

---

**INFORMATIONS SUR LE PROGRAMME D’USAGE  
COMPASSIONNEL ET FORMULAIRE DE CONSENTEMENT  
POUR ADULTES**

---

**Intitulé du programme : Programme d’usage compassionnel de  
MIN-102 chez les patients atteints d’Ataxie de Friedreich**

**Titre du programme :** MIN-102 chez les patients atteints d’Ataxie de Friedreich

**Représentant local :** Minoryx Therapeutics, Rue Auguste Piccard 48, 6041 Gosselies

**Comité d’éthique médicale :** Comité d’éthique Erasme

**Coordonnées de votre médecin traitant**

**Nom :** .....

**Nom et adresse du centre :**

.....  
.....  
.....

**Numéro de téléphone durant la journée :** .....

**Numéro de téléphone en cas d’urgence :** .....

**Numéro de téléphone en dehors des heures de consultation :**

.....

## **1. INTRODUCTION**

Votre médecin traitant souhaite vous proposer de participer à ce programme d'usage compassionnel. Un programme d'usage compassionnel fournit des options de traitement qui ne seraient autrement pas disponibles à des patients souffrant d'une maladie grave et potentiellement mortelle.

Vous êtes invité à participer à ce programme spécifique, car vous êtes atteint d'une Ataxie de Friedreich.

La décision de participer ou non vous revient entièrement. Prenez le temps dont vous avez besoin pour lire ce document et posez toutes vos questions à votre médecin traitant. Vous pouvez en parler avec votre famille, vos amis ou votre médecin traitant avant de prendre une décision. Si vous décidez de participer, vous devez signer le formulaire de consentement à la fin du présent document pour signaler que vous acceptez de participer et que vous nous autorisez à utiliser vos informations à caractère personnel.

## **2. POURQUOI CE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL EST-IL ORGANISÉ ?**

Dans le cadre de notre étude FRAMES réalisée auprès de patients souffrants d'une Ataxie de Friedreich, Minoryx, le promoteur du programme, a constaté que MIN-102 donne des résultats qui sont interprétés comme positifs.

Etant donné qu'aucun traitement n'est actuellement approuvé par l'agence européenne des médicaments, Minoryx souhaite fournir un accès au MIN-102 pour les patients ayant participé à l'étude de phase II et qui sont demandeurs de continuer le traitement.

## **3. QUI PARTICIPERA À CE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ?**

Les patients souffrant d'une Ataxie de Friedreich qui satisfont les critères d'inclusion / d'exclusion du présent programme.

## **4. SUIS-JE OBLIGÉ DE PARTICIPER À CE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ET PUIS-JE CHANGER D'AVIS ET CESSER D'Y PARTICIPER ?**

La décision de participer ou non à ce programme vous revient entièrement.

Vous pouvez décider de participer à ce programme ou d'arrêter de prendre MIN-102 à tout moment, mais vous devez en avertir votre médecin traitant qui vous fournira de plus amples informations sur la suite des événements. Il nous serait utile de connaître vos raisons de mettre fin à cette participation, mais vous n'êtes en aucun cas obligé de fournir ces raisons. Si vous décidez de ne pas participer ou de cesser de participer par la suite, cela n'affectera en rien vos soins médicaux habituels. Votre médecin traitant discutera avec vous d'autres options de traitements possibles.

## 5. QUE VA-T-IL SE PASSER SI JE PARTICIPE AU PROGRAMME ?

Si ce programme vous convient, vous recevrez un traitement par MIN-102. Votre médecin traitant vous expliquera ce que vous devez faire et quels examens vous devrez passer pendant le programme.

Vous pouvez recevoir MIN-102 jusqu'à ce que le promoteur de ce programme décide de l'interrompre (par exemple, en cas des raisons de sécurité). Cependant, si votre médecin traitant estime que vous répondez de manière insatisfaisante au traitement par MIN-102, il peut également décider d'arrêter le traitement.

### - **Instructions pour l'administration de MIN-102 :**

Veillez à toujours prendre ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin traitant. Vérifiez auprès de votre médecin, votre pharmacien ou votre infirmier/ère en cas de doute.

Le médicament sera administré une fois par jour le matin, environ à la même heure chaque jour, après le petit déjeuner.

Vous recevrez suffisamment de kits de médicament pour couvrir le traitement au moins jusqu'à votre prochaine visite, y compris une quantité de réserve. Une seringue de 10 ml sera fournie avec chaque flacon et devra être utilisée pour vider le médicament dans votre bouche. Vous prendrez la dose indiquée par votre médecin traitant. Il pourra vous être demandé d'ajuster la dose prise en fonction de la quantité de médicament atteignant votre système. Si un ajustement de dose est nécessaire, votre médecin traitant vous en informera. Vous recevrez pour instruction de remplir la seringue au volume correct, qui sera arrondi à 0,5 ml près. Après chaque administration du médicament, la seringue doit être nettoyée à l'eau claire, et une nouvelle seringue doit être utilisée avec chaque nouveau flacon. Vous recevrez pour instruction de terminer chaque flacon avant de commencer à prendre le médicament du flacon plein suivant. Il vous sera conseillé de rapporter au centre tous les flacons vides et partiellement pleins.

MIN-102 vous sera offert jusqu'au moment où votre médecin considère le rapport risque/bénéfice favorable.

Votre médecin peut vous prescrire MIN-102 en complément d'autre(s) traitement(s). N'oubliez pas de prendre cet(ces) autre(s) traitement(s) prescrit(s) par votre médecin. Vous aurez ainsi de meilleures chances de voir votre état de santé s'améliorer.

### - **Procédures**

#### La première visite

Avant de rejoindre ce programme, il vous sera demandé d'informer le médecin traitant des médicaments éventuels que vous prenez à l'heure actuelle ou que vous avez pris dans les 6 derniers mois. Votre médecin traitant vous indiquera les médicaments que vous pourrez continuer à prendre au cours du programme à condition que la dose ait été constante pendant  $\geq$  3 mois avant la sélection et qu'elle reste identique pendant toute la durée du programme.

Tout traitement qui vous est prescrit au cours de ce programme devra être porté à l'attention de votre médecin traitant. La participation à d'autres études cliniques (testant de nouveaux

médicaments ou dispositifs médicaux) dans les 2 derniers mois et au cours de ce programme n'est pas autorisée.

Si que vous participez à ce programme, vous devrez venir tous les 6 mois au cours de la première année de traitement et au moins tous les ans après la première année. Si vous prenez un placebo au cours de l'étude FRAMES, il vous sera demandé d'effectuer quelques visites supplémentaires : 4 semaines et 12 semaines après le début de ce programme. Il y aura également des appels téléphoniques réguliers pendant que vous continuez ce programme. Des échantillons de sang et d'urine seront prélevés pour des tests de sécurité. Ces échantillons de sang doivent être prélevés lorsque vous êtes à jeun (ce qui signifie que vous n'avez pas mangé et que vous n'avez bu que de l'eau pendant environ 8 heures avant le prélèvement).

En plus de collecter du sang pour des tests de sécurité, nous collecterons du sang supplémentaire pour vérifier si le médicament a été absorbé dans votre corps (cela s'appelle la pharmacocinétique ou PK).

Il est essentiel que les participantes ne débutent pas de grossesse au cours du programme. Par conséquent, toutes les participantes doivent utiliser une méthode fiable de contraception. Si vous débutez une grossesse au cours du programme, vous devez en informer votre médecin traitant immédiatement.

Voici les procédures et analyses que vous réaliserez pendant ce programme. Certaines seront fréquentes, d'autres ne seront qu'occasionnelles.

- **Prises de sang** : des prélèvements sanguins seront effectués pour plusieurs analyses de sang, y compris des analyses de sécurité en laboratoire de routine, le dépistage de l'hépatite et du virus de l'immunodéficience humaine (VIH), des tests PK pour savoir dans quelle mesure le médicament est absorbé, et des tests de grossesse pour les participantes. Certaines de ces analyses ne seront réalisées qu'une fois, tandis que d'autres pourront être répétées. Il est possible que vous ressentiez une certaine gêne lors des prises de sang.
- **Analyse d'urine** : des prélèvements d'urine seront effectués pour plusieurs analyses d'urine, y compris des analyses de sécurité en laboratoire de routine et des examens spécifiques aux cellules anormales de la vessie.
- **Test de grossesse urinaire** : si vous êtes une femme apte à procréer, vous effectuerez des tests de grossesse urinaires une fois par mois.
- **Examen clinique** : vous passerez un examen clinique qui pourra inclure l'évaluation du cœur, des poumons, de l'abdomen, des extrémités et de la peau, avec une attention particulière pour la présence de gonflements des jambes et des mains (œdème périphérique) et de signes ou symptômes d'insuffisance cardiaque. Lors de certaines visites, les examens réalisés pourront n'avoir de rapport qu'avec l'œdème périphérique.
- **Signes vitaux** : votre taille, poids corporel, tension artérielle, pouls et température seront mesurés. La température et la taille ne seront pas mesurées à chaque visite. Vous pourrez ressentir une pression lors du gonflement du brassard pour la tension artérielle.
- **Électrocardiogramme (ECG) à 12 dériviatiions** : des autocollants fixés à des électrodes seront collés sur votre dos, votre poitrine, vos bras et vos jambes. Ces électrodes mesureront l'activité électrique de votre cœur. Cela ne prendra que quelques minutes et ne devrait pas provoquer de gêne. Les tampons collants de l'ECG peuvent provoquer une irritation et des démangeaisons.

- **Échocardiogramme** : celui-ci permet au médecin traitant d'examiner votre cœur, sa forme, sa structure et son fonctionnement en utilisant des ultrasons. Il s'agit d'une procédure non invasive et indolore. Un gel est appliqué à la poitrine, et un bâton est pressé contre la poitrine. Vous pouvez ressentir une gêne liée au gel froid et au bâton.

### Les visites régulières

Votre médecin traitant vérifiera que tout va bien pour vous et au niveau de votre traitement par MIN-102 lors de vos visites habituelles dans le cadre de votre Ataxie de Friedreich, conformément aux usages locaux.

Lors des visites, voici ce qui aura trait au MIN-102:

- MIN-102 vous sera fourni pour vous permettre d'en prendre au moins 6 mois.
- Discussion de toute potentielle réduction du dosage ou d'interruption de la prise, y compris les prises manquées.
- Questions sur tout effet secondaire potentiel.

### La visite d'arrêt

Si vous décidez de mettre fin à votre participation à ce programme, voici ce qu'il se passera :

- Discussion de tout effet secondaire. Si vous subissez le moindre effet secondaire grave, votre médecin traitant continuera à suivre la situation et à vérifier comment vous allez après l'arrêt du programme.
- Votre médecin traitant vous demandera quelle est la raison de cette décision, mais vous n'êtes pas obligé de fournir une raison. Il peut être utile pour votre traitement ultérieur de la communiquer.

Il n'y aura pas de prise de sang significative supplémentaire au cours de ce programme. L'échantillon de sang prélevé pendant la première visite est le même que celui qui serait prélevé pendant un bilan sanguin classique et sera analysé localement. Des échantillons PK destinés à connaître la quantité de médicament absorbée seront envoyés à un laboratoire externe.

## 6. QUE VAIS-JE DEVOIR FAIRE ?

Si vous acceptez de participer à ce programme, vous devrez suivre les instructions de votre médecin traitant, venir aux visites, prendre MIN-102 et passer tous les tests et examens décrits ci-dessus.

Il est également important que vous avertissiez le médecin traitant de tout autre médicament, vitamine, complément alimentaire ou à base de plantes, que vous avez pris avant et que vous prenez pendant le programme, car il est possible que vous ne puissiez pas prendre certains de ceux-ci avec MIN-102 en raison d'un risque d'interaction. Votre médecin traitant dispose d'une liste de médicaments que vous devez éviter pendant que vous prenez MIN-102. Il est donc important de consulter cette liste avant de prendre le moindre nouveau médicament.

Vous n'êtes pas autorisé à participer à un essai portant sur un médicament expérimental tant que vous faites partie de ce programme. Si vous avez d'autres contacts dans le domaine de la santé, par exemple avec un autre médecin, ou un dentiste, veuillez leur signaler que vous participez à ce programme.

### Les patients en âge de procréer

Nous ignorons si le traitement par MIN-102 peut provoquer des lésions ou être nocif pour un enfant à naître si une participante procréée alors qu'elle prend MIN-102.

Pour cette raison, vous ne devez pas procréer pendant votre participation à ce programme.

**Pour les participants :** Si vous n'avez pas subi de vasectomie et si vous avez une partenaire apte à procréer, vous devez accepter d'utiliser une méthode de contraception acceptable pendant votre participation au programme et pendant 3 mois après votre dernière administration de MIN-102. Le médecin traitant discutera avec vous des méthodes acceptables de contraception.

**Pour les participantes :** vous devez prendre des mesures de sécurité pour éviter une grossesse jusqu'au moins 30 jours après la prise de MIN-102. Vous devez contacter immédiatement votre médecin traitant si vous débutez une grossesse pendant ce programme.

## 7. QUELS SONT LES EFFETS SECONDAIRES ?

Tous les médicaments ont des effets secondaires connus ou imprévisibles. Si les études précédentes ont montré que le médicament de ce programme était habituellement bien toléré, vous pourriez cependant éprouver les effets secondaires suivants :

Vous pourrez présenter des effets indésirables et des symptômes en raison du traitement par MIN-102. Les effets indésirables et symptômes connus du traitement par MIN-102 peuvent inclure :

- Maux de tête.
- Nausée.
- Fatigue.
- Dysphagie (difficulté à avaler).

Dans le cadre d'une autre étude en cours chez des patients adultes, les symptômes suivants ont été observés. Étant donné que nous ignorons encore quels patients prenaient MIN-102 et lesquels prenaient le placebo, ces symptômes ne peuvent pas encore être clairement attribués à l'un ou à l'autre. Rétention liquidienne ou œdème périphérique, qui peut aggraver ou provoquer une insuffisance cardiaque.

- Prise de poids.
- Larmolement accru.
- Baisse de la concentration de cellules dans le sang due à l'augmentation des liquides.

La pioglitazone, un médicament de la même classe que MIN-102 et utilisée régulièrement depuis 2000 dans le traitement du diabète, est connue pour présenter des effets indésirables similaires. En outre, les effets et symptômes rares suivants ont été observés :

- Le cancer de la vessie peut être associé à l'administration à long terme de pioglitazone.
- Insuffisance hépatique.
- Augmentation de la fréquence des fractures osseuses chez les femmes.

En raison de la nature expérimentale de ce programme, il peut exister d'autres risques encore inconnus à l'heure actuelle. Si vous présentez des effets indésirables, veuillez les signaler à votre médecin traitant lors de votre prochaine visite programmée. Veuillez informer immédiatement le médecin traitant de tout effet indésirable grave.

La possibilité ne peut être écartée que votre capacité à utiliser des machines ou à conduire une voiture soit affectée par votre participation à ce programme.

D'autres risques et inconvénients inconnus à ce jour peuvent éventuellement apparaître. Il est donc très important de signaler rapidement tout nouveau problème de santé au médecin traitant que vous pensiez ou non qu'il soit en rapport à ce programme.

### Généralités

Il existe un risque que votre état de santé ne s'améliore pas, voire qu'il s'aggrave pendant le

programme d'accès anticipé. Votre médecin traitant assurera un suivi étroit de votre santé et peut décider de mettre fin à votre participation au programme d'accès anticipé si celui-ci n'est pas sans danger pour vous.

## **8. PARTICIPER AU PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL VA-T-IL M'AIDER OU AMÉLIORER MON ÉTAT DE SANTÉ ?**

Il est possible que la participation à ce programme d'usage compassionnel ne vous aide pas ou n'améliore pas votre santé. Cela vous offre par contre la possibilité de bénéficier de MIN-102, avant l'approbation et la commercialisation pour un traitement de l'Ataxie de Freidreich.

En examinant toutes les options de traitement, votre médecin traitant a décidé de discuter avec vous de ce programme dans le but d'essayer MIN-102 comme traitement potentiel de votre Ataxie de Freidreich.

## **9. COMMENT MES INFORMATIONS PERSONNELLES ET MES ÉCHANTILLONS LIÉS AU PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL VONT-ILS ÊTRE TRAITÉS ET UTILISÉS ?**

Au cours de ce programme, vos données à caractère personnel et résultats médicaux seront recueillis. Ces données seront conservées et examinées conformément à la loi. Votre consentement est requis avant de participer à ce programme.

Si vous choisissez de participer à ce programme, le médecin traitant, en sa qualité de co-responsable du traitement avec le promoteur Minoryx Therapeutics BE SA (collectivement les responsables du traitement), recueillera et utilisera vos données à caractère personnel. Les données à caractère personnel transmises ne contiendront aucune association d'éléments susceptible de vous identifier. Les données à caractère personnel peuvent inclure :

- Votre nom, adresse et coordonnées
- Année de naissance ou votre âge
- Informations démographiques
- Antécédents médicaux, y compris les dossiers médicaux passés et présents
- Informations issues de vos visites, y compris les résultats d'analyses

Le médecin traitant pourra partager vos données à caractère personnel avec :

- Minoryx Therapeutics BE SA ou son délégué (toute société employée pour superviser ou mener le programme)
- Le Comité d'éthique indépendant, qui est un groupe de personnes examinant les aspects éthiques de la recherche chez l'humain
- Un comité de surveillance et de suivi
- Les autorités réglementaires belges des agences gouvernementales d'autres pays
- D'autres sociétés ou agences travaillant avec le (ou appartenant au) promoteur
- Votre médecin de famille, si nécessaire



Vos données relatives à ce programme seront traitées conformément au Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD, Réf. i) et la loi belge du 30 juillet 2018 (Réf. ii) sur la protection des données. Le promoteur est responsable de la protection des données.

Le promoteur et les personnes travaillant pour son compte pourront utiliser les données à caractère personnel qui leur sont envoyées :

- Pour déterminer si le médicament agit
- Pour déterminer si le médicament est sûr
- Pour d'autres activités de recherche liées au médicament
- Pour s'assurer que les lois et procédures applicables sont suivies par ce programme
- Pour produire les rapports éventuels requis par les lois applicables

Une fois vos données à caractère personnel partagées avec les utilisateurs autorisés, elles ne seront peut-être plus protégées par les lois de protection de la vie privée en vigueur dans votre pays. Vos données pourront être transmises dans d'autres pays pour traitement, y compris des pays dont la législation en matière de protection des données n'est pas aussi stricte que dans votre pays. Les responsables du traitement veilleront à ce que tous les transferts soient effectués conformément aux lois applicables et que les données à caractère personnel soient constamment sécurisées par des mesures techniques et organisationnelles adaptées.

