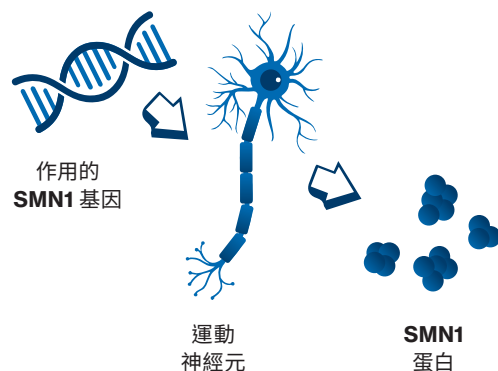


STEER 試驗的目的為何？

STEER 試驗的目的是瞭解試驗性基因療法 **OAV101** 是否安全，並且可以為 2 歲至未滿 18 歲患有第 2 型 SMA 孩童提供益處。

OAV101 是一種基因療法，包含運動神經元製造 SMN 蛋白所需之 **SMN1** 基因的作用複本。目標是增加 SMN 蛋白的數量，以防止運動神經元進一步流失。



感謝您考慮 STEER 試驗

臨床試驗是為了更加瞭解有關人體對某種藥物的反應，以及該藥物是否對特定疾病有效而進行的研究試驗。

您的孩子可能會也可能不會從試驗中直接獲益，但自本試驗取得的資訊可能在未來有助於其他患有 SMA 的孩童。

參與臨床試驗為自願性質。您和您的孩子可以隨時停止參與。

如果您想瞭解更多有關 STEER 試驗的資訊，請聯絡

於 _____

臨床試驗



瞭解 STEER 試驗 OAV101B12301

針對 2 歲至未滿 18 歲患有
第 2 型脊髓性肌肉萎縮症
(spinal muscular atrophy,
SMA) 的孩童

試驗對象是誰？

**2歲至未滿18歲患有第2型SMA
且符合下列情況的孩童：**

- 能夠獨立坐著，但一直無法獨立行走。
- 在6個月或更大時開始出現SMA症狀。
- 尚未接受任何增加SMN的治療。

試驗期間會進行哪些事項？

如果符合資格，您的孩子將參與本試驗最多72週（約17個月），並參與約29次就診以完成檢查其健康狀況的檢測。您的孩子還將住院2次以接受治療。

篩選

最多60天 | 至少2次就診

基準期（試驗開始）

治療前1天 | 1次就診

治療期1

住院

追蹤期1

52週（1年） | 18次就診

治療期2

住院

追蹤期2

12週（3個月） | 8次就診

在試驗結束時，您的孩子將可以選擇參加一項長期追蹤試驗，在該試驗中您孩子的健康狀況將接受再15年的監測。

如何給予 試驗治療？

- OAV101是以一次性注射到脊柱下部的方式給藥。這稱為鞘內注射。
- 您的孩子將住院數天以接受試驗治療。

治療期1

您的孩子將被隨機分配接受 OAV101 或「假程序」。

- 假程序是對下背部進行針刺。並沒有給予任何藥物。假程序很重要，這樣醫師才能更加瞭解 OAV101 的作用。
- 您和試驗醫師將不會知道您的孩子在哪個治療組別中。這有助於維持試驗的公平和無偏差。

治療期2

在完成1年的追蹤就診後，您的孩子將接受一些健康檢查，以確保他／她有資格進入治療期2。

- 先前在第1期接受假程序且符合資格的孩童，如今將接受 OAV101。
- 先前接受 OAV101 且符合資格的孩童，如今將接受假程序。



OAV101
治療 1



假程序
治療 2

或



假程序
治療 1



OAV101
治療 2

我的孩子將接受哪 些類型的檢測？



血液檢測



呼吸檢測



心臟活動



心臟造影



運動功能檢測



神經學檢查



身體檢查



脊髓穿刺



尿液檢測



X 光

您的孩子將不會在每次回診時進行所有檢測。可能還要進行一些其他檢驗。有關更多資訊，請詢問試驗醫師。