

**Formulaire d'information et de consentement destiné au/à la patient(e)**

PROGRAMME DE BESOIN MÉDICAL pour Vyxeos liposomal

**N° du programme :**

**Promoteur du programme :**

Jazz Pharmaceuticals

**Comité d'éthique central :**

Commission d'éthique médicale

C. Heymanslaan 10, B-9000 Gand

Téléphone : +32 9 332 21 11 ou +32 9 332 91 11 (téléphone général)

Adresse électronique : [ethisch.comite@uzgent.be](mailto:ethisch.comite@uzgent.be)

**Médecin traitant :**

Nom :

Hôpital :

Adresse :

Tél. :

Numéro de téléphone 24 h/24 :

FCE\_FR

## Formulaire d'information et de consentement destiné au/à la patient(e)

### Introduction

Vous êtes invité(e) à participer volontairement à un programme de besoin médical (MNP, Medical Need Program) avec le médicament Vyxeos liposomal parce que vous êtes un(e) patient(e) atteint(e) d'une leucémie myéloïde aiguë ou LMA nouvellement diagnostiquée (un cancer des globules blancs).

Vyxeos liposomal est un médicament utilisé pour traiter le cancer des cellules sanguines. Il contient deux substances actives appelées « daunorubicine » et « cytarabine », sous forme de minuscules particules appelées « liposomes ». Ces substances actives agissent de différentes manières pour tuer les cellules cancéreuses en les empêchant de se développer et de se diviser. Leur enrobage en liposomes prolonge leur action dans l'organisme et les aide à pénétrer dans les cellules cancéreuses et à les tuer.

Vyxeos liposomal est utilisé pour traiter les patients atteints de leucémie myéloïde aiguë nouvellement diagnostiquée (cancer des globules blancs). Il est administré lorsque la leucémie a été causée par des traitements antérieurs (connue sous le nom de leucémie myéloïde aiguë liée au traitement) ou lorsqu'il y a certains changements dans la moelle osseuse (connus sous le nom de leucémie myéloïde aiguë avec « modifications liées à la myélodysplasie »).

Avant de participer, vous devez savoir pourquoi ce programme est mis en œuvre et de quoi il s'agit. Veuillez lire attentivement ces informations et en discuter avec d'autres personnes comme votre partenaire, un(e) ami(e) ou un membre de votre famille. Si vous avez des questions, veuillez vous adresser à votre médecin ou à votre professionnel de la santé.

### L'objectif de ce programme

Vyxeos liposomal est mis à votre disposition dans le cadre d'un programme de besoin médical qui offre la possibilité pour les patients atteints de maladies graves, mais avec peu d'options thérapeutiques disponibles, d'avoir un accès précoce à de nouveaux traitements qui ont déjà démontré leur efficacité dans des études cliniques, mais qui sont encore en cours d'évaluation par les autorités réglementaires ou qui ne sont pas encore disponibles et remboursés en Belgique.

Vyxeos liposomal a été étudié dans des études cliniques chez des patients atteints de leucémie myéloïde aiguë nouvellement diagnostiquée ou LMA (un cancer des globules blancs), au cours desquelles Vyxeos liposomal a démontré des résultats cliniques favorables. Par conséquent, Vyxeos liposomal a été approuvé par les autorités européennes pour le traitement des patients atteints de LMA nouvellement diagnostiquée (un cancer des globules blancs). Bien que l'utilisation de Vyxeos liposomal soit approuvée en Belgique, il ne sera pas disponible sur ordonnance de manière habituelle jusqu'à ce que les processus de prix et de remboursement soient terminés.

Le seul objectif de ce programme est de rendre Vyxeos liposomal disponible pour le traitement et il n'est pas considéré comme une étude clinique.

Ce programme de besoin médical a été mis en place après approbation par l'autorité de santé belge (AFMPS) et un comité d'éthique.

Le traitement par Vyxeos liposomal dans ce programme ne vous coûtera rien.

Programme de besoin médical (Medical Need Program, MNP) pour Vyxeos liposomal chez des patients atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée

Informations destinées aux patients, Belgique, Version 2.0, 20 Juin 2022

### **Prise du traitement du MNP**

Si vous acceptez de participer à ce programme, on vous demandera de signer le consentement avant que le traitement par Vyxeos liposomal puisse commencer.

Le médecin passera en revue vos antécédents médicaux et réalisera quelques examens pour vérifier si vous pouvez recevoir Vyxeos liposomal. Il vous posera également des questions sur les médicaments que vous prenez actuellement.

Pendant le traitement, on vous demandera de venir régulièrement à l'hôpital pour le traitement et les tests (*détails de la surveillance*).

