

[Summarized Information English](#)

[Informations résumées Français](#)

[Samengevatte informatie Nederlands](#)

Summarized Information_English

Product Name	Vamorolone
Active substance	17 α ,21-dihydroxy-16 α -methyl-pregna-1,4,9(11)-triene-3,20-dione
Indication and conditions of use	<p>The treatment of boys with Duchenne muscular dystrophy who are completing the ReveraGen VBP15-004 trial, under the conditions that they are deriving clinical benefit from the therapy according to their physician and are not experiencing adverse events related to the treatment that precludes safe use in that patient.</p> <p>Medical testing and monitoring should be performed by the physician as he/she would usually conduct for a patient with DMD who is being treated with conventional corticosteroids. A card should be carried by the patient/family indicating the need for stress dose steroids in the event of serious illness or surgery.</p> <p>Vamorolone may be prescribed at a dose of 2, 4, or 6 mg/kg/day delivered once daily in the morning. Vamorolone will be administered by mouth using a volumetric syringe. Following administration, the syringe will be filled once with water and the water will be administered by mouth using the volumetric syringe. The patient should then drink approximately 50 mL (approximately 2 ounces) of water to ensure the full dose has been ingested.</p>

<p>Conditions, delays and further rules for participation of patients</p>	<p>Conditions for participation:</p> <ul style="list-style-type: none"> • The Patient’s parent or legal guardian has provided written informed consent under applicable Data Privacy Regulations such as GDPR. • The Patient has provided written assent, when appropriate. • Patient has previously completed VBP15-004 up to and including the Week 48 assessments. • Patient and parent/guardian are willing and able to comply with recommended vamorolone administration plan, and standard of care follow-up and monitoring as recommended by their Treating Physician. • The patient is not currently eligible for a currently enrolling clinical trial with vamorolone and/or another clinical trial enrolling patients with Duchenne muscular dystrophy. • The patient cannot be satisfactorily treated with the approved and commercially available alternative treatments, in accordance with clinical guidelines, because of safety concerns associated with corticosteroids (e.g. growth stunting, bone fragility, Cushingoid appearance, mood changes). <p>Conditions excluding participation:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Patient has or had a serious or severe adverse event in study VBP15-004 or during compassionate use that, in the opinion of the Treating Physician, was probably or definitely related to vamorolone use and precludes safe use of vamorolone for the patient. • Patient and/or parent/guardian are unable and/or unwilling to comply with regular medical care and follow-up as recommended by their Treating Physician. <p>A treatment request will be sent by the treating physician to the responsible physician at least 4 weeks before the Week 48 visit of the VBP15-004 trial if possible, to avoid the need for tapering vamorolone at the end of the trial. Within 3 weeks, the responsible physician should evaluate the request. Once the responsible physician has notified the Sponsor of the approval, in most cases vamorolone may be delivered to Site Pharmacy within 7 working days.</p>
<p>Duration of the program</p>	<p>Vamorolone will be provided by Santhera on an individual patient basis following the criteria stated in this program from the authorization/set-up of the Compassionate Use Program in Belgium until the product will be commercially available in Belgium in Duchenne muscular dystrophy or until, in the clinical judgement of the treating physician, the patient is no longer benefiting from continuation of the treatment, whichever is sooner.</p>

<p>Conditions of distribution</p>	<p>- The treating physician checks ongoing clinical trials that could be suitable for the patients and checks the inclusion and exclusion criteria of the CUP. -The treating physician submits a motivated request to the responsible physician, in written or electronic, to supply vamorolone for an individual patient.</p> <p>-The responsible physician verifies the inclusion/exclusion criteria and the treating physician’s motivation for enrolling this patient. In case of positive opinion, the responsible physician sends his/her agreement to the responsible of the program who will make vamorolone available to the patient through the pharmacist.</p> <p>-The site initiates a resupply order for one or several patients when needed, with up to a 6-month supply per patient delivered at a time. Sites completes the VBP15-CUP-NPP Drug Shipment Request Form.</p> <p>-The site then sends the form to the sponsor for submission to the appropriate clinical hub for shipment processing.</p> <p>-Sites need to provide their requests at least 15 days prior the subject is schedule for his resupply visit at the hospital.</p> <p>-In special circumstances, vamorolone may be sent to patients from the site. Liaise with your clinical Operations manager prior to any request for home shipments.</p>
<p>Responsible of the program</p>	<p>Ana de Vera, MD ana.devera@santhera.com</p>
<p>Modalities for the disposal</p>	<p>Any unused medication needs to be returned to Santhera or destroyed in an appropriate facility as soon as possible after the patient’s discontinuation from the Compassionate use program. The medication delivered for an individual patient request in the context of a Compassionate Use Programme can only be used for that particular patient.</p>
<p>The information for registration of suspected unexpected serious adverse reactions</p>	<p>From Development Safety Update Report #8 (Version date 29 Feb 2024), the following have been recognized as important potential risks:</p> <ul style="list-style-type: none"> ● Immunosuppression; ● Hepatotoxicity; ● Adrenal Insufficiency.

