

SCHRIFTELIJKE PATIËNTENINFORMATIE EN TOESTEMMINGSVERKLARING – KINDEREN VAN 8 TOT 13 JAAR

**Compassionate Use Program (CUP) voor de behandeling van patiënten
met diabetes type 1 stadium 2 met Teplimzumab**

VERSIE NR.: 01

DATUM: 05-07-2024

Beste

We vragen je of je een nieuw geneesmiddel wilt krijgen omdat je een aandoening hebt die 'vroeg diabetes type 1' wordt genoemd. Diabetes wordt ook wel 'hyperglykemie' genoemd. Je lichaam maakt minder insuline aan. Op een gegeven moment stopt je lichaam helemaal met het aanmaken van insuline. Maar insuline is heel belangrijk omdat het een kleine hulp is voor je lichaam. Het brengt de suiker uit voeding naar de plekken in je lichaam waar het nodig is, zodat je voldoende energie hebt voor dingen als springen, rennen en spelen. Als deze hulp ontbreekt, kun je je moe voelen en veel dorst krijgen. Omdat niemand zonder insuline kan leven, moeten mensen met diabetes zichzelf op een gegeven moment insuline toedienen als er niet genoeg meer in het lichaam aanwezig is.

Je hebt de diagnose diabetes gekregen, ook al voel je niets en ben je niet ziek. Je kunt het alleen in het bloed zien.

Jouw dokter of iemand van zijn/haar medewerkers zal jou en je ouders alles vertellen over het nieuwe geneesmiddel. Luister aandachtig naar wat ze je vertellen. Neem de tijd om zoveel vragen te stellen als je wilt. Het is belangrijk dat je de bijsluiter doorleest (of dat iemand je de bijsluiter voorleest) en begrijpt wat het nieuwe geneesmiddel inhoudt, voordat je beslist of je het wilt gebruiken. Je ouders zullen je helpen bij je beslissing. Niemand dwingt je om het nieuwe geneesmiddel te gebruiken. Als je dat niet wilt, kun je gewoon nee zeggen.

Je kunt een exemplaar van dit informatieblad mee naar huis nemen.

WAAROM WORDT DIT PROGRAMMA OPGEZET?

Je dokter denkt dat het nieuwe geneesmiddel je kan helpen. Het zou ervoor moeten zorgen dat je niet zo snel iets van diabetes merkt.

Het nieuwe geneesmiddel is al op veel kinderen en volwassenen getest. Het hielp mensen om diabetes maanden later te voelen dan de mensen die het nieuwe geneesmiddel niet kregen.

Je kunt dit nieuwe geneesmiddel krijgen, ook al is het nog niet verkrijgbaar in België. De geneesmiddelen die je normaal gesproken krijgt als je ziek bent, kunnen je ouders ook gewoon bij de apotheek halen. Voordat een geneesmiddel gebruikt kan worden, moet het uitgebreid beoordeeld worden. In België wordt dit nieuwe geneesmiddel nog steeds onderzocht. In Amerika (Verenigde Staten) is het nieuwe geneesmiddel al getest en daar wordt het gebruikt bij kinderen en volwassenen die aan dezelfde ziekte lijden als jij.

WAT GEBEURT ER MET JE?

Als je beslist het nieuwe geneesmiddel te gebruiken, zal je dokter jou en je ouders om een aantal gegevens vragen:

- Je dokter moet weten welke ziekten je al hebt gehad en welke ziekten je nog steeds hebt.
- Hij/zij wil ook weten of je pas een paar dagen geleden bent gevaccineerd of binnenkort wordt gevaccineerd, omdat het nieuwe geneesmiddel ervoor kan zorgen dat de vaccinatie niet goed werkt.
- Daarnaast zal je dokter wat bloed bij je afnemen om het grondig te onderzoeken. Zo weet de dokter zeker dat je lichaam gezond genoeg is om het nieuwe geneesmiddel te gebruiken.
- Gedurende de eerste 5 dagen dat je het nieuwe geneesmiddel krijgt, zal je dokter aanvullende medicatie voorschrijven, zodat jij je niet misselijk of onwel voelt.
- Je krijgt het nieuwe geneesmiddel op 14 opeenvolgende dagen. Het nieuwe geneesmiddel is een vloeistof die via een lange, dunne slang in je arm wordt gebracht. Om dit te doen, moet de arts met een naald in je arm prikken. Het is belangrijk dat je het nieuwe geneesmiddel op elk van de 14 dagen krijgt.

KAN HET ONAANGENAAM WORDEN OF KAN ER IETS ERGS GEBEUREN?

Het kan zijn dat je na het innemen van het geneesmiddel geen klachten meer hebt, maar sommige mensen die dit geneesmiddel hebben gekregen, hebben vaak de volgende problemen ervaren:

- Ze voelden zich vreemd en ongemakkelijk.
- Ze kregen huiduitslag.
- Ze kregen hoofdpijn.