Vyxeos liposomal vous sera administré dans un hôpital :

- Votre médecin ou votre infirmier/ère déterminera votre dose de Vyxeos liposomal en fonction de votre poids et de votre taille.
- Votre médecin ou votre infirmier/ère vous administrera Vyxeos liposomal sous forme de goutte-à-goutte (perfusion) dans une veine.
- Votre perfusion sera administrée sur une période d'une heure et demie (90 minutes). Votre traitement sera administré sous forme de « cycles ». Chaque traitement est administré sous forme de perfusion distincte et peut être administré à des semaines d'intervalle.
- Vous recevrez un premier cycle de traitement et votre médecin décidera si vous recevrez d'autres cycles de traitement en fonction de votre réponse au traitement et des effets secondaires que vous présentez.
- Si vous présentez des symptômes liés à la perfusion, votre médecin ou votre infirmier/ère pourra ralentir votre perfusion ou interrompre ou arrêter votre traitement.
- Avant et pendant le traitement par Vyxeos liposomal, votre médecin réalisera des examens qui peuvent comprendre :
  - *Analyses de sang*
  - *Vérification du fonctionnement de votre cœur*
- Votre médecin pourra diminuer votre dose ou arrêter temporairement ou définitivement votre traitement en fonction de vos effets secondaires.

Vous recevrez également la notice de Vyxeos liposomal que vous devez lire attentivement avant de recevoir le traitement.

### **Combien de temps durera ce programme ?**

Vous recevrez un traitement par Vyxeos liposomal tant que vous en tirerez un bénéfice. Si vous présentez trop d'effets secondaires ou si votre médecin pense que le traitement ne vous aide plus, il pourra ajuster votre dose ou arrêter le traitement.

Si Vyxeos liposomal est remboursé pour votre maladie, vous recevrez une ordonnance pour le traitement commercial dès qu'il sera disponible.

Si vous décidez à un moment donné de quitter le programme de besoin médical, veuillez en informer votre médecin ou son personnel. Ils s'assureront que votre traitement est arrêté en toute sécurité.

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

### **Quels sont les risques et inconvénients potentiels de Vyxeos liposomal ?**

Les risques sont les effets secondaires possibles inhérents au Vyxeos liposomal, ou aux analyses de sang et autres procédures auxquelles vous serez soumis(e) et qui font partie intégrante du traitement par Vyxeos liposomal.

Tout sera fait pour limiter les effets secondaires, mais il n'est pas possible de savoir quels effets secondaires se produiront et quelle sera leur gravité.

Consultez immédiatement votre médecin si vous remarquez l'un des symptômes suivants. Il peut s'agir de signes d'une affection grave, voire mortelle. Recevoir un traitement médical immédiatement peut aider à éviter que ces problèmes ne deviennent plus graves.

### **Effets secondaires graves pouvant toucher plus de 1 personne sur 10 (très fréquents)**

Vyxeos liposomal peut réduire le nombre de globules blancs qui combattent les infections, ainsi que les cellules sanguines qui aident le sang à coaguler (plaquettes), ce qui entraîne des troubles hémorragiques tels que des saignements de nez et des ecchymoses. Vyxeos liposomal peut également causer des problèmes cardiaques et des lésions au muscle cardiaque.

Par conséquent, **vous devez informer immédiatement votre médecin** si vous présentez :

- fièvre, frissons, mal de gorge, toux, ulcères buccaux ou tout autre symptôme d'infection
- saignement ou ecchymose sans blessure
- douleur thoracique ou douleur dans les jambes
- sensation d'essoufflement

Informez immédiatement votre médecin si vous présentez l'un des effets secondaires indiqués ci-dessus.

### **Autres effets secondaires**

Effets secondaires **très fréquents** (pouvant toucher plus de 1 personne sur 10) :

- baisse du nombre de plaquettes (cellules qui aident le sang à coaguler) pouvant entraîner des ecchymoses ou des saignements
- fièvre, souvent accompagnée d'autres signes d'infection, due à un très faible taux de globules blancs (neutropénie fébrile)
- rythme cardiaque lent, rapide ou irrégulier, douleur thoracique (pouvant être un signe d'infection)
- problèmes de vue, vision trouble
- douleur ou gonflement du tissu tapissant le système digestif (mucosite), ou douleur dans l'abdomen (ventre), constipation, perte d'appétit, diarrhée, nausées (envie de vomir) ou vomissements
- rougeur de la peau, éruptions cutanées, douleurs musculaires, maux de tête, douleurs osseuses, douleurs articulaires, fatigue, gonflement généralisé, y compris gonflement des bras et des jambes
- maux de tête, étourdissements, confusion, difficultés à dormir, anxiété
- insuffisance rénale
- essoufflement, toux, présence de liquide dans les poumons
- démangeaisons
- saignement
- augmentation de la tension artérielle ou chute de la tension artérielle
- frissons, température corporelle basse ou température corporelle élevée