Informations résumées_Français

Nom du produit	Vamorolone
Substance active	17 α ,21-dihydroxy-16 α -méthyl-pregna-1,4,9(11)-triène-3,20-dione
Indication et conditions d'utilisation	<p>Traitement des garçons atteints de dystrophie musculaire de Duchenne qui terminent l'étude ReveraGen VBP15-004, à la condition qu'ils retirent un bénéfice clinique du traitement, selon leur médecin, et qu'ils ne présentent pas d'événements indésirables liés au traitement qui excluent une utilisation sûre chez ce patient. Les analyses médicales et la surveillance doivent être effectués par le médecin comme il/elle le ferait habituellement pour un patient atteint de DMD traité avec des corticostéroïdes conventionnels. Le patient/ la famille doit porter une carte indiquant la nécessité de prendre des stéroïdes à des doses de stress en cas de maladie grave ou d'intervention chirurgicale.</p> <p>La vamorolone peut être prescrite à une dose de 2, 4 ou 6 mg/kg/jour, administrée une fois par jour le matin. La vamorolone sera administrée par voie orale à l'aide d'une seringue graduée. Après l'administration, la seringue sera remplie une fois avec de l'eau, qui sera administrée par voie orale. Le patient doit ensuite boire environ 50 ml d'eau pour s'assurer que la dose complète a été ingérée.</p>
Conditions, délais et autres règles de participation des patients	<p>Conditions de participation :</p> <ul style="list-style-type: none"> • Le parent ou le tuteur légal du patient a donné son consentement éclairé écrit, conformément aux règlements applicables en matière de protection des données comme le RGPD. • Le patient a donné son consentement écrit, le cas échéant. <ul style="list-style-type: none"> • Le patient a précédemment participé à l'étude VBP15-004 et l'a terminé, y compris les évaluations de la semaine 48. • Le patient et le parent/tuteur sont disposés à et capables de se conformer au plan d'administration recommandé de vamorolone, ainsi qu'à un suivi selon la norme de soins et à la surveillance recommandés par leur médecin traitant. • Le patient n'est pas admissible actuellement à un essai clinique en cours de recrutement portant sur la vamorolone et/ou à un autre essai clinique recrutant des patients atteints de dystrophie musculaire de Duchenne. • Le patient ne peut pas être traité de manière satisfaisante par les traitements alternatifs approuvés et disponibles dans le commerce, conformément aux directives cliniques, en raison de problèmes de sécurité associés aux corticostéroïdes (par exemple, retard de croissance, fragilité osseuse, apparence caractéristique du syndrome de Cushing, changements d'humeur).

	<p>Conditions excluant la participation :</p> <ul style="list-style-type: none"> •Le patient présente ou a présenté un effet indésirable grave ou sévère au cours de l'étude VBP15-004 ou de l'accès compassionnel qui, de l'avis du médecin traitant, est probablement ou définitivement lié à l'utilisation de la vamorolone et exclut l'utilisation sûre de la vamorolone pour ce patient. •Le patient et/ou le parent/tuteur ne peuvent pas et/ou ne veulent pas se conformer aux soins médicaux réguliers et au suivi recommandés par leur médecin traitant. <p>Une demande de traitement sera envoyée par le médecin traitant au médecin responsable, si possible, au moins 4 semaines avant la visite de la semaine 48 de l'étude VBP15-004 afin d'éviter d'avoir à réduire progressivement la dose de vamorolone à la fin de l'étude. Le médecin responsable doit évaluer la demande dans un délai de 3 semaines. Une fois que le médecin responsable a avisé le promoteur de l'accord, la vamorolone peut être livrée, dans la plupart des cas, à la pharmacie du centre dans les 7 jours ouvrables.</p>
Durée du programme	<p>La vamorolone sera fournie par Santhera à chaque patient selon les critères énoncés dans ce programme dès l'autorisation/la mise en place du programme d'usage compassionnel en Belgique et jusqu'à ce que le produit soit disponible pour la dystrophie musculaire de Duchenne sur le marché belge ou jusqu'à ce que, selon le jugement clinique du médecin traitant, le patient ne bénéficie plus de la poursuite du traitement, selon la première éventualité.</p>
Conditions de distribution	<ul style="list-style-type: none"> - Le médecin traitant vérifie les études cliniques en cours qui pourraient convenir aux patients et vérifie les critères d'inclusion et d'exclusion du programme d'usage compassionnel. -Le médecin traitant soumet une demande motivée au médecin responsable, par écrit ou par voie électronique, pour fournir de la vamorolone à un patient individuel. -Le médecin responsable vérifie les critères d'inclusion/exclusion et la motivation du médecin traitant pour l'inscription de ce patient. En cas d'avis positif, le médecin responsable envoie son accord au responsable du programme qui mettra la vamorolone à la disposition du patient par l'intermédiaire du pharmacien. -Le centre lance une commande de réapprovisionnement pour un ou plusieurs patients le cas échéant, avec un approvisionnement allant jusqu'à 6 mois par patient en une seule livraison. Les centres remplissent le formulaire de demande d'expédition de médicaments VBP15-CUP-NPP. -Le centre envoie ensuite le formulaire au promoteur pour soumission au pôle clinique approprié afin de procéder à l'expédition. -Les centres doivent fournir leurs demandes au moins 15 jours avant la date prévue de la visite de réapprovisionnement du sujet à l'hôpital. -Dans des circonstances particulières, la vamorolone peut être envoyée depuis le centre chez les patients. Concertez-vous avec votre