Conformément à la législation en vigueur, vos données à caractère personnel recueillies dans le cadre de l'étude seront conservées pour une durée minimum de 20 ans, voire de 30 ans si ces informations figurent également dans vos dossiers médicaux.

Le consentement que vous fournissez aujourd'hui n'est pas limité dans le temps et se prolongera à moins et jusqu'à ce que vous le retirez. Vous pouvez retirer votre consentement à l'utilisation et au partage de vos données à caractère personnel à tout moment en l'indiquant au médecin traitant par écrit. Vous pouvez le faire en envoyant une notification écrite au médecin traitant ou au responsable de la protection des données de l'Hôpital Erasme à,

Service juridique,

[dpo@erasme.ulb.ac.be](mailto:dpo@erasme.ulb.ac.be)

Avenue Joseph Wybran 40,  
1070 Bruxelles,

Si vous retirez votre consentement, vous ne pourrez plus participer à ce programme. Si vous retirez votre consentement, plus aucune nouvelle donnée à caractère personnel à votre sujet ne pourra être recueilli après cette date. Toutefois, les données à caractère personnel déjà recueillies pourront toujours être utilisées et transmises à d'autres personnes.

Vous avez le droit de consulter et de faire des copies de vos dossiers médicaux ou des données à caractère personnel détenues par les responsables du traitement à tout moment. Cependant, en signant le présent formulaire, vous acceptez de ne pas consulter ou copier les données du programme vous concernant avant que le promoteur n'ait terminé tout le travail relatif à ce programme.

Vous disposez d'un droit de rectification, de demande de suppression ou d'objection au traitement de toute donnée à caractère personnel vous concernant détenue par les responsables du traitement à tout moment. Vous pouvez le faire en contactant le médecin traitant par écrit à l'adresse indiquée en

page 1 ou au responsable de la protection des données de l'Hôpital Erasme. Par ailleurs, si vous n'êtes pas satisfait(e) de la façon dont vos données à caractère personnel sont traitées, vous avez le droit de déposer plainte auprès de l'autorité de supervision de la protection des données de votre pays :

Autorité de protection des  
données,

Drukpersstraat 35,  
1000 Bruxelles,  
Tél. +32 2 274 48 00

Courriel : [contact@apd-gba.be](mailto:contact@apd-gba.be)

Site Internet : [www.gegevensbeschermingsautoriteit.be](http://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be)

## **10. CETTE PARTICIPATION ME COÛTERA-T-ELLE QUELQUE CHOSE ?**

La participation à ce programme d'accès anticipé ne vous coûtera rien. MIN-102 sera pris en charge par Minoryx. Les autres frais médicaux seront à votre charge, et pourront être entièrement et partiellement remboursés par votre mutuelle.

## **11. QUE SE PASSE-T-IL SI JE ME BLESSE PENDANT MA PARTICIPATION AU PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ?**

Ni Minoryx ni votre médecin traitant ne pourra être tenu responsable d'aucune blessure (qu'elle soit liée au traitement ou non) si vous utilisez MIN-102 pour un usage non approuvé dans le cadre de ce programme. Vous devez être conscient que votre système de soins de santé/assureur pourrait ne pas couvrir les coûts de blessures ou maladies dans ce cadre.

En signant ce formulaire de consentement, vous ne perdrez aucun de vos droits juridiques et vous ne dégagez pas le promoteur du programme ou votre médecin traitant (ou l'équipe du médecin traitant) de ses responsabilités en cas d'erreur ou de faute intentionnelle.

Si vous êtes blessé pendant que vous recevez MIN-102, votre médecin traitant discutera avec vous des options de traitement médical disponibles. Si vous le souhaitez, vous pouvez prendre des dispositions pour que ce traitement soit réalisé par un autre médecin agréé de votre choix.

En cas d'urgence, consultez immédiatement un médecin.

## **12. QUE SE PASSE-T-IL SI DE NOUVELLES INFORMATIONS APPARAISSENT ?**

Si Minoryx découvre de nouvelles informations importantes au sujet du programme d'usage compassionnel, votre médecin traitant vous en avertira dès que possible et vous demandera si vous souhaitez poursuivre le programme.

## **13. PUIS-JE ME RETIRER OU ÊTRE RETIRÉ DU PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ?**

Vous pouvez être retiré du programme même si vous souhaitez le poursuivre.

Les raisons possibles pour ceci sont les suivantes :

- Votre médecin traitant estime qu'il est préférable pour vous d'arrêter.
- Vous ne suivez pas les instructions du programme.
- Minoryx, les autorités sanitaires, les organismes d'éthique ou de réglementation décide(nt) que le programme doit être interrompu.

Minoryx se réserve le droit de mettre fin au programme si :

- Le profil de bénéfice/risque de MIN-102 est déterminé par Minoryx comme ne permettant plus d'encourager une utilisation de MIN-102.
- Une pénurie inattendue de MIN-102 survient.
- Un autre médicament efficace est mis sur le marché.

## CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

**Titre du programme :** MIN-102 chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich

### Participant

En signant ce formulaire, vous confirmez les affirmations suivantes :

- J'ai eu le temps de lire ces informations et de réfléchir à ce programme d'usage compassionnel et j'ai obtenu des réponses adéquates à mes questions.
- J'accepte de participer à ce programme à usage compassionnel.
- J'accepte que mes informations personnelles encodées soient collectées et utilisées de la manière décrite dans le présent document

Nom et prénom du participant: .....

Date (JJ/MMM/AAAA): .....

Signature du participant: .....

*Nous vous fournirons une copie de ce formulaire une fois qu'il sera daté et signé.*

## CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

**Titre du programme : MIN-102 chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich**

### Médecin traitant

Je, soussigné, le médecin traitant, confirme que

- Le participant a reçu verbalement les informations nécessaires au sujet du programme, a reçu des explications sur le contenu du programme et a reçu un original signé du présent document.
- J'ai vérifié si le participant a compris le programme.
- J'ai laissé suffisamment de temps au participant pour décider de participer ou pas au programme et poser ses questions.
- Aucune pression n'a été exercée pour que le participant accepte de participer au programme.
- Je travaille en accord avec les principes éthiques énoncés dans la dernière version de la « Déclaration d'Helsinki », des « Bonnes pratiques Cliniques » et de la loi belge.

Nom et prénom du médecin traitant: .....

Date (JJ/MMM/AAAA): .....

Signature du médecin traitant: .....

---

<sup>i</sup> Règlement général sur la protection des données n° 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE.

<sup>ii</sup> Loi belge de 30 Juillet 2018 relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel.

---

**INFORMATIONS SUR LE PROGRAMME D'USAGE  
COMPASSIONNEL ET FORMULAIRE DE CONSENTEMENT A  
L'ATTENTION DES PARENTS**

---

**Intitulé du programme : Programme d'usage compassionnel de  
MIN-102 chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich**

**Titre du programme :** MIN-102 chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich

**Représentant local :** Minoryx Therapeutics, Rue Auguste Piccard 48, 6041 Gosselies

**Comité d'éthique médicale :** Comité d'éthique Erasme

**Coordonnées de votre médecin traitant**

**Nom :** .....

**Nom et adresse du centre :**

.....  
.....  
.....

**Numéro de téléphone durant la journée :** .....

**Numéro de téléphone en cas d'urgence :** .....

**Numéro de téléphone en dehors des heures de consultation :** .....

.....

## **1 . INTRODUCTION**

Votre médecin traitant souhaite proposer à votre enfant de participer à ce programme d'usage compassionnel. Un programme d'usage compassionnel fournit des options de traitement qui ne seraient autrement pas disponibles à des patients souffrants d'une maladie grave et potentiellement mortelle.

Votre enfant est invité à participer à ce programme spécifique, car il est atteint d'Ataxie de Friedreich. Ce formulaire vous fournit toutes les informations importantes au sujet de ce programme. Il vous expliquera l'objectif de ce programme, ainsi que les risques et bénéfices possibles liés à sa participation.

Veuillez lire attentivement ces quelques pages d'informations et posez toutes les questions que vous souhaitez à votre médecin traitant ou à la personne qui le représente. Si vous décidez de le faire participer, vous devez signer le formulaire de consentement à la fin du présent document pour signaler que vous acceptez sa participation et que vous nous autorisez à utiliser ses informations à caractère personnel.

## **2. POURQUOI MON ENFANT PARTICIPE-IL A CE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ?**

Dans le cadre de notre étude FRAMES réalisée auprès de patients souffrants d'Ataxie de Friedreich, Minoryx, le promoteur du programme, a constaté que MIN-102 donne des résultats qui sont interprétés comme positifs.

Etant donné qu'aucun traitement n'est actuellement approuvé par l'agence européenne des médicaments, Minoryx souhaite fournir un accès à MIN-102 pour les patients ayant participé à l'étude de phase II et qui sont demandeurs de continuer le traitement.

## **3. QUI PARTICIPERA À CE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ?**

Les patients souffrant d'Ataxie de Friedreich, qui satisfont les critères d'inclusion / d'exclusion du présent programme.

## **4. MON ENFANT EST-IL OBLIGÉ DE PARTICIPER À CE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ET PEUT-IL CHANGER D'AVIS ET CESSER D'Y PARTICIPER ?**

La décision que votre enfant participe ou non à ce programme vous revient entièrement à vous et à votre enfant. L'arrêt de MIN-102 ou carrément l'arrêt de la participation à ce programme peut être cessé à tout moment, mais vous devez en avertir votre médecin traitant, qui vous fournira ainsi qu'à votre enfant de plus amples informations sur la suite des événements. Il nous serait utile de connaître vos raisons de mettre fin à la participation de votre enfant, mais vous n'êtes en aucun cas obligé de fournir ces raisons. Si vous décidez de ne pas faire participer votre enfant ou de cesser la participation par la suite, cela n'affectera en rien ses soins médicaux habituels. Votre médecin traitant discutera avec vous d'autres options de traitements possibles.

## 5. QUE VA-T-IL SE PASSER SI MON ENFANT PARTICIPE AU PROGRAMME ?

Si ce programme convient à votre enfant, il recevra un traitement par MIN-102. Le médecin traitant vous expliquera ce que vous devez faire et quels examens votre enfant devra passer pendant le programme.

Votre enfant peut recevoir MIN-102 jusqu'à ce que le promoteur de ce programme décide de l'interrompre (par exemple, en cas des raisons de sécurité). Cependant, si votre médecin traitant estime que votre enfant répond de manière insatisfaisante au traitement par MIN-102, il peut également décider de lui faire arrêter le traitement.

### - **Instructions pour l'administration de MIN-102**

Veillez à toujours donner ce médicament en suivant exactement les indications de votre médecin. Vérifiez auprès de votre médecin, votre pharmacien ou votre infirmier/ère en cas de doute.

Le médicament sera administré une fois par jour le matin, environ à la même heure chaque jour, après le petit-déjeuner.

Votre enfant recevra suffisamment de kits du médicament pour couvrir le traitement au moins jusqu'à sa prochaine visite, y compris une quantité de réserve. Une seringue de 10 ml sera fournie avec chaque flacon et devra être utilisée pour vider le médicament dans la bouche du patient. Votre enfant prendra la dose indiquée par votre médecin traitant. Il pourra lui être demandé d'ajuster la dose prise en fonction de la quantité de médicament atteignant son système. Si un ajustement de dose est nécessaire, votre médecin traitant lui en informera. Vous recevrez pour instruction de remplir la seringue au volume correct, qui sera arrondi à 0,5 ml près. Après chaque administration du médicament, la seringue doit être nettoyée à l'eau claire, et une nouvelle seringue doit être utilisée avec chaque nouveau flacon. Vous recevrez pour instruction de terminer chaque flacon avant de commencer à prendre le médicament du flacon plein suivant. Il vous sera conseillé de rapporter au centre tous les flacons vides et partiellement pleins.

MIN-102 lui sera offert jusqu' au moment où votre médecin considère le rapport risque/bénéfice favorable.

Votre médecin peut lui prescrire MIN-102 en complément d'autre(s) traitement(s). N'oubliez pas de donner cet(ces) autre(s) traitement(s) prescrit(s) par votre médecin. Vous aurez ainsi de meilleures chances de voir son état de santé s'améliorer.

### - **Procédures**

#### La première visite

Avant de rejoindre ce programme, il vous sera demandé d'informer votre médecin traitant des médicaments éventuels que votre enfant prend à l'heure actuelle ou qu'il a pris dans les 6 derniers mois. Votre médecin traitant vous indiquera les médicaments que votre enfant pourra continuer à prendre au cours de ce programme, que la dose ait été constante pendant  $\geq 3$  mois avant la sélection et qu'elle reste identique pendant toute la durée de ce programme.



Tout traitement qui est prescrit à votre enfant au cours de ce programme devra être porté à l'attention de votre médecin traitant. La participation à d'autres études cliniques (testant de nouveaux médicaments ou dispositifs médicaux) dans les 2 derniers mois et au cours de ce programme n'est pas autorisée.

Si votre enfant participe à ce programme, il devra venir en visite tous les 6 mois au cours de la première année de traitement et au moins tous les ans après la première année. Si votre enfant a pris un placebo au cours de l'étude FRAMES, il lui sera demandé de venir à quelques visites supplémentaires : 4 semaines et 12 semaines après le début de ce programme. Il y aura également des appels téléphoniques réguliers pendant qu'il continue ce programme.

Dans ce programme, des échantillons de sang et d'urine seront prélevés pour des tests de sécurité. Ces échantillons de sang doivent être prélevés lorsqu'il est à jeun (ce qui signifie qu'il ne peut pas manger et ne peut boire que de l'eau pendant environ 8 heures avant le prélèvement).

En plus de collecter du sang pour des tests de sécurité, nous collecterons du sang supplémentaire pour vérifier si le médicament a été absorbé dans son corps (cela s'appelle la pharmacocinétique ou PK).

Il est essentiel que les participantes ne débutent pas de grossesse au cours du programme. Par conséquent, toutes les participantes doivent utiliser une méthode fiable de contraception. Si une grossesse débute au cours du programme, vous devez en informer le médecin traitant immédiatement.

Voici les procédures et analyses qui seront réalisées sur votre enfant pendant ce programme. Certaines seront fréquentes, d'autres ne seront qu'occasionnelles.

- **Prises de sang** : des prélèvements sanguins seront effectués pour plusieurs analyses de sang, y compris des analyses de sécurité en laboratoire de routine, de dépistage de l'hépatite et du virus de l'immunodéficience humaine (VIH), des tests PK pour savoir dans quelle mesure le médicament est absorbé, et des tests de grossesse pour les participantes. Certaines de ces analyses ne seront réalisées qu'une fois, tandis que d'autres pourront être répétées. Il est possible que votre enfant ressente une certaine gêne lors des prises de sang.
- **Analyse d'urine** : des prélèvements d'urine seront effectués pour plusieurs analyses d'urine, y compris des analyses de sécurité en laboratoire de routine et des examens spécifiques aux cellules anormales de la vessie.
- **Test de grossesse urinaire** : si votre enfant est apte à procréer, des tests de grossesse urinaires une fois par mois seront effectués.
- **Examen clinique** : votre enfant passera un examen clinique qui pourra inclure l'évaluation du cœur, des poumons, de l'abdomen, des extrémités et de la peau, avec une attention particulière pour la présence de gonflements des jambes et des mains (œdème périphérique) et de signes ou symptômes d'insuffisance cardiaque. Lors de certaines visites, les examens réalisés pourront n'avoir de rapport qu'avec l'œdème périphérique.
- **Signes vitaux** : sa taille, poids corporel, tension artérielle, pouls et température seront mesurés. La température et la taille ne seront pas mesurées à chaque visite. Il pourra ressentir une pression lors du gonflement du brassard pour la tension artérielle.
- **Électrocardiogramme (ECG) à 12 dérivations** : des autocollants fixés à des électrodes

seront collés sur le dos de votre enfant, sa poitrine, ses bras et ses jambes. Ces électrodes mesureront l'activité électrique de son cœur. Cela ne prendra que quelques minutes et ne devrait pas provoquer de gêne. Les tampons collants de l'ECG peuvent provoquer une irritation et des démangeaisons.

- **Échocardiogramme** : celui-ci permet au médecin traitant d'examiner le cœur de votre enfant, sa forme, sa structure et son fonctionnement en utilisant des ultrasons. Il s'agit d'une procédure non invasive et indolore. Un gel est appliqué à la poitrine, et un bâton est pressé contre la poitrine. Votre enfant peut ressentir une gêne liée au gel froid et au bâton.

### Les visites régulières

Votre médecin traitant vérifiera que tout va bien pour votre enfant et au niveau de son traitement par MIN-102 lors de ses visites habituelles dans le cadre de son ataxie de Friedreich, conformément aux usages locaux.

Lors des visites, voici ce qui aura trait au MIN-102:

- MIN-102 sera fourni pour permettre à votre enfant d'en prendre au moins 6 mois.
- Discussion de toute potentielle réduction du dosage ou d'interruption de la prise, y compris les prises manquées.
- Questions sur tout effet secondaire potentiel.

### La visite d'arrêt

Si vous ou votre enfant décidez de mettre fin à la participation à ce programme, voici ce qu'il se passera :

- Discussion de tout effet secondaire – Si votre enfant subit le moindre effet secondaire grave, votre médecin traitant continuera à suivre la situation et à vérifier comment votre enfant se sent après l'arrêt du programme.
- Votre médecin traitant vous demandera quelle est la raison de cette décision, mais votre enfant n'est pas obligé de fournir une raison. Il peut être utile de la communiquer pour son traitement ultérieur.

Il n'y aura pas de prise de sang significative supplémentaire au cours de ce programme. L'échantillon de sang prélevé pendant la première visite est le même que celui qui sera prélevé pendant un bilan sanguin classique et sera analysé localement. Des échantillons PK destinés à connaître la quantité de médicament absorbée seront envoyés à un laboratoire externe.

## 6. QUE DEVRA FAIRE VOTRE ENFANT?

Si vous acceptez que votre enfant participe à ce programme, votre enfant devra suivre les instructions de votre médecin traitant, venir aux visites, prendre MIN-102 et passer tous les tests et examens décrits ci-dessus.

Il est également important que vous avertissiez le médecin traitant de tout autre médicament, vitamine, complément alimentaire ou à base de plantes, que votre enfant a pris avant et prend pendant le programme, car il est possible que votre enfant ne puisse pas prendre certains de ceux-ci avec MIN-102 en raison d'un risque d'interaction. Votre médecin traitant dispose d'une liste de médicaments que vous devez éviter pendant qu'il prend MIN-102. Il est donc important de consulter cette liste avant de donner le moindre nouveau médicament à votre enfant.