Programme de besoin médical (Medical Need Program, MNP) pour Vyxeos liposomal chez des patients atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée  
Informations destinées aux patients, Belgique, Version 2.0, 20 Juin 2022

- augmentation de la transpiration

Effets secondaires **fréquents** (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 10) :

- baisse du nombre de globules rouges (anémie) entraînant fatigue et faiblesse
- insuffisance rénale et anomalies dans les analyses de sang en raison de la mort massive des cellules cancéreuses (syndrome de lyse tumorale)
- crampes d'estomac ou gaz excessifs
- transpiration excessive la nuit
- perte de cheveux

Effets secondaires **peu fréquents** (pouvant toucher jusqu'à 1 personne sur 100) :

- engourdissement et éruption cutanée dans les mains et les pieds (syndrome d'érythrodysesthésie palmo-plantaire)

### **Signalement des effets secondaires**

Si vous ressentez un quelconque effet secondaire, parlez-en à votre médecin, votre pharmacien ou votre infirmier/ère.

Des problèmes ou des effets secondaires inconnus peuvent également survenir. Si de nouvelles informations deviennent disponibles et peuvent vous aider à décider si vous souhaitez continuer, vous en serez alors informé(e).

### **Que se passera-t-il si je subis un préjudice pendant le traitement par Vyxeos liposomal ?**

Si vous subissez un préjudice résultant directement ou indirectement du traitement par Vyxeos liposomal, vous ne recevrez pas d'indemnisation de la part du promoteur.

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

Si vous êtes allergique au Vyxeos liposomal ou à l'un des autres composants contenus dans ce médicament, vous ne pourrez pas participer à ce programme.

### **Grossesse, allaitement, contraception et fertilité**

#### Grossesse

Vyxeos liposomal n'est pas recommandé pendant la grossesse, car ce médicament peut nuire à l'enfant à naître. Consultez immédiatement votre médecin si vous êtes enceinte, si vous pensez être enceinte ou si vous prévoyez de devenir enceinte avant, pendant ou après le traitement.

#### Allaitement

Vous ne devez pas allaiter pendant le traitement par Vyxeos liposomal et pendant au moins 7 mois après votre dernière dose. En effet, on ne sait pas si Vyxeos liposomal passe dans le lait maternel. Parlez-en à votre médecin.

#### Contraception

Utilisez une méthode de contraception efficace pour éviter de devenir enceinte pendant le traitement par Vyxeos liposomal.

Les femmes prenant Vyxeos liposomal doivent poursuivre la contraception pendant au moins 7 mois après la dernière dose de Vyxeos liposomal.

Les hommes prenant Vyxeos liposomal dont la partenaire peut débuter une grossesse doivent utiliser une méthode de contraception efficace :

- pendant le traitement ; et
- pendant au moins 7 mois après la dernière dose de Vyxeos liposomal.

Discutez avec votre médecin de la meilleure méthode de contraception pour vous. Consultez également votre médecin avant d'arrêter votre méthode de contraception.

### Fertilité

Si vous êtes un homme traité par Vyxeos liposomal, vous ne devez pas concevoir d'enfant pendant les 7 mois suivant le traitement et vous devez prendre des conseils sur la conservation du sperme avant le traitement, car le médicament peut réduire votre fertilité. Par conséquent, discutez-en avec votre médecin avant de commencer le traitement.

### **Si vous avez d'autres problèmes médicaux.**

Votre médecin vous surveillera pendant le traitement. Adressez-vous à votre médecin ou infirmier/ère avant de recevoir Vyxeos liposomal :

- si vous avez un faible nombre de plaquettes, de globules rouges ou de globules blancs dans le sang (vous subirez une analyse de sang avant de commencer le traitement). Si cela vous concerne :
  - Votre médecin pourra également vous donner un médicament pour aider à arrêter de contracter une infection.
  - Votre médecin vous examinera également pour détecter d'éventuelles infections pendant le traitement.
- si vous avez déjà eu un problème cardiaque ou une crise cardiaque, ou si vous avez déjà pris des médicaments anticancéreux « anthracyclines ». Si cela s'applique à vous, votre médecin pourra vérifier votre cœur avant de commencer le traitement et pendant le traitement ;
- si vous présentez des réactions allergiques (hypersensibilité). Votre médecin pourra interrompre ou arrêter le traitement, ou ralentir le débit de votre goutte-à-goutte, en cas d'hypersensibilité ;
- si vous avez eu des problèmes au niveau des reins ou du foie. Votre médecin vous surveillera pendant le traitement ;
- si vous avez déjà eu une affection connue sous le nom de maladie de Wilson ou un autre trouble lié au cuivre, car Vyxeos liposomal contient un ingrédient connu sous le nom de « gluconate de cuivre » ;
- si vous devez recevoir un vaccin.

