



[Summarized Information](#)

[Informations résumées Français](#)

[Samengevatte informatie Nederlands](#)

Summarized Information_English

Product Name	N/A	
Active substance	Leriglitzone (MIN-102)	
Indication and conditions of use	Treatment of Friedreich's Ataxia (FRDA)	
	Subjects will take 1 dose of MIN-102 at approximately the same time every morning. MIN-102 will be provided as an oral suspension in 125 ml bottles. Each bottle will contain 100 ml of suspension with a drug concentration of 15 mg/mL.	
	Starting dose will be the last administered dose while in the MT-2-03 study for patients who had been on active during the previous study.	
	For patients who had been on placebo during the MT-2-03 study the starting dose will be as follows:	
	Age Range (years)	Dose (mg/kg QD)
≥ 12 to 17	2.2 mg/kg	0,15 mL/kg
Adult (male, 75 Kg)	Fixed dose of 150 mg	Fixed dose of 10 mL
Adult (female, 65 Kg)	Fixed dose of 130 mg	Fixed dose of 8,5 mL
QD = once a day		
All patients will be adjusted based on plasma exposure from the sample taken 4 weeks after starting treatment.		

<p>Conditions, delays and further rules for participation of patients</p>	<p>Requests for compassionate use treatment will still be responded on a case-by-case basis, addressing the following general criteria.</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Having been recruited into and completed the MT-2-03 study (EudraCT number: 2018-004405-64). 2. Informed consent, or caregiver consent and patient assent, if adequate by age, for subjects younger than 18 years. 3. Continued care by a qualified neurologist or neuropediatrician. 4. Commitment of subject and caregivers, if applicable, to attend scheduled follow-up investigations 5. The patient is not eligible for a clinical trial running with MIN-102 (note: there are currently no ongoing interventional studies in FRDA in Belgium suitable for this patient population) 6. The patient cannot be satisfactorily treated with the approved and commercially available and reimbursed alternative treatments, in accordance with clinical guidelines, because of efficacy and/or safety issues 7. Male with a potentially fertile partner must be willing to use an acceptable method of contraception for the duration of the study and for 3 months after study drug discontinuation (acceptable methods are: use of a condom with spermicide or use of oral, implantable or injectable contraceptives, or intrauterine devices, or a diaphragm with spermicide or diaphragm with condom) or have had a vasectomy 8. Female with childbearing potential must be willing to use highly effective contraceptive methods during screening, during the period of drug administration and for 30 days after stopping study drug administration. Highly effective contraception methods include the following: <ul style="list-style-type: none"> ▪ Total abstinence (defined as refraining from heterosexual intercourse during the entire period outlined above). ▪ Male or female sterilization. <ul style="list-style-type: none"> ○ bilateral tubal occlusion ○ vasectomized partner ▪ Use of at least one of the following: <ol style="list-style-type: none"> a. Use of oral, injectable, transdermal, intravaginal, or implantable hormonal methods of contraception <ul style="list-style-type: none"> ▪ combined (estrogen and progestogen containing) hormonal contraception associated with inhibition of ovulation: Oral, intravaginal or transdermal. ▪ progestogen-only hormonal contraception associated with inhibition of ovulation: oral, injectable or implantable
---	--