Votre enfant n'est pas autorisé à participer à un essai portant sur un médicament expérimental tant qu'il fait partie de ce programme. Si votre enfant a d'autres contacts dans le domaine de la santé, par exemple avec un autre médecin, ou un dentiste, veuillez leur signaler qu'il participe à ce programme d'usage compassionnel.

## 7. QUELS SONT LES EFFETS SECONDAIRES ?

Tous les médicaments ont des effets secondaires connus ou imprévisibles. Si les études précédentes ont montré que le médicament était habituellement bien toléré, votre enfant pourra cependant éprouver les effets secondaires suivants.

Votre enfant pourra présenter des effets indésirables et des symptômes en raison du traitement par MIN-102. Les effets indésirables et symptômes connus du traitement par MIN-102 peuvent inclure :

- Maux de tête.
- Nausée.
- Fatigue.
- Dysphagie (difficulté à avaler).

Dans le cadre d'une autre étude en cours chez des patients adultes, les symptômes suivants ont été observés. Étant donné que nous ignorons encore quels patients prenaient MIN-102 et lesquels prenaient le placebo, ces symptômes ne peuvent pas encore être clairement attribués à l'un ou à l'autre.

- Rétention liquidienne ou œdème périphérique, qui peut aggraver ou provoquer une insuffisance cardiaque
- Prise de poids.
- Larmoiement accru.
- Baisse de la concentration de cellules dans le sang due à l'augmentation des liquides.

La pioglitazone, un médicament de la même classe que MIN-102 et utilisé régulièrement depuis 2000 dans le traitement du diabète, est connue pour présenter des effets indésirables similaires. En outre, les effets et symptômes rares suivants ont été observés:

- Le cancer de la vessie peut être associé à l'administration à long terme de pioglitazone.
- Insuffisance hépatique.
- Augmentation de la fréquence des fractures osseuses chez les femmes.

En raison de la nature expérimentale de ce programme, il peut exister d'autres risques encore inconnus à l'heure actuelle. Si votre enfant présente des effets indésirables, veuillez les signaler à votre médecin traitant lors de sa prochaine visite programmée. Veuillez informer immédiatement le médecin traitant de tout effet indésirable grave.

La possibilité que sa capacité à utiliser des machines ou à conduire une voiture soit affectée par sa participation à ce programme ne peut être écartée.

D'autres risques et inconvénients inconnus à ce jour peuvent éventuellement apparaître. Il est donc très important de signaler rapidement tout nouveau problème de santé au médecin traitant que vous pensiez ou non qu'il soit en rapport avec ce programme.

### **Généralités**

Il existe un risque que son état de santé ne s'améliore pas, voire qu'il s'aggrave pendant le programme d'accès anticipé. Votre médecin traitant assurera un suivi étroit de sa santé et peut décider que votre enfant doit mettre fin à sa participation au programme d'accès anticipé si celui-ci n'est pas sans danger pour lui.

## **8. PARTICIPER AU PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL VA-T-IL AIDER OU AMÉLIORER L'ÉTAT DE SANTÉ DE VOTRE ENFANT?**

Il est possible que la participation à ce programme d'usage compassionnel ne l'aide pas ou n'améliore pas sa santé. Cela lui offre par contre la possibilité de bénéficier de MIN-102, avant l'approbation et la commercialisation pour un traitement de l'Ataxie de Freidreich.

En examinant toutes les options de traitement, votre médecin traitant a décidé de discuter avec vous et votre enfant de ce programme dans le but d'essayer MIN-102 comme traitement potentiel de son Ataxie de Freidreich.

## **9. COMMENT LES INFORMATIONS PERSONNELLES ET LES ÉCHANTILLONS LIÉS AU PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL DE MON ENFANT VONT-ILS ÊTRE TRAITÉS ET UTILISÉS ?**

Au cours de ce programme, les données de votre enfant à caractère personnel et résultats médicaux seront recueillies. Ces données seront conservées et examinées conformément à la loi. Votre consentement est requis avant que votre enfant puisse participer à ce programme.

Si vous choisissez qu'il participe à ce programme, le médecin traitant, en sa qualité de co-responsable du traitement avec le promoteur Minoryx Therapeutics BE SA (collectivement les responsables du traitement), recueillera et utilisera ses données à caractère personnel. Les données à caractère personnel transmises ne contiendront aucune association d'éléments susceptible d'identifier votre enfant. Les données à caractère personnel peuvent inclure :

- Son nom, adresse et coordonnées
- Année de naissance ou son âge
- Informations démographiques
- Antécédents médicaux, y compris les dossiers médicaux passés et présents
- Informations issues de ses visites, y compris les résultats d'analyses

Le médecin traitant pourra partager ses données à caractère personnel avec :

- Minoryx Therapeutics BE SA ou son délégué (toute société employée pour superviser ou mener le programme)
- Le Comité d'éthique indépendant, qui est un groupe de personnes examinant les aspects éthiques de la recherche chez l'humain
- Un comité de surveillance et de suivi
- Les autorités réglementaires belges des agences gouvernementales d'autres pays
- D'autres sociétés ou agences travaillant avec le (ou appartenant au) promoteur
- Son médecin de famille, si nécessaire

Ses données relatives à ce programme seront traitées conformément au Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD, Réf. i) et la loi belge du 30 juillet 2018 (Réf. ii) sur la protection des données. Le promoteur est responsable de la protection des données

Le promoteur et les personnes travaillant pour son compte pourront utiliser les données à caractère personnel qui leur sont envoyées :

- Pour déterminer si le médicament agit
- Pour déterminer si le médicament est sûr
- Pour d'autres activités de recherche liées au médicament
- Pour s'assurer que les lois et procédures applicables sont suivies par ce programme
- Pour produire les rapports éventuels requis par les lois applicables

Une fois ses données à caractère personnel partagées avec les utilisateurs autorisés, elles ne seront peut-être plus protégées par les lois de protection de la vie privée en vigueur dans votre pays. Ses données pourront être transmises dans d'autres pays pour traitement, y compris des pays dont la législation en matière de protection des données n'est pas aussi stricte que dans notre pays. Les responsables du traitement veilleront à ce que tous les transferts soient effectués conformément aux lois applicables et que les données à caractère personnel soient constamment sécurisées par des mesures techniques et organisationnelles adaptées.

Conformément à la législation en vigueur, ses données à caractère personnel recueillies dans le cadre du programme seront conservées pour une durée minimum de 20 ans, voire de 30 ans si ces informations figurent également dans son dossier médical.

Le consentement que vous fournissez aujourd'hui n'est pas limité dans le temps et se prolongera à moins et jusqu'à ce que vous le retiriez. Vous pouvez retirer votre consentement à l'utilisation et au partage de ses données à caractère personnel à tout moment en l'indiquant au médecin traitant par écrit. Vous pouvez le faire en envoyant une notification écrite au médecin traitant ou au responsable de la protection des données de l'Hôpital Erasme à,

avenue Joseph Wybran 40,  
1070 Bruxelles,  
Service juridique, dpo@erasme.ulb.ac.be.

Si vous retirez votre consentement, votre enfant ne pourra plus participer à ce programme. Si vous retirez votre consentement, plus aucune nouvelle donnée à caractère personnel à son sujet ne pourra être recueilli après cette date. Toutefois, les données à caractère personnel déjà recueillies pourront toujours être utilisées et transmises à d'autres personnes.

Vous avez le droit de consulter et de faire des copies de vos dossiers médicaux ou des données à caractère personnel détenues par les responsables du traitement à tout moment. Cependant, en signant le présent formulaire, vous acceptez de ne pas consulter ou copier les données du programme vous concernant avant que le promoteur n'ait terminé tout le travail relatif à ce programme.

Vous disposez d'un droit de rectification, de demande de suppression ou d'objection au traitement de toute donnée à caractère personnel concernant votre enfant détenue par les responsables du traitement à tout moment. Vous pouvez le faire en contactant le médecin traitant par écrit à l'adresse indiquée en page 1 ou au responsable de la protection des données de l'Hôpital Erasme. Par ailleurs, si vous n'êtes pas satisfait(e) de la façon dont les données de votre enfant à caractère personnel sont traitées, vous avez le droit de déposer plainte auprès de l'autorité de supervision de la protection des données de votre pays :

Autorité de protection des données, Drukpersstraat 35,  
1000 Bruxelles,  
Tél. +32 2 274 48 00  
Courriel : contact@apd-gba.be  
Site Internet : [www.gegevensbeschermingsautoriteit.be](http://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be)

## **10. CETTE PARTICIPATION VOUS COÛTERA-T-ELLE QUELQUE CHOSE ?**

La participation à ce programme d'accès anticipé ne vous coûtera rien. MIN-102 lui sera pris en charge par Minoryx. Les autres frais médicaux seront à votre charge, et pourront être entièrement et partiellement remboursés par votre mutuelle.

## **11. QUE SE PASSE-T-IL SI MON ENFANT SE BLESSE PENDANT SA PARTICIPATION AU PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ?**

Ni Minoryx ni votre médecin traitant ne pourra être tenu responsable de blessures (qu'elles soient liées au traitement ou non) si votre enfant utilise MIN-102 pour un usage non approuvé dans le cadre de ce programme. Vous devez être conscient que votre système de soins de santé/assureur pourrait ne pas couvrir les coûts de blessures ou maladies de votre enfant dans ce cadre.

En signant ce formulaire de consentement, vous ne perdrez aucun de vos droits juridiques et vous ne dégagez pas le promoteur du programme ou votre médecin traitant (ou l'équipe du médecin traitant) de ses responsabilités en cas d'erreur ou de faute intentionnelle.

Si votre enfant est blessé pendant qu'il reçoit MIN-102, son médecin traitant discutera avec vous et votre enfant des options de traitement médical disponibles. Si vous le souhaitez, vous pouvez prendre des dispositions pour que ce traitement soit réalisé par un autre médecin agréé de votre choix.

En cas d'urgence, consultez immédiatement un médecin.

## **12. QUE SE PASSE-T-IL SI DE NOUVELLES INFORMATIONS APPARAISSENT ?**

Si Minoryx découvre de nouvelles informations importantes au sujet du programme d'usage compassionnel, votre médecin traitant vous en avertira dès que possible et vous demandera si vous souhaitez que votre enfant poursuive le programme.

## **13. PUIS-JE RETIRER MON ENFANT OU PEUT-IL ÊTRE RETIRÉ DU PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ?**

Il peut être retiré du programme même si vous ou votre enfant souhaitent le poursuivre. Les raisons possibles sont les suivantes : votre médecin traitant estime qu'il est préférable pour votre enfant d'arrêter ; votre enfant ne suit pas les instructions du programme; Minoryx, les autorités sanitaires, les organismes d'éthique ou de réglementation décide(nt) que le programme doit être interrompu.

Minoryx se réserve le droit de mettre fin au programme si :

- a. Le profil de bénéfice/risque de MIN-102 est déterminé par Minoryx comme ne permettant plus d'encourager une utilisation de MIN-102.
- b. Une pénurie inattendue de MIN-102 survient.
- c. Un autre médicament efficace est mis sur le marché.

## CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

**Titre du programme : MIN-102 chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich**

### **Parent**

En signant ce formulaire, vous confirmez les affirmations suivantes :

- J'ai eu le temps de lire ces informations et de réfléchir à ce programme d'usage compassionnel pour mon enfant et j'ai obtenu des réponses adéquates à mes questions.
- J'accepte que mon enfant participe à ce programme d'usage compassionnel.
- J'accepte que ses informations personnelles encodées soient collectées et utilisées de la manière décrite dans le présent document.

Nom et prénom du parent :

Date (JJ/MMM/AAAA) :

Signature du participant :

*Nous vous fournirons une copie de ce formulaire une fois qu'il sera daté et signé.*



## CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ

**Titre du programme : MIN-102 chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich**

### Médecin traitant

Je, soussigné, le médecin traitant, confirme que

- Le parent a reçu verbalement les informations nécessaires au sujet du programme, a reçu des explications sur le contenu du programme et a reçu un original signé du présent document.
- J'ai vérifié si le parent du participant a compris le programme.
- J'ai laissé suffisamment de temps au parent du participant pour décider de participer ou pas au programme et poser ses questions.
- Aucune pression n'a été exercée pour que le parent du participant accepte de participer au programme.
- Je travaille en accord avec les principes éthiques énoncés dans la dernière version de la « Déclaration d'Helsinki », des « Bonnes pratiques Cliniques » et de la loi belge.

Nom et prénom du médecin traitant:

Date (JJ/MMM/AAAA):

Signature du médecin traitant:

---

<sup>i</sup> Règlement général sur la protection des données n° 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE.

<sup>ii</sup> Loi belge de 30 Juillet 2018 relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel.

---

## INFORMATIONS SUR LE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ET FORMULAIRE DE CONSENTEMENT POUR ADOLESCENTS

---

**Intitulé du programme : Programme d'usage compassionnel de MIN-102  
chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich**

**Titre du programme :** MIN-102 chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich

**Représentant local :** Minoryx Therapeutics, Rue Auguste Piccard 48, 6041 Gosselies

**Comité d'éthique médicale :** Comité éthique d'Erasme

### **Coordonnées de votre médecin traitant**

**Nom :** .....

**Nom et adresse du centre :**

.....  
.....  
.....

**Numéro de téléphone durant la journée :**

.....

**Numéro de téléphone en cas d'urgence :**

.....

**Numéro de téléphone en dehors des heures de  
consultation :** .....

Âge du/de la patient(e) : \_\_\_\_\_ ans.

Si l'adolescent(e) dont l'assentiment est recueilli décide de ne pas participer à ce programme, le parent/tuteur ne pourra pas l'y contraindre.

## 1. INTRODUCTION

Ton médecin traitant souhaite te proposer de participer à ce programme d'usage compassionnel. Un programme d'usage compassionnel fournit des options de traitement qui ne seraient autrement pas disponibles à des patients souffrant d'une maladie grave et potentiellement mortelle.

Tu es invité à participer à ce programme spécifique car tu es atteint de l'Ataxie de Friedreich.

Ce formulaire te fournit des informations importantes au sujet de ce programme. Il t'expliquera l'objectif de ce programme, ainsi que les risques et bénéfices possibles liés à ta participation.

Prends tout le temps nécessaire pour lire ce document, pour poser des questions et décider si tu souhaites participer ou non à ce programme. Tu peux demander à ton médecin traitant de t'expliquer ce que tu ne comprends pas. Tu peux également parler de ce programme avec ta famille et tes amis si tu le souhaites.

Tu n'es pas obligé de participer à ce programme si tu ne le veux pas. Si tu décides de participer à ce programme et puis que tu changes d'avis, tu peux le quitter à tout moment.

## 2. POURQUOI T'EST-IL DEMANDE DE PARTICIPER A CE PROGRAMME ?

Il t'est demandé de participer à ce programme parce que tu es atteint d'une Ataxie de Friedreich. L'Ataxie de Friedreich est une maladie du système nerveux qui se traduit par une perte d'équilibre et une difficulté de contrôler avec précision les mouvements des membres. Le médecin traitant t'expliquera, ainsi qu'à ton parent (ou tuteur), ce programme.

Dans le cadre de notre étude FRAMES réalisée auprès de patients souffrants d'une Ataxie de Friedreich, le promoteur du programme a constaté que MIN-102 donne des résultats qui sont interprétés comme positifs.

Etant donné qu'aucun traitement n'est actuellement approuvé, Minoryx souhaite te fournir un accès au MIN-102 comme tu as participé à l'étude de phase II et si tu es demandeur de continuer le traitement.

### **3. QUI PARTICIPERA À CE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ?**

Les patients souffrant d'une Ataxie de Friedreich, qui satisfont les critères d'inclusion /exclusion du présent programme.

### **4. SUIS-JE OBLIGÉ DE PARTICIPER À CE PROGRAMME D'USAGE COMPASSIONNEL ET PUIS-JE CHANGER D'AVIS ET CESSER D'Y PARTICIPER ?**

La décision de participer ou non à ce programme te revient entièrement.

Tu peux décider d'arrêter de prendre MIN-102 ou carrément de participer à ce programme à tout moment, mais tu dois en avertir ton médecin traitant, qui te fournira de plus amples informations sur la suite des événements. Il nous serait utile de connaître les raisons de mettre fin à cette participation, mais tu n'es en aucun cas obligé de fournir ces raisons. Si tu décides de ne pas participer ou de cesser de participer par la suite, cela n'affectera en rien tes soins médicaux habituels. Ton médecin traitant discutera avec toi d'autres options de traitements possibles.

### **5. QU'ARRIVERA-T-IL SI TU CHOISIS DE PARTICIPER A CE PROGRAMME, ET QUE TE SERA-T-IL DEMANDE ?**

Si ce programme te convient, tu recevras un traitement par MIN-102. Ton médecin traitant t'expliquera ce que tu dois faire et quels examens tu devras passer pendant le programme.

Tu peux recevoir MIN-102 mais le promoteur de ce programme peut également décider de l'interrompre (par exemple, en cas des raisons de sécurité). Cependant, si ton médecin traitant estime que tu réponds de manière insatisfaisante au traitement par MIN-102, il peut également décider d'arrêter le traitement.

#### **- Instructions pour l'administration du MIN-102 :**

Tu devras prendre le médicament une fois par jour le matin, environ à la même heure chaque jour, après le petit déjeuner. Tu prendras le médicament par la bouche, à l'aide d'une seringue.

Tu recevras suffisamment de kits du médicament pour couvrir le traitement au moins jusqu'à ta prochaine visite, y compris une quantité de réserve. Une seringue de 10 ml sera fournie avec chaque flacon et devra être utilisée pour vider le médicament dans ta bouche. Tu prendras la dose indiquée par ton médecin. Il pourra t'être demandé d'ajuster la dose prise en fonction de la quantité de médicament atteignant ton système. Si un ajustement de dose est nécessaire, ton médecin t'en informera. Tu recevras pour instruction de remplir la seringue au volume correct, qui sera arrondi à 0,5 ml près. Après chaque administration du médicament, la seringue doit être nettoyée à l'eau

claire, et une nouvelle seringue doit être utilisée avec chaque nouveau flacon. Tu recevras pour instruction de terminer chaque flacon avant de commencer à prendre le médicament du flacon plein suivant. Il te sera conseillé de rapporter tous les flacons vides et partiellement pleins au centre.

MIN-102 sera offert jusqu' au moment où ton médecin considère le rapport risque/bénéfice favorable.

Ton médecin peut te prescrire MIN-102 en complément d'autre(s) traitement(s). N'oublie pas de prendre cet(ces) autre(s) traitement(s) prescrit(s) par ton médecin. Tu auras ainsi de meilleures chances de voir ton état de santé s'améliorer.