Votre médecin surveillera votre état de santé général pendant le traitement et pourra également vous donner d'autres médicaments pour soutenir votre traitement, soit avant, soit pendant l'administration de Vyxeos liposomal. Si l'un des cas ci-dessus vous concerne (ou en cas de doute), parlez-en à votre médecin, pharmacien ou infirmier/ère avant de recevoir Vyxeos liposomal.

Si les examens effectués avant ou pendant le programme devaient révéler d'autres problèmes jusqu'alors inconnus, votre médecin pourrait vous exclure du programme. Dans ce cas, il identifiera un autre traitement approprié pour vous si possible.

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

Si vous acceptez de participer à ce programme, Vyxeos liposomal pourrait ou non être bénéfique comme traitement de la maladie dont vous souffrez.

Programme de besoin médical (Medical Need Program, MNP) pour Vyxeos liposomal chez des patients atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée

Informations destinées aux patients, Belgique, Version 2.0, 20 Juin 2022

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

Si vous participez à ce programme de besoin médical, vous devez savoir que :

Votre participation est volontaire et vous devez signer un formulaire de consentement. De plus, après avoir signé le formulaire de consentement, vous avez le droit de mettre fin à votre participation en informant votre médecin.

Le retrait de votre consentement n'entraînera aucun inconvénient ou perte d'avantage. Votre décision n'aura aucune incidence ni sur votre traitement et vos soins médicaux futurs, ni sur votre relation avec votre médecin.

Le médecin (votre médecin), le comité d'éthique médicale ou le promoteur du programme, Jazz Pharmaceuticals, peuvent également mettre fin à votre participation au programme à tout moment, sans votre consentement.

Parmi les raisons possibles à cela, on peut citer les suivantes :

- Vous ne suivez pas les instructions relatives à la participation au programme.
- La poursuite du programme serait dangereuse pour votre santé.
- Vous êtes enceinte.
- Il n'est pas dans votre intérêt de poursuivre le traitement par Vyxeos liposomal.
- Vyxeos liposomal est remboursé et devient disponible sur le marché en Belgique pour les patients atteints d'une LMA nouvellement diagnostiquée.

Ce programme sur les besoins médicaux peut être temporairement arrêté ou interrompu si cela est jugé nécessaire par Jazz Pharmaceuticals, le comité d'éthique ou les organismes de réglementation.

Jazz Pharmaceuticals se réserve le droit d'interrompre le programme si :

- Vyxeos liposomal devient disponible sur le marché en Belgique ;
- le remboursement de Vyxeos liposomal est refusé en Belgique (si c'est le cas et que vous avez déjà commencé un traitement par Vyxeos liposomal, vous pourrez terminer le traitement) ;
- Jazz Pharmaceuticals détermine qu'il y a un changement dans le profil bénéfice/risque qui ne soutient pas l'utilisation continue de Vyxeos liposomal ;
- il y a une pénurie inattendue de Vyxeos liposomal ;
- un autre médicament efficace devient disponible.

Vos informations personnelles seront protégées comme décrit dans l'Avis de protection des données ci-joint.

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

Vous devrez vous rendre régulièrement à l'hôpital pour recevoir un traitement par Vyxeos liposomal et pour que votre santé soit surveillée. Le médecin vous demandera comment vous vous sentez.

Votre médecin vous informera également de certaines limites sur ce que vous pouvez et ce que vous ne pouvez pas faire pendant ce programme.

Informez le personnel de tous les autres médicaments (sur ordonnance, en vente libre, traitements à base de plantes ou vitamines) que vous prenez, avez pris récemment ou pourriez prendre.

Programme de besoin médical (Medical Need Program, MNP) pour Vyxeos liposomal chez des patients atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée

Informations destinées aux patients, Belgique, Version 2.0, 20 Juin 2022

Parlez à votre médecin ou à votre infirmier/ère de tout effet secondaire que vous présentez et avertissez immédiatement votre médecin de tout signe pouvant suggérer une affection grave.



### Formulaire de consentement

PROGRAMME DE BESOIN MÉDICAL pour Vyxeos liposomal chez les patients atteints de leucémie myéloïde aiguë (LMA) nouvellement diagnostiquée.

#### Déclaration du/de la patient(e) ou du/de la représentant(e) légal(e) :

Je confirme par la présente que j'ai été informé(e) du programme de besoin médical et que j'ai reçu un exemplaire du formulaire d'information et de consentement destiné au/à la patient(e).

