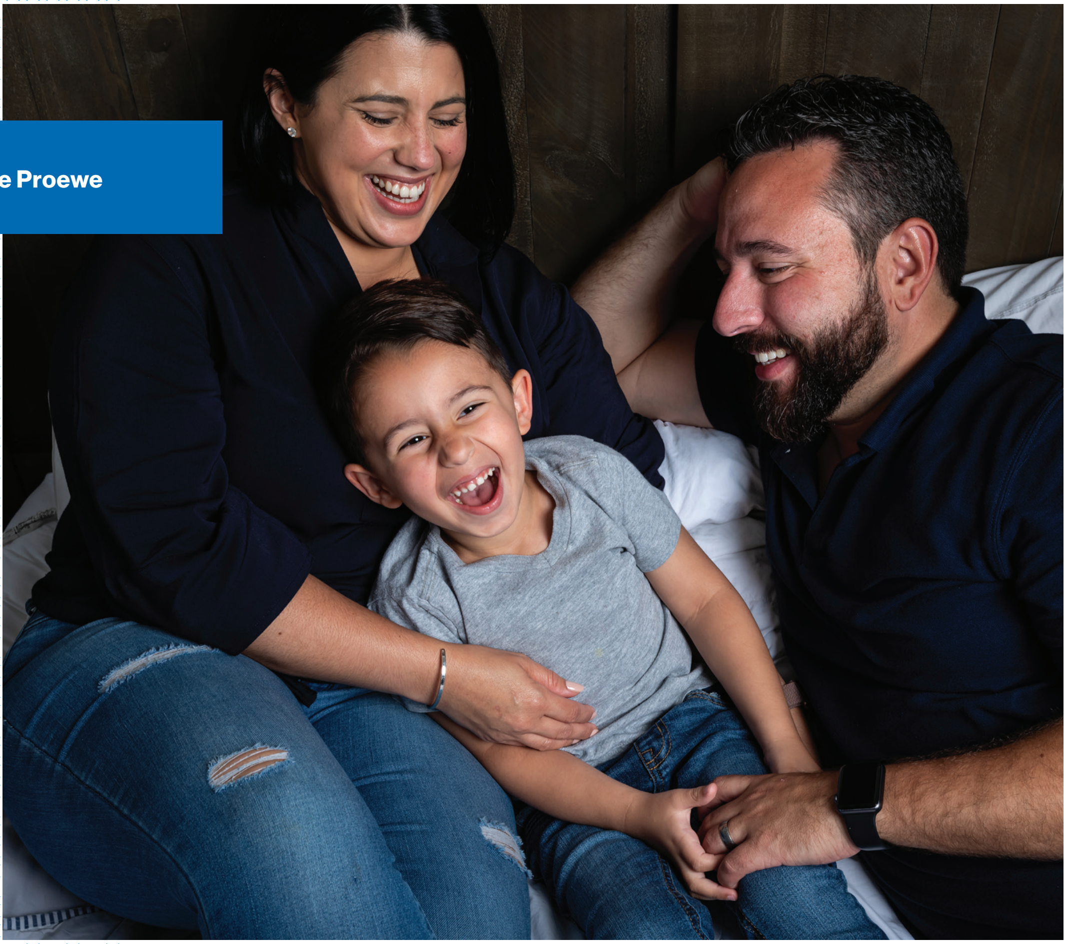
Kliniese Proewe



Die STEER OAV101B12301 Skedule en Beplanner

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

NOVARTIS | Reimagining Medicine

Dankie dat jy by die STEER Studie aansluit.

Hierdie studie toets ‘n ondersoekende geen-terapie genaamd OAV101 om te kyk of dit veilig is en simptome en beweging in kinders jonger as 2 jaar en ouer as 18 jaar met Tipe 2 SMA kan verbeter.

Hierdie boekie verduidelik wat tydens studiebesoeke sal gebeur. Dit het ook spasie waar jy kan tred hou van geskeduleerde afsprake, en informasie wat kan help. Dit is belangrik dat jou kind alle studiebesoeke bywoon sodat die dokter ‘n oog oor sy/haar gesondheid kan hou en verstaan hoe OAV101 moontlik besig is om jou kind se liggaam te affekteer.

Jou samewerking word opreg waardeer. 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.

Soos met alle medisynes is daar ’n kans vir newe-effekte. Jou kind sal gedurende die hele studie van naderby gemonitor word.