Als je een van deze symptomen ervaart of je anders voelt dan normaal, vertel dit dan onmiddellijk aan je ouders, je dokter of iemand die bij de dokter werkt. Je dokter kan je iets voorschrijven waardoor deze symptomen verdwijnen of verbeteren. Het kan ook zijn dat de

dokter je het nieuwe geneesmiddel niet nogmaals voorschrijft. Er kunnen ook nog andere onaangename dingen zijn waar we nog niets van weten.

MOET IK HET NIEUWE GENEESMIDDEL NEMEN?

Nee. Je hoeft dit geneesmiddel niet te gebruiken als je dat niet wilt. Als je beslist het nieuwe geneesmiddel te gebruiken, kun je op elk moment en om welke reden dan ook van gedachten veranderen. Je hoeft het geneesmiddel dan niet langer te gebruiken. Maak je geen zorgen over je dokter en ouders. Ze zullen niet boos op je zijn.

Je moet weten dat je dokter heel goed voor je zal zorgen terwijl je het nieuwe geneesmiddel gebruikt. Hij/zij kan beslissen dat het beter voor jou is om te stoppen met het gebruik van het nieuwe geneesmiddel.

MET WIE KAN IK OVER HET NIEUWE GENEESMIDDEL PRATEN?

Je dokter of een van zijn/haar medewerkers staan je graag te woord. Als je vragen hebt, kun je altijd bij hen terecht.

WIL JE HET NIEUWE GENEESMIDDEL GEBRUIKEN?

Als je het nieuwe geneesmiddel wilt gebruiken, vragen wij je deze verklaring te ondertekenen. Daarmee laat je ons weten dat je het nieuwe geneesmiddel wilt nemen en dat dit vrijwillig is. Maar je kunt ook op een later moment aangeven dat je het nieuwe geneesmiddel niet meer wilt, wat de reden ook is. Je ondervindt hierdoor geen nadelen. Je gaat er ook mee akkoord dat jouw dokter je andere artsen mag informeren over je deelname aan dit programma als dit belangrijk is voor jouw gezondheid.

Dit is mijn dokter:

Ik heb de consultatie uitgevoerd en ervoor gezorgd dat het kind de informatie over deelname aan het compassionate use-programma met teplizumab begreep, geen verdere vragen had en niet weigerde deel te nemen.

Naam van de arts: _____

Tel. van de dokter: _____

Adres van de dokter: _____

Datum, Handtekening van de dokter

Dit ben ik:

Naam (hoofdletters): _____

Handtekening:

Datum: _____

**WRITTEN PATIENT INFORMATION AND DECLARATION OF CONSENT
– CHILDREN FROM 8 TO 13 YEARS OLD**

**Compassionate Use Program (CUP) for the treatment of patients with
Stage 2 Type 1 diabetes with Teplimzumab**

VERSION No.: 01

DATE: 05-Jul-2024

Dear

You'll be asked if you want to get a new medicine because you have a condition called "early type 1 diabetes." Diabetes is also called "hyperglycemia". Your body has started to make less insulin. At some point your body will stop making the insulin completely. But insulin is very important because it is a little helper in your body. It takes the sugar from food to where it's needed in your body, so you have enough energy for things like jumping, running, and playing. If this helper is missing, you can feel tired and get thirsty a lot. Because no one can live without insulin, people with diabetes have to give it to themselves at some point when there is not enough left in the body.

You were diagnosed with diabetes, even though you didn't feel anything and you don't feel sick. You can only see it in the blood.

Your doctor or someone from his/her staff will tell you and your parents all about the new medicine. Listen carefully to what they tell you. Take your time to ask as many questions as you like. It's important that you read through (or have someone read to you) and understand what the new medicine is before you decide if you want to take it. Your parents will help you decide. No one is forcing you to take the new medicine. If you don't want to, you can just say no.

You can take a copy of this information sheet home with you.

WHY IS THIS PROGRAM BEING SET UP?

Your doctor thinks that the new medicine can help you. It is supposed to ensure that you don't feel anything from diabetes so quickly.

The new medicine has already been tested on many children and adults. It was able to help people feel diabetes many months later than in people who did not receive the new medicine.

You can get this new medicine even though it is not yet available in Belgium. The medicine you usually get when you are sick can be easily obtained by your parents at the pharmacy. Before a medicine can be used, it must be evaluated in detail. In Belgium, this new medicine is still being investigated. In America (United States), the new medicine has already been tested and is used there for children and adults who suffer from the same disease as you.

WHAT HAPPENS TO YOU?