## - **Procédures**

### La première visite

Avant de rejoindre ce programme, il te sera demandé d'informer ton médecin traitant des médicaments éventuels que tu prends à l'heure actuelle ou que tu as pris dans les 6 derniers mois. Ton médecin traitant t'indiquera les médicaments que tu pourras continuer à prendre au cours de ce programme. Il s'assurera aussi que la dose ait été constante pendant  $\geq 3$  mois avant la sélection et reste identique pendant toute la durée de ce programme.

Tout traitement qui t'est prescrit au cours de ce programme devra être porté à l'attention de ton médecin traitant. La participation à d'autres études cliniques (testant de nouveaux médicaments ou dispositifs médicaux) dans les 2 derniers mois et au cours de ce programme n'est pas autorisée.

Pendant que tu participes à ce programme, tu devras venir en visite tous les 6 mois au cours de la première année de traitement et au moins tous les ans après la première année. Si tu as pris un placebo au cours de l'étude FRAMES, sur quelques visites supplémentaires : 4 semaines et 12 semaines après le début de ce programme. Il y aura également des appels téléphoniques réguliers pendant que tu continues ce programme.

Durant ce programme, des échantillons de sang et d'urine seront prélevés pour des tests de sécurité. Ces échantillons de sang doivent être prélevés lorsque tu es à jeun (ce qui signifie que tu ne peux pas manger et tu ne peux boire que de l'eau pendant environ 8 heures avant le prélèvement).

En plus de collecter du sang pour des tests de sécurité, du sang supplémentaire sera collecté pour vérifier si le médicament a été absorbé dans ton corps (cela s'appelle la pharmacocinétique ou PK).

Il est essentiel d'éviter une grossesse au cours du programme. Par conséquent, une méthode fiable de contraception devrait être utilisée si nécessaire. Si une grossesse débute au cours du programme, tu dois en informer le médecin traitant immédiatement.

Voici les procédures et analyses qui seront réalisées pendant ce programme. Certaines seront fréquentes, d'autres ne seront qu'occasionnelles.

- **Prises de sang:** des prélèvements sanguins seront effectués pour plusieurs analyses de sang, y compris des analyses de sécurité en laboratoire de routine, le dépistage de l'hépatite et du virus de l'immunodéficience humaine (VIH), des tests PK pour savoir dans quelle mesure le médicament est absorbé, et des tests de grossesse pour les participantes. Certaines de ces analyses ne seront réalisées qu'une fois, tandis que d'autres pourront être répétées. Il est possible que tu ressentis une certaine gêne lors des prises de sang.
- **Analyse d'urine:** des prélèvements d'urine seront effectués pour plusieurs analyses d'urine, y compris des analyses de sécurité de routine en laboratoire et des examens spécifiques aux cellules anormales de la vessie.
- **Test de grossesse urinaire:** si tu es apte à procréer, des tests de grossesse urinaires une fois par mois seront effectués.
- **Examen clinique:** tu passeras un examen clinique qui pourra inclure l'évaluation du cœur, des poumons, de l'abdomen, des extrémités et de la peau, avec une attention particulière pour la présence de gonflements des jambes et des mains (œdème périphérique) et de signes ou symptômes d'insuffisance cardiaque. Lors de certaines visites, les examens réalisés pourront n'avoir de rapport qu'avec l'œdème périphérique.
- **Signes vitaux:** ta taille, poids corporel, tension artérielle, température et ton pouls seront mesurés. Ta température et ta taille ne seront pas mesurées à chaque visite. Tu pourras ressentir une pression lors du gonflement du brassard pour la tension artérielle.
- **Électrocardiogramme (ECG) à 12 dérivations:** des autocollants fixés à des électrodes seront collés sur ton dos, ta poitrine, tes bras et tes jambes. Ces électrodes mesureront l'activité électrique de ton cœur. Cela ne prendra que quelques minutes et ne devrait pas provoquer de gêne. Les tampons collants de l'ECG peuvent provoquer une irritation et des démangeaisons.
- **Échocardiogramme:** celui-ci permet au médecin traitant d'examiner ton cœur, ta forme, ta structure et ton fonctionnement en utilisant des ultrasons. Il s'agit d'une procédure non invasive et indolore. Un gel est appliqué à la poitrine, et un bâton est pressé contre la poitrine. Tu peux ressentir une gêne liée au gel froid et au bâton.

### Les visites régulières

Ton médecin traitant vérifiera que tout va bien pour toi et au niveau de ton traitement par MIN-102 lors de tes visites habituelles dans le cadre de ton ataxie de Friedreich, conformément aux usages locaux.

Lors des visites, voici ce qui aura trait à MIN-102:

- MIN-102 te sera fourni pour te permettre d'en prendre au moins 6 mois.
- Discussion de toute potentielle réduction du dosage ou d'interruption de la prise, y compris les prises manquées.
- Questions sur tout effet secondaire potentiel.

### La visite d'arrêt

Si tu décides de mettre fin à ta participation à ce programme, voici ce qu'il se passera :

- Discussion de tout effet secondaire – Si tu subis le moindre effet secondaire grave, ton médecin traitant continuera à suivre la situation et à vérifier comment tu vas après l'arrêt du programme.
- Ton médecin traitant te demandera quelle est la raison de cette décision, mais tu n'es pas obligé de fournir une raison. Il peut être utile pour ton traitement ultérieur de la communiquer.

Il n'y aura pas de prise de sang significative supplémentaire au cours de ce programme. L'échantillon de sang prélevé pendant la première visite est le même que celui qui serait prélevé pendant un bilan sanguin classique et sera analysé localement. Des échantillons PK destinés à connaître la quantité de médicament absorbée seront envoyés à un laboratoire externe.

### Contraception

Participantes : tu devras prendre des mesures de sécurité pour éviter une grossesse (comme ne pas avoir de relations sexuelles ou utiliser une forme de contraception médicalement acceptée) jusqu'à au moins 30 jours après la prise de MIN-102. Si tu as des questions pour savoir comment éviter une grossesse, parles-en avec ton médecin traitant, et il te fournira des informations sur la contraception et les méthodes disponibles. Tu dois contacter immédiatement ton médecin traitant si tu débutes une grossesse pendant ce programme.

Participants masculins : tu ne dois pas faire d'enfant pendant 3 mois minimum après la prise de MIN-102. Ces mesures peuvent inclure de ne pas avoir de relations sexuelles, ou d'utiliser une méthode de contraception. Si tu as des questions à ce sujet, discutes-en avec ton médecin traitant. Il te fournira des informations sur la contraception ou les méthodes disponibles

## **6. QUE VAIS-JE DEVOIR FAIRE ?**

Veille à toujours prendre ce médicament en suivant exactement les indications de ton médecin. Vérifie auprès de ton médecin, ton pharmacien ou ton infirmier/ère en cas de doute.

Il est également important que tu avertisses le médecin traitant de tout autre médicament, vitamine, complément alimentaire ou à base de plantes que tu as pris avant et que tu prends pendant le programme, car il est possible que tu ne puisses pas prendre certains de ceux-ci avec MIN-102 en raison d'un risque d'interaction. Ton médecin traitant dispose d'une liste de médicaments que tu dois éviter pendant que tu prends MIN-102. Il est donc important de consulter cette liste avant de prendre le moindre nouveau médicament.

Tu n'es pas autorisé à participer à un essai portant sur un médicament expérimental tant que tu fais partie de ce programme. Si tu as d'autres contacts dans le domaine de la santé, par exemple avec un autre médecin, ou un dentiste, signale-leur que tu participes à ce programme.

## **7. QUELS SONT LES RISQUES LIES A CE PROGRAMME ?**

Tous les médicaments ont des effets secondaires connus ou imprévisibles. Si les études précédentes ont montré que le médicament était habituellement bien toléré, tu pourrais cependant éprouver les effets secondaires suivants :

Tu pourrais présenter des effets indésirables et des symptômes en raison du traitement par MIN-102. Les effets indésirables et symptômes connus du traitement par MIN-102 peuvent inclure :

- Maux de tête.
- Nausée .
- Fatigue .
- Dysphagie (difficulté à avaler).

Dans le cadre d'une autre étude en cours chez des patients adultes, les symptômes suivants ont été observés. Étant donné qu'il n'est pas encore possible de savoir quels patients prenaient MIN-102 et lesquels prenaient le placebo, ces symptômes ne peuvent pas encore être clairement attribués à l'un ou à l'autre.

- Rétention liquidienne ou œdème périphérique, qui peut aggraver ou provoquer une insuffisance cardiaque.
- Prise de poids.
- Larmolement accru.
- Baisse de la concentration de cellules dans le sang due à l'augmentation des liquides.



La pioglitazone, un médicament de la même classe que MIN-102 et utilisé régulièrement depuis 2000 dans le traitement du diabète, est connue pour présenter des effets indésirables similaires. En outre, les effets et symptômes rares suivants ont été observés :

- Le cancer de la vessie peut être associé à l'administration à long terme de pioglitazone.
- L'insuffisance hépatique.
- L'augmentation de la fréquence des fractures osseuses chez les femmes.

En raison de la nature expérimentale de ce programme, il peut exister d'autres risques encore inconnus à l'heure actuelle. Si tu présentes des effets indésirables, veille à les signaler à ton médecin traitant lors de ta prochaine visite programmée. Informe immédiatement le médecin traitant de tout effet indésirable grave.

La possibilité ne peut être écartée que sa capacité à utiliser des machines ou à conduire une voiture soit affectée par ta participation à ce programme.

D'autres risques et inconvénients inconnus à ce jour peuvent éventuellement apparaître. Il est donc très important de signaler rapidement tout nouveau problème de santé au médecin traitant que tu penses ou non qu'il soit en rapport avec ce programme.

## **8. LA PARTICIPATION A CE PROGRAMME T'AIDERA-T-ELLE ?**

Il est possible que la participation à ce programme d'usage compassionnel ne t'aide pas ou n'améliore pas ta santé. Cela t'offre par contre la possibilité de bénéficier de MIN-102, avant l'approbation et la commercialisation pour un traitement de l'Ataxie de Freidreich

En examinant toutes les options de traitement, ton médecin traitant a décidé de discuter avec tes parents et toi de ce programme dans le but d'essayer MIN-102 comme traitement potentiel de ton Ataxie de Freidreich.

## **9. QUE SE PASSERA-T-IL SI DE NOUVELLES INFORMATIONS AU SUJET DU MEDICAMENT DU PROGRAMME SONT OBTENUES ?**

Il arrive que, pendant des recherches, de nouveaux éléments soient découverts au sujet du médicament. Dans ce cas, le médecin traitant t'en informera.

## **10 . DOIS-TU ACCEPTER DE PARTICIPER A CE PROGRAMME ?**

Non, c'est à toi de décider.

Si tu décides de participer à ce programme, tu dois signer le présent formulaire. Un exemplaire te sera remis pour ramener chez toi.

## **11 . QU'EST-CE QUI EST ATTENDU DE TOI SI TU CHOISIS DE PARTICIPER A CE PROGRAMME ?**

Tu devras suivre les instructions du médecin, assister à tous les rendez-vous et prendre le médicament selon les instructions.

## **12. QUE SE PASSE-T-IL SI TU DECIDES DE NE PAS PARTICIPER A CE PROGRAMME OU SI TU CHANGES D'AVIS ?**

La participation à ce programme est volontaire.

Si tu décides de ne pas participer à ce programme ou si tu changes d'avis plus tard, personne ne t'en voudra et tu ne seras pénalisé d'aucune manière.

## **13. PEUX-TU ARRÊTER DE PARTICIPER A CE PROGRAMME AVANT SA FIN ?**

Tu peux arrêter de participer à ce programme à tout moment. Tu n'as pas à te justifier.

Si tu décides d'arrêter le programme, où te devras te rendre au centre encore une fois pour quelques analyses. Cela permet de vérifier que tu vas bien.

## **14. LE MEDECIN TRAITANT PEUT-IL TE RETIRER DE CE PROGRAMME PLUS TOT ?**

Ton médecin peut te retirer de ce programme dans les cas suivants :

- Ton état s'aggrave.
- Ils pensent que le programme n'est peut-être pas dans ton intérêt.
- Tu ne tolères pas le médicament.
- Le programme est interrompu.
- Tu ne peux pas respecter toutes les exigences de ce programme.
- Tu débutes une grossesse.
- De nouvelles informations suggèrent que la participation à ce programme peut ne pas être dans ton intérêt.

**15. QUELQU'UN D'AUTRE SAURA-T-IL QUE TU PARTICIPES A CE PROGRAMME ? TES INFORMATIONS MEDICALES RESTERONT-ELLES CONFIDENTIELLES SI TU CHOISIS D'Y PARTICIPER ?**

Si tu décides de participer à ce programme, les dossiers à ton sujet deviendront secrets ou confidentiels en remplaçant ton nom par un numéro. Ces fichiers seront uniquement consultés par le personnel du programme et les personnes travaillant pour Minoryx Therapeutics BE SA. ou les sociétés travaillant pour son compte, ou par des groupes de personnes qui s'assurent que ce programme est mené correctement.

Tes données relatives à l'étude seront traitées conformément au Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD, Réf. <sup>i</sup>) et la loi belge du 30 juillet 2018 (Réf. <sup>ii</sup>) sur la protection des données. Le promoteur est responsable de la protection des données.

**16. TA PARTICIPATION A CE PROGRAMME ENTRAINERA-T-ELLE DES FRAIS ?**

La participation à ce programme ne t'occasionnera aucun frais.

**17. SERAS-TU PAYE POUR LA PARTICIPATION A CE PROGRAMME ?**

Tu ne recevras aucun paiement pour la participation à ce programme.

**DOCUMENTATION D'ASSENTIMENT**

**Titre du programme :** MIN-102 chez les patients atteints d'Ataxie de Friedreich

**Le Patient :**

Tu as le droit de poser des questions sur ce que tu as lu ou ce que quelqu'un t'a lu.

Tu peux entourer ou souligner les choses dans ce document pour lesquelles tu souhaites en savoir plus.

Si tu ne comprends pas quelque chose, demande simplement pour que cela te soit mieux expliqué.

NON, je ne veux pas participer à ce programme.

OUI, je veux participer à ce programme

Je comprends que je peux arrêter de participer à ce programme de recherche à tout moment.

Si tu acceptes de participer à ce programme, signe ici : \_\_\_\_\_

Nom en majuscules de l'adolescent(e) : \_\_\_\_\_

Date : \_\_\_\_\_

*Nous vous fournirons une copie de ce formulaire une fois qu'il sera daté et signé.*

## DOCUMENTATION D'ASSENTIMENT

Le programme à usage compassionnel et le formulaire de consentement ont été expliqués à :

Nom et prénom du/de la patient(e) :

---

### **Personne obtenant le consentement**

En signant ci-dessous, je confirme avoir personnellement discuté de ce programme avec le ou la patient(e), que les procédures ont été expliquées dans des termes qu'il ou elle peut comprendre, et qu'il ou elle a fourni librement son consentement pour participer à ce programme.

---

Signature de la personne obtenant le  
consentement

---

Date

---

Nom et prénom en majuscules de la  
personne obtenant le consentement

---

Signature du parent/tuteur

---

Date

---

Nom et prénom en majuscules du parent/tuteur

---

Signature du parent/tuteur

---

Date

---

Nom et prénom en majuscules du  
parent/tuteur

---

<sup>i</sup> Règlement général sur la protection des données n° 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE.

<sup>ii</sup> Loi belge de 30 Juillet 2018 relative à la protection des personnes physiques à l'égard des traitements de données à caractère personnel.

---

**INFORMATIE OVER HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN  
SCHRIJNENDE GEVALLEN EN  
TOESTEMMINGSFORMULIER VOOR VOLWASSENEN**

---

**Titel van het programma: Programma voor gebruik in schrijnende gevallen  
van MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich**

**Titel van het programma :** MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich

**Lokale vertegenwoordiger :** Minoryx Therapeutics, Rue Auguste Piccard 48, 6041  
Gosselies

**Medische ethische commissie :** Ethische commissie Erasmus

**Gegevens van uw behandelend arts**

**Naam :** .....

**Naam en adres van het centrum:**

.....  
.....  
.....

**Telefoonnummer**

**overdag:** .....

**Telefoonnummer in geval**

**van nood:** .....

## **1. INLEIDING**

Uw behandelend arts zou u willen voorstellen om deel te nemen aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen. Een programma voor gebruik in schrijnende gevallen biedt behandelingsmogelijkheden die anders niet beschikbaar zouden zijn voor patiënten die aan een ernstige en levensbedreigende ziekte lijden.

U bent uitgenodigd om deel te nemen aan dit specifieke programma omdat u ataxie van Friedreich heeft.

De beslissing om al dan niet deel te nemen ligt geheel bij u. Neem de tijd om dit document te lezen en stel uw behandelend arts alle vragen die u hebt. U kunt hierover praten met uw familie, vrienden of behandelend arts voordat u een beslissing neemt. Als u beslist om deel te nemen, moet u het toestemmingsformulier aan het eind van dit document ondertekenen om aan te geven dat u akkoord gaat met uw deelname en dat u ons toestemming geeft om uw persoonlijke informatie te gebruiken.

## **2. WAAROM WORDT DIT PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN GEORGANISEERD?**

In het kader van onze FRAMES-studie, uitgevoerd met patiënten die lijden aan ataxie van Friedreich, heeft Minoryx, de promotor van het programma, vastgesteld dat MIN-102 resultaten geeft die als positief worden geïnterpreteerd.

Aangezien er momenteel geen behandeling is goedgekeurd door het Europees Geneesmiddelenbureau, wil Minoryx toegang tot MIN-102 verlenen aan patiënten die aan de Fase II studie hebben deelgenomen en vragen om de behandeling voort te zetten.

## **3. WIE NEEMT ER DEEL AAN DIT PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN?**

Patiënten die lijden aan ataxie van Friedreich, die voldoen aan de criteria voor opname/uitsluiting van dit programma.

## **4. BEN IK VERPLICHT DEEL TE NEMEN AAN DIT PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN EN KAN IK VAN GEDACHTEN VERANDEREN EN MIJN DEELNAME STOPZETTEN?**

De beslissing om al dan niet deel te nemen aan dit programma ligt geheel bij u.

U kan op elk moment beslissen om aan dit programma deel te nemen of om te stoppen met het innemen van MIN-102, maar u moet uw behandelend arts hiervan op de hoogte stellen, die u verdere informatie zal geven over wat u moet doen. Het zou voor ons nuttig zijn te weten wat de redenen zijn om deze deelname te beëindigen, maar u bent niet verplicht deze redenen op te geven. Als u beslist om niet deel te nemen of om naderhand niet langer deel te nemen, heeft dit geen gevolgen voor uw reguliere medische zorg. Uw behandelend arts zal andere mogelijke behandelingen met u bespreken.



