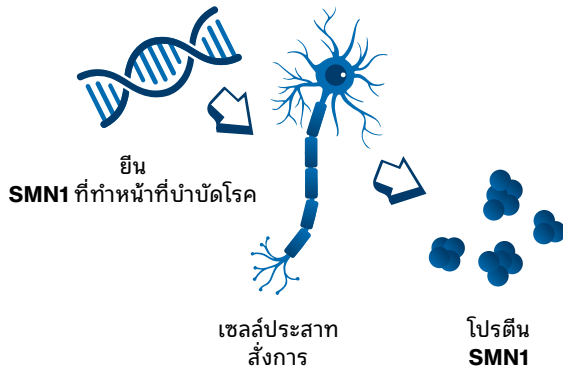


วัตถุประสงค์ของการศึกษาวิจัย STEER คืออะไร

วัตถุประสงค์ของการศึกษาวิจัย STEER คือ การทำความเข้าใจว่ายีนบำบัด **OAV101** ที่ใช้ในการศึกษาวิจัยนั้นปลอดภัยและจะเป็นประโยชน์ต่อการพัฒนากำลังของกล้ามเนื้อและการเคลื่อนไหวในเด็กที่อายุ 2 ปี ไปจนถึงน้อยกว่า 18 ปี ที่เป็นโรคกล้ามเนื้ออ่อนแรงจากไขสันหลังเสื่อมชนิดที่ 2 หรือไม่

OAV101 คือ ยีนบำบัดที่มีส่วนของยีน **SMN1** ที่ทำหน้าที่บำบัดโรคที่จำเป็นสำหรับเซลล์ประสาทสั่งการในการผลิตโปรตีน SMN เป้าหมายคือการเพิ่มจำนวนโปรตีน SMN เพื่อป้องกันไม่ให้เซลล์ประสาทสั่งการใด ๆ เสียหายเพิ่มเติม



ขอบคุณที่พิจารณาการศึกษาวิจัย STEER

การศึกษาวิจัยทางคลินิก คือ การศึกษาวิจัยประเภทต่างๆ ที่ดำเนินการเพื่อศึกษาเพิ่มเติมว่าร่างกายตอบสนองต่อยาบางชนิดอย่างไร และยาดังกล่าวทำงานอย่างไรต่อโรคหรืออาการทางการแพทย์ที่เฉพาะเจาะจง

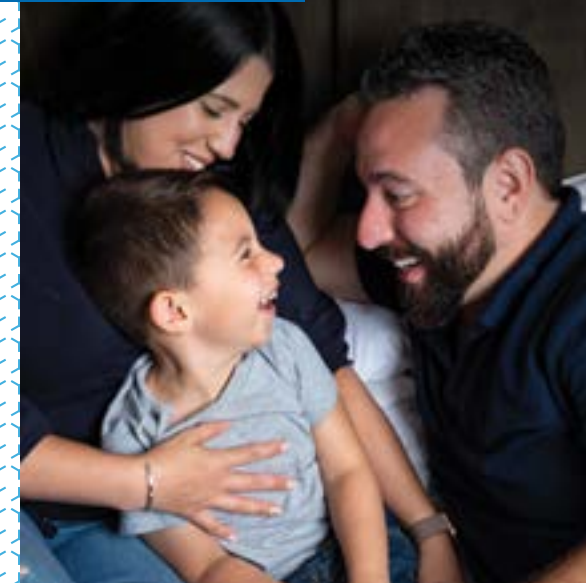
บุตรของท่านอาจได้รับหรือไม่ได้รับประโยชน์โดยตรงจากการเข้าร่วมในการศึกษาวิจัยนี้ แต่ข้อมูลที่เราได้เรียนรู้ อาจจะช่วยเหลือเด็กคนอื่น ๆ ที่เป็นโรคกล้ามเนื้ออ่อนแรงจากไขสันหลังเสื่อมได้ในอนาคต

การเข้าร่วมในการศึกษาวิจัยทางคลินิกจะเป็นไปตามความสมัครใจ ท่านและบุตรของท่านสามารถยุติการเข้าร่วมได้ทุกเมื่อ

หากท่านสนใจเรียนรู้เพิ่มเติมเกี่ยวกับการศึกษาวิจัย STEER โปรดติดต่อ

ที่ _____

การศึกษาวิจัยทางคลินิก



การทำความเข้าใจ การศึกษาวิจัย STEER OAV101B12301

สำหรับเด็กอายุ 2 ปี ไปจนถึง
น้อยกว่า 18 ปี ที่เป็นโรคกล้ามเนื้อ
อ่อนแรงจากไขสันหลัง
เสื่อม (SMA) ชนิดที่ 2

การศึกษาวิจัยนี้ มีเพื่อใคร

เด็กอายุ 2 ปี ไปจนถึงน้อยกว่า 18 ปี ที่เป็นโรคกล้ามเนื้ออ่อนแรงจากไขสันหลังเสื่อมชนิดที่ 2 ซึ่ง:

- สามารถนั่งได้เอง แต่ไม่สามารถเดินได้เอง
- เริ่มแสดงอาการของโรคกล้ามเนื้ออ่อนแรงจากไขสันหลังเสื่อมในตอนอายุ 6 เดือนขึ้นไป
- ยังไม่เคยได้รับการรักษาใดๆ ที่เพิ่ม SMN

จะเกิดอะไรขึ้นบ้างระหว่างการการศึกษาวิจัย

หากมีคุณสมบัติเหมาะสม บุตรของท่านจะอยู่ในการศึกษาวิจัยเป็นเวลาไม่เกิน 72 สัปดาห์ (ประมาณ 17 เดือน) และจะมีการนัดตรวจประมาณ 29 ครั้ง สำหรับการทดสอบต่างๆ เพื่อตรวจสอบสุขภาพของบุตรของท่าน บุตรของท่านจะมานอนที่โรงพยาบาล 2 ครั้ง เพื่อรับการรักษา

การตรวจคัดกรอง

ไม่เกิน 60 วัน | การนัดตรวจอย่างน้อย 2 ครั้ง

การตรวจวัดค่าเริ่มต้น (เริ่มการศึกษาวิจัย)

1 วันก่อนการรักษา | การนัดตรวจ 1 ครั้ง

ระยะการรักษาช่วงที่ 1

การเข้าพักในโรงพยาบาล

ระยะการติดตามผลช่วงที่ 1

52 สัปดาห์ (1 ปี) | การนัดตรวจ 18 ครั้ง

ระยะการรักษาช่วงที่ 2

การเข้าพักในโรงพยาบาล

ระยะการติดตามผลช่วงที่ 2

12 สัปดาห์ (3 เดือน) | การนัดตรวจ 8 ครั้ง

เมื่อสิ้นสุดการศึกษาวิจัย บุตรของท่านจะมีทางเลือกในการสมัครเข้าร่วมในการศึกษาวิจัยเพื่อติดตามผลระยะยาว ซึ่งจะมีการเฝ้าติดตามสุขภาพของบุตรของท่านต่อไปอีก 15 ปี

จะให้การรักษาในการศึกษาวิจัยอย่างไร

- จะให้ OAV101 ในการฉีดแบบครั้งเดียวเข้าไปในกระดูกสันหลังส่วนล่าง กระบวนการนี้ เรียกว่าการฉีดเข้าช่องไขสันหลัง
- บุตรของท่านจะได้รับการรักษาของการศึกษาวิจัยในโรงพยาบาล และจะนอนพักค้างคืนเป็นเวลาสองถึงสามวัน

ระยะการรักษาช่วงที่ 1

บุตรของท่านจะได้รับการกำหนดให้มีโอกาสได้รับ OAV101 หรือ “หัตถการฉีดเทียม”

- หัตถการฉีดเทียมคือการใช้เข็มเปล่าแทงเข้าไปที่หลังส่วนล่าง จะไม่มีการให้ยา หัตถการฉีดเทียมมีความสำคัญ เนื่องจากทำให้แพทย์สามารถเข้าใจผลกระทบของ OAV101 ได้ดียิ่งขึ้น
- ท่านและแพทย์ผู้วิจัยจะไม่ทราบว่าบุตรของท่านอยู่ในกลุ่มใด วิธีนี้จะช่วยให้การศึกษาวิจัยมีความเป็นธรรมและปราศจากอคติ

ระยะการรักษาช่วงที่ 2

หลังเสร็จสิ้นการนัดตรวจเพื่อติดตามผล 1 ปี บุตรของท่านจะได้รับการตรวจสอบสุขภาพเพิ่มเติมไม่กี่ครั้ง เพื่อจะได้แน่ใจว่าเขา/เธอมีคุณสมบัติเหมาะสมต่อการเข้าสู่ระยะการรักษาช่วงที่ 2

- เด็กที่มีคุณสมบัติตามเกณฑ์และได้รับการทำหัตถการฉีดเทียมระหว่างระยะการรักษาช่วงที่ 1 จะได้รับ OAV101
- เด็กที่มีคุณสมบัติตามเกณฑ์และได้รับ OAV101 จะได้รับการทำหัตถการฉีดเทียมในรอบนี้



OAV101
การรักษาช่วงที่ 1



หัตถการฉีดเทียม
การรักษาช่วงที่ 2

หรือ



หัตถการฉีดเทียม
การรักษาช่วงที่ 1



OAV101
การรักษาช่วงที่ 2

บุตรของข้าพเจ้าจะต้องเข้ารับการทดสอบอะไรบ้าง



การตรวจเลือด



การทดสอบการหายใจ



การทำงานของหัวใจ



การถ่ายภาพหัวใจ



การทดสอบกำลังของกล้ามเนื้อ



การตรวจระบบประสาท



การตรวจร่างกาย



การเจาะน้ำไขสันหลัง



การตรวจปัสสาวะ



การเอ็กซเรย์

บุตรของท่านจะไม่ได้เข้ารับการทดสอบทุกอย่างในการนัดตรวจแต่ละครั้ง ทั้งนี้ อาจจะมีการทดสอบเพิ่มเติมบางอย่างเช่นกัน ปรีกษาแพทย์ผู้วิจัยเพื่อขอข้อมูลเพิ่มเติม