	responsable des opérations cliniques avant toute demande d'expédition à domicile.
Responsable du programme	Ana de Vera, M.D. ana.devera@santhera.com
Modalités d'élimination	Tout médicament non utilisé doit être retourné à Santhera ou détruit dans un établissement approprié dès que possible après l'arrêt du patient du programme d'usage compassionnel. Les médicaments délivrés pour une demande individuelle d'un patient dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel ne peuvent être utilisés que pour ce patient particulier.
Informations relatives à l'enregistrement de suspicions de réactions indésirables graves Inattendues	D'après le rapport actualisé de pharmacovigilance pour les produits en développement n°8 (<i>Development Safety Update Report</i> , version du 29 février 2024), les éléments suivants ont été reconnus comme des risques potentiels importants : <ul style="list-style-type: none"> • immunosuppression ; • hépatotoxicité ; • l'insuffisance surrénalienne.

Samengevatte informatie_Nederlands

Naam van het product	Vamorolone
Werkzame bestanddeel	17 α ,21-dihydroxy-16 α -methyl-pregna-1,4,9(11)-trien-3,20-dion
Indicatie en gebruiksvoorwaarden	<p>De behandeling van jongens met Duchenne-spierdystrofie die de VBP15-004-studie van ReveraGen momenteel voltooien, onder de voorwaarden dat ze volgens hun arts klinisch baat bij de behandeling hebben en geen bijwerkingen van de behandeling ondervinden die een veilig gebruik bij die patiënt beletten.</p> <p>De arts dient medische tests en controles uit te voeren zoals hij/zij normaal gesproken zou uitvoeren voor een patiënt met DMD (<i>Duchenne Muscular Dystrophy</i>) die met conventionele corticosteroïden wordt behandeld. De patiënt/familie dient een kaart bij zich te dragen die de noodzaak aangeeft voor een stressdosis steroïden in het geval van een ernstige ziekte of operatie. Vamorolone kan worden voorgeschreven in een dosis van 2, 4 of 6 mg/kg/dag, eenmaal daags toegediend in de ochtend. Vamorolone wordt toegediend via de mond met behulp van een spuit met volumeaanduiding. Na de toediening wordt de spuit één keer gevuld met water en wordt het water via de mond toegediend met behulp van de spuit met volumeaanduiding. Vervolgens dient de patiënt ongeveer 50 ml water te drinken, om er zeker van te zijn dat de volledige dosis is ingenomen.</p>
Voorwaarden, termijnen en verdere regels voor deelname door patiënten	<p>Voorwaarden voor deelname:</p> <ul style="list-style-type: none"> • De ouder of wettelijke voogd van de patiënt heeft schriftelijke geïnformeerde toestemming gegeven volgens de toepasselijke verordening gegevensbescherming zoals de AVG. • De patiënt heeft indien van toepassing schriftelijke instemming gegeven. • De patiënt heeft eerder VBP15-004 voltooid tot en met de beoordelingen in week 48. • De patiënt en ouder/wettelijke voogd zijn bereid en in staat om zich aan het aanbevolen toedieningsschema van vamorolone te houden, en opvolging en controles volgens de standaardzorg te ondergaan zoals aanbevolen door hun behandelende arts. • De patiënt komt momenteel niet in aanmerking voor een klinische studie met vamorolone waarvoor momenteel deelnemers worden ingeschreven en/of voor een andere klinische studie waarvoor patiënten met Duchenne-spierdystrofie worden ingeschreven. • De patiënt kan niet bevredigend worden behandeld met de goedgekeurde en in de handel verkrijgbare andere behandelingen, in overeenstemming met de klinische richtlijnen, vanwege veiligheidsproblemen die verband houden met corticosteroïden