## 5. WAT GEBEURT ER ALS IK DEELNEEM AAN HET PROGRAMMA?

Als dit programma voor u geschikt is, krijgt u een behandeling met MIN-102. Uw behandelend arts zal u uitleggen wat u moet doen en welke onderzoeken u tijdens het programma moet ondergaan.

U kan MIN-102 krijgen totdat de promotor van dit programma besluit het programma stop te zetten (bijvoorbeeld om veiligheidsredenen). Als uw behandelend arts echter vindt dat u niet goed op de behandeling met MIN-102 reageert, kan hij of zij ook beslissen om de behandeling te stoppen.

### - **Instructies voor het toedienen van MIN-102**

Neem dit geneesmiddel altijd precies in zoals voorgeschreven door uw behandelend arts. Raadpleeg uw arts, apotheker of verpleegkundige als u niet zeker bent.

Het geneesmiddel wordt eenmaal per dag in de ochtend toegediend, elke dag op ongeveer hetzelfde tijdstip, na het ontbijt.

U krijgt voldoende kits met geneesmiddelen om de behandeling ten minste tot uw volgende bezoek voort te zetten, inclusief een reservehoeveelheid. Bij elke flacon wordt een injectiespuit van 10 ml geleverd, waarmee u het geneesmiddel in uw mond kan toedienen. U neemt de door uw behandelend arts aangegeven dosis. Het is mogelijk dat u wordt gevraagd om de dosis die u inneemt aan te passen, afhankelijk van hoeveel van het geneesmiddel uw systeem bereikt. Als een dosisaanpassing nodig is, zal uw behandelend arts u hierover informeren. U krijgt de instructie de spuit te vullen tot het juiste volume, dat wordt afgerond op de dichtstbijzijnde 0,5 ml. Na elke toediening van het geneesmiddel moet de spuit met schoon water worden gereinigd en moet voor elke nieuwe flacon een nieuwe spuit worden gebruikt. U krijgt de instructie elke flacon op te maken voordat u de volgende volle flacon inneemt. Wij raden u aan alle lege en gedeeltelijk volle flacons terug te brengen naar het centrum.

MIN-102 zal u worden aangeboden tot het moment dat uw arts de risico-batenverhouding gunstig acht.

Uw arts kan MIN-102 voorschrijven als aanvulling op andere behandeling(en). Vergeet niet de andere door uw arts voorgeschreven behandeling(en) in te nemen. Dit zal u een betere kans geven om uw gezondheid te verbeteren.

### - **Procedures**

#### Het eerste bezoek

Voordat u aan dit programma deelneemt, zal u worden gevraagd de behandelend arts op de hoogte te stellen van alle geneesmiddelen die u momenteel gebruikt of in de afgelopen 6 maanden heeft gebruikt. Uw behandelend arts zal u vertellen welke geneesmiddelen u kan blijven gebruiken tijdens het programma, op voorwaarde dat de dosis constant is geweest voor minstens 3 maanden voorafgaand aan de selectie en hetzelfde blijft tijdens het programma.

Elke behandeling die u tijdens dit programma wordt voorgeschreven, moet onder de aandacht

van uw behandelend arts worden gebracht. Deelname aan andere klinische studies (testen van nieuwe geneesmiddelen of medische hulpmiddelen) in de laatste 2 maanden en tijdens dit programma is niet toegestaan.

Tijdens dit programma moet u tijdens het eerste jaar van de behandeling om de 6 maanden komen en na het eerste jaar ten minste elk jaar. Als u tijdens de FRAMES-studie een placebo nam, zal u worden gevraagd om nog een paar bezoeken af te leggen: 4 weken en 12 weken na het begin van dit programma. Er zullen ook regelmatig telefoongesprekken plaatsvinden zijn als u dit programma voortzet.

In dit programma zullen bloed- en urinemonsters worden afgenomen voor veiligheidstests. Deze bloedmonsters moeten worden genomen wanneer u aan het vasten bent (wat betekent dat u ongeveer 8 uur niet hebt gegeten of water hebt gedronken voordat het monster wordt genomen).

Naast het afnemen van bloed voor veiligheidstests, zullen we extra bloed afnemen om te zien of het geneesmiddel in uw lichaam is opgenomen (dit wordt farmacokinetiek of PK genoemd).

Het is van essentieel belang dat deelnemers niet zwanger worden tijdens het programma. Daarom moeten alle deelnemers een betrouwbare anticonceptiemethode gebruiken. Als u in de loop van het programma zwanger wordt, moet u onmiddellijk uw behandelend arts op de hoogte brengen.

Dit zijn de procedures en analyses die u tijdens dit programma moet uitvoeren. Sommige zullen frequent zijn, andere zullen slechts nu en dan plaatsvinden-

- **Bloedafnames:** er wordt bloed afgenomen voor verschillende bloedonderzoeken, waaronder routinematige veiligheidstests in het laboratorium, tests op hepatitis en het humaan immunodeficiëntievirus (HIV), PK-tests om te zien hoe goed het geneesmiddel wordt geabsorbeerd, en zwangerschapstests voor de deelnemers. Sommige van deze onderzoeken worden slechts één keer uitgevoerd, terwijl andere kunnen worden herhaald. U kan zich wat ongemakkelijk voelen tijdens de afname nemen van de bloedmonsters.
- **Urineonderzoek:** er worden urinemonsters afgenomen voor verschillende urineonderzoeken, waaronder routinematige veiligheidstests in het laboratorium en specifieke tests op abnormale blaascellen.
- **Zwangerschapstest in de urine:** als u een vrouw bent die zwanger kan worden, moet u één keer per maand een zwangerschapstest in de urine doen.
- **Klinisch onderzoek:** u zal een klinisch onderzoek ondergaan, dat een beoordeling van het hart, de longen, de buik, de ledematen en de huid kan omvatten, met bijzondere aandacht voor de aanwezigheid van zwelling van de benen en handen (perifeer oedeem) en tekenen of symptomen van hartfalen. Bij sommige bezoeken kunnen de uitgevoerde onderzoeken alleen betrekking hebben op het perifere oedeem.
- **Vitale functies:** uw lengte, lichaamsgewicht, bloeddruk, polsslag en temperatuur worden gemeten. Temperatuur en lengte worden niet bij elk bezoek gemeten. U kan druk voelen wanneer de bloeddrukmanchet wordt opgeblazen.
- **Elektrocardiogram met 12-afleidingen (ECG):** er worden plakkers met elektroden op uw rug, borst, armen en benen geplakt. Deze elektroden meten de elektrische activiteit van uw hart. Dit duurt maar een paar minuten en zou geen ongemak mogen veroorzaken. Kleverige

ECG-kompressen kunnen irritatie en jeuk veroorzaken.

- **Echocardiogram:** dit stelt de behandelend arts in staat om uw hart, de vorm, structuur en functie ervan te onderzoeken met behulp van echografie. Het is een niet-ingrijpende en pijnloze procedure. Er wordt een gel op de borstkas aangebracht en een staafje wordt tegen de borstkas gedrukt. U kan zich ongemakkelijk voelen door de koude gel en het staafje.

### De regelmatige bezoeken

Uw behandelend arts zal tijdens uw gebruikelijke bezoeken voor ataxie van Friedreich controleren of alles goed gaat met u en uw behandeling met MIN-102, in overeenstemming met de plaatselijke praktijkgewoonten.

Tijdens de bezoeken hebben volgende zaken plaats met betrekking tot MIN-102:

- U krijgt MIN-102 om gedurende minstens 6 maanden in te nemen.
- Het bespreken van eventuele doseringsverlaging of stopzetting, inclusief gemiste doses.
- Vragen over mogelijke bijwerkingen.

### Het stopzettingsbezoek

- Als u beslist om uw deelname aan dit programma stop te zetten, zal het volgende gebeuren: Het bespreken van eventuele bijwerkingen
- Als u ernstige bijwerkingen ondervindt, zal uw behandelend arts de situatie blijven volgen en u controleren nadat u met het programma bent gestopt. Uw behandelend arts zal u vragen waarom, maar u hoeft geen reden op te geven. Het kan nuttig zijn voor uw verdere behandeling om dit mee te delen.

Er zullen geen extra belangrijke bloedafnames plaatsvinden tijdens dit programma. Het bloedmonster dat tijdens het eerste bezoek wordt afgenomen is hetzelfde als bij een standaard bloedonderzoek en wordt ter plaatse geanalyseerd. PK-monsters om de hoeveelheid ingenomen geneesmiddel te bepalen, worden naar een extern laboratorium gestuurd.

## 6. WAT MOET IK DAN DOEN?

Als u ermee instemt aan dit programma deel te nemen, moet u de instructies van uw behandelend arts opvolgen, naar de bezoeken komen, MIN-102 innemen en alle hierboven beschreven tests en onderzoeken ondergaan.

Het is ook belangrijk dat u uw behandelend arts vertelt over andere geneesmiddelen, vitaminen, voedingsmiddelen of kruidensupplementen die u eerder hebt ingenomen en die u tijdens het programma gebruikt, omdat het mogelijk is dat u sommige van deze niet samen met MIN-102 kunt innemen vanwege een risico op wisselwerking. Uw behandelend arts heeft een lijst van geneesmiddelen die u moet vermijden wanneer u MIN-102 gebruikt. Het is daarom belangrijk dat u deze lijst raadpleegt voordat u een nieuw geneesmiddel inneemt.

U mag niet deelnemen aan een onderzoek naar geneesmiddelen terwijl u aan dit programma deelneemt. Als u andere contactpersonen hebt, zoals een andere arts of tandarts, laat hen dan weten dat u aan dit programma deelneemt.

### Patiënten in de vruchtbare leeftijd

We weten niet of de behandeling met MIN-102 letsel of schade aan een ongeboren kind kan toebrengen als een deelnemer zich voortplant terwijl hij MIN-102 inneemt.

Om deze reden mag u niet zwanger worden of een kind verwekken terwijl u aan dit programma deelneemt.

**Voor de mannelijke deelnemers** : als u niet gesteriliseerd bent en een partner hebt die kinderen kan krijgen, moet u ermee instemmen om een aanvaardbare anticonceptiemethode te gebruiken tijdens uw deelname aan het programma en gedurende 3 maanden na uw laatste toediening van MIN-102. De behandelend arts zal met u bespreken welke anticonceptiemethoden aanvaardbaar zijn.

**Voor de vrouwelijke deelnemers** : u moet voorzorgsmaatregelen nemen om zwangerschap te vermijden tot ten minste 30 dagen na inname van MIN-102. Als u in de loop van het programma zwanger wordt, moet u onmiddellijk uw behandelend arts op de hoogte brengen.

## 7. WAT ZIJN DE BIJWERKINGEN?

Alle geneesmiddelen hebben bekende of onvoorspelbare bijwerkingen. Hoewel eerdere studies hebben aangetoond dat het geneesmiddel in dit onderzoek doorgaans goed wordt verdragen, kan u de volgende bijwerkingen krijgen:

U kan bijwerkingen en symptomen ondervinden als gevolg van de behandeling met MIN-102. Bekende bijwerkingen en symptomen van de behandeling met MIN-102 kunnen zijn:

- Hoofdpijn.
- Misselijkheid.
- Vermoeidheid.
- Dysfagie (slikproblemen).

In een andere lopende studie bij volwassen patiënten, werden de volgende symptomen waargenomen. Aangezien we nog niet weten welke patiënten MIN-102 kregen en welke placebo, kunnen deze symptomen nog niet duidelijk aan een van beide worden toegeschreven.

- Vasthouden van vocht of perifeer oedeem, wat hartfalen kan verergeren of veroorzaken.
- Gewichtstoename.
- Verhoogde traanvochtproductie.
- Verlaging van de celconcentratie in het bloed door vochttoename.

Pioglitazon, een geneesmiddel uit dezelfde klasse als MIN-102 dat sinds 2000 regelmatig wordt gebruikt voor de behandeling van diabetes, staat erom bekend dat het vergelijkbare bijwerkingen heeft. Bovendien zijn de volgende zeldzame effecten en symptomen waargenomen:

- Blaaskanker kan in verband worden gebracht met langdurige toediening van pioglitazon.
- Leverfalen.
- Hoger aantal botbreuken bij vrouwen.

Door het experimentele karakter van dit programma kunnen er andere risico's zijn die op dit moment onbekend zijn. Als u bijwerkingen ondervindt, meld deze dan aan uw behandelend arts bij uw volgende bezoek. Gelieve de behandelende arts onmiddellijk op de hoogte te brengen van eventuele ernstige bijwerkingen.

De mogelijkheid kan niet worden uitgesloten dat uw vermogen om machines te bedienen of een auto te besturen wordt beïnvloed door uw deelname aan dit programma.

Er kunnen zich nog andere, tot op heden onbekende risico's en nadelen voordoen. Het is daarom zeer belangrijk dat u nieuwe gezondheidsproblemen zo spoedig mogelijk aan uw behandelend arts meldt, of u nu denkt dat ze met dit programma te maken hebben of niet.

## Algemeen

Er bestaat een risico dat uw gezondheidstoestand niet verbetert of zelfs verslechtert tijdens het vervroegd toegangsprogramma. Uw behandelend arts zal uw gezondheid nauwlettend in de gaten houden en kan beslissen dat u moet stoppen met uw deelname aan het vervroegd toegangsprogramma als het niet veilig voor u is.

### **8. ZAL DEELNAME AAN HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN MIJN GEZONDHEID HELPEN OF VERBETEREN?**

Het is mogelijk dat deelname aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen u niet zal helpen of uw gezondheid zal verbeteren. Dit geeft u de kans om gebruik te maken van MIN-102, voordat het wordt goedgekeurd en op de markt gebracht voor de behandeling van ataxie van Freidreich.

Na alle behandelingsmogelijkheden te hebben onderzocht, heeft uw behandelend arts beslist om dit programma met u te bespreken om MIN-102 te proberen als mogelijke behandeling voor uw ataxie van Freidreich.

### **9. HOE WORDEN MIJN PERSOONLIJKE GEGEVENS EN MONSTERS IN VERBAND MET HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN BEHANDELD EN GEBRUIKT?**

Tijdens deze programma zullen uw persoonsgegevens en medische resultaten worden verzameld. Deze gegevens zullen in overeenstemming met de wet worden opgeslagen en beoordeeld. Hiervoor moet u vóór deelname aan de programma, uw toestemming geven.

Als u ervoor kiest deel te nemen aan deze programma, zal de behandelende arts in zijn of haar hoedanigheid van verwerkingsverantwoordelijke samen met de sponsor Minoryx Therapeutics BE SA (samen de verwerkingsverantwoordelijken) uw persoonsgegevens verzamelen en gebruiken om deze programma uit te voeren. De persoonsgegevens die worden overgedragen bevatten geen combinatie van elementen waardoor u zou kunnen worden geïdentificeerd. Deze persoonsgegevens kunnen het volgende omvatten:

- Naam, adres en contactgegevens
- Geboortedatum
- Demografische gegevens
- Medische voorgeschiedenis, met inbegrip van vroegere en huidige medische dossiers
- Informatie over uw bezoeken, inclusief testresultaten

De behandelend arts zou uw persoonsgegevens kunnen delen met:

- Minoryx Therapeutics BE SA of het door hen aangewezen bedrijf (het bedrijf dat ze gebruiken om toezicht te houden op de studie of het uit te voeren)
- Premier Research, het door de sponsor aangewezen bedrijf dat toezicht houdt op deze programma

- Het onafhankelijke ethisch comité, een groep mensen die de ethiek van onderzoek op mensen beoordelen
- Een Data Safety Monitoring Board
- De Belgische regelgevende autoriteiten
- Overheidsinstanties voor andere landen
- Andere bedrijven of agentschappen die samenwerken met (of eigendom zijn van) de sponsor
- Uw huisarts, indien nodig

Je gegevens zullen verwerkt worden in overeenstemming met de Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG) (Ref. i) en de Belgische wet over gegevensbescherming van 30 juli 2018 (Ref. ii). De opdrachtgever is hiervoor verantwoordelijk.

De sponsor en de bedrijven die voor hen werken, zouden de persoonsgegevens die naar hen worden verstuurd kunnen gebruiken:

- Om te kijken of het geneesmiddel werkt
- Om te kijken of het geneesmiddel veilig is
- Voor andere activiteiten gerelateerd aan het geneesmiddel
- Om ervoor te zorgen dat de voldoet aan de toepasselijke wetten en procedures
- Om eventuele verslagen op te stellen die door de toepasselijke wetten worden vereist

Wanneer uw persoonsgegevens gedeeld worden met gemachtigde gebruikers, zou het kunnen dat ze niet langer beschermd zijn door de privacywetten in uw land. Uw gegevens zouden voor verwerking kunnen worden overgedragen aan andere landen, waaronder landen waarin de wetgeving op gegevensbescherming niet zo strikt is als in uw land. De verwerkingsverantwoordelijken zullen ervoor zorgen dat alle overdrachten gebeuren in overeenstemming met de toepasselijke wetgeving en dat de persoonsgegevens te allen tijde beveiligd worden met adequate technische en organisatorische maatregelen.

In overeenstemming met de geldende wetgeving worden uw verzamelde persoonsgegevens verzameld als onderdeel van de programma en bewaard gedurende ten minste 20 jaar, of dertig jaar als deze informatie ook onderdeel uitmaakt van uw medisch dossier.

De toestemming die u vandaag verleent heeft geen vervaldatum en blijft geldig tenzij en tot u deze intrekt. U kunt uw toestemming om uw persoonsgegevens te gebruiken en delen op eender welk moment intrekken door de behandelend arts hiervan schriftelijk op de hoogte te brengen. U kunt dit doen door een schriftelijke kennisgeving naar de behandelend arts te sturen op het adres page 1 of de Functionaris voor Gegevensbescherming (DPO) van Hôpital Erasme, av. Joseph Wybran 40, 1070 Bruxelles, Service juridique, dpo@erasme.ulb.ac.be. Als u uw toestemming intrekt, zult u niet verder kunnen deelnemen aan deze programma. Wanneer u uw toestemming intrekt, zullen na die datum geen nieuwe persoonsgegevens meer worden verzameld over u. De persoonsgegevens die echter al verzameld zijn, kunnen nog steeds worden gebruikt en gedeeld met anderen.

U hebt het recht om uw medische gegevens of eender welke persoonsgegevens die in het bezit zijn van de verwerkingsverantwoordelijken op eender welk moment in te kijken en er

kopieën van te maken. Door dit formulier te ondertekenen gaat u er echter mee akkoord uw gegevens niet in te kijken of te kopiëren totdat de sponsor de werkzaamheden in verband met deze programma heeft voltooid. Wanneer de programma is afgelopen, kunt u erom vragen uw gegevens in te kijken. De reden voor deze beperking is dat het in het algemeen belang is voor de gegevensbeheerders om de geblindeerde aard van de studie te handhaven en daardoor de geldigheid van de resultaten garanderen.