Die studiespan sal met graagte enige vrae wat jy het beantwoord. Onthou dat deelname vrywillig is en jy en jou kind ter eniger tyd kan kies om die studie te verlaat.

Met groot waardering,

Die STEER Studiespan

Studie durasie en besoeke

Jou kind sal in die studie wees vir tot en met 72 weke (ongeveer 17 maande) en ongeveer 29 besoeke vir gesondheidsondersoeke en toetse hê. Die meeste studiebesoeke kan tot en met 6 ure duur afhangende van die hoeveelheid en tipe toetse.

Jou kind sal ook 2 keer in die hospitaal moet oorbly wanneer behandeling ontvang word.

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

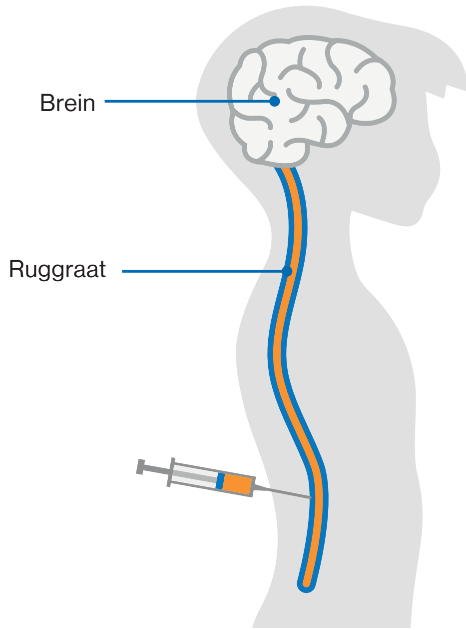
Behandelingstydperk 2
Hospitaal oorbly

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.

Studiebehandeling

OAV101 word gegee as 'n eenmalige inspuiting in die laer deel van die ruggraat. Hierdie word 'n **intratekale inspuiting genoem.**



Studiebehandeling groepe

Jou kind sal lukraak toegewys word om **OAV101** of geen-terapie 'n **"skyn prosedurete ontvang."** Jy sal nie weet watter studiebehandeling jou kind ontvang nie.

Die skyn prosedure is 'n naaldprik op die laerug. OAV101 word nie ingespuit nie. Dit is belangrik om 'n skyn prosedure te hê om OAV101 te vergelyk sodat die dokters kan verstaan wat OAV101 se effekte is.

Beide die OAV101 inspuiting en die skyn prosedure word in die hospitaal uitgevoer waar jou kind vir 'n paar dae oornag sal bly.

Siftingsbesoeke

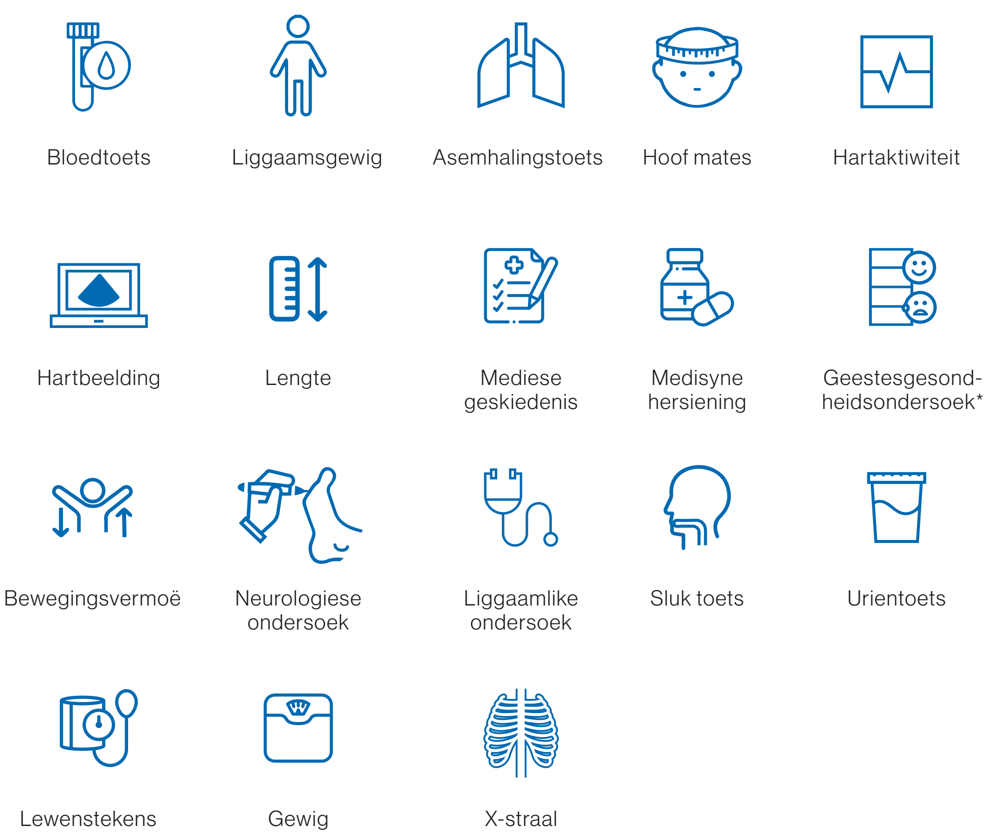
Besoek 1 Datum: ______________ Tyd: ______________

