



Klinika dětské neurologie 2. LF UK a FN Motol
Neuromuskulární centrum
FAKULTNÍ NEMOCNICE V MOTOLE
V Úvalu 84, 155 00 Praha 5, IČ: 00064203

Identifikační štítek pacienta

INFORMOVANÝ SOUHLAS ZÁKONNÉHO ZÁSTUPCE PACIENTA S VÝKONEM PODÁVÁNÍ NEREGISTROVANÉHO LÉČIVÉHO PŘÍPRAVKU K LÉČBĚ SVALOVÉ DYSTROFIE TYPU DUCHENNE

1. **Diagnóza, která vede k provedení zdravotního výkonu (zdůvodnění/indikace):**

- Duchennova svalová dystrofie, geneticky potvrzená mutace DMD genu vhodná k exon skippingu 45 či 53.

2. **Informace o potřebném zdravotním výkonu (o jeho účelu, povaze, předpokládaném prospěchu a následcích):**

Nabízíme osobě Vámi zastupované možnost léčby níže uvedeným neregistrovaným léčivým přípravkem, jelikož se domníváme, že by tato léčba pro osobu Vámi zastupovanou mohla být prospěšná.

Podávání **antisense-oligonukleotidů**, které nejsou registrovány v České republice (prosím zaškrtněte):

- Casimersen (léčivý přípravek AMONDYS 45).
- Golodirsén (léčivý přípravek VYONDYS 53).

Výše uvedené léky jsou podávány formou nitrožilní infuze v přibližně týdenním intervalu.

V České republice lze předepisovat, uvádět do oběhu nebo používat při poskytování zdravotních služeb v zásadě pouze registrované humánní léčivé přípravky. Přesto právní předpisy v určitých případech umožňují použití i léčivých přípravků neregistrovaných. Jednou z takových možností je situace, kdy se jedná o léčivý přípravek, který je již registrován v jiném státě, v ČR není distribuován nebo není v oběhu registrovaný léčivý přípravek odpovídajícího složení nebo obdobných terapeutických vlastností a zároveň použití neregistrovaného léčivého přípravku je dostatečně odůvodněno vědeckými poznatky.

Vezměte prosím na vědomí, že předepsání nebo použití neregistrovaného léčivého přípravku je ošetřující lékař povinen neprodleně oznámit Státnímu ústavu pro kontrolu léčiv.

Vzhledem k tomu, že se jedná o léčivý přípravek v ČR dosud neregistrovaný, nemá tento léčivý přípravek stanovenou úhradu z veřejného zdravotního pojištění.

3. **Rizika zdravotního výkonu:**

- U pacientů léčených těmito přípravky se vyskytly reakce přecitlivělosti včetně angioedému (nezánětlivý otok kůže nebo sliznic) a anafylaxe (generalizovaná alergická reakce). Pokud se taková reakce vyskytne, jsou zavedena příslušná lékařská ošetření a zváženo zpomalení infuze.
- V rámci klinické studie byly popsány některé nežádoucí účinky jako záněty horních cest dýchacích, kašel, horečka, bolesti hlavy, bolesti kloubů či bolest v orofaryngeální oblasti (v oblasti úst a hltanu).
- Vezměte prosím na vědomí, že jelikož léčivý přípravek nebyl dosud v ČR registrován, nebyla ani příslušnými orgány posouzena jeho bezpečnost, účinnost a kvalita tak, jak je standardně dle platných právních předpisů vyžadováno před uvedením léčivého přípravku na český trh.
- Pokud se u osoby Vámi zastupované vyskytne jakýkoliv nežádoucí účinek, sdělte to, prosím, jeho/jejímu ošetřujícímu lékaři. Nežádoucí účinky můžete hlásit také přímo na adresu:

Státní ústav pro kontrolu léčiv, Šrobárova 48, 100 41 Praha 10
Webové stránky: <https://www.sukl.cz/nahlasit-nezadouci-ucinek>

4. **Alternativy zdravotního výkonu:**

- Oba neregistrované léčivé přípravky nemají v ČR alternativu.