U hebt ook het recht op eender welk moment uw persoonsgegevens, die in het bezit zijn van de verwerkingsverantwoordelijken, recht te zetten, om de verwijdering ervan te verzoeken of bezwaar te maken tegen de verwerking ervan. U kunt dit doen door een schriftelijke kennisgeving naar de behandelend arts te sturen op het adres of de Functionaris voor Gegevensbescherming (DPO) van Hôpital Erasme.

Als u daarenboven niet tevreden bent met de verwerking van uw persoonsgegevens, hebt u het recht een klacht in te dienen bij:

Gegevensbeschermingsautoriteit Drukpersstraat 35  
1000 Brussel

Tel. + 32 2 274 48 00

e-mail: [contact@apd-gba.be](mailto:contact@apd-gba.be)

Website: [www.gegevensbeschermingsautoriteit.be](http://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be)

## **10. KOST DEZE DEELNAME MIJ IETS?**

Er zijn voor u geen kosten verbonden aan deelname aan dit vervroegd toegangsprogramma. MIN-102 wordt ondersteund door Minoryx. Andere medische kosten zijn voor uw rekening, en worden mogelijk geheel of gedeeltelijk vergoed door uw ziekenfonds.

## **11. WAT GEBEURT ER ALS IK GEWOND RAAK TERWIJL IK DEELNEEM AAN HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN?**

Minoryx of uw behandelend arts kunnen verantwoordelijk worden gehouden voor enig letsel (al dan niet gerelateerd aan de behandeling) als u MIN-102 gebruikt voor een doel dat niet is goedgekeurd in het kader van dit programma. U dient zich ervan bewust te zijn dat uw zorgstelsel/verzekeraar de kosten van verwondingen of ziekten in dit kader mogelijk niet dekt.

Door dit toestemmingsformulier te ondertekenen, verliest u geen van uw wettelijke rechten en ontslaat u de promotor van het programma of uw behandelend arts (of het team van de behandelend arts) niet van verantwoordelijkheid voor fouten of opzettelijke fouten.

Als u gewond raakt terwijl u MIN-102 ontvangt, zal uw behandelend arts de beschikbare medische behandelingsopties met u bespreken. Als u dat wenst, kan u deze behandeling laten uitvoeren door een andere gediplomeerde arts van uw keuze.

Raadpleeg in noodgevallen onmiddellijk een arts.



## **12. WAT GEBEURT ER ALS ER NIEUWE INFORMATIE WORDT GEPUBLICEERD?**

Als Minoryx belangrijke nieuwe informatie ontdekt over het programma voor gebruik in schrijvende gevallen zal uw behandelend arts u zo snel mogelijk op de hoogte brengen en u vragen of u het programma wilt voortzetten.

## **13. KAN IK MIJ TERUGTREKKEN OF WORDEN TERUGGETROKKEN UIT HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJVENDE GEVALLEN?**

U kan uit het programma worden verwijderd, ook al wilt u doorgaan. Mogelijke redenen hiervoor zijn: uw behandelend arts vindt het beter dat u stopt; u volgt de programma-instructies niet op; Minoryx, gezondheidsinstanties, ethische of regelgevende instanties besluiten dat het programma moet worden onderbroken.

Minoryx behoudt zich het recht voor om het programma stop te zetten indien:

Minoryx heeft vastgesteld dat het baten-risicoprofiel van MIN-102 het gebruik van MIN-102 niet langer ondersteunt.

- Er een onvoorzien tekort aan MIN-102 ontstaat.
- Een ander effectief geneesmiddel op de markt wordt gebracht.

## GEÏNFORMEERDE TOESTEMMING

**Titel van het programma:** MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich

### **Deelnemer**

Door dit formulier te ondertekenen, bevestigt u de volgende verklaringen:

- Ik heb de tijd gehad om deze informatie te lezen en na te denken over dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen en mijn vragen zijn afdoende beantwoord.
- Ik ga akkoord met deelname aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen.
- Ik ga akkoord met het verzamelen en gebruiken van mijn gecodeerde persoonlijke informatie zoals beschreven in dit document.

Naam en voornaam van de deelnemer:

Datum (DD/MM/JJJJ):

Handtekening van de deelnemer:

*Wij zullen u een kopie van dit formulier bezorgen zodra het is gedateerd en ondertekend.*

## GEÏNFORMEERDE TOESTEMMING

**Titel van het programma:** MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich

### Behandelend arts

Ik, ondergetekende, behandelend arts, bevestig dat

- De deelnemer mondeling is ingelicht over het programma, uitleg heeft gekregen over de inhoud van het programma en een ondertekend origineel van dit document heeft ontvangen.
- Ik heb gecontroleerd of de deelnemer het programma heeft begrepen.
- Ik heb de deelnemer voldoende tijd gegeven om te beslissen of hij al dan niet aan het programma wilde deelnemen en om vragen te stellen.
- Er werd geen druk uitgeoefend op de deelnemer om in te stemmen met deelname aan het programma.
- Ik werk volgens de ethische principes zoals uiteengezet in de laatste versie van de "Verklaring van Helsinki", de "Goede Klinische Praktijken" en de Belgische wet.

Naam en voornaam van de behandelend arts:

Datum (DD/MM/JJJJ):

Handtekening van de behandelend arts:

---

<sup>i</sup> Algemene Verordening Gegevensbescherming nr. 2016/679 van het Europees Parlement en van de Raad van 27 april 2016 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van Richtlijn 95/46/EG.

<sup>ii</sup> Belgische wet van 30 juli 2018 betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens.

---

**INFORMATIE OVER HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN  
SCHRIJNENDE GEVALLEN EN TOESTEMMINGSFORMULIER TER  
ATTENTIE VAN DE OUDERS**

---

**Titel van het programma: Programma voor gebruik in schrijnende gevallen  
van  
MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich**

**Titel van het programma :** MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich

**Lokale vertegenwoordiger :** Minoryx Therapeutics, Rue Auguste Piccard 48, 6041  
Gosselies

**Medische ethische commissie :** Ethische commissie Erasmus

**Gegevens van uw behandelend arts**

**Naam :** .....

**Naam en adres van het centrum:**

.....  
.....  
.....

**Telefoonnummer**

**overdag:** .....

**Telefoonnummer in geval**

**van nood:** .....

**Telefoonnummer buiten de consultatie-**

**uren:**.....

## **1 . INLEIDING**

Uw behandelend arts zou u willen voorstellen dat uw kind deelneemt aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen. Een programma voor gebruik in schrijnende gevallen biedt behandelingsmogelijkheden die anders niet beschikbaar zouden zijn voor patiënten die aan een ernstige en levensbedreigende ziekte lijden.

Uw kind is uitgenodigd om deel te nemen aan dit specifieke programma omdat u ataxie van Friedreich heeft. Dit formulier geeft u alle belangrijke informatie over dit programma. U vindt er uitleg over het doel van het programma uitleggen, evenals de mogelijke risico's en voordelen van deelname.

Lees deze paar bladzijden informatie zorgvuldig door en stel uw vragen aan uw behandelend arts of zijn of haar vertegenwoordiger. Als u beslist om hem/haar te laten deelnemen, moet u het toestemmingsformulier aan het eind van dit document ondertekenen om aan te geven dat u akkoord gaat met uw deelname en dat u ons toestemming geeft om uw persoonlijke informatie te gebruiken.

## **2. WAAROM ZOU MIJN KIND DEELNEMEN AAN DIT PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN?**

In het kader van onze FRAMES-studie, uitgevoerd met patiënten die lijden aan ataxie van Friedreich, heeft Minoryx, de promotor van het programma, vastgesteld dat MIN-102 resultaten geeft die als positief worden geïnterpreteerd.

Aangezien er momenteel geen behandeling is goedgekeurd door het Europees Geneesmiddelenbureau, wil Minoryx toegang tot MIN-102 verlenen aan patiënten die aan de Fase II studie hebben deelgenomen en vragen om de behandeling voort te zetten.

## **3. WIE NEEMT ER DEEL AAN DIT PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN?**

Patiënten die lijden aan ataxie van Friedreich, die voldoen aan de criteria voor opname/uitsluiting van dit programma.

## **4. IS MIJN KIND VERPLICHT DEEL TE NEMEN AAN DIT PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN EN KAN HIJ/ZIJ VAN GEDACHTEN VERANDEREN EN ZIJN/HAAAR DEELNAME STOPZETTEN?**

De beslissing om al dan niet deel te nemen aan dit programma ligt geheel bij u en uw kind. U kan op elk moment beslissen om te stoppen met het innemen van MIN-102 , maar u moet uw behandelend arts hiervan op de hoogte stellen, die u en uw kind verdere informatie zal geven over wat u moet doen. Het zou voor ons nuttig zijn te weten wat de redenen zijn om de deelname van uw kind stop te zetten, maar u bent niet verplicht deze redenen op te geven. Als u beslist dat uw kind niet deelneemt of naderhand niet langer deelneemt, heeft dit geen gevolgen voor zijn/haar reguliere medische zorg. Uw behandelend arts zal andere mogelijke behandelingen met u bespreken.

## 5. WAT GEBEURT ER ALS MIJN KIND DEELNEEMT AAN HET PROGRAMMA?

Als dit programma voor uw kind geschikt is, krijgt hij/zij een behandeling met MIN-102. Uw behandelend arts zal u uitleggen wat u moet doen en welke onderzoeken uw kind tijdens het programma moet ondergaan.

Uw kind kan MIN-102 krijgen totdat de promotor van dit programma besluit het programma stop te zetten (bijvoorbeeld om veiligheidsredenen). Als uw behandelend arts echter vindt dat uw kind niet goed op de behandeling met MIN-102 reageert, kan hij of zij ook beslissen om de behandeling te stoppen.

### - **Instructies voor het toedienen van MIN-102**

Geef dit geneesmiddel altijd precies volgens de instructies van uw behandelend arts. Raadpleeg uw arts, apotheker of verpleegkundige als u niet zeker bent.

Het geneesmiddel wordt eenmaal per dag in de ochtend toegediend, elke dag op ongeveer hetzelfde tijdstip, na het ontbijt.

Uw kind krijgt voldoende kits met geneesmiddelen om de behandeling ten minste tot zijn/haar volgende bezoek voort te zetten, inclusief een reservehoeveelheid. Bij elke flacon wordt een injectiespuit van 10 ml geleverd, waarmee het geneesmiddel in de mond van de patiënt moet worden gebracht. Uw kind neemt de door uw behandelend arts aangegeven dosis. Het is mogelijk dat hem/haar wordt gevraagd om de dosis die hij/zij inneemt aan te passen, afhankelijk van hoeveel van het geneesmiddel zijn/haar systeem bereikt. Als een dosisaanpassing nodig is, zal uw behandelend arts hem/haar hierover informeren. U krijgt de instructie de spuit te vullen tot het juiste volume, dat wordt afgerond op de dichtstbijzijnde 0,5 ml. Na elke toediening van het geneesmiddel moet de spuit met schoon water worden gereinigd en moet voor elke nieuwe flacon een nieuwe spuit worden gebruikt. U krijgt de instructie elke flacon op te maken voordat u de volgende volle flacon inneemt. Wij raden u aan alle lege en gedeeltelijk volle flacons terug te brengen naar het centrum.

MIN-102 zal hem/haar worden aangeboden tot het moment dat uw arts de risico-batenverhouding gunstig acht.

Uw arts kan MIN-102 voorschrijven als aanvulling op andere behandeling(en). Vergeet niet de andere door uw arts voorgeschreven behandeling(en) te geven. Dit zal u een betere kans geven om zijn/haar gezondheid te zien verbeteren.

### - **Procedures**

#### Het eerste bezoek

Voordat uw kind aan dit programma deelneemt, zal u worden gevraagd de behandelend arts op de hoogte te stellen van alle geneesmiddelen die u momenteel gebruikt of in de afgelopen 6 maanden heeft gebruikt. Uw behandelend arts zal u vertellen welke geneesmiddelen uw kind kan blijven gebruiken tijdens het programma, op voorwaarde dat de dosis constant is geweest voor minstens 3 maanden voorafgaand aan de selectie en hetzelfde blijft tijdens het programma.

Elke behandeling die uw kind tijdens dit programma wordt voorgeschreven, moet onder de aandacht van uw behandelend arts worden gebracht. Deelname aan andere klinische studies (testen van nieuwe geneesmiddelen of medische hulpmiddelen) in de laatste 2 maanden en

tijdens dit programma is niet toegestaan.

Tijdens dit programma moet uw kind tijdens het eerste jaar van de behandeling om de 6 maanden komen en na het eerste jaar ten minste elk jaar. Als uw kind tijdens de FRAMES-studie een placebo nam, zal hem/haar worden gevraagd om nog een paar bezoeken af te leggen: 4 weken en 12 weken na het begin van dit programma. Er zullen ook regelmatig telefoongesprekken plaatsvinden zijn als hij/zij dit programma voortzet.

In dit programma zullen bloed- en urinemonsters worden afgenomen voor veiligheidstests. Deze bloedmonsters moeten worden genomen wanneer hij/zij aan het vasten is (wat betekent dat hij/zij ongeveer 8 uur niet heeft gegeten of water heeft gedronken voordat het monster wordt genomen).

Naast het afnemen van bloed voor veiligheidstests, zullen we extra bloed afnemen om te zien of het geneesmiddel in zijn/haar lichaam is opgenomen (dit wordt farmacokinetiek of PK genoemd).

Het is van essentieel belang dat deelnemers niet zwanger worden tijdens het programma. Daarom moeten alle deelnemers een betrouwbare anticonceptiemethode gebruiken. Als uw dochter in de loop van het programma zwanger wordt, moet u onmiddellijk uw behandelend arts op de hoogte brengen.

Dit zijn de procedures en analyses die uw kind tijdens dit programma moet uitvoeren. Sommige zullen frequent zijn, andere zullen slechts nu en dan plaatsvinden.

- **Bloedafnames:** er wordt bloed afgenomen voor verschillende bloedonderzoeken, waaronder routinematige veiligheidstests in het laboratorium, tests op hepatitis en het humaan immunodeficiëntievirus (HIV), PK-tests om te zien hoe goed het geneesmiddel wordt geabsorbeerd, en zwangerschapstests voor de deelnemers. Sommige van deze onderzoeken worden slechts één keer uitgevoerd, terwijl andere kunnen worden herhaald. Uw kind kan zich wat ongemakkelijk voelen tijdens de afname van de bloedmonsters.
- **Urineonderzoek:** er worden urinemonsters afgenomen voor verschillende urineonderzoeken, waaronder routinematige veiligheidstests in het laboratorium en specifieke tests op abnormale blaascellen.
- **Zwangerschapstest in de urine:** als uw dochter zich kan voortplanten, wordt eenmaal per maand een zwangerschapstest in de urine uitgevoerd.
- **Klinisch onderzoek:** uw kind zal een klinisch onderzoek ondergaan, dat een beoordeling van het hart, de longen, de buik, de ledematen en de huid kan omvatten, met bijzondere aandacht voor de aanwezigheid van zwelling van de benen en handen (perifeer oedeem) en tekenen of symptomen van hartfalen. Bij sommige bezoeken kunnen de uitgevoerde onderzoeken alleen betrekking hebben op het perifere oedeem.
- **Vitale functies:** zijn/haar lengte, lichaamsgewicht, bloeddruk, polsslag en temperatuur worden gemeten. Temperatuur en lengte worden niet bij elk bezoek gemeten. Hij/zij kan druk voelen wanneer de bloeddrukmanchet wordt opgeblazen.
- **Elektrocardiogram met 12-afleidingen (ECG):** er worden plakkers met elektroden op de rug, borst, armen en benen van uw kind geplakt. Deze elektroden meten de elektrische activiteit van zijn/haar hart. Dit duurt maar een paar minuten en zou geen ongemak mogen

veroorzaken. Kleverige ECG-kompressen kunnen irritatie en jeuk veroorzaken.

- **Echocardiogram:** dit stelt de behandelend arts in staat om het hart van uw kind, de vorm, structuur en functie ervan te onderzoeken met behulp van echografie. Het is een niet-ingrijpende en pijnloze procedure. Er wordt een gel op de borstkas aangebracht en een staafje wordt tegen de borstkas gedrukt. Uw kind kan zich ongemakkelijk voelen door de koude gel en het staafje.

### De regelmatige bezoeken

Uw behandelend arts zal tijdens de gebruikelijke bezoeken van uw kind voor ataxie van Friedreich controleren of alles goed gaat met hem/haar en zijn/haar behandeling met MIN-102, in overeenstemming met de plaatselijke praktijkgewoonten.

Tijdens de bezoeken hebben volgende zaken plaats met betrekking tot MIN-102:

- Uw kind krijgt MIN-102 om gedurende minstens 6 maanden in te nemen.
- Het bespreken van eventuele doseringsverlaging of stopzetting, inclusief gemiste doses.
- Vragen over mogelijke bijwerkingen.

### Het stopzettingsbezoek

Als u of uw kind beslist om uw deelname aan dit programma stop te zetten, zal het volgende gebeuren:

- Het bespreken van eventuele bijwerkingen - Als uw kind ernstige bijwerkingen ondervindt, zal uw behandelend arts de situatie blijven volgen en uw controleren nadat hij/zij met het programma is gestopt.
- Uw behandelend arts zal hem/haar vragen waarom, maar uw kind hoeft geen reden op te geven. Het kan nuttig zijn voor zijn/haar verdere behandeling om dit mee te delen.

Er zullen geen extra belangrijke bloedafnames plaatsvinden tijdens dit programma. Het bloedmonster dat tijdens het eerste bezoek wordt afgenomen is hetzelfde als bij een standaard bloedonderzoek en wordt ter plaatse geanalyseerd. PK-monsters om de hoeveelheid ingenomen geneesmiddel te bepalen, worden naar een extern laboratorium gestuurd.



## 6. WAT MOET UW KIND DOEN?

Als u ermee instemt dat uw kind aan dit programma deelneemt, moet uw kind de instructies van uw behandelend arts opvolgen, naar de bezoeken komen, MIN-102 innemen en alle hierboven beschreven tests en onderzoeken ondergaan.

Het is ook belangrijk dat u uw behandelend arts vertelt over andere geneesmiddelen, vitaminen, voedingsmiddelen of kruidensupplementen die uw kind eerder heeft ingenomen en die hij/zij tijdens het programma gebruikt, omdat het mogelijk is dat uw kind sommige van deze niet samen met MIN-102 kan innemen vanwege een risico op wisselwerking. Uw behandelend arts heeft een lijst van geneesmiddelen die u moet vermijden wanneer hij/zij MIN-102 gebruikt. Het is daarom belangrijk dat u deze lijst raadpleegt voordat u een nieuw geneesmiddel aan uw kind geeft.