Besoek 2 Datum: ______________ Tyd: ______________

Voordat daar met die studie begin word sal jy toestemming moet gee vir jou kind om deel te neem deur 'n **Ingeligte Toestemmingsvorm te lees en te onderteken.** Afhangende van sy/haar ouderdom kan jou kind ook toestemming gee deur die ondertekening van 'n **Ingeligte Instemmingsvorm.**

Die studiedokter sal informasie bymekaarmaak en toetse uitvoer om seker te maak die studie is reg vir jou kind.

Gesondheidsondersoeke en toetse



*Geestesgesondheidsondersoek kan nie van toepassing wees (vir <7 jariges) nie

Basislyn besoek (Studie begin)

Besoek 1

Datum:______________ Tyd:_____________

Jou kind sal 'n steroïde (prednisolone) of plasebo ontvang 24 uur voordat studiebehandeling ontvang word, afhangende van in watter groep hy/sy is.

Gesondheidsondersoeke en toetse

- Bloedtoets
- Liggaamsgewig
- Asemhalingstoets
- Hoof mates
- Hartaktiwiteit
- Lengte
- Medisyne hersiening
- Bewegingsvermoë
- Bewegings-monitering*
- Nasale depper
- Neurologiese ondersoek
- Liggaamlike ondersoek
- Speekseltoets
- Stoelgangtoets
- Sluk toets
- Urientoets
- Lewenstekens
- Gewig

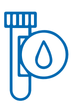
*Aan sommige deelnemers kan 'n toestel soos 'n polshorlosie aangebied word wat rekord van hul beweging sal hou. Hierdie sal tuis gedra word.

Behandeling periode (Hospitaal verblyf)

Datum: ______________ Tyd: ______________

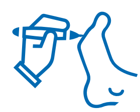
Jou kind sal OAV101 of skyn prosedure in die hospitaal ontvang en vir 'n paar dae oornag bly.

Gesondheidsondersoeke en toetse


Bloedtoets

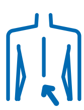
Medisyne hersiening

Nasale depper


Neurologiese ondersoek

Liggaamlike ondersoek

Speekseltoets


Spinale tap

Stoelgangtoets

Urientoets

Lewenstekens

Gewig

Jou kind sal aanhoudend gemonitor word gedurende die studie vir enige newe-effekte van die studiemedisyne.

Opvolgtydperk 1 (1 jaar)

Gedurende hierdie tyd sal jou kind 18 besoeke vir toetse hê, een keer 'n week vir die eerste maand, een keer 'n week elke 2 weke vanaf week 5 tot week 12, en een keer elke 4 weke.

Jou kind sal nie elke toets tydens elke besoek hê nie.

Gesondheidsondersoeke en toetse

- Bloedtoets
- Liggaamsgewig
- Asemhalingstoets
- Hartaktiwiteit
- Hartbeelding
- Lengte
- Verbetering telling
- Medisyne hersiening
- Geestesgesondheidsondersoek**
- Bewegingsvermoë
- Bewegingsmonitering*
- Nasale depper
- Neurologiese ondersoek
- Liggaamlike ondersoek
- Vraelys
- Speekseltoets
- Stoelgangtoets
- Sluk toets
- Simptoom telling
- Urientoets
- Lewenstekens
- Gewig
- X-straal

Jou kind sal aanhoudend gemonitor word gedurende die studie vir enige newe-effekte van die studiemedisyne.

