

Kosten en vergoeding voor deelname aan dit programma

U ontvangt geen financiële vergoeding voor deelname aan dit programma. U hoeft niet te betalen voor mexiletine PR, aangezien Lupin Atlantis Holding SA dit gratis ter beschikking stelt.

Vergoeding voor letsel als gevolg van de behandeling

Het is belangrijk dat u alle instructies van de behandelend arts en zijn/haar medewerkers met betrekking tot deze behandeling zorgvuldig opvolgt en dat u uw behandelend arts op de hoogte stelt wanneer u zich ziek voelt of letsel oploopt tijdens uw deelname aan dit programma. U kunt dit persoonlijk aan uw behandelend arts melden of hem/haar bellen op het telefoonnummer dat op de eerste pagina van dit formulier staat vermeld.

Mocht u tijdens dit programma letsel, ziekte of een bijwerking oplopen, dan krijgt u adequate medische zorg, maar de kosten worden niet gedekt door Lupin of het ziekenhuis. Omdat dit programma geen klinische studie is, in tegenstelling tot de eerdere ACHILLES-studie, zal geen specifieke verzekering het dekken. De algemene aansprakelijkheidsregels blijven van toepassing. Uw ziekteverzekering dekt de kosten zoals gebruikelijk. Financiële compensatie voor zaken als gederfde inkomsten,

arbeidsongeschiktheid of ongemak als gevolg van het letsel of de ziekte worden niet betaald door de sponsor.

Financiering

Uw behandelend arts ontvangt geen financiering van Lupin of haar vertegenwoordigers voor uw deelname aan het MNP.

PRIVACY EN VERTROUWELIJKHEID

Verwerkingsverantwoordelijke

Als uw zorgverlener is uw arts de primaire verwerkingsverantwoordelijke voor de verwerking van uw persoonsgegevens. In het kader van de MNP vindt de pseudonimisering (codering) van uw persoonsgegevens plaats onder de verantwoordelijkheid van de verantwoordelijke arts. Daarnaast is de sponsor de verwerkingsverantwoordelijke voor de verwerking met betrekking tot het bijhouden van gegevens over de geschiktheid en veiligheid van patiënten.

Doeleinden van de verwerking

Als onderdeel van een Medisch Noodprogrammain België ontvangt de sponsor van het programma alleen de informatie die nodig is om te bevestigen dat u in aanmerking komt voor de behandeling en om uw veiligheid tijdens het gebruik ervan te waarborgen. De sponsor ontvangt geen enkele identificerende gegevens, alleen uw patiëntcode en belangrijke medische informatie omvatten die door uw behandelend arts wordt verstrekt. De sponsor ontvangt niet uw volledige medisch dossier en uw arts blijft de primaire beheerder van uw gezondheidsinformatie.

Minimale gegevens over de effectiviteit en veiligheid die tijdens de routinematige medische follow-up door de behandelende arts worden verzameld, kunnen worden geanalyseerd en op geaggregeerde en geanonimiseerde wijze worden gepresenteerd. Dergelijke geanonimiseerde gegevens kunnen worden gedeeld met de sponsor en, indien van toepassing, met de bredere wetenschappelijke en medische gemeenschap in wetenschappelijke publicaties, congrespresentaties of soortgelijke professionele fora.

Uw gegevens worden beschermd door het Belgische wettelijke kader voor compassiegebruik, met inbegrip van het Koninklijk Besluit van 25 april 2014 betreffende programma's voor medische noodzaak en schrijnende gevallen, alsook de Europese Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG). Deze wetten schrijven voor dat uw informatie uitsluitend voor duidelijk omschreven doeleinden mag worden gedeeld, veilig moet worden opgeslagen en alleen toegankelijk mag zijn voor bevoegde personen die betrokken zijn bij de veilige en conforme uitvoering van het programma. Er zijn technische en organisatorische waarborgen getroffen om ongeoorloofde toegang te voorkomen, en alle betrokken partijen moeten strikte vertrouwelijkheidsverplichtingen naleven. De toegang is beperkt tot bevoegde personen die betrokken zijn bij uw zorg of bij het waarborgen van het veilige gebruik van de behandeling.