	<p>b. Placement of an intrauterine device (IUD) or intrauterine system (IUS)</p> <p>Female patients of childbearing potential must have a negative serum pregnancy test result within 7 days before first administration of study drug</p> <p>Excluded will be patients for the following criteria:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Left ventricular ejection fraction (LVEF) <55%, on echocardiogram, or other clinically significant cardiac abnormalities on echocardiogram that in the investigator's opinion could predispose the subject to volume overload or its attendant consequences. 2. History of heart failure, ventricular arrhythmia, supraventricular tachycardia, or having a QTcF time of >480 msec. 3. Currently participating in or having participated in another interventional clinical study other than MT-2-03 within 2 months prior to start of compassionate use. 4. Requiring other prohibited concomitant medication. The following therapies are prohibited during the study: <ul style="list-style-type: none"> ▪ Moderate to strong CYP3A inhibitors: Boceprevir, clarithromycin, conivaptan, grapefruit juice, itraconazole, ketoconazole, ritonavir, cobicistat mibefradil, nefazodone, posaconazole, telithromycin, voriconazole, imatinib, verapamil, aprepitant, atazanavir, ciprofloxacin, crizotinib, diltiazem, erythromycin, fluconazole ▪ CYP2C8 inhibitors: Gemfibrozil ▪ CYP3A inducer: Rifampicin 5. NT-proB-type natriuretic peptide level (NT-pro BNP) >300 pg/mL at start of compassionate use treatment 6. Pregnant women or female patients not using generally accepted contraception measures. 7. Any other circumstance in the judgment of the investigator and/or Minoryx 8. A positive result on laboratory tests for hepatitis B Ag, hepatitis C AB and HIV AB at screening. 9. Chronic kidney disease (CKD) stages 3a or higher (according to CKD staging by Renal association with an estimated glomerular filtration rate of <60 ml/min/1.73m²). 10. Drug or alcohol abuse in the past 2 years by subject history and/or investigator assessment. 11. Conditions which could modify the absorption of the study drug, such as inflammatory bowel diseases, or stomach or intestinal resection
--	--

12. The investigator should also confirm that the subject does not meet the exclusion criteria previously defined for study MT-2-03 (FRAMES)

- Previous or current history of vesical polyps, bladder cell hyperplasia, or bladder cancer.
- Chronic or recurrent symptomatic urinary infections (≥ 2 per year over the past 2 years until Screening [V-1]).
- Permanent indwelling urinary catheter or catheter port
- Previous or current history of other cancer, unless surgically resected and without evidence of recurrence for a minimum of 5 years.
- Clinically significant anemia (i.e. hemoglobin below 110 g/L).
- Glycated hemoglobin (HbA1c) levels $>6.4\%$ and fasting blood glucose levels ≤ 0.9 times the lower limit of normal and ≥ 1.1 times the upper limit of normal.
- Abnormal liver enzyme tests for aspartate aminotransferase or alanine aminotransferase of >2 times the upper limit of normal or total bilirubin >1.5 times the upper limit of normal (unless due to Gilbert's syndrome).
- Moderate or severe hepatic impairment (groups B and C according to the revised Child-Pugh classification).

Treatment will be stopped or suspended if patients meet any of the below:

- Patients do not tolerate the minimum allowed dose.
- Clinical signs of heart failure (dyspnea, orthopnea, pulmonary rales)
- LVEF drops below 50%, or
- LVEF shows an absolute drop of more than 10% from Baseline
- In case steady elevations of NTpro-BNP >300 pg/mL with associated clinical and/or echocardiographic signs of cardiac failure
- Pregnancy

Treatment will also be stopped if the patient deteriorates to the extent that by the overall assessment of the investigator the patient will no longer benefit from treatment or in view of safety information the risks outweigh the benefits