If you decide to take the new medicine, your doctor will ask you and your parents for some information:

- Your doctor must know what diseases you have already had and which diseases you still have.
- He/she also wants to know if you were vaccinated just a few days ago or will be vaccinated soon, because the new medicine could cause the vaccination to not work properly.
- In addition, your doctor will take some blood from you to examine it thoroughly. This way the doctor can be sure that your body is healthy enough to take the new medicine.
- For the first 5 days you receive the new medicine, your doctor will give you additional medication so that you don't feel nauseous or unwell.
- You will receive the new medicine on 14 consecutive days. The new medicine is a liquid that is passed into your arm via a long, thin tube. To do this, the doctor must prick your arm with a needle. It is important that you get the new medicine on each of the 14 days.

CAN IT BECOME UNPLEASANT OR CAN SOMETHING BAD HAPPEN?

You may be fine after receiving the medicine, but some people who have received this medicine have often experienced the following problems:

- They felt weird and uncomfortable.
- They got a rash on their skin.
- They got headache.

If you feel any of these or feel different than usual, let your parents, doctor, or one of the doctor's staff know immediately. Your doctor can give you something to help these symptoms disappear or get better. It may also be that the doctor does not give you the new medicine again. There may also be other unpleasant things that we don't know about yet.

DO I HAVE TO TAKE THE NEW MEDICINE?

No. You don't have to take this medicine if you don't want to. If you choose to take the new medicine, you can change your mind at any time and for any reason and you don't have to take it any further. Don't worry about your doctor and parents. They won't be mad at you.

You should know that your doctor will take very good care of you while taking the new medicine. He/she may decide that it is best for you to stop using the new medicine.

WHO CAN I TALK TO ABOUT THE NEW MEDICINE?

Your doctor or one of his/her staff will be happy to talk to you. You can always go to them if you have any questions.

DO YOU WANT TO TAKE THE NEW MEDICINE?

If you want to take the new medicine, we ask you to sign this declaration. With that you tell us that you want to take the new medicine and you know that this is voluntary. But you can also say later at any time that you no longer want the new medicine, no matter what the reason is. You won't have any disadvantages thereby. You also agree that your doctor may inform your other doctors about your participation in this program if it is important for your health.

This is my doctor:

I conducted the consultation and made sure that the child understood the information about participation in the compassionate use program with teplizumab, had no further questions and did not refuse to participate.

Name of the physician: _____

Tel. No. of physician: _____

Address of physician: _____

Date, Signature of physician _____

That's me:

Name (capital letters): _____

Signature: _____

Date: _____

INFORMATIONS ÉCRITES ET DÉCLARATION DE CONSENTEMENT A L'ATTENTION DES PATIENTS – ENFANTS DE 8 À 13 ANS

**Programme d'utilisation compassionnelle (PUC) pour le traitement des
patients atteints de diabète de type 1 de stade 2 avec le téplizumab**

VERSION N° : 01

DATE : 05 juillet 2024

Cher/Chère

Il vous sera demandé si vous souhaitez utiliser un nouveau médicament parce que vous êtes atteint(e) d'une maladie appelée « diabète de type 1 précoce ». Le diabète est également appelé « hyperglycémie ». Votre organisme a commencé à produire moins d'insuline. À un moment donné, il cessera complètement de produire de l'insuline. Mais l'insuline est très importante, car elle est essentielle à votre organisme. Elle transporte le sucre des aliments là où l'organisme en a besoin, afin que vous ayez suffisamment d'énergie pour des activités comme sauter, courir et jouer. Si cette aide manque, vous pouvez vous sentir fatigué(e) et avoir souvent soif. Parce que personne ne peut vivre sans insuline, les personnes diabétiques doivent s'en administrer elles-mêmes à un moment donné lorsqu'il n'en reste plus assez dans leur organisme.

On vous a diagnostiqué un diabète, même si vous n'avez rien ressenti et que vous ne vous sentez pas malade. On ne peut le voir que dans les analyses de sang.

Votre médecin ou quelqu'un de son personnel vous expliquera, à vous et à vos parents, tout sur le nouveau médicament. Écoutez attentivement ce qu'ils vont vous dire. Prenez votre temps pour poser autant de questions que vous le souhaitez. Il est important que vous lisiez (ou que quelqu'un vous le lise) et compreniez ce qu'est le nouveau médicament avant de décider si vous voulez le prendre. Vos parents vous aideront à prendre la décision. Personne ne vous oblige à prendre le nouveau médicament. Si vous ne voulez pas le prendre, vous pouvez simplement dire non.

Vous pouvez emporter chez vous une copie de cette note d'information.

POURQUOI CE PROGRAMME EST-IL MIS EN PLACE ?

Votre médecin pense que le nouveau médicament peut vous aider. Il est censé garantir que vous ne ressentiez pas trop rapidement les effets du diabète.