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

Mon médecin m'a fourni suffisamment d'informations sur les conditions et la durée de ce programme, ainsi que sur les effets et les risques connus de ce traitement :

- Je sais que ma participation à ce programme est entièrement volontaire et que je peux me retirer du programme à tout moment, après en avoir informé mon médecin, sans aucune pénalité.
- Je connais l'objectif du recueil et du traitement de mes données utilisées dans le cadre de ce programme. Consultez la déclaration de protection des données pour vous informer sur les données personnelles qui seront collectées et sur la manière dont vos données personnelles seront traitées dans le cadre de ce programme.
- J'accepte pleinement de participer à ce programme et de recevoir un traitement par Vyxeos liposomal.
- J'accepte que mon médecin traitant/spécialiste et les autres professionnels de la santé impliqués dans mon traitement soient informés de ma participation à ce programme.

Nom (en majuscules)

Signature

Date

#### Déclaration du médecin :

- Par la présente, je confirme avoir fourni verbalement les informations nécessaires sur ce programme de besoin médical, avoir soumis un exemplaire signé par les différentes parties du formulaire de consentement éclairé et être prêt à répondre à toutes les questions posées par le/la patient(e) concernant le MNP.

Nom (en majuscules)

Signature

Date

## **AVIS DE PROTECTION DES DONNÉES**

Bionical Limited opérant sous le nom de Bionical Emas (**Bionical Emas**) gère le programme « Medical Need Program » (Programme de besoin médical) de Vyxeos (**CPX-351**) (le **Programme**) pour le compte de Jazz Pharmaceuticals Netherlands B.V. et Jazz Pharmaceuticals UK Limited (appelés ensemble **Jazz Pharmaceuticals**).

Le présent Avis de protection des données vise à vous donner des informations sur la façon dont Bionical Emas traite vos données à caractère personnel (c.-à-d. des informations qui vous identifient directement ou indirectement) au nom de Jazz Pharmaceuticals. Il explique comment nous recueillons, partageons et utilisons vos données à caractère personnel en lien avec le Programme, et comment vous pouvez exercer vos droits en matière de vie privée.

Aux fins de la loi de l'Union européenne sur la protection des données (qui s'applique directement ou indirectement dans votre pays), sauf indication contraire ci-dessous, Jazz Pharmaceuticals est le responsable du traitement de vos données à caractère personnel et Bionical Emas est un sous-traitant de données. Jazz Pharmaceuticals peut exercer sa responsabilité seule ou conjointement avec d'autres sociétés du groupe Jazz Pharmaceuticals (agissant en tant que co-responsable du traitement).

### **1. Quelles données à caractère personnel recueillons-nous ?**

Si vous êtes un médecin ou un pharmacien :

Votre nom, votre fonction, votre employeur, votre adresse et votre ou vos lieu(x) de travail, votre numéro de téléphone professionnel, votre adresse e-mail et votre numéro d'enregistrement/de licence.

Si vous êtes un(e) patient(e) :

Votre médecin préservera la confidentialité de votre nom et de vos coordonnées et ne nous transmettra pas ces informations. Nous recueillerons uniquement vos initiales, votre sexe, votre date de naissance ainsi que les renseignements médicaux nécessaires à votre participation au Programme. Afin de protéger votre vie privée, nous ne vous identifierons que par un numéro ou un code unique qui vous reliera à vos informations. Votre nom n'apparaîtra sur aucun des documents du Programme remis à Bionical Emas ou Jazz Pharmaceuticals.

### **2. Pourquoi avons-nous besoin de vos données à caractère personnel ?**

Nous avons besoin de vos données à caractère personnel aux fins suivantes :

- pour vous inclure, vous ou vos patients (le cas échéant) dans le Programme ;

- pour permettre la fourniture du CPX-351 et la gestion efficace du Programme ;
- pour analyser les niveaux de participation en relation avec le Programme ;
- pour permettre à Jazz Pharmaceuticals de se conformer à ses obligations réglementaires et de signalement de sécurité ; et
- pour nous permettre de valider chaque patient, d'effectuer des contrôles de licence d'importation et de nous conformer à nos responsabilités réglementaires (Bionical Emas sera le responsable du traitement de vos données à caractère personnel recueillies à cette fin).

### 3. Base juridique du traitement de vos données à caractère personnel :

Jazz Pharmaceuticals et Bionical Emas peuvent traiter vos données à caractère personnel sur la base d'une ou plusieurs des bases juridiques suivantes :

- pour se conformer aux obligations légales pour un accès contrôlé et réglementé au CPX-351 ; et/ou
- dans les intérêts légitimes de Jazz Pharmaceuticals tels que l'analyse des données relatives à la participation au Programme.

En outre, pour les patients, lorsque le recueil de données ne correspond pas à ce qui est nécessaire pour fournir l'accès au **CPX-351** dans le cadre du Programme ou pour analyser la participation au Programme (comme indiqué ci-dessus), Jazz Pharmaceuticals et Bionical Emas traiteront vos données à caractère personnel sur la base de votre consentement explicite.