Duration of the program	<p>MIN-102 will be provided free of charge by Minoryx Therapeutics, BE, SA on an individual subject basis following the criteria stated in this program from the approval of the FAMHP until the phase III trial starts recruitment in Belgium.</p> <p>The program will start once it has been approved by the FAMHP</p> <p>The applicant commits itself to let the FAMHP know if the product has got the (partial) Marketing Authorization or if the Marketing Authorization has been rejected.</p>
Conditions of distribution	<p>The Sponsor or the medication manufacturer will provide study medication to the site. The Sponsor will provision LERIGLITAZONE (MIN-102) to the pharmacy of the hospital with a maximum of 10 working days.</p> <p>From there, the medication will be handed to the patient at each visit. Every medication supply will cover the time period until next visit including a reserve amount. Re-supply of the medication may occur due to the long duration of the CUP.</p>
Responsible of the program	<p>Minoryx Therapeutics , BE, S.A Phone: +32 78700162 E-mail: info@minoryx.com Rue Auguste Piccard 48.</p> <p>6041 Gosselies, Belgium</p> <p>Minoryx Therapeutics is responsible for providing the IMP to site needed for the patients who join the program, in addition to program execution, the designation of a physician in charge of the inclusion of patients, keeping a central register of patients included and the recording of anonymised suspected serious adverse effects.</p>
Modalities for the disposal	<p>To be destroyed as per local institution guideline. No specific instructions needed.</p>
The information for registration of suspected unexpected serious adverse reactions	<p>Investigators must commit to documentation related to reporting of SAEs and severe (Grade 3 or 4) Aes to a third-party vendor by one of the following methods : . Email: safetyreporting@syneoshealth.com Fax number: 1-877-464-7787</p>

Informations résumées_Français

Nom du médicament	N/A		
Nom de la substance active	Leriglitzone (MIN-102)		
Indication et conditions d'utilisation	<p>Traitement de l'ataxie de Friedreich (FRDA)</p> <p>Les sujets prendront une dose de MIN-102 à peu près à la même heure chaque matin. MIN-102 sera fournie sous forme de suspension orale dans des flacons de 125 ml. Chaque flacon contiendra 100 ml de suspension avec une concentration de médicament de 15 mg/mL.</p> <p>La dose initiale sera la dernière dose administrée pendant l'étude MT-2-03 pour les patients qui étaient sous traitement actif pendant l'étude précédente.</p> <p>Pour les patients qui étaient sous placebo pendant l'étude MT-2-03, la dose de départ sera la suivante :</p>		
	Tranche d'âge (année)	Dose (mg/kg QD)	Dose (mL/kg QD)
	≥ 12 to 17	2.2 mg/kg	0,15 mL/kg
	Adulte (homme, 75 Kg)	Dose fixée à 150 mg	Dose fixée à 10 mL
	Adulte (femme, 65 Kg)	Dose fixée à 130 mg	Dose fixée à 8,5 mL
<p>QD = une fois par jour</p> <p>Toutes les doses des patients seront ajustées en fonction des résultats obtenus à l'exposition plasmatique à partir de l'échantillon prélevé 4 semaines après le début du traitement.</p>			

<p>Conditions, délais et modalités selon lesquels les patients sont admis dans le programme</p>	<p>Les demandes de traitement à usage compassionnel seront toujours traitées au cas par cas, en tenant compte des critères suivants :</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Avoir été recruté et avoir terminé l'étude MT-2-03 (numéro EudraCT : 2018-004405-64). 2. Un consentement éclairé, ou consentement des soignants et assentiment du patient, si l'âge le permet, pour les sujets de moins de 18 ans. 3. Soins continus par un neurologue ou un neuropédiatre qualifié. 4. Engagement du sujet et des soignants, le cas échéant, à assister aux examens de suivi prévus. 5. Le patient n'est pas éligible pour un essai clinique en cours avec la MIN-102 (note : il n'y a actuellement aucune étude interventionnelle en cours en Belgique sur l'ADRF adaptée à cette population de patients). 6. Le patient ne peut actuellement pas être traité avec les traitements alternatifs approuvés, disponibles dans le commerce et remboursés, conformément aux directives cliniques, dus à des problèmes d'efficacité et/ou sécurité. 7. Les hommes dont la partenaire est potentiellement fertile doivent accepter d'utiliser une méthode de contraception acceptable pendant la durée de l'étude et pendant les 3 mois suivant l'arrêt du médicament de l'étude. (Méthodes acceptables : préservatif avec spermicide, contraceptifs oraux, implantables ou injectables, dispositifs intra-utérins, diaphragme avec spermicide ou diaphragme avec préservatif) ou avoir subi une vasectomie. 8. Les femmes pouvant procréer doivent accepter d'utiliser des méthodes de contraception hautement efficaces pendant la sélection, pendant la période d'administration du médicament et pendant 30 jours après l'arrêt du médicament de l'étude. Les méthodes de contraception hautement efficaces incluent : <ul style="list-style-type: none"> ▪ Abstinence totale (définie comme l'absence de rapports hétérosexuels pendant toute la période décrite ci-dessus). ▪ Stérilisation masculine ou féminine : <ul style="list-style-type: none"> ○ occlusion bilatérale des trompes ; ○ partenaire vasectomisé. ▪ Utilisation de l'un des dispositifs suivants au minimum : <ol style="list-style-type: none"> a. Utilisation de méthodes hormonales de contraception orales, injectables, transdermiques, intravaginales ou implantables : <ul style="list-style-type: none"> ○ contraception hormonale combinée (à base d'œstrogènes et de progestérone) entraînant l'inhibition de l'ovulation : par voie orale, intravaginale ou transdermique ; ○ contraception hormonale à base de progestérone uniquement entraînant l'inhibition de l'ovulation : par voie orale, injectable ou implantable. b. Pose d'un dispositif intra-utérin (DIU) ou d'un système intra-utérin (SIU).
---	---