Bijwerking

Als u een bijwerking ondervindt terwijl u in België een behandeling volgt in het kader van een Medisch Noodprogramma, kan het zijn dat uw behandelend arts aanvullende medische informatie met de sponsor moet delen. Dit is nodig om te begrijpen wat er is gebeurd, om uw veiligheid te waarborgen en om te voldoen aan de wettelijke verplichtingen inzake het monitoren en melden van veiligheidsproblemen. Zelfs in deze situatie wordt alleen de informatie gedeeld die strikt noodzakelijk is voor de beoordeling van de bijwerking, en wordt uw volledige medische dossier nooit vrijgegeven.

Inspectie

In zeldzame gevallen kan het Belgische Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) het programma inspecteren om na te gaan of het veilig en in overeenstemming met de wet wordt uitgevoerd. Tijdens een dergelijke inspectie kunnen de autoriteiten patiëntendossiers of documenten van de sponsor inzien, maar uitsluitend onder strikte vertrouwelijkheidsregels en uitsluitend ten behoeve van toezicht door de regelgevende instanties. Uw privacy blijft te allen tijde beschermd en elke toegang tot uw gegevens valt onder dezelfde wettelijke waarborgen.

Gegevensoverdracht

In sommige situaties kunnen bepaalde delen van uw gegevens worden overgedragen naar landen buiten de Europese Unie, bijvoorbeeld wanneer de sponsor of haar teams voor veiligheidsmonitoring in het buitenland zijn gevestigd. Zelfs in deze gevallen blijft uw informatie volledig beschermd. Elke overdracht moet voldoen aan de waarborgen die worden vereist door de Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG), zoals het gebruik van goedgekeurde contractuele beschermingsmaatregelen, beveiligde systemen en strikte toegangscontroles. Deze maatregelen zorgen ervoor dat uw privacy, de vertrouwelijkheid van uw medische gegevens en de beveiliging van uw gegevens worden gehandhaafd volgens dezelfde hoge normen als binnen de EU.

Bewaring van gegevens

De sponsor is wettelijk verplicht om gegevens over geschiktheid en veiligheid minimaal 10 jaar na afloop van het programma te bewaren.

Uw rechten als deelnemer

Als deelnemer hebt u ook de volgende rechten met betrekking tot uw persoonsgegevens:

- toegang te vragen tot uw persoonsgegevens die in het bezit zijn van uw behandelend arts en de sponsor.
- om eventuele onjuistheden in uw persoonsgegevens te corrigeren.
- om verwijdering (het recht om vergeten te worden) te vragen, wat inhoudt dat uw behandelend arts en de sponsor op uw verzoek de over u opgeslagen persoonsgegevens moeten verwijderen. Het recht om vergeten te worden is niet absoluut (gegarandeerd) en geldt alleen onder bepaalde voorwaarden.
- om de verwerking van uw persoonsgegevens te beperken; bijvoorbeeld als de verwerking onrechtmatig is of als de persoonsgegevens niet langer nodig

zijn voor de doeleinden van de verwerking, maar door u worden vereist voor de vaststelling, uitoefening of verdediging tegen rechtsvorderingen, bijvoorbeeld als documentatie of bewijs.
- om bezwaar te maken tegen de verwerking van uw persoonsgegevens; dit geldt alleen onder bepaalde voorwaarden.
- uw persoonsgegevens te ontvangen en deze over te dragen aan een derde partij.
- uw toestemming voor de gegevensverwerking in te trekken (indien van toepassing); indien er een andere rechtsgrondslag is, mogen alle gegevens die vóór uw intrekking zijn verzameld, nog steeds worden verwerkt.

Waar kunt u meer informatie vinden over hoe uw gegevens worden gebruikt?

- door dit te vragen aan uw behandelend arts
- door een e-mail te sturen naar de functionaris voor gegevensbescherming van de sponsor: dpo@lupin.com

U hebt ook het recht om beroep in te stellen bij een toezichthoudende autoriteit voor gegevensbescherming. Indien u bezorgd bent over de omgang met uw persoonsgegevens, kunt u contact opnemen met de volgende instantie:

Belgische Gegevensbeschermingsautoriteit (APD, Autorité de protection des données in het Frans of GBA, Gegevensbeschermingsautoriteit in het Nederlands)
Rue de la Presse 35
Drukpersstraat 35
1000 Brussel
België
E-mail: contact@apd-gba.be
www.dataprotectionauthority.be

Contact

Indien u vragen heeft over het programma, kunt u contact opnemen met:

Functie	**Naam**	**Telefoonnummer**

Briefpapier van het ziekenhuis

Formulier voor geïnformeerde toestemming

Projecttitel Medisch Noodprogramma (MNP) voor Mexiletine PR bij patiënten met niet-dystrofische myotonieën die hebben deelgenomen aan de ACHILLES-studie in België

Sponsor Lupin Atlantis Holdings S.A.
Landis + Gyr Strasse 1
6300 Zug
Zwitserland

Verantwoordelijke Alla Zozulya-Weidenfeller, PhD
Lupin Atlantis Holdings S.A.