Uw kind mag niet deelnemen aan een onderzoek naar geneesmiddelen terwijl hij/zij aan dit programma deelneemt. Als uw andere contactpersonen heeft, zoals een andere arts of tandarts, laat hen dan weten dat hij/zij aan dit programma deelneemt.

## 7. WAT ZIJN DE BIJWERKINGEN?

Alle geneesmiddelen hebben bekende of onvoorspelbare bijwerkingen. Hoewel eerdere studies hebben aangetoond dat het geneesmiddel in dit onderzoek doorgaans goed wordt verdragen, kan uw kind de volgende bijwerkingen krijgen:

Uw kind kan bijwerkingen en symptomen ondervinden als gevolg van de behandeling met MIN-102. Bekende bijwerkingen en symptomen van de behandeling met MIN-102 kunnen zijn:

- Hoofdpijn.
- Misselijkheid.
- Vermoeidheid.
- Dysfagie (slikproblemen).

In een andere lopende studie bij volwassen patiënten, werden de volgende symptomen waargenomen. Aangezien we nog niet weten welke patiënten MIN-102 kregen en welke placebo, kunnen deze symptomen nog niet duidelijk aan een van beide worden toegeschreven.

- Vasthouden van vocht of perifeer oedeem, wat hartfalen kan verergeren of veroorzaken.
- Gewichtstoename.
- Verhoogde traanvochtproductie.
- Verlaging van de celconcentratie in het bloed door vochttoename.

Pioglitazon, een geneesmiddel uit dezelfde klasse als MIN-102 dat sinds 2000 regelmatig wordt gebruikt voor de behandeling van diabetes, staat erom bekend dat het vergelijkbare bijwerkingen heeft. Bovendien zijn de volgende zeldzame effecten en symptomen waargenomen:

- Blaaskanker kan in verband worden gebracht met langdurige toediening van pioglitazon.

- Leverfalen.
- Hoger aantal botbreuken bij vrouwen.

Door het experimentele karakter van dit programma kunnen er andere risico's zijn die op dit moment onbekend zijn. Als uw kind bijwerkingen ondervindt, meld deze dan aan uw behandelend arts bij zijn/haar volgende bezoek. Gelieve de behandelend arts onmiddellijk op de hoogte te brengen van eventuele ernstige bijwerkingen.

De mogelijkheid kan niet worden uitgesloten dat zijn/haar vermogen om machines te bedienen of een auto te besturen wordt beïnvloed door zijn/haar deelname aan dit programma.

Er kunnen zich nog andere, tot op heden onbekende risico's en nadelen voordoen. Het is daarom zeer belangrijk dat u nieuwe gezondheidsproblemen zo spoedig mogelijk aan de behandelend arts meldt, of u nu denkt dat ze met dit programma te maken hebben of niet.

### **Algemeen**

Er bestaat een risico dat zijn/haar gezondheidstoestand niet verbetert of zelfs verslechtert tijdens het vervroegd toegangsprogramma. Uw behandelend arts zal zijn/haar gezondheid nauwlettend in de gaten houden en kan beslissen dat uw kind moet stoppen met zijn/haar deelname aan het vervroegd toegangsprogramma als het niet veilig voor hem/haar is.

### **8. ZAL DEELNAME AAN HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN DE GEZONDHEID VAN UW KIND HELPEN OF VERBETEREN?**

Het is mogelijk dat deelname aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen hem/haar niet zal helpen zijn/haar gezondheid zal verbeteren. Dit geeft hem/haar de kans om gebruik te maken van MIN-102, voordat het wordt goedgekeurd en op de markt gebracht voor de behandeling van ataxie van Freidreich.

Na alle behandelingsmogelijkheden te hebben onderzocht, heeft uw behandelend arts beslist om dit programma met u en uw kind te bespreken om MIN-102 te proberen als mogelijke behandeling voor zijn/haar ataxie van Freidreich.

### **9. HOE WORDEN DE PERSOONLIJKE GEGEVENS EN MONSTERS VAN MIJN KIND IN VERBAND MET HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN BEHANDELD EN GEBRUIKT?**

Tijdens deze programma zullen de persoonsgegevens van uw kinderen medische resultaten worden verzameld. Deze gegevens zullen in overeenstemming met de wet worden opgeslagen en beoordeeld. Hiervoor moet u vóór deelname aan de behandelend van uw kind, uw toestemming geven.

Als u ervoor kiest dat uw kind aan deze behandelend deelneemt, zal de behandelene arts in zijn of haar hoedanigheid van verwerkingsverantwoordelijke samen met de sponsor Minorix Therapeutics BE SA (samen de verwerkingsverantwoordelijken) de persoonsgegevens van uw kind verzamelen en gebruiken om deze programma uit te voeren. De persoonsgegevens die worden overgedragen bevatten geen combinatie van elementen waardoor uw kind zou kunnen worden geïdentificeerd. Deze persoonsgegevens kunnen het volgende omvatten:

- Zijn/haar naam, adres en contactgegevens
- Geboortedatum
- Demografische gegevens
- Medische voorgeschiedenis, met inbegrip van vroegere en huidige medische dossiers
- Informatie over uw bezoeken, inclusief testresultaten

De behandelend arts zou uw persoonsgegevens kunnen delen met:

- Minoryx Therapeutics BE SA of het door hen aangewezen bedrijf (het bedrijf dat ze gebruiken om toezicht te houden op de studie of het uit te voeren;)
- Premier Research, het door de sponsor aangewezen bedrijf dat toezicht houdt op deze programma;
- het onafhankelijke ethisch comité, een groep mensen die de ethiek van onderzoek op mensen beoordelen;
- een Data Safety Monitoring Board;
- de Belgische regelgevende autoriteiten;
- Overheidsinstanties voor andere landen;
- Andere bedrijven of agentschappen die samenwerken met (of eigendom zijn van) de sponsor;
- Zijn/haar huisarts, indien nodig;

Zijn/haar behandelgegevens zullen verwerkt worden in overeenstemming met de Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG) (Ref. i) en de Belgische wet over gegevensbescherming van 30 juli 2018 (Ref. ii). De opdrachtgever is hiervoor verantwoordelijk.

De sponsor en de bedrijven die voor hen werken, zouden de persoonsgegevens die naar hen worden verstuurd kunnen gebruiken:

- Om te kijken of het geneesmiddel werkt;
- Om te kijken of het geneesmiddel veilig is;
- Voor andere activiteiten gerelateerd aan het geneesmiddel;
- Om ervoor te zorgen dat voldoet aan de toepasselijke wetten en procedures;
- Om eventuele verslagen op te stellen die door de toepasselijke wetten worden vereist.

Wanneer zijn/haar persoonsgegevens gedeeld worden met gemachtigde gebruikers, zou het kunnen dat ze niet langer beschermd zijn door de privacywetten in uw land. Zijn/haar gegevens zouden voor verwerking kunnen worden overgedragen aan andere landen, waaronder landen waarin de wetgeving op gegevensbescherming niet zo strikt is als in uw kind land. De verwerkingsverantwoordelijken zullen ervoor zorgen dat alle overdrachten gebeuren in overeenstemming met de toepasselijke wetgeving en dat de persoonsgegevens te allen tijde beveiligd worden met adequate technische en organisatorische maatregelen.

In overeenstemming met de geldende wetgeving worden zijn/haar persoonsgegevens verzameld als onderdeel van de programma en bewaard gedurende ten minste 20 jaar, of 30 jaar als deze informatie ook onderdeel uitmaakt van zijn/haar medisch dossier.

De toestemming vandaag verleent heeft geen vervaldatum en blijft geldig tenzij en tot uw kind deze intrekt. U kunt zijn/haar toestemming om uw persoonsgegevens te gebruiken en delen op eender welk moment intrekken door de behandelend arts hiervan schriftelijk op de hoogte te brengen. U kunt dit doen door een schriftelijke kennisgeving naar de behandelend arts te sturen op het adres of de Functionaris voor Gegevensbescherming (DPO) van Hôpital Erasme, av. Joseph Wybran 40, 1070 Brussel, Service juridique, dpo@erasme.ulb.ac.be. Als u uw toestemming intrekt, zult uw kind niet verder kunnen deelnemen aan deze programma. Wanneer u uw toestemming intrekt, zullen na die datum geen nieuwe persoonsgegevens meer worden verzameld over uw kind. De persoonsgegevens die echter al verzameld zijn, kunnen nog steeds worden gebruikt en gedeeld met anderen.

U hebt het recht om zijn/haar medische gegevens of eender welke persoonsgegevens die in het bezit zijn van de verwerkingsverantwoordelijken op eender welk moment in te kijken en er kopieën van te maken. Door dit formulier te ondertekenen gaat u er echter mee akkoord zijn/haar gegevens niet in te kijken of te kopiëren totdat de sponsor de werkzaamheden in verband met deze programma heeft voltooid. Wanneer de programma is afgelopen, kunt u erom vragen de gegevens van uw kind in te kijken. De reden voor deze beperking is dat het in het algemeen belang is voor de gegevensbeheerders om de geblindeerde aard van de programma te handhaven en daardoor de geldigheid van de resultaten garanderen.

U hebt ook het recht op eender welk moment zijn/haar persoonsgegevens, die in het bezit zijn van de verwerkingsverantwoordelijken, recht te zetten, om de verwijdering ervan te verzoeken of bezwaar te maken tegen de verwerking ervan. U kunt dit doen door een schriftelijke kennisgeving naar de behandelend arts te sturen op het adres of de Functionaris voor Gegevensbescherming (DPO) van Hôpital Erasme.

Als u daarenboven niet tevreden bent met de verwerking van de persoonsgegevens, hebt u het recht een klacht in te dienen bij:

Gegevensbeschermingsautoriteit

Drukpersstraat 35

1000 Brussel

Tel. + 32 2 274 48 00

e-mail: [contact@apd-gba.be](mailto:contact@apd-gba.be)

Website: [www.gegevensbeschermingsautoriteit.be](http://www.gegevensbeschermingsautoriteit.be)

## **10. KOST DEZE DEELNAME U IETS?**

Er zijn voor u geen kosten verbonden aan deelname aan dit vervroegd toegangsprogramma. MIN-102 wordt ondersteund door Minoryx. Andere medische kosten zijn voor uw rekening, en worden mogelijk geheel of gedeeltelijk vergoed door uw ziekenfonds.

## **11. WAT GEBEURT ER ALS MIJN KIND GEWOND RAAKT TERWIJL HIJ/ZIJ DEELNEEMT AAN HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN?**

Minoryx of uw behandelend arts kunnen verantwoordelijk worden gehouden voor enig letsel (al dan niet gerelateerd aan de behandeling) als uw kind MIN-102 gebruikt voor een doel dat niet is goedgekeurd in het kader van dit programma. U dient zich ervan bewust te zijn dat uw zorgstelsel/verzekeraar de kosten van verwondingen of ziekten van uw kind in dit verband mogelijk niet dekt.

Door dit toestemmingsformulier te ondertekenen, verliest u geen van uw wettelijke rechten en ontslaat u de promotor van het programma of uw behandelend arts (of het team van de behandelend arts) niet van verantwoordelijkheid voor fouten of opzettelijke fouten.

Als uw kind gewond raakt terwijl u MIN-102 ontvangt, zal zijn/haar behandelend arts de beschikbare medische behandelingsopties met u en uw kind bespreken. Als u dat wenst, kan u deze behandeling laten uitvoeren door een andere gediplomeerde arts van uw keuze.

Raadpleeg in noodgevallen onmiddellijk een arts.

## **12. WAT GEBEURT ER ALS ER NIEUWE INFORMATIE WORDT GEPUBLICEERD?**

Als Minoryx belangrijke nieuwe informatie ontdekt over het programma voor gebruik in schrijnende gevallen zal uw behandelend arts u zo snel mogelijk op de hoogte brengen en u vragen of u wil dat uw kind het programma voortzet.

## **13. KAN IK MIJN KIND TERUGTREKKEN OF KAN HIJ/ZIJ WORDEN TERUGGETROKKEN UIT HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN?**

Hij/zij kan uit het programma worden verwijderd, ook al wilt u of uw kind doorgaan. Mogelijke redenen hiervoor zijn: uw behandelend arts vindt het beter dat uw kind stopt; uw kind volgt de programma-instructies niet op; Minoryx, gezondheidsinstanties, ethische of regelgevende instanties beslis(t)(sen) dat het programma moet worden onderbroken.

Minoryx behoudt zich het recht voor om het programma stop te zetten indien:

- a. Minoryx heeft vastgesteld dat het baten-risicoprofiel van MIN-102 het gebruik van MIN-102 niet langer ondersteunt.
- b. Er een onvoorzien tekort aan MIN-102 ontstaat.
- c. Een ander effectief geneesmiddel op de markt wordt gebracht.

## GEÏNFORMEERDE TOESTEMMING

**Titel van het programma:** MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich

### Ouder

Door dit formulier te ondertekenen, bevestigt u de volgende verklaringen:

- Ik heb de tijd gehad om deze informatie te lezen en na te denken over dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen voor mijn kind en mijn vragen zijn afdoende beantwoord.
- Ik ga akkoord dat mijn kind deelneemt aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen.
- Ik ga akkoord met het verzamelen en gebruiken van zijn/haar gecodeerde persoonlijke informatie zoals beschreven in dit document.

Naam en voornaam van de ouder:

Datum (DD/MM/JJJJ):

Handtekening van de deelnemer:

*Wij zullen u een kopie van dit formulier bezorgen zodra het is gedateerd en ondertekend*

## GEÏNFORMEERDE TOESTEMMING

**Titel van het programma:** MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich

### Behandelend arts

Ik, ondergetekende, behandelend arts, bevestig dat

- De ouder mondeling is ingelicht over het programma, uitleg heeft gekregen over de inhoud van het programma en een ondertekend origineel van dit document heeft ontvangen.
- Ik heb gecontroleerd of de ouder van de deelnemer het programma heeft begrepen.
- Ik heb de ouder van de deelnemer voldoende tijd gegeven om te beslissen of hij/zij al dan niet aan het programma wilde deelnemen en om vragen te stellen.
- Er werd geen druk uitgeoefend op de ouder van de deelnemer om in te stemmen met deelname aan het programma.
- Ik werk volgens de ethische principes zoals uiteengezet in de laatste versie van de "Verklaring van Helsinki", de "Goede Klinische Praktijken" en de Belgische wet.

Naam en voornaam van de behandelend arts:

Datum (DD/MM/JJJJ):

Handtekening van de behandelend arts:

---

<sup>i</sup> Algemene Verordening Gegevensbescherming nr. 2016/679 van het Europees Parlement en van de Raad van 27 april 2016 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van Richtlijn 95/46/EG.

<sup>ii</sup> Belgische wet van 30 juli 2018 betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens.

---

## INFORMATIE OVER HET PROGRAMMA VOOR GEBRUIK IN SCHRIJNENDE GEVALLEN EN TOESTEMMINGSFORMULIER VOOR ADOLESCENTEN

---

**Titel van het programma: Programma voor gebruik in schrijvende gevallen  
van MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich**

**Titel van het programma :** MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich

**Lokale vertegenwoordiger :** Minoryx Therapeutics, Rue Auguste Piccard 48, 6041  
Gosselies

**Medische ethische commissie :** Ethische commissie Erasmus

### Gegevens van uw behandelend arts

**Naam :** .....

**Naam en adres van het centrum:**

.....  
.....  
.....

**Telefoonnummer**

**overdag:** .....

Leeftijd van de patiënt: \_\_\_\_\_ jaar.

Indien de jongere om wiens toestemming wordt verzocht, verkiest niet aan dit programma deel te nemen, kan de ouder/voogd hem/haar daar niet toe verplichten.



## **1. Inleiding**

Je behandelend arts wil jou voorstellen om deel te nemen aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen. Een programma voor gebruik in schrijnende gevallen biedt behandelingsmogelijkheden die anders niet beschikbaar zouden zijn voor patiënten die aan een ernstige en levensbedreigende ziekte lijden.

Je bent uitgenodigd om deel te nemen aan dit specifieke programma omdat je ataxie van Friedreich hebt.

Dit formulier geeft je alle belangrijke informatie over dit programma. Je vindt er uitleg over het doel van het programma uitleggen, evenals de mogelijke risico's en voordelen van deelname.

Neem zoveel tijd als je nodig hebt om dit document te lezen, vragen te stellen en te beslissen of je al dan niet aan dit programma wenst deel te nemen. Je kan je behandelend arts vragen uit te leggen wat je niet begrijpt. Je kan ook met je familie en vrienden over dit programma praten als je dat wil.

Je hoeft niet aan dit programma deel te nemen als je dat niet wil. Als je beslist aan dit programma deel te nemen en daarna van gedachten verandert, kan je er op elk moment uitstappen.

## **2. Waarom wordt je gevraagd verzocht aan dit programma deel te nemen?**

Je wordt gevraagd om deel te nemen aan dit programma omdat je ataxie van Friedreich hebt. Ataxie van Friedreich is een ziekte van het zenuwstelsel die leidt tot evenwichtsverlies en moeilijkheden om de bewegingen van de ledematen nauwkeurig te controleren. De behandelend arts zal dit programma aan jou en je ouder (of voogd) uitleggen.

In het kader van onze FRAMES-studie, uitgevoerd met patiënten die lijden aan ataxie van Friedreich, heeft Minoryx, de promotor van het programma, vastgesteld dat MIN-102 resultaten geeft die als positief worden geïnterpreteerd.

Aangezien er momenteel geen goedgekeurde behandeling bestaat, wil Minoryx u toegang geven tot MIN-102 omdat je hebt deelgenomen aan de studie van Fase II en als je geïnteresseerd bent om de behandeling voort te zetten.

## **3. Wie neemt er deel aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen?**

Patiënten die lijden aan ataxie van Friedreich, die voldoen aan de criteria voor opname/uitsluiting van dit programma.

## **4. Ben ik verplicht deel te nemen aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen en kan ik van gedachten veranderen en mijn deelname stopzetten?**

De beslissing om al dan niet deel te nemen aan dit programma ligt geheel bij jou.

Je kan op elk moment beslissen om aan dit programma deel te nemen of om te stoppen met het innemen van MIN-102 , maar je moet je behandelend arts hiervan op de hoogte stellen, die je verdere informatie zal geven over wat je moet doen. Het zou voor ons nuttig zijn te weten wat de redenen zijn om deze deelname te beëindigen, maar je bent niet verplicht deze redenen op te geven. Als je beslist om niet deel te nemen of om naderhand niet langer deel te nemen, heeft dit geen gevolgen voor je reguliere medische zorg. Je behandelend arts zal andere mogelijke behandelingen met jou bespreken.