Les patientes pouvant procréer doivent présenter un test de grossesse sérique négatif dans les 7 jours précédant la première administration du médicament de l'étude.

Seront exclus les patients répondant aux critères suivants :

1. Fraction d'éjection du ventricule gauche (FEVG) <55%, sur échocardiogramme, ou autres anomalies cardiaques cliniquement significatives sur échocardiogramme qui, de l'avis de l'investigateur, pourraient prédisposer le sujet à une surcharge volumique ou à ses conséquences.
2. Antécédents d'insuffisance cardiaque, d'arythmie ventriculaire, de tachycardie supraventriculaire ou de temps QTcF > 480 msec.
3. Participation actuelle ou passée à une autre étude clinique interventionnelle autre que MT-2-03 dans les 2 mois précédant le début de l'usage compassionnel.
4. Avoir besoin d'autres médicaments concomitants interdits. Les thérapies suivantes sont interdites pendant l'étude :
 - Inhibiteurs modérés à puissant du CYP3A : bocéprévir, clarithromycine, conivaptan, jus de pamplemousse, itraconazole, kétoconazole, ritonavir, cobicistat mibefradil, néfazodone, posaconazole, télichromycine, voriconazole, imatinib, vérapamil, aprépitant, atazanavira
 - Inhibiteurs du CYP2C8 : Gemfibrozil
 - Inducteur du CYP3A : Rifampicine
5. Niveau de peptide natriurétique de type NT-proB (NT-pro BNP) >300 pg/mL au début du traitement à usage compassionnel.
6. Femmes enceintes ou patientes n'utilisant pas de mesures de contraception généralement acceptées.
7. Toute autre circonstance selon le jugement de l'investigateur et/ou de Minoryx.
8. Résultat positif à des tests de laboratoire portant sur l'antigène de surface de l'hépatite B, les anticorps contre l'hépatite C et les anticorps contre le virus de l'immunodéficience humaine à la sélection
9. Insuffisance rénale chronique (IRC) de stade 3A ou plus avancé (selon la classification de l'IRC de la Renal Association avec un débit de filtration glomérulaire estimé < 60 ml/min/1,73 m²)
10. Abus de drogue ou d'alcool au cours des 2 dernières années selon les antécédents du patient et/ou l'évaluation de l'investigateur.
11. Troubles pouvant modifier l'absorption du médicament de l'étude, notamment les maladies inflammatoires de l'intestin ou les résections stomacales ou intestinales.