### 4. Avec qui pouvons-nous partager vos données à caractère personnel ?

Veillez noter que Bionical Emas peut partager vos données à caractère personnel avec d'autres entités de Bionical Emas, les autorités réglementaires et de santé, Jazz Pharmaceuticals et le médecin responsable du Programme en Belgique (Dr Ine Moors, UZ Gent, Corneel Heymanslaan 10, 9000 Gent, Belgique, Téléphone : +32 (0) 9 332 14 87, E-mail : INE.MOORS@UGent.be) si nécessaire pour une gestion efficace du Programme. Ces destinataires potentiels de ces données à caractère personnel peuvent se trouver dans des pays où les lois sur la protection des données sont moins strictes que les lois sur la protection des données de votre pays. Dans un tel cas, Jazz Pharmaceuticals et Bionical Emas prendront toutes les mesures nécessaires pour assurer la sécurité de vos données à caractère personnel conformément aux lois applicables en matière de protection des données, y compris la signature de contrats spéciaux avec des destinataires internationaux pour assurer la protection juridique de vos données à caractère personnel transférées.

### 5. Combien de temps conservons-nous vos données à caractère personnel ?

Vos données à caractère personnel seront conservées aussi longtemps que le Programme sera en vigueur. Veillez noter que les informations peuvent être conservées pendant une période plus longue lorsque les

lois ou réglementations en vigueur l'exigent ou autorisent Jazz Pharmaceuticals ou Bionical Emas à le faire.

## 6. Quels sont vos droits ?

Vous disposez de certains droits en vertu des lois en vigueur en matière de protection des données, qui peuvent être soumis à des limitations et/ou restrictions. Ceux-ci comprennent le droit de :

- demander d'accéder à vos données à caractère personnel et d'obtenir un aperçu de la manière dont elles sont traitées ;
- recevoir des copies de vos données à caractère personnel ;
- demander la correction de vos données à caractère personnel si elles ne sont pas exactes ;
- demander la suppression de vos données à caractère personnel, le cas échéant ; et
- retirer toute autorisation précédemment donnée au traitement de vos données à caractère personnel.

Vous avez également le droit d'introduire une réclamation concernant le traitement de vos données à caractère personnel auprès de votre autorité de protection des données nationale ou de celle du pays dans lequel Jazz Pharmaceuticals, ou Bionical Emas, est située.

## 7. Comment nous contacter :

Si vous êtes un médecin ou un pharmacien :

Toutes vos demandes, requêtes ou réclamations concernant le présent Avis de protection des données ou concernant le traitement de vos données à caractère personnel, y compris toutes les demandes détaillées dans la Section « Quels sont vos droits ? » ci-dessus, doivent être envoyées par écrit à : [Patient.Access@Bionical-Emas.com](mailto:Patient.Access@Bionical-Emas.com).

Si vous êtes un(e) patient(e) :

Toutes vos demandes, requêtes ou réclamations concernant le présent Avis de protection des données ou concernant le traitement de vos données à caractère personnel, y compris toutes les demandes détaillées dans la Section 6 ci-dessus, doivent être adressées à votre médecin qui pourra alors adresser vos questions le cas échéant. Veuillez noter que si vous souhaitez contacter Jazz Pharmaceuticals ou Bionical Emas directement, il est nécessaire de vous identifier.

**Informatie- en toestemmingsformulier voor patiënten**

MEDISCH NOODPROGRAMMA voor Vyxeos liposomal

**Programmanr.:**

**Opdrachtgever van het programma:**

Jazz Pharmaceuticals

**Centraal Ethisch Comité:**

Commissie voor Medische Ethiek

C. Heymanslaan 10, B-9000 Gent

Telefoon: +32 9 332 21 11 or +32 9 332 91 11 (algemeen telefoonnummer)

E-mail: [ethisch.comite@uzgent.be](mailto:ethisch.comite@uzgent.be)

**Behandelende arts:**

Naam:

Ziekenhuis:

Adres:

Tel:

24-uurs telefoonnummer:

ICF\_NL

## **Informatie- en toestemmingsformulier voor patiënten**

### **Inleiding**

We vragen u om vrijwillig deel te nemen aan een medisch noodprogramma (Medical Need Program, MNP) met het geneesmiddel Vyxeos liposomal, omdat u een patiënt bent met nieuw gediagnosticeerde acute myeloïde leukemie, ook AML genoemd (kanker van de witte bloedcellen).