*Aan sommige deelnemers kan 'n toestel soos 'n polshorlosie aangebied word wat rekord van hul beweging sal hou. Hierdie sal tuis gedra word. **Geestesgesondheidsondersoek kan nie toepaslik wees vir kinders jonger as 7 jaar nie.

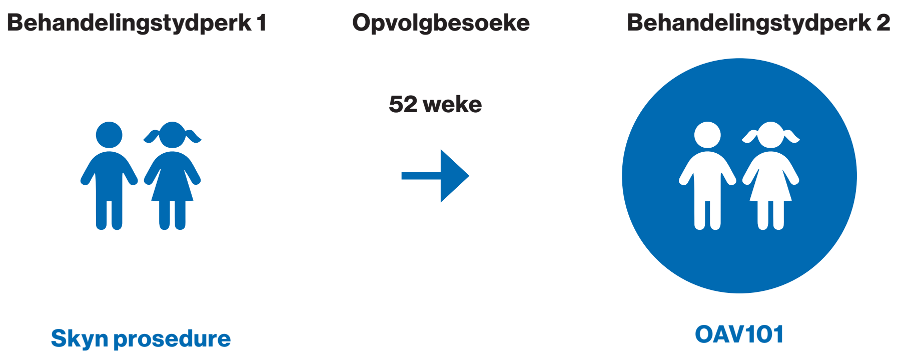
Opvolgtydperk 1 (18 besoeke)

Gebruik die grafiek hieronder om rekord te hou van jou kind se geskeduleerde besoeke en belangrike informasie om met die studiedokter te deel.

Besoek	Week	Geskeduleer datum/tyd	Notas en kennisgewings
1	1		
2	2		
3	3		
4	4		
5	6		
6	8		
7	10		
8	12		
9	16		
10	20		
11	24		
12	28		
13	32		
14	36		
15	40		
16	44		
17	48		
18	52		

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 wat OAV101 gedurende Behandeling Periode 1 ontvang het sal die skyn prosedure in Behandeling Periode 2 ontvang. Kinders wat in aanmerking geneem is wat die skyn prosedure gedurende Behandeling Tydperk 1 ontvang het sal nou OAV101 ontvang.

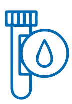


Behandeling Tydperk 2 (Hospitaal verblyf)

Datum: ______________ Tyd: ______________

Jou kind sal OAV101 of die skyn prosedure in die hospitaal ontvang en sal vir ‘n paar dae oornag.