	<p>12. L'investigateur doit également confirmer que le sujet ne répond pas aux critères d'exclusion précédemment définis pour l'étude MT-2-03 (FRAMES) :</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ Antécédents antérieurs ou actuels de polypes vésicaux, d'hyperplasie des cellules vésicales ou de cancer de la vessie. Infections urinaires symptomatiques chroniques ou récurrentes (≥ 2 par an au cours des 2 dernières années jusqu'au dépistage [V-1]). ○ Sonde urinaire permanente à demeure ou port de sonde. ○ Antécédents antérieurs ou actuels d'un autre cancer, sauf s'il a été réséqué chirurgicalement et qu'il n'y a pas de preuve de récurrence depuis au moins 5 ans. ○ Anémie cliniquement significative (c'est-à-dire taux d'hémoglobine inférieur à 110 g/l). ○ Taux d'hémoglobine glyquée (HbA1c) $> 6,4 \%$ et glycémie à jeun $\leq 0,9$ fois la limite inférieure de la normale et $\geq 1,1$ fois la limite supérieure de la normale. ○ Tests anormaux des enzymes hépatiques pour l'aspartate aminotransférase ou l'alanine aminotransférase de > 2 fois la limite supérieure de la normale ou bilirubine totale de $> 1,5$ fois la limite supérieure de la normale (sauf en cas de syndrome de Gilbert). ○ Insuffisance hépatique modérée ou sévère (groupes B et C selon la classification révisée de Child Pugh). <p>Le traitement sera arrêté ou suspendu si les patients répondent à l'un des critères ci-dessous :</p> <ul style="list-style-type: none"> ▪ Les patients ne tolèrent pas la dose minimale autorisée. ▪ Signes cliniques d'insuffisance cardiaque (dyspnée, orthopnée, râles pulmonaires). ▪ La FEVG chute en dessous de 50%, ou ▪ La FEVG présente une baisse absolue de plus de 10 % par rapport à la valeur de base. ▪ En cas d'élévation régulière du NTpro-BNP > 300 pg/mL avec des signes cliniques et/ou échocardiographiques associés d'insuffisance cardiaque. ▪ Grossesse. <p>Le traitement sera également arrêté si l'état du patient se détériore au point que, selon l'évaluation globale de l'investigateur, le patient ne bénéficiera plus du traitement ou que, compte tenu des informations relatives à la sécurité, les risques l'emportent sur les bénéfices.</p>
--	---

Durée	<p>Le MIN-102 sera fourni gratuitement par Minoryx Therapeutics, BE, S.A. sur base individuelle des sujets en suivant les critères énoncés dans ce programme à partir de l'approbation de l'AFMPS jusqu'au début du recrutement de l'essai de phase III en Belgique.</p> <p>Le programme débutera dès qu'il aura été approuvé par l'AFMPS.</p> <p>Le demandeur s'engage à faire savoir à l'AFMPS si le produit a obtenu l'autorisation de mise sur le marché (partielle) ou si l'autorisation de mise sur le marché a été rejetée.</p>
Conditions de distribution	<p>Le commanditaire ou le fabricant du médicament fournira le médicament au site. De là, le médicament sera remis au patient à chaque visite. Chaque approvisionnement en médicaments couvrira la période de temps jusqu'à la prochaine visite, y compris une quantité de réserve. Un réapprovisionnement en médicaments peut être nécessaire en raison de la longue durée de l'usage compassionnel.</p> <p>Le traitement sera administré tant que l'investigateur considère que le rapport risque/bénéfice est favorable.</p>
Responsable	<p>Minoryx Therapeutics , BE, S.A Phone: ++34 93 544 14 66 E-mail: info@minoryx.com</p>
Modalités selon lesquelles les médicaments non-utilisés sont traités	<p>A détruire selon les directives de l'institution locale. Aucune instruction spécifique n'est nécessaire.</p>
Données pour l'enregistrement des suspicions d'effets indésirables graves	<p>Les enquêteurs doivent s'engager à fournir la documentation relative au signalement des effets secondaires sérieux et sévères (grade 3 ou 4) à un fournisseur tiers par l'une des méthodes suivantes :</p> <p>Courriel : safetyreporting@syneoshealth.com Numéro de télécopieur : 1-877-464-7787</p>