Verantwoordelijke arts Pr. Kristl Claeys
Afdeling Neurologie
UZ Leuven | campus Gasthuisberg | Herestraat 49 |
B-3000 Leuven | België

Behandelend arts: Naam…….

Telefoon ……

E-mail ……

	Gelieve te paraferen
1. Ik bevestig dat ik het informatieformulier voor patiënten van <datum invullen> versie <versienummer invullen> voor het bovengenoemde programma heb gelezen en begrepen, en dat ik de gelegenheid heb gehad om vragen te stellen die volledig zijn beantwoord.	
2. Ik begrijp dat mijn deelname vrijwillig is en dat ik mij op elk moment vrij kan terugtrekken, zonder opgave van redenen, zonder dat dit gevolgen heeft voor mijn rechten of voor de medische zorg waar ik buiten het programma recht op heb, .	
3. Ik begrijp dat bepaalde delen van mijn medische dossiers of programmadossiers kunnen worden ingezien door verantwoordelijke/bevoegde personen van Lupin, het medische team en/of gezondheids- en regelgevende instanties. Ik geef deze partijen en personen toestemming om toegang te krijgen tot mijn dossiers voor zover deze relevant zijn voor dit programma.	
4. Ik ga ermee akkoord dat geanonimiseerde en geaggregeerde gegevens over de effectiviteit en veiligheid uit mijn routinematige follow-up kunnen	

worden gedeeld met de sponsor en, indien van toepassing, door mijn behandelende artsen kunnen worden gepresenteerd op wetenschappelijke of medische fora.	
5. Ik begrijp dat ik het recht heb om inzage te vragen in mijn medische dossiers, om mijn persoonlijke aantekeningen te corrigeren, te verwijderen of de toegang daartoe te beperken, en dat mij is uitgelegd hoe ik dit kan doen en welke mogelijke beperkingen van toepassing kunnen zijn.	
6. Ik begrijp dat mijn gecodeerde persoonsgegevens buiten België en de Europese Economische Ruimte kunnen worden verzonden.	
7. Ik begrijp dat mijn persoonsgegevens zullen worden verzameld, gebruikt en openbaar gemaakt zoals beschreven in het informatieblad voor patiënten van <datum invoegen> versie <versienummer invoegen> voor het bovengenoemde programma.	
8. Ik begrijp dat ik een kopie zal ontvangen van het ondertekende en gedateerde toestemmingsformulier, evenals van eventuele updates.	
9. Ik ga akkoord met deelname aan het bovengenoemde programma en mijn toestemming blijft geldig tenzij en totdat ik deze intrek.	

Patiënt – naam _____ Handtekening _____ Datum _____

Briefpapier van het ziekenhuis

Vertegenwoordiger (indien van toepassing) – typ naam (wettelijk bevoegd om op te treden als persoonlijke vertegenwoordiger om te tekenen voor [naam van de patiënt])	Handtekening	Datum

Ik, de ondergetekende [naam, voornaam], behandelend arts van [naam patiënt, voornaam], verklaar dat ik de nodige informatie over de behandeling met mexiletin mondeling heb verstrekt, evenals een kopie van het informatief document aan de patiënt. Ik bevestig dat er geen druk op de patiënt is uitgeoefend om in te stemmen met deze behandeling en ik ben bereid eventuele aanvullende vragen te beantwoorden. Ik verklaar dat [naam patiënt, voornaam] lijdt aan (in te vullen: ziekte/aandoening) en niet adequaat behandeld kan worden met de momenteel in België op de markt beschikbare geneesmiddelen of onder ziekenhuisvrijstelling, of met een magistrale bereiding. Zonder aangepaste behandeling (of bij behandeling met geregistreerde medicijnen) kan worden verwacht dat het risico op gevolgen door het niet behandelen groter is dan het risico van gevolgen door het starten van de behandeling. Ik ben me ervan bewust dat het starten en uitvoeren van de behandeling met mexiletine voor deze specifieke patiënt volledig mijn verantwoordelijkheid is.

Vertegenwoordiger van het medisch team – typ naam (Behandelend arts die het document heeft gepresenteerd/uitgelegd)	Handtekening	Datum