	<p>(bijv. groeiachterstand, botbroosheid, Cushing-achtig uiterlijk, stemmingsveranderingen).</p> <p>Voorwaarden die deelname uitsluiten:</p> <ul style="list-style-type: none"> • De patiënt heeft of had een ernstige of intense bijwerking in studie VBP15-004 of tijdens <i>Compassionate Use</i> gebruik (gebruik in schrijnende gevallen) die volgens de behandelende arts waarschijnlijk of zeker verband hield met het gebruik van vamorolone en die een veilig gebruik van vamorolone voor de patiënt belet. • De patiënt en/of ouder/voogd is/zijn niet in staat en/of niet bereid om de reguliere medische zorg en opvolging zoals aanbevolen door hun behandelende arts te ondergaan. <p>De behandelende arts zal indien mogelijk ten minste 4 weken vóór het bezoek van week 48 van de VBP15-004-studie een behandelingsaanvraag naar de verantwoordelijke arts sturen, om te voorkomen dat vamorolone aan het einde van de studie moet worden afgebouwd. De verantwoordelijke arts dient de aanvraag binnen 3 weken te evalueren. Zodra de verantwoordelijke arts de sponsor van de goedkeuring op de hoogte heeft gebracht, kan vamorolone in de meeste gevallen binnen 7 werkdagen aan de apotheek van het centrum worden geleverd.</p>
<p>Duur van het programma</p>	<p>Vamorolone wordt door Santhera aan een individuele patiënt verstrekt op basis van de criteria die in dit programma worden vermeld, vanaf de goedkeuring/opzet van het programma voor <i>Compassionate Use</i> in België totdat het product in België voor Duchenne-spierdystrofie in de handel verkrijgbaar is, of totdat de patiënt naar het klinische oordeel van de behandelende arts geen baat meer ondervindt van voortzetting van de behandeling, afhankelijk van wat zich het eerst voordoet.</p>
<p>Voorwaarden voor distributie</p>	<ul style="list-style-type: none"> - De behandelende arts gaat na of er lopende klinische studies zijn die voor de patiënten geschikt zouden kunnen zijn en controleert de inclusie- en exclusiecriteria van het CUP (<i>Compassionate Use</i> programma). - De behandelende arts dient een gemotiveerde aanvraag in bij de verantwoordelijke arts, schriftelijk of elektronisch, om vamorolone voor een individuele patiënt te verstrekken. - De verantwoordelijke arts controleert de inclusie-/exclusiecriteria en de motivering van de arts om deze patiënt in te schrijven. In het geval van een positief advies stuurt de verantwoordelijke arts zijn/haar akkoord naar de verantwoordelijke van het programma, die ervoor zorgt dat vamorolone via de apotheek voor de patiënt verkrijgbaar is. - Het centrum start een bestelling voor nieuwe voorraad voor één of indien nodig meerdere patiënten op, waarbij een voorraad voor maximaal 6 maanden per patiënt per keer wordt geleverd. Het centrum vult het aanvraagformulier voor de geneesmiddelenverzending van VBP15-CUP-NNP in.

	<ul style="list-style-type: none"> - Het centrum stuurt het formulier vervolgens naar de sponsor voor indiening bij de juiste klinische locatie voor de verwerking van de verzending. - De centra dienen hun aanvragen te verstrekken ten minste 15 dagen voordat de proefpersoon is ingepland voor zijn bezoek aan het ziekenhuis voor een nieuwe voorraad. - In speciale omstandigheden kan vamorolone vanuit het centrum naar de patiënten worden gestuurd. Neem voor een aanvraag voor thuisverzendingen contact op met onze Clinical Operations Manager.
Verantwoordelijke van het programma	<p>Ana de Vera, MD ana.devera@santhera.com</p>
Modaliteiten voor de verwijdering	<p>Al het ongebruikte geneesmiddel dient zo snel mogelijk nadat de patiënt met het <i>Compassionate Use</i> programma is gestopt te worden ingeleverd bij Santhera of te worden vernietigd in een geschikte instelling. De medicatie die wordt geleverd voor de aanvraag van een individuele patiënt in het kader van een <i>Compassionate Use</i> programma mag alleen worden gebruikt voor die specifieke patiënt.</p>
De informatie voor registratie van vermoedelijke, onverwachte ernstige bijwerkingen	<p>Volgens veiligheidsrapport (<i>Development Safety Update Report, DSUR</i>) nr. 8 (versiedatum 29 februari 2024), wordt het volgende erkend als belangrijke mogelijke risico's:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Immunosuppressie; • Hepatotoxiciteit; • Bijnierinsufficiëntie.