Samengevatte informatie_Nederlands

Samengevatte informatie_NederlandsNaam geneesmiddel	N/A		
Naam actieve substantie	MIN-102		
Indicatie en gebruiksvoorwaarden	Behandeling van ataxie van Friedreich (FRDA)		
	<p>Proefpersonen zullen elke ochtend op ongeveer hetzelfde tijdstip 1 dosis leriglitzon innemen. MIN-102 zal worden verstrekt als een orale suspensie in flessen van 125 ml. Elke fles zal 100 ml suspensie bevatten met een geneesmiddelconcentratie van 15 mg/ml.</p> <p>De startdosis is de laatste dosis die tijdens de MT-2-03-studie is toegediend aan patiënten die tijdens de vorige studie actief waren.</p> <p>Voor patiënten die tijdens de MT-2-03-studie een placebo hadden gekregen, is de startdosis als volgt :</p>		
	Leeftijdscategorie (years)	Dosis (mg/kg QD)	Dosis (mL/kg QD)
	≥ 12 to 17	2.2 mg/kg	0,15 mL/kg
	Adult (male, 75 Kg)	Fixed dose of 150 mg	Fixed dose of 10 mL
Adult (female, 65 Kg)	Fixed dose of 130 mg	Fixed dose of 8,5 mL	
	QD = eenmaal daags		
	<p>Alle patiënten dosis zullen worden aangepast op basis van de plasmablootstelling uit het monster dat 4 weken na het begin van de behandeling is genomen.</p>		

<p>Voorwaarden, termijnen en nadere regelen waaronder patiënten worden toegelaten</p>	<p>Verzoeken om een behandeling op basis van "compassionate use" worden nog steeds per geval beoordeeld aan de hand van de volgende algemene criteria.</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Gerekruteerd zijn voor de MT-2-03 studie (EudraCT nummer: 2018-004405-64) en deze hebben afgerond. 2. Geïnformeerde toestemming, of toestemming van de verzorger en instemming van de patiënt, indien adequaat naar leeftijd, voor proefpersonen jonger dan 18 jaar. 3. Voortgezette zorg door een gekwalificeerde neuroloog of neuropediater. 4. Toezegging van de proefpersoon en de verzorgers, indien van toepassing, om geplande follow-up onderzoeken bij te wonen. 5. De patiënt komt niet in aanmerking voor een klinische studie met MIN-102 (opmerking: er zijn momenteel geen lopende interventionele studies in FRDA in België die geschikt zijn voor deze patiëntenpopulatie). 6. De patient kan niet naar teverdenheid worden behandeld met de goedgekeurde en in de handel verkrijgbare en vergoede alternatieve behandelingen, in overeenstemming met klinische richtlijnen, vanwege werkzaamheids-en/of veiligheidsproblemen 7. Mannen met een potentieel vruchtbare partner moeten bereid zijn om een aanvaardbare anticonceptiemethode te gebruiken voor de duur van het onderzoek en tot 3 maanden na stopzetting van het onderzoeksmiddel (aanvaardbare methoden zijn: gebruik van een condoom met zaaddodend middel of gebruik van orale, implanteerbare of injecteerbare anticonceptiva, of intra-uteriene systemen, of een pessarium met zaaddodend middel of een pessarium met condoom) of een vasectomie gehad hebben. 8. Vrouwen die zwanger kunnen worden moeten bereid zijn om zeer effectieve anticonceptiemethoden te gebruiken tijdens de screening, tijdens de periode van toediening van het onderzoeksmiddel en gedurende 30 dagen na het stopzetten van de toediening van het onderzoeksmiddel. Zeer effectieve anticonceptiemethoden omvatten de volgende: <ul style="list-style-type: none"> • volledige onthouding (gedefinieerd als het zich onthouden van heteroseksuele geslachtsgemeenschap gedurende de gehele periode zoals hierboven vermeld); • mannelijke of vrouwelijke sterilisatie: <ul style="list-style-type: none"> o bilaterale tuba-occlusie; o vasectomie van de partner.
---	---