Le nouveau médicament a déjà été testé sur de nombreux enfants et adultes. Il a permis aux personnes diabétiques de ne commencer à ressentir le diabète que plusieurs mois plus tard par rapport aux personnes qui n'avaient pas reçu le nouveau médicament.

Vous pouvez prendre ce nouveau médicament même s'il n'est pas encore disponible en Belgique. Les médicaments que vous recevez habituellement lorsque vous êtes malade peuvent être facilement obtenus par vos parents à la pharmacie. Avant qu'un médicament puisse être utilisé, il doit être évalué en détail. En Belgique, ce nouveau médicament est encore à l'étude. En Amérique (États-Unis), le nouveau médicament a déjà été testé et est utilisé chez les enfants et les adultes qui souffrent de la même maladie que vous.

QU'EST-CE QUI VOUS ARRIVE ?

Si vous décidez de prendre le nouveau médicament, votre médecin vous demandera, à vous et à vos parents, quelques informations :

- Votre médecin doit savoir quelles maladies vous avez déjà eues et quelles maladies vous avez encore.
- Il souhaite également savoir si vous avez été vacciné(e) il y a quelques jours seulement ou si vous serez bientôt vacciné(e), car le nouveau médicament pourrait empêcher le vaccin de fonctionner correctement.
- De plus, votre médecin vous prélèvera du sang pour l'examiner en détail. De cette façon, le médecin peut être sûr que votre état de santé vous permet de prendre le nouveau médicament.
- Pendant les 5 premiers jours où vous recevrez le nouveau médicament, votre médecin vous donnera des médicaments supplémentaires afin que vous ne vous sentiez pas nauséux ou mal.
- Vous recevrez le nouveau médicament pendant 14 jours consécutifs. Le nouveau médicament est un liquide qui est administré dans votre bras via un tube long et fin. Pour ce faire, le médecin doit vous piquer le bras avec une aiguille. Il est important que vous receviez le nouveau médicament lors de chacun des 14 jours.

CELA PEUT-IL DEVENIR DÉSAGRÉABLE OU UN PROBLÈME PEUT-IL SE PRODUIRE ?

Il se peut que vous vous sentiez bien après avoir reçu le médicament, mais certaines personnes ayant reçu ce médicament ont souvent rencontré les problèmes suivants :

- Elles se sentaient bizarres et mal à l'aise.
- Elles ont eu une éruption cutanée.
- Elles ont eu mal à la tête.

Si vous ressentez l'un de ces symptômes ou si vous vous sentez différent(e) de la normale, prévenez immédiatement vos parents, votre médecin ou l'un des membres de son équipe. Votre médecin peut vous donner quelque chose pour aider ces symptômes à disparaître ou à s'améliorer. Il se peut également que le médecin ne vous prescrive plus le nouveau médicament. Il peut également y avoir d'autres choses désagréables que nous ne connaissons pas encore.

DOIS-JE PRENDRE LE NOUVEAU MÉDICAMENT ?

Non. Vous n'êtes pas obligé(e) de prendre ce médicament si vous ne le souhaitez pas. Si vous choisissez de prendre le nouveau médicament, vous pouvez changer d'avis à tout moment et pour n'importe quelle raison et vous n'êtes pas obligé(e) de le prendre à nouveau. Ne vous inquiétez pas pour votre médecin et vos parents. Ils ne seront pas en colère contre vous.

Sachez que votre médecin prendra très bien soin de vous pendant que vous prenez le nouveau médicament. Il peut décider qu'il est préférable pour vous d'arrêter d'utiliser le nouveau médicament.

À QUI PUIS-JE PARLER DU NOUVEAU MÉDICAMENT ?

Votre médecin ou l'un des membres de son personnel se fera un plaisir de discuter avec vous. Vous pouvez toujours vous adresser à eux si vous avez des questions.

VOULEZ-VOUS PRENDRE LE NOUVEAU MÉDICAMENT ?

Si vous souhaitez prendre le nouveau médicament, nous vous demandons de signer cette déclaration. Avec cela, vous nous dites que vous souhaitez prendre le nouveau médicament et vous savez que c'est volontaire. Mais vous pouvez également dire plus tard à tout moment que vous ne voulez plus du nouveau médicament, quelle qu'en soit la raison. Vous n'aurez aucun inconvénient de ce fait. Vous acceptez également que votre médecin puisse informer vos autres médecins de votre participation à ce programme si cela est important pour votre santé.

À remplir par mon médecin :

J'ai mené la consultation et me suis assuré(e) que l'enfant avait compris les informations sur la participation au programme d'utilisation compassionnelle du téplizumab, qu'il n'avait pas d'autres questions et qu'il ne refusait pas de participer.

Nom du médecin : _____

N° de tél. du médecin : _____

Adresse du médecin : _____

Date, signature du médecin _____

À remplir par moi-même :

Nom (en majuscules) : _____

Signature : _____

Date : _____