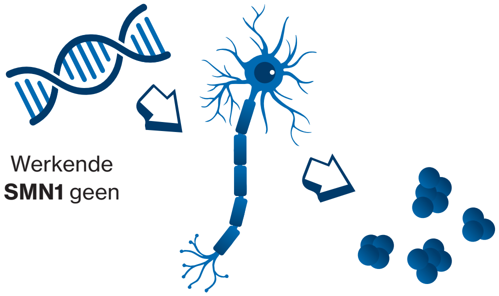
Wat is die doel van die STEER studie?

Die doel van die STEER Studie is om te probeer verstaan of die ondersoekende **geen-terapie OAV101** veilig is en voordele kan bied aan kinders van 2 jaar en jonger as 18 jaar met Tipe 2 SMA.

OAV101 is 'n geen-terapie wat 'n werkende kopie van die **SMN1** geen bevat wat deur motoriese neurone benodig word om die SMN proteïen te maak. Die doel is om die hoeveelheid SMN proteïen te vermeerder om sodoende enige verdere verlies aan motoriese neurone te voorkom.



Dankie dat jy die STEER studie oorweeg

Kliniese studies is tipes navorsingstudies wat gedoen word om meer te wete te kom van hoe die liggaam reageer op sekere medisyne, en of daardie medisyne werk vir 'n spesifieke siekte of mediese kondisie.

Jou kind kan of kan nie direk voordeel trek deur aan die studie deel te neem nie, maar inligting wat bekom word kan ander kinders met SMA in die toekoms help.

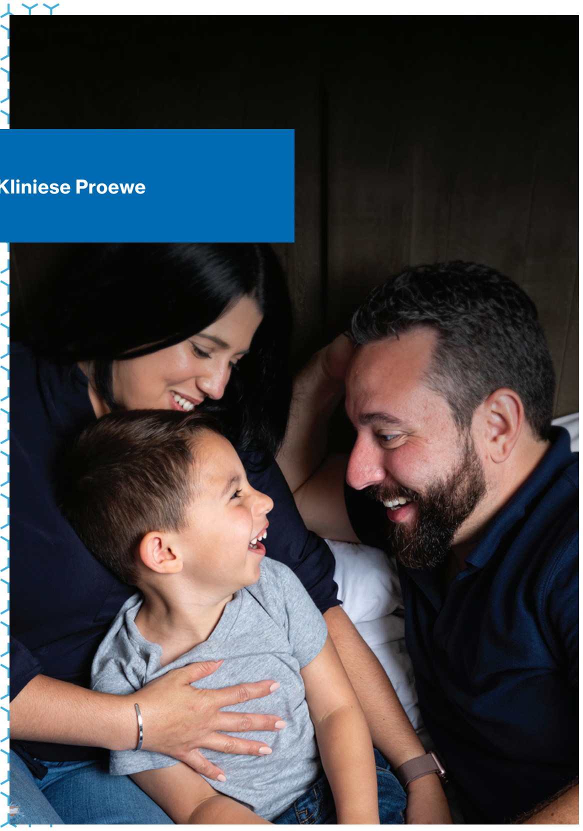
Deelname in 'n kliniese studie is vrywillig. Jy en jou kind kan ter eniger tyd ophou om deel te neem.

Indien jy belangstel om meer te wete te kom oor die STEER Studie, kontak

____

by ____________________________________

NOVARTIS - The STEER Study - Study Trifold -31-Mar-2022
Afrikaans (South Africa) - V1.0_Translated 3 May 2022   STEER-TF-En



Kliniese Proewe

Verstaan die STEER Studie OAV101B12301

Vir kinders 2 jaar oud en jonger as 18 jaar met Tipe 2 spinale spieratrofie (SMA)

NOVARTIS | Reimagining Medicine

Vir wie is die studie?

Kinders van 2 jaar en jonger as 18 jaar met Tipe 2 SMA wat:

- Onafhanklik kan sit, maar nog nooit onafhanklik kon loop nie.
- Simptome van SMA begin toon het op 6 maande of ouer.
- Wat nog nie enige behandelings ontvang het om SMN te verhoog nie.

Wat gebeur gedurende die studie?

Indien jou kind in aanmerking geneem word sal jou kind in die studie wees vir tot en met 72 weke (ongeveer 17 maande) en ongeveer 29 besoeke vir toetse hê om hul gesondheid te ondersoek. Jou kind sal ook 2 keer in die hospitaal oorbly om behandeling te ontvang.

Sifting
Tot en met 60 dae | Ten minste 2 besoeke

Basislyn (studie begin)
1 dag voor behandeling | 1 besoek

Behandelingstydperk 1
Hospitaal oorbly

Opvolgtydperk 1
52 weke (1 jaar) | 18 besoeke

Behandelingstydperk 2
Hospitaal oorbly

Opvolgtydperk 2
12 weke (3 maande) | 8 besoeke

Aan die einde van die studie sal jou kind die opsie hê om in te skryf in 'n langtermyn opvolg-studie waarin jou kind se gesondheid vir 'n bykomende 15 jaar gemonitor sal word.

Hoe word die studiebehandeling gegee?

- OAV101 word gegee as 'n eenmalige inspuiting in die laer deel van die ruggraat. Hierdie word 'n intratekale inspuiting genoem.
- Jou kind sal die studiebehandeling in die hospitaal ontvang en vir 'n paar dae oornag bly.

Behandelingstydperk 1

Jou kind sal lukraak toegewys word om OAV101 of 'n "skyn prosedure" te ontvang.

- Die skyn prosedure is 'n naaldprik op die laerug. Geen medisyne word gegee nie. Die skyn prosedure is belangrik sodat die dokters beter kan verstaan wat die effekte van OAV101 is.
- Jy en die studiedokter sal nie weet in watter groep jou kind is nie. Hierdie help om die studie regverdig en onpartydig te hou.

Behandelingstydperk 2

Nadat 1 jaar van opvolgbesoeke voltooi is sal jou kind 'n paar gesondheidsondersoeke hê om seker te maak dat hy/sy in aanmerking geneem word om Behandelingstydperk 2 in te gaan.

- Kinders wat in aanmerking geneem is en die skyn prosedure gedurende Tydperk 1 ontvang het sal nou OAV101 kry.
- Kinders wat in aanmerking geneem is en OAV101 ontvang het sal nou die skyn prosedure kry.

OAV101 **Behandeling 1** → Skyn prosedure **Behandeling 2**

of

Skyn prosedure **Behandeling 1** → OAV101 **Behandeling 2**

Watter tipe toetse sal op my kind gedoen word?

- Bloedtoets
- Asemhalingstoets
- Hartaktiwiteit
- Hartbeelding
- Motoriese funksie toetse
- Neurologiese ondersoek
- Liggaamlike ondersoek
- Spinale tap
- Urientoets
- X-straal

Jou kind sal nie tydens elke besoek al hierdie toetse ondergaan nie. Daar kan moontlik 'n paar bykomende toetse wees. Gesels met die studiedokter vir meer inligting.