	<ul style="list-style-type: none"> • gebruik van ten minste een van de volgende: <ol style="list-style-type: none"> a. gebruik van orale, injecteerbare, transdermale, intravaginale of implanteerbare hormonale anticonceptiemethoden; <ul style="list-style-type: none"> • gecombineerd (oestrogeen en progestageen bevattend) hormonaal anticonceptiemiddel geassocieerd met het remmen van de eisprong: oraal, intravaginaal of transdermaal; • hormonaal anticonceptiemiddel met alleen progestageen geassocieerd met het remmen van de eisprong: oraal, injecteerbaar of implanteerbaar. b. plaatsing van een spiraaltje (IUD) of intra-uterien systeem (IUS). <p>Vrouwelijke patiënten die zwanger kunnen worden moeten binnen 7 dagen vóór de eerste toediening van het onderzoeksmiddel een negatieve serumzwangerschapstest hebben.</p> <p>Uitgesloten worden patiënten die aan de volgende criteria voldoen:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. Linkerventrikel ejectiefractione (LVEF) <55%, op echocardiogram, of andere klinisch significante hartafwijkingen op echocardiogram die naar de mening van de onderzoeker de proefpersoon zouden kunnen predisponeren voor volumeoverbelasting of de daarmee gepaard gaande gevolgen. 2. Voorgeschiedenis van hartfalen, ventriculaire aritmie, supraventriculaire tachycardie, of het hebben van een QTcF-tijd van >480 msec. 3. Deelname of deelname aan een andere interventionele klinische studie dan MT-2-03 binnen 2 maanden voorafgaand aan de start van compassionate use. 4. Andere verboden gelijktijdige medicatie nodig hebben. De volgende therapieën zijn tijdens het onderzoek verboden : <ul style="list-style-type: none"> • Matige tot sterke CYP3A-remmers: Boceprevir, claritromycine, conivaptan, grapefruitsap, itraconazol, ketoconazol, ritonavir, cobicistat mibefradil, nefazodon, posaconazol, telitromycine, voriconazol, imatinib, verapamil, aprepitant • CYP2C8-remmers: Gemfibrozil <p>CYP3A-inductor: Rifampicin</p> <ol style="list-style-type: none"> 5. NT-proB-type natriuretisch peptide niveau (NT-pro BNP) >300 pg/mL bij aanvang van de compassionate use behandeling. 6. Zwangere vrouwen of vrouwelijke patiënten die geen algemeen aanvaarde anticonceptiemiddelen gebruiken. 7. Elke andere omstandigheid naar het oordeel van de onderzoeker en/of Minoryx. 8. Een positief resultaat op laboratoriumtests voor hepatitis B-oppervlakte-antigeen, hepatitis C-antilichaam en antilichaam tegen het humaan immunodeficiëntievirus bij de screening 9. Chronische nierziekte (CKD) stadium 3a of hoger (volgens de Renal Association stadiëring van chronische nierschade met een geschatte glomerulaire filtratiesnelheid van < 60 ml/min/1,73 m²)
--	---