## **5. Wat gebeurt er als je ervoor kiest om deel te nemen aan dit programma, en wat wordt er van jou gevraagd?**

Als dit programma voor jou geschikt is, krijg je een behandeling met MIN-102. Je behandelend arts zal je uitleggen wat je moet doen en welke onderzoeken je tijdens het programma moet ondergaan.

Je kan MIN-102 krijgen totdat de promotor van dit programma besluit het programma te onderbreken (bijvoorbeeld om veiligheidsredenen). Als je behandelend arts echter vindt dat je niet goed op de behandeling met MIN-102 reageert, kan hij of zij ook beslissen om de behandeling te stoppen.

### **- Instructies voor het toedienen van MIN-102**

Je moet het geneesmiddel eenmaal per dag in de ochtend nemen, elke dag op ongeveer hetzelfde tijdstip, na het ontbijt. Je neemt het geneesmiddel via de mond in, met behulp van een spuitje.

Je krijgt voldoende kits met geneesmiddelen om de behandeling ten minste tot je volgende bezoek voort te zetten, inclusief een reservehoeveelheid. Bij elke flacon wordt een injectiespuit van 10 ml geleverd, waarmee je het geneesmiddel in je mond kan toedienen. Je neemt de door de arts aangegeven dosis. Het is mogelijk dat je wordt gevraagd om de dosis die je inneemt aan te passen, afhankelijk van hoeveel van het geneesmiddel je systeem bereikt. Als een dosisaanpassing nodig is, zal je behandelend arts je hierover informeren. Je krijgt de instructie de spuit te vullen tot het juiste volume, dat wordt afgerond op de dichtstbijzijnde 0,5 ml . Na elke toediening van het geneesmiddel moet de spuit met schoon water worden gereinigd en moet voor elke nieuwe flacon een nieuwe spuit worden gebruikt. Je krijgt de instructie elke flacon op te maken voordat je de volgende volle flacon inneemt. Wij raden je aan alle lege en gedeeltelijk volle flacons terug te brengen naar het centrum.

MIN-102 zal je worden aangeboden tot het moment dat je arts de risico-batenverhouding gunstig acht.

Je arts kan MIN-102 voorschrijven als aanvulling op andere behandeling(en). Vergeet niet de andere door je arts voorgeschreven behandeling(en) in te nemen. Dit zal je een betere kans geven

om je gezondheid te zien verbeteren.

## - **Procedures**

### Het eerste bezoek

Voordat je aan dit programma deelneemt, zal je worden gevraagd de behandelend arts op de hoogte te stellen van alle geneesmiddelen die je momenteel gebruikt of in de afgelopen 6 maanden hebt gebruikt. Je behandelend arts zal je vertellen welke geneesmiddelen je mag blijven gebruiken tijdens het programma, op voorwaarde dat de dosis constant is geweest voor minstens 3 maanden voorafgaand aan de selectie en hetzelfde blijft tijdens het programma.

Elke behandeling die je tijdens dit programma wordt voorgeschreven, moet onder de aandacht van je behandelend arts worden gebracht. Deelname aan andere klinische studies (testen van nieuwe geneesmiddelen of medische hulpmiddelen) in de laatste 2 maanden en tijdens dit programma is niet toegestaan.

Tijdens dit programma moet je tijdens het eerste jaar van de behandeling om de 6 maanden komen en na het eerste jaar ten minste elk jaar. Als je tijdens de FRAMES-studie een placebo nam, zal je worden gevraagd om nog een paar bezoeken af te leggen: 4 weken en 12 weken na het begin van dit programma. Er zullen ook regelmatig telefoongesprekken plaatsvinden zijn als je dit programma voortzet.

In dit programma zullen bloed- en urinemonsters worden afgenomen voor veiligheidstests. Deze bloedmonsters moeten worden genomen wanneer je aan het vasten bent (wat betekent dat je ongeveer 8 uur niet hebt gegeten of water hebt gedronken voordat het monster wordt genomen).

Naast het afnemen van bloed voor veiligheidstests, zullen we extra bloed afnemen om te zien of het geneesmiddel in je lichaam is opgenomen (dit wordt farmacokinetiek of PK genoemd).

Het is van essentieel belang dat je een zwangerschap tijdens het programma vermijdt. Daarom moet je zo nodig een betrouwbare anticonceptiemethode gebruiken. Als je in de loop van het programma zwanger wordt, moet je onmiddellijk je behandelend arts op de hoogte brengen.

Dit zijn de procedures en analyses die je tijdens dit programma moet uitvoeren. Sommige zullen frequent zijn, andere zullen slechts nu en dan plaatsvinden.

- **Bloedafnames:** er wordt bloed afgenomen voor verschillende bloedonderzoeken, waaronder routinematige veiligheidstests in het laboratorium, tests op hepatitis en het humaan immunodeficiëntievirus (HIV), PK-tests om te zien hoe goed het geneesmiddel wordt geabsorbeerd, en zwangerschapstests voor de deelnemers. Sommige van deze onderzoeken worden slechts één keer uitgevoerd, terwijl andere kunnen worden herhaald. Je kan je wat ongemakkelijk voelen tijdens de afname nemen van de bloedmonsters.

- **Urineonderzoek:** er worden urinemonsters afgenomen voor verschillende urineonderzoeken, waaronder routinematige veiligheidstests in het laboratorium en specifieke tests op abnormale blaascellen.
- **Zwangerschapstest in de urine:** als je vruchtbaar bent, wordt eenmaal per maand een zwangerschapstest in de urine uitgevoerd.
- **Klinisch onderzoek:** je zal een klinisch onderzoek ondergaan, dat een beoordeling van het hart, de longen, de buik, de ledematen en de huid kan omvatten, met bijzondere aandacht voor de aanwezigheid van zwelling van de benen en handen (perifeer oedeem) en tekenen of symptomen van hartfalen. Bij sommige bezoeken kunnen de uitgevoerde onderzoeken alleen betrekking hebben op het perifere oedeem.
- **Vitale functies:** je lengte, lichaamsgewicht, bloeddruk, polsslag en temperatuur worden gemeten. Je temperatuur en lengte worden niet bij elk bezoek gemeten. Je kan druk voelen wanneer de bloeddrukmanchet wordt opgeblazen.
- **Elektrocardiogram met 12-afleidingen (ECG):** er worden plakkers met elektroden op je rug, borst, armen en benen geplakt. Deze elektroden meten de elektrische activiteit van je hart. Dit duurt maar een paar minuten en zou geen ongemak mogen veroorzaken. Kleverige ECG-kompressen kunnen irritatie en jeuk veroorzaken.
- **Echocardiogram:** dit stelt de behandelend arts in staat om je hart, de vorm, structuur en functie ervan te onderzoeken met behulp van echografie. Het is een niet-ingrijpende en pijnloze procedure. Er wordt een gel op de borstkas aangebracht en een staafje wordt tegen de borstkas gedrukt. Je kan je ongemakkelijk voelen door de koude gel en het staafje.

### De regelmatige bezoeken

Je behandelend arts zal tijdens je gebruikelijke bezoeken voor ataxie van Friedreich controleren of alles goed gaat met jou en je behandeling met MIN-102, volgens de plaatselijke praktijkgewoonten.

Tijdens de bezoeken hebben volgende zaken plaats met betrekking tot MIN-102:

- Je krijgt MIN-102 om gedurende minstens 6 maanden in te nemen.
- Het bespreken van eventuele doseringsverlaging of stopzetting, inclusief gemiste doses.
- Vragen over mogelijke bijwerkingen.

### Het stopzettingsbezoek

Als je beslist om je deelname aan dit programma stop te zetten, zal het volgende gebeuren:

- Het bespreken van eventuele bijwerkingen - als je ernstige bijwerkingen

ondervindt, zal je behandelend arts de situatie blijven volgen en je controleren nadat je met het programma bent gestopt.

- Je behandelend arts zal je vragen waarom, maar je hoeft geen reden op te geven. Het kan nuttig zijn voor je verdere behandeling om dit mee te delen.

Er zullen geen extra belangrijke bloedafnames plaatsvinden tijdens dit programma. Het bloedmonster dat tijdens het eerste bezoek wordt afgenomen is hetzelfde als bij een standaard bloedonderzoek en wordt ter plaatse geanalyseerd. PK-monsters om de hoeveelheid ingenomen geneesmiddel te bepalen, worden naar een extern laboratorium gestuurd.

### Anticonceptie

Vrouwelijke deelnemers: je moet voorzorgsmaatregelen nemen om zwangerschap te voorkomen (zoals geen seks hebben of een medisch goedgekeurde vorm van anticonceptie gebruiken) tot ten minste 30 dagen na het innemen van MIN-102. Als je vragen hebt over hoe je zwangerschap kan voorkomen, praat dan met je behandelend arts; hij of zij zal je informatie geven over anticonceptie en de beschikbare methoden. Als je in de loop van het programma zwanger wordt, moet je onmiddellijk je behandelend arts op de hoogte brengen.

Mannelijke deelnemers: je mag gedurende ten minste 3 maanden na inname van MIN-102 geen kinderen maken. Deze maatregelen kunnen het niet hebben van seks of het gebruik van anticonceptie omvatten. Als je hierover vragen heeft, bespreek die dan met je behandelend arts. Hij of zij zal je informatie geven over anticonceptie of de beschikbare methoden.

## **6. Wat moet ik dan doen ?**

Neem dit geneesmiddel altijd precies in zoals voorgeschreven door je behandelend arts. Raadpleeg je arts, apotheker of verpleegkundige als je niet zeker bent.

Het is ook belangrijk dat je jouw behandelend arts vertelt over andere geneesmiddelen, vitaminen, voedingsmiddelen of kruidensupplementen die je eerder hebt ingenomen en die je tijdens het programma gebruikt, omdat het mogelijk is dat je sommige van deze niet samen met MIN-102 kan innemen vanwege een risico op wisselwerking. Je behandelend arts heeft een lijst van geneesmiddelen die je moet vermijden wanneer je MIN-102 gebruikt. Het is daarom belangrijk dat je deze lijst raadpleegt voordat je een nieuw geneesmiddel inneemt.

Je mag niet deelnemen aan een onderzoek naar geneesmiddelen terwijl je aan dit programma deelneemt. Als je andere contactpersonen hebt, zoals een andere arts of tandarts, laat hen dan weten dat je aan dit programma deelneemt.

## 7. Wat zijn de risico's van dit programma?

Alle geneesmiddelen hebben bekende of onvoorspelbare bijwerkingen. Hoewel eerdere studies hebben aangetoond dat het geneesmiddel in dit onderzoek doorgaans goed wordt verdragen, kan je de volgende bijwerkingen krijgen:

Je kan bijwerkingen en symptomen ondervinden als gevolg van de behandeling met MIN-102. Bekende bijwerkingen en symptomen van de behandeling met MIN-102 kunnen zijn:

- Hoofdpijn
- Misselijkheid
- Vermoeidheid
- Dysfagie (slikproblemen)

In een andere lopende studie bij volwassen patiënten, werden de volgende symptomen waargenomen. Aangezien we nog niet weten welke patiënten MIN-102 namen en welke een placebo, kunnen deze symptomen nog niet duidelijk aan een van beide worden toegeschreven.

- Vasthouden van vocht of perifeer oedeem, wat hartfalen kan verergeren of veroorzaken
- Gewichtstoename
- Verhoogde traanvochtproductie
- Verlaging van de celconcentratie in het bloed door vochttoename

Pioglitazon, een geneesmiddel uit dezelfde klasse als MIN-102 dat sinds 2000 regelmatig wordt gebruikt voor de behandeling van diabetes, staat erom bekend dat het vergelijkbare bijwerkingen heeft. Bovendien zijn de volgende zeldzame effecten en symptomen waargenomen:

- Blaaskanker kan in verband worden gebracht met langdurige toediening van pioglitazon.
- Leverfalen.
- Hoger aantal botbreuken bij vrouwen.

Door het experimentele karakter van dit programma kunnen er andere risico's zijn die op dit moment onbekend zijn. Als je bijwerkingen ondervindt, meld deze dan aan je behandelend arts bij je volgende bezoek. Breng de behandelende arts onmiddellijk op de hoogte van eventuele ernstige bijwerkingen.

De mogelijkheid kan niet worden uitgesloten dat je vermogen om machines te bedienen of een auto te besturen wordt beïnvloed door je deelname aan dit programma.

Er kunnen zich nog andere, tot op heden onbekende risico's en nadelen voordoen. Het is daarom zeer belangrijk dat je nieuwe gezondheidsproblemen zo spoedig mogelijk aan de behandelend arts meldt, of je nu denkt dat ze met dit programma te maken hebben of niet.

## **8. Zal deelname aan dit programma je helpen?**

Het is mogelijk dat deelname aan dit programma voor gebruik in schrijnende gevallen je niet zal helpen je gezondheid zal verbeteren. Dit geeft je de kans om gebruik te maken van MIN-102, voordat het wordt goedgekeurd en op de markt gebracht voor de behandeling van ataxie van Freidreich.

Na alle behandelingsmogelijkheden te hebben onderzocht, heeft je behandelend arts beslist om dit programma met jou te bespreken om MIN-102 te proberen als mogelijke behandeling voor uw ataxie van Freidreich.

## **9. Wat zal er gebeuren als nieuwe informatie over het geneesmiddel van het programma wordt verkregen?**

Soms wordt in de loop van het onderzoek nieuwe informatie over het geneesmiddel ontdekt. In dat geval zal de behandelende arts je informeren.

## **10. Moet je akkoord gaan om deel te nemen aan dit programma?**

Nee, dat moet jij weten.

Als je beslist om aan dit programma deel te nemen, moet je dit formulier ondertekenen. Je krijgt een kopie mee naar huis.

## **11. Wat wordt er van je verwacht als je ervoor kiest om deel te nemen aan dit programma?**

Je moet de instructies van de arts opvolgen, alle afspraken bijwonen en de geneesmiddelen innemen zoals voorgeschreven.

## **12. Wat gebeurt er als je beslist om niet aan dit programma deel te nemen of als je van gedachten verandert?**

Deelname aan dit programma is vrijwillig.

Als je beslist om niet aan dit programma deel te nemen of later van gedachten verandert, zal niemand je dat kwalijk nemen en zal je op geen enkele wijze worden gestraft.

## **13. Kan je jouw deelname aan dit programma stopzetten voordat het eindigt?**

Je kan je deelname aan dit programma op elk moment stopzetten. Je hoeft je niet te verantwoorden.

Als je beslist om met het programma te stoppen, zal je worden gevraagd terug te komen naar het centrum voor nog enkele tests. Dit is om zeker te zijn dat je in orde bent.

#### **14. Kan de behandelend arts je voortijdig uit dit programma terugtrekken?**

Je arts kan je uit dit programma terugtrekken in de volgende gevallen:

- Je toestand verslechtert.
- Ze denken dat het programma misschien niet in jouw belang is.
- Je kan de medicatie niet verdragen.
- Het programma wordt onderbroken.
- Je kan niet aan alle eisen van dit programma voldoen.
- Je begint aan een zwangerschap.
- Nieuwe informatie suggereert dat deelname aan dit programma niet in jouw belang is.

#### **15. Komt iemand anders te weten dat je deelneemt aan dit programma? Blijven je medische gegevens vertrouwelijk als je ervoor kiest deel te nemen?**

Als je beslist om aan dit programma deel te nemen, worden de gegevens over jou geheim of vertrouwelijk doordat je naam door een nummer wordt vervangen. Deze bestanden zijn alleen toegankelijk voor medewerkers van het programma en mensen die werken voor Minoryx Therapeutics BE SA. of bedrijven die voor haar werken, of voor groepen mensen die ervoor zorgen dat dit programma correct wordt uitgevoerd.

Je gegevens zullen verwerkt worden in overeenstemming met de Algemene Verordening Gegevensbescherming (AVG) (Ref. i) en de Belgische wet over gegevensbescherming van 30 juli 2018 (Ref. ii). De opdrachtgever is hiervoor verantwoordelijk.

#### **16. Zijn er kosten verbonden als je deelneemt aan dit programma?**

Er zijn voor jou geen kosten verbonden als je deelneemt aan dit programma.

#### **17. Word je betaald voor je deelname aan dit programma?**

Je wordt niet betaald voor je deelname aan dit programma.



## DOCUMENTATIE VAN INSTEMMING

**Titel van het programma:** MIN-102 bij patiënten met ataxie van Friedreich

### De patiënt :

Je hebt het recht om vragen te stellen over wat je hebt gelezen of over wat iemand jou heeft voorgelezen.

Je kan de dingen in dit document waar je meer over wilt weten omcirkelen of onderstrepen.

Als je iets niet begrijpt, vraag het dan, zodat het je beter uitgelegd kan worden.

NEE, ik wil niet deelnemen aan dit programma.

JA, ik wil deelnemen aan dit programma.

Ik begrijp dat ik mijn deelname aan dit onderzoeksprogramma op elk moment kan stopzetten.

Als je akkoord gaat om deel te nemen aan dit programma, teken je hier: \_\_\_\_\_

Naam en hoofdletters van de adolescent(e): \_\_\_\_\_

Datum: \_\_\_\_\_

***Wij zullen u een kopie van dit formulier bezorgen zodra het is gedateerd en ondertekend***

## DOCUMENTATIE VAN INSTEMMING

Het programma voor gebruik in schrijnende gevallen en het toestemmingsformulier werden uitgelegd aan:

Naam en voornaam van de patiënt(e) :

---

### **Persoon die toestemming krijgt**

Door hieronder te ondertekenen, bevestig ik dat ik dit programma persoonlijk met de patiënt(e) heb besproken, dat de procedures zijn uitgelegd in termen die hij of zij kan begrijpen, en dat hij of zij vrijwillig toestemming heeft gegeven om aan dit programma deel te nemen.

---

Handtekening van de persoon die toestemming krijgt

---

Datum

---

Voor- en achternaam in drukletters van de persoon die toestemming krijgt

---

Handtekening van de ouder/voogd

---

Datum

---

Voor- en achternaam in drukletters van de ouder/voogd

---

Handtekening van de ouder/voogd

---

Datum

---

Voor- en achternaam in drukletters van de ouder/voogd

---

<sup>i</sup> Algemene Verordening Gegevensbescherming nr. 2016/679 van het Europees Parlement en van de Raad van 27 april 2016 betreffende de bescherming van natuurlijke personen in verband met de verwerking van persoonsgegevens en betreffende het vrije verkeer van die gegevens en tot intrekking van Richtlijn 95/46/EG.

<sup>ii</sup> Belgische wet van 30 juli 2018 betreffende de bescherming van natuurlijke personen met betrekking tot de verwerking van persoonsgegevens.