Vyxeos liposomal is een geneesmiddel dat wordt gebruikt om bloedcelkanker te behandelen. Het bevat twee werkzame stoffen met de namen 'daunorubicine' en 'cytarabine', in de vorm van kleine deeltjes die 'liposomen' worden genoemd. Deze werkzame stoffen werken op verschillende manieren om kankercellen te doden, namelijk door te voorkomen dat ze groeien en zich delen. Het verpakken van de stoffen in liposomen verlengt hun werking in het lichaam en helpt hen de kankercellen binnen te dringen en te doden.

Vyxeos liposomal wordt gebruikt voor de behandeling van patiënten met nieuw gediagnosticeerde acute myeloïde leukemie (kanker van de witte bloedcellen). Het wordt gegeven wanneer de leukemie werd veroorzaakt door eerdere behandelingen (behandelingsgerelateerde acute myeloïde leukemie genaamd) of wanneer er bepaalde veranderingen zijn in het beenmerg (acute myeloïde leukemie met "myelodysplasiegerelateerde veranderingen" genaamd).

Voordat u deelneemt moet u weten waarom dit programma wordt uitgevoerd en wat het is. Lees deze informatie zorgvuldig door en bespreek deze met anderen, zoals uw partner, een vriend of familielid. Als u vragen hebt, stel deze dan aan uw arts of zorgverlener.

### **Doel van dit programma**

Vyxeos liposomal wordt u ter beschikking gesteld in het kader van een medisch noodprogramma dat patiënten met ernstige ziekten die weinig beschikbare behandelingsopties hebben, de mogelijkheid biedt om vroeg toegang te krijgen tot nieuwe behandelingen. Het gaat om behandelingen die reeds hun doeltreffendheid hebben aangetoond in klinische studies, maar die nog worden geëvalueerd door regelgevende autoriteiten of die nog niet beschikbaar zijn of terugbetaald worden in België.

Vyxeos liposomal werd onderzocht in klinische studies bij patiënten met recent gediagnosticeerde acute myeloïde leukemie of AML (een kanker van de witte bloedcellen), waarbij Vyxeos liposomal gunstige klinische resultaten heeft laten zien. Als gevolg daarvan is Vyxeos liposomal goedgekeurd door de Europese autoriteiten voor de behandeling van patiënten die lijden aan nieuw gediagnosticeerde AML (kanker van de witte bloedcellen). Hoewel Vyxeos liposomal is goedgekeurd voor gebruik in België, zal het niet op de gebruikelijke manier op voorschrift verkrijgbaar zijn, totdat de prijs- en terugbetalingsprocedures zijn voltooid.

Het enige doel van dit programma is om Vyxeos liposomal beschikbaar te maken voor behandeling. Dit programma wordt niet beschouwd als een klinische studie.

Dit medisch noodprogramma werd opgezet na goedkeuring door de Belgische gezondheidsinstanties (FAGG, Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten) en een ethische commissie.

Medisch noodprogramma (MNP) Vyxeos liposomal voor patiënten met nieuw gediagnosticeerde acute myeloïde leukemie (AML)

Patiënteninformatie, België, Versie 2.0, 20 Juni 2022

Er zijn voor u geen kosten verbonden aan de behandeling met Vyxeos liposomal in dit programma.

### **De MNP-behandeling krijgen**

Als u akkoord gaat met deelname aan dit programma, vragen we u om de toestemming te ondertekenen voordat de behandeling met Vyxeos liposomal kan beginnen.

De arts zal uw medische voorgeschiedenis evalueren en een paar testen uitvoeren om te controleren of u Vyxeos liposomal kunt krijgen. Hij/zij zal u ook vragen naar de geneesmiddelen die u momenteel gebruikt.

Tijdens de behandeling vragen we u om regelmatig naar het ziekenhuis te komen voor behandeling en testen (*details van monitoring*).

U krijgt Vyxeos liposomal toegediend in een ziekenhuis:

- Uw arts of verpleegkundige zal uw dosis Vyxeos liposomal bepalen op basis van uw gewicht en lengte.
- Uw arts of verpleegkundige zal u Vyxeos liposomal toedienen als een infuus (infusie) in een ader.
- Het toedienen van de infusie duurt anderhalf uur (90 minuten). Uw behandeling wordt gegeven in 'kuren'. Elke kuur betreft een afzonderlijke infusie en er kunnen weken tussen deze infusies zitten.
- U krijgt een eerste behandelingskuur en uw arts beslist of u verdere behandelingskuren zult krijgen, afhankelijk van hoe u reageert op de behandeling en eventuele bijwerkingen die u krijgt.
- Als u symptomen krijgt die gerelateerd zijn aan de infusie, kan uw arts of verpleegkundige uw infusie vertragen of uw behandeling onderbreken of stoppen.
- Voor en tijdens de behandeling met Vyxeos liposomal zal uw arts testen uitvoeren die kunnen bestaan uit het volgende:
  - *Bloedonderzoeken*
  - *Controle van uw hartfunctie*
- Uw arts kan uw dosis verlagen of uw behandeling tijdelijk of permanent stopzetten, afhankelijk van uw bijwerkingen.