	<p>10. Drugs- of alcoholmisbruik in de afgelopen 2 jaar op basis van voorgeschiedenis van de proefpersoon en/of beoordeling door de onderzoeker</p> <p>11. Aandoeningen die de absorptie van het onderzoeksmiddel kunnen wijzigen, zoals inflammatoire darmaandoeningen of maag- of darmresectie.</p> <p>12. De onderzoeker moet ook bevestigen dat de proefpersoon niet voldoet aan de uitsluitingscriteria die eerder zijn gedefinieerd voor studie MT-2-03 (FRAMES).</p> <p>Vroegere of huidige voorgeschiedenis van vesicale poliepen, blaascellenhyperplasie of blaaskanker.</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ Chronische of terugkerende symptomatische urineweginfecties (≥2 per jaar gedurende de afgelopen 2 jaar tot screening [V-1]). ○ Permanent verblijf in een urinekatheter of katheterpoort. ○ Voorgeschiedenis of huidige voorgeschiedenis van andere vormen van kanker, tenzij deze operatief zijn verwijderd en er sinds ten minste 5 jaar geen aanwijzingen voor terugkeer zijn. ○ Klinisch significante anemie (d.w.z. hemoglobine lager dan 110 g/L). ○ Geglyceerd hemoglobinegehalte (HbA1c) >6,4% en nuchtere bloedglucosespiegels ≤ 0,9 maal de ondergrens van normaal en ≥ 1,1 maal de bovengrens van normaal. ○ Abnormale leverenzymtesten voor aspartaataminotransferase of alanineaminotransferase van >2 maal de bovengrens van normaal of totale bilirubine >1,5 maal de bovengrens van normaal (tenzij te wijten aan het syndroom van Gilbert). Matige of ernstige leverfunctiestoornis (groepen B en C volgens de herziene Child Pugh-classificatie). <p>De behandeling zal worden stopgezet of opgeschort als patiënten aan een van de onderstaande voorwaarden voldoen:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Patiënten verdragen de minimaal toegestane dosis niet. • Klinische tekenen van hartfalen (dyspneu, orthopneu, pulmonale rales) • LVEF daalt tot onder 50%, of • LVEF vertoont een absolute daling van meer dan 10% ten opzichte van de uitgangswaarde. • In geval van gestage verhoging van NTpro-BNP >300 pg/mL met bijbehorende klinische en/of echocardiografische tekenen van hartfalen. • Zwangerschap. <p>De behandeling wordt ook stopgezet als de patiënt zodanig verslechtert dat de onderzoeker van mening is dat de patiënt geen baat meer heeft bij de behandeling of dat de risico's zwaarder wegen dan de voordelen, gelet op de veiligheidsinformatie.</p>
--	--

Looptijd	<p>MIN-102 zal gratis worden verstrekt door Minoryx Therapeutics, BE, SA op individuele basis, volgens de criteria vermeld in dit programma, vanaf de goedkeuring door het FAGG tot de start van de fase III-studie in België.</p> <p>Het programma start zodra het is goedgekeurd door het FAGG</p> <p>De aanvrager verbindt zich ertoe het FAGG te laten weten of het product de (gedeeltelijke) vergunning voor het in de handel brengen heeft gekregen of dat de vergunning voor het in de handel brengen is afgewezen.</p>
Distributievoorwaarden	<p>De sponsor of de fabrikant van de medicatie zal de medicatie aan de locatie leveren. Van daaruit zal de medicatie bij elk bezoek aan de patiënt worden overhandigd. Elke medicatievoorraad dekt de periode tot het volgende bezoek, inclusief een reservehoeveelheid. Herbevoorrading van medicatie kan voorkomen vanwege de lange duur van de compassionate use-programma.</p> <p>De behandeling zal worden gegeven zolang de onderzoeker van mening is dat de risico/batenverhouding gunstig is.</p>
Verantwoordelijke	<p>Minoryx Therapeutics S.L. Phone: +41 79 418 1547 E-mail: umeya@minoryx.com</p>
Modaliteiten voor de behandeling van niet-gebruikt geneesmiddel	<p>Te vernietigen volgens de richtlijnen van de plaatselijke instelling. Geen specifieke instructies nodig.</p>
Gegevens voor de registratie van vermoedens van onverwachte bijwerkingen	<p>Onderzoekers moeten zich op een van de volgende manieren verplichten tot documentatie met betrekking tot het melden van SAE's en ernstige (Graad 3 of 4) Aes aan een externe leverancier: E-mail: safetyreporting@syneoshealth.com Faxnummer: 1-877-464-7787</p>