Gesondheidsondersoeke en toetse



Bloedtoets

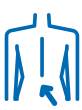
Medisyne hersiening

Nasale depper

Neurologiese ondersoek

Liggaamlike ondersoek

Speekseltoets



Spinale tap

Stoelgangtoets

Urientoets

Lewenstekens

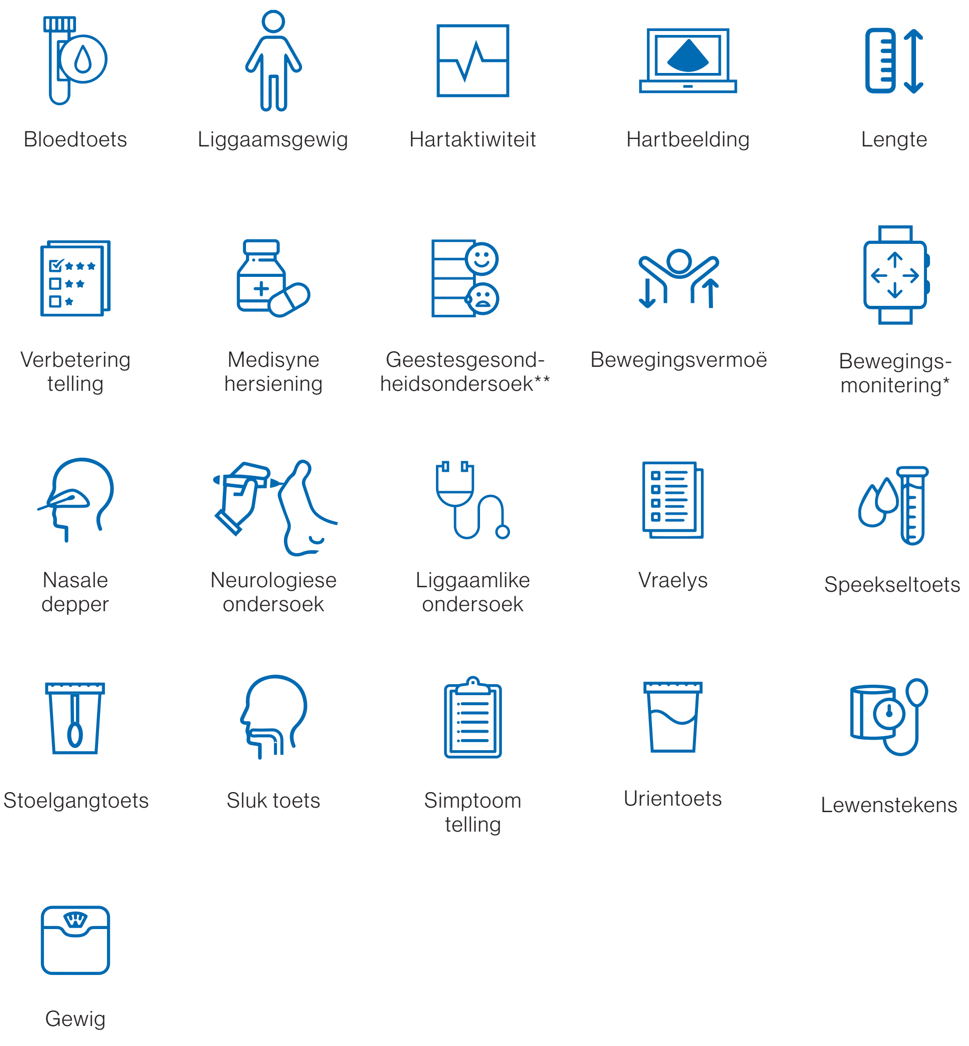
Gewig

Jou kind sal aanhoudend gemonitor word gedurende die studie vir enige newe-effekte van die studiemedisyne.

Opvolgtydperk 2 (12 weke)

Gedurende hierdie tyd sal jou kind 8 besoeke vir toets hê: een keer 'n week, dan een keer elke 2 weke. Jou kind sal nie elke toets tydens elke besoek hê nie.

Gesondheidsondersoeke en toetse



*Aan sommige deelnemers kan 'n toestel soos 'n polshorlosie aangebied word wat rekord van hul beweging sal hou. Hierdie sal tuis gedra word.

**Geestesgesondheidsondersoek kan nie toepaslik wees vir kinders jonger as 7 jaar nie.

Opvolgtydperk 2 (8 besoeke)

Gebruik die grafiek hieronder om rekord te hou van jou kind se geskeduleerde besoeke en belangrike informasie om met die studiedokter te deel.

Besoek	Week	Geskeduleer datum/tyd	Notas en kennisgewings
1	53		
2	54		
3	55		
4	56		
5	58		
6	60		
7	62		
8	64		

Studiekontakbesonderhede

Naam van studiedokter:

____

Telefoonnommer:

____

Naam van studiekoördineerder:

____

Telefoonnommer:

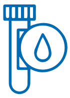
____

E-posadres:

____

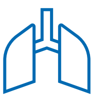
Kontak die studiespan indien jy enige vrae het of as jy 'n afspraak moet herskeduleer.

Woordelys

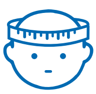


Bloedtoets: Bloed monsters sal geneem word om te kyk na bloedselle en wat die studiemedisyne dalk besig is om in die liggaam te doen. Bloedtoetse kan ook die hoeveelheid studiemedisyne in jou liggaam meet, en hoe dit ander dele van jou liggaam dalk affekteer. Deelnemers wat al begin menstrueer het se urien sal vir swangerskap getoets word.

Liggaamsgewig: Die dokter sal uitwerk hoeveel liggaamsvet jou kind het gebasseer op sy/haar lengte en gewig.



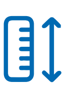
Asemhalingstoets: Jou kind sal in 'n buis wat aan 'n rekenaar gekoppel is uitasem om te meet hoeveel lug hy/sy in en uit die longe kan uitasem, en hoe vinnig hy/sy lug kan uitblaas.



Hoof mates: Die studiespan sal 'n buigbare maatband om jou kind se hoof draai om te sien hoe groot dit is.

Hartaktiwiteit: 'n Eenvoudige toets genaamd 'n elektrokardiogram (EKG) sal gebruik word om die elektriese aktiwiteit (ritme) van jou kind se hart te toets. Vir hierdie toets sal jou kind plat lê, en klein, klewerige plakkers (elektrodes) sal op sy/haar vel geplak word. Die plakkers is met drade aan 'n rekenaar gekonnekteer.