5. **Údaje o možném omezení v obvyklém způsobu života a v pracovní schopnosti po provedení příslušného zdravotního výkonu, lze-li takové omezení předpokládat; v případě možné nebo očekávané změny zdravotního stavu též údaje o změnách zdravotní způsobilosti:**

Předpokládaná doba hospitalizace: 0, podávání probíhá ambulantně.

Předpokládaná doba trvání pracovní neschopnosti (předpokládaná doba, po kterou pacient nebude schopen vykonávat své studium): je dána povahou základního onemocnění.

Předpokládaná omezení v běžném způsobu života a změny zdravotní způsobilosti: nejsou.

6. Údaje o léčebném režimu a preventivních opatřeních, která jsou vhodná, a údaje o poskytnutí dalších zdravotních služeb (zdravotních výkonů):

- V průběhu léčby probíhají pravidelné kontroly ošetřujícím lékařem, sledování životních funkcí a laboratorních parametrů. Podávání léčivého přípravku probíhá ambulantní formou v Neuromuskulárním centru Kliniky dětské neurologie 2. LF UK a FN Motol.

Prohlášení lékaře:

Prohlašuji, že jsem výše uvedeného pacienta/zákonného zástupce pacienta srozumitelným způsobem a v dostatečném rozsahu informoval/a o jeho zdravotním stavu/o zdravotním stavu osoby jím zastupované a o veškerých shora uvedených skutečnostech, o navrženém individuálním léčebném postupu a všech jeho změnách, včetně upozornění na možné komplikace. Pacient/zákonný zástupce pacienta byl seznámen s plánovaným způsobem anestézie (sedace), bude-li použita.

V Praze, dne.....20.....

v.....hod.

.....
Podpis a jmenovka lékaře**Prohlášení a souhlas zákonného zástupce pacienta:**

Já, níže podepsaný/á, prohlašuji, že jsem byl/a lékařem srozumitelně a v dostatečném rozsahu informován/a o zdravotním stavu osoby mnou zastupované a o veškerých shora uvedených skutečnostech. Údaje a poučení mi byly lékařem sděleny a vysvětleny, porozuměl/a jsem jim a měl/a jsem možnost klást doplňující otázky, které mi byly lékařem srozumitelně zodpovězeny.

Na základě poskytnutých informací a po vlastním zvážení souhlasím s provedením výkonu u osoby mnou zastupované, případně s použitím uvedené anestezie (sedace), včetně provedení dalších zdravotních výkonů, pokud by jejich neprovedení bezprostředně ohrozilo můj život nebo zdraví/život nebo zdraví osoby mnou zastupované.

Současně také prohlašuji, že jsem lékaři sdělil/a všechny mně známé okolnosti, které by mohly zkomplikovat klidný průběh zdravotního výkonu (zejména užívané léky, alergie a všechna přidružená onemocnění).

Jsem si vědom/a, že tento svůj souhlas můžu kdykoliv odvolat.

Pro zákonného zástupce pacienta:

Jako zákonný zástupce nezletilého pacienta nebo pacienta s omezenou svéprávností prohlašuji, že veškeré shora uvedené informace byly poskytnuty rovněž tomuto pacientovi (za podmínky, je-li k tomu pacient přiměřeně rozumově a volně vyspělý). *Pokud pacientovi nebyly takové informace poskytnuty, uveďte se důvod jejich neposkytnutí:*

.....
Souhlasím s podáním osobě mnou zastupované **antisense-oligonukleotidů**, které nejsou registrovány v České republice (prosím zaškrtněte):

- Casimersen (léčivý přípravek AMONDYS 45).
 Golodirsen (léčivý přípravek VYONDYS 53).

V Praze, dne.....20.....

v.....hod.

.....
Podpis zákonného zástupce pacienta**Identifikace zákonného zástupce:**

Jméno a příjmení:

Datum narození: Vztah k pacientovi: