

Research and Development/Unmet Medical Need

DG PRE/R&D/UMN

Tel. : +32 (0)2 528 40 00  
Fax : +32 (0)2 524 80 01  
e-mail : [umn@fagg-afmps.be](mailto:umn@fagg-afmps.be)

*Clinigen Healthcare Limited on behalf of Biogen  
Idis House, Churchfield Road  
KT13 8DB Weybridge  
United Kingdom*

Your letter from	Your reference	Our reference FAGG/R&D/UMN	Annex 1	Date Cfr. digital signature
------------------	----------------	-------------------------------	------------	--------------------------------

**Onderwerp** Goedkeuring van een programma voor gebruik in schrijnende gevallen op 16/12/2022

**Titre de l'objet  
Subject** Approbation d'un programme d'usage compassionnel le 16/12/2022  
Authorisation of a compassionate use program dated 16/12/2022

Medicinal product : Tofersen (6.7 mg/mL, sterile, parenteral solution formulation for IT bolus)  
Indication : Amyotrophic Lateral Sclerosis (ALS) Associated with a Mutation in the Superoxide Dismutase 1 (SOD1) Gene  
Ethics Committee designated: Universitaire Ziekenhuizen K.U.L.  
Reference: CUP-202223

Pharmacovigilance report cut-off date: 16/06/2023  
Pharmacovigilance report deadline submission: 16/07/2023

Chère Madame, Cher Monsieur,

Conformément à l'article 6quater de la loi du 25 mars 1964, relative aux médicaments, j'ai décidé d'autoriser le programme ci-dessus mentionné selon les conditions précisées dans l'annexe I.

Salutations sincères,

Hugues Malonne  
Directeur général – DG PRE Autorisation  
Délégué du Ministre de la Santé publique

Geachte Mevrouw, Geachte Heer,

In overeenstemming met artikel 6quater van de wet van 25 maart 1964 inzake geneesmiddelen, heb ik besloten het hierboven vermelde programma goed te keuren onder de voorwaarden zoals gepreciseerd in de bijlage I.

Met de meeste hoogachting,

Hugues Malonne  
Directeur-generaal – DG PRE Vergunning  
Afgevaardigde van de Minister van  
Volksgezondheid

Unofficial translation

In accordance with article 6quater of the Law of 25 March 1964 concerning medicinal products, I have decided to authorise the above mentioned compassionate use program following the conditions stated in annex I.