Hartbeelding: 'n Pynlose toets genaamd 'n eggokardiogram gebruik klankgolwe om te sien hoe jou kind se hart pomp en klop binne die liggaam.



Lengte: Die studiedokter sal 'n maatband gebruik om die lengte van jou kind se onderste been (van die knie tot die enkel) te meet om uit te werk hoe lank jou kind is.

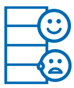
Verbetering telling: Die studiespan sal 'n telling sisteem gebruik om die graad van hoe jou kind se SMA verbeter te bepaal.

Ingeligte toestemming: Indien jy instem om jou kind aan die studie te laat deelneem sal jy vorms onderteken om jou toestemming te gee. Jou kind kan ook toestemming om deel te neem gee deur 'n ingeligte instemming te onderteken.

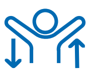
Mediese geskiedenis: Die dokter sal vrae vra oor jou kind se gesondheid, insluitende sy/haar SMA en enige operasies wat hy/sy moontlik gehad het.

Woordelys

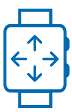
Medisyne hersiening: Die studiedokter sal vrae vra oor die medisyne wat u kind nou neem of in die verlede geneem het.



Geestesgesondheidsondersoek: Jou kind (indien ouer as 7 jaar) sal sommige vrae beantwoord oor sy/haar bui en gedrag, en of hy/sy hartseer voel.



Bewegingsvermoë: Die studiespan sal assesseer hoe goed jou kind sekere bewegings kan uitvoer. Hulle sal jou kind tellings gee gebasseer op sy/haar fisiese vermoëns.



Bewegingsmonitering: Aan sommige deelnemers kan 'n bewegingsmonitor gebied word om tuis om hul gewrig te dra sodat daar rekord van hul bewegings gehou kan word.

Nasale depper: Die studiedokter sal 'n monster neem deur die binnekant van jou kind se neus sagkens met 'n katoen depper te vryf.

Neurologiese ondersoek: Die studiedokter sal 'n ondersoek doen om te kyk hoe goed verskillende dele van jou kind se liggaam se vermoë is om te voel.

Liggaamlike ondersoek: Die dokter sal verskillende dele van jou kind se liggaam ondersoek, soos die hart, longe, spiere, en maag.

Vraelys: As jou kind se versorger sal jy 'n vraelys invul oor hoe jou kind se SMA jou daaglikse lewe affekteer.

Speekseltoets: Jou kind sal in 'n koppie spoeg, en die monster sal getoets word om te sien wat die behandeling moontlik besig is om binne jou kind se liggaam te doen.

Spinale tap: 'n Klein hoeveelheid van die vloeistof rondom jou kind se ruggraat sal verwyder word deur 'n dun naald te gebruik. Die spinale vloeistof sal getoets word om te kyk hoe jou kind se liggaam moontlik besig is om te reageer op behandeling.

Stoelgangtoets: 'n Klein monster van jou kind se ontlasting (poo) sal versamel en getoets word om te sien wat die behandeling moontlik besig is om binne die liggaam te doen.

Sluk toets: 'n Spesialis sal assesseer hoe goed jou kind se vermoë is om te eet en te sluk.

Simptoom telling: Die studiespan sal 'n telling sisteem gebruik om jou kind se simptome van SMA te gradeer, en hoe hulle sy/haar vermoë om allerdaagse take uit te voer affekteer.

Urientoets: 'n Monster van jou kind se urien sal getoets word vir sekere dinge soos suiker, proteïen, en bloed. Deelnemers wat al begin menstrueer het, se urien sal ook vir swangerskap getoets word.

Lewenstekens: Die studiedokter sal ondersoek instel na jou kind se temperatuur, asemhalingstempo, hartklop (pols), en bloeddruk om te sien hoe jou kind se hart besig is om te pomp.

Gewig: Die studiedokter sal 'n skaal gebruik om jou kind, sonder sy/haar skoene terwyl hy/sy ligte klere aanhet, te weeg. Iemand sal help om jou kind op die skaal te ondersteun terwyl hy/sy geweeg word.

X-straal: 'n X-straal word gebruik om swart en wit foto's van die binnekant van die liggaam te neem. Jou kind sal 'n x-straal van sy/haar bors en rug kry.

Notas en kennisgewings