Daarnaast krijg u de bijsluitertekst van Vyxeos liposomal, die u zorgvuldig moet lezen voordat u de behandeling krijgt.

### **Hoelang duurt dit programma?**

U wordt behandeld met Vyxeos liposomal zolang u er baat bij hebt. Als u te veel bijwerkingen hebt of als uw arts denkt dat de behandeling u niet langer helpt, kan hij u dosis aanpassen of de behandeling stopzetten.

Als Vyxeos liposomal wordt terugbetaald voor uw ziekte, krijg u een voorschrift voor de commerciële behandeling zodra deze beschikbaar is.

Als u op een bepaald moment beslist om het medisch noodprogramma te verlaten, informeer dan uw arts of zijn/haar personeel. Zij zullen ervoor zorgen dat uw behandeling op een veilige manier wordt stopgezet.

Medisch noodprogramma (MNP) Vyxeos liposomal voor patiënten met nieuw gediagnosticeerde acute myeloïde leukemie (AML)

Patiënteninformatie, België, Versie 2.0, 20 Juni 2022

Als u beslist om niet alleen met de behandeling te stoppen maar ook niet langer door de arts of zijn/haar medewerkers benaderd te worden, kan u uw toestemming intrekken. Het is belangrijk dat uw arts op de hoogte wordt gebracht. U kunt met hem/haar praten over uw volgende behandeling. Als u ervoor kiest om uw toestemming in te trekken, zal dit geen invloed hebben op uw verdere medische zorg.

### **Welke zijn de mogelijke risico's en ongemakken van Vyxeos liposomal?**

De risico's zijn de mogelijke bijwerkingen die inherent zijn aan Vyxeos liposomal, of die gepaard gaan met bloedtesten en andere procedures waaraan u zult worden onderworpen, welke een integraal onderdeel vormen van de behandeling met Vyxeos liposomal.

Er zal alles aan worden gedaan om bijwerkingen te beperken, maar het is niet mogelijk om te weten welke bijwerkingen zullen optreden en hoe ernstig ze zullen zijn.

Praat onmiddellijk met uw arts als u een van de volgende symptomen opmerkt. Ze kunnen tekenen zijn van een ernstige, mogelijk fatale aandoening. Een onmiddellijke medische behandeling kan helpen voorkomen dat deze problemen ernstiger worden.

### **Ernstige bijwerkingen die kunnen optreden bij meer dan 1 op de 10 mensen (zeer vaak)**

Vyxeos liposomal kan het aantal witte bloedcellen, die infecties bestrijden, doen dalen. Ook kan het de bloedcellen verminderen die het bloed helpen stollen (bloedplaatjes), wat leidt tot bloedingsstoornissen zoals neusbloedingen en blauwe plekken. Vyxeos liposomal kan ook hartproblemen en schade aan de hartspier veroorzaken.

Daarom **moet u het u arts onmiddellijk vertellen** als u last krijgt van:

- koorts, koude rillingen, keelpijn, hoesten, mondzweren of andere symptomen van infectie
- bloeding of blauwe plekken zonder oorzaak
- pijn in de borstkas of in uw benen
- ademnood.

Vertel het aan uw arts onmiddellijk als u een van de hierboven vermelde bijwerkingen krijgt.

### **Andere bijwerkingen**

**Zeer vaak** voorkomende bijwerkingen (kunnen optreden bij meer dan 1 op de 10 mensen):

- een afname van het aantal bloedplaatjes (cellen die het bloed helpen stollen), wat blauwe plekken of bloedingen kan veroorzaken
- koorts, vaak met andere tekenen van infectie, als gevolg van zeer lage aantallen witte bloedcellen (febriele neutropenie)
- langzame, snelle of onregelmatige hartslag, pijn in de borstkas (wat een teken kan zijn van infectie)
- problemen met uw zicht, wazig zicht
- pijn of zwelling van het weefsel dat het spijsverteringsstelsel bekleedt (mucositis), of pijn in de onderbuik, harde stoelgang, verlies van eetlust, diarree, misselijkheid of braken
- roodheid van de huid, uitslag, spierpijn, hoofdpijn, botpijn, gewrichtspijn, vermoeidheid, algemene zwelling waaronder zwelling van uw armen en benen
- hoofdpijn, duizeligheid, verwardheid, slaapproblemen, angst
- nierfalen
- ademnood, hoesten, vocht in de longen
- Jeuk

Medisch noodprogramma (MNP) Vyxeos liposomal voor patiënten met nieuw gediagnosticeerde acute myeloïde leukemie (AML)

Patiënteninformatie, België, Versie 2.0, 20 Juni 2022















