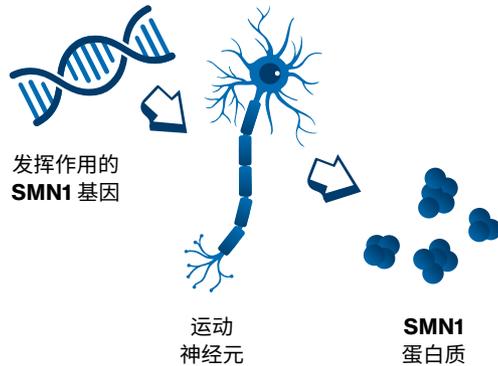


STEER 研究的目的是什么？

STEER 研究的目的是为了了解试验性**基因疗法 OAV101** 是否安全，以及是否能对年龄为 2 至 18 岁以下患有 2 型 SMA 的儿童患者有益。

OAV101 是一种基因疗法，它包含运动神经元在制造 SMN 蛋白质时所需的 **SMN1** 基因作用复制。其目标是增加 SMN 蛋白质的数量，以预防运动神经元的进一步丧失。



感谢您考虑参加 STEER 研究

临床研究是为了更深入地了解身体对某种药物的反应，以及该药物是否对特定疾病或身体状况有效而进行的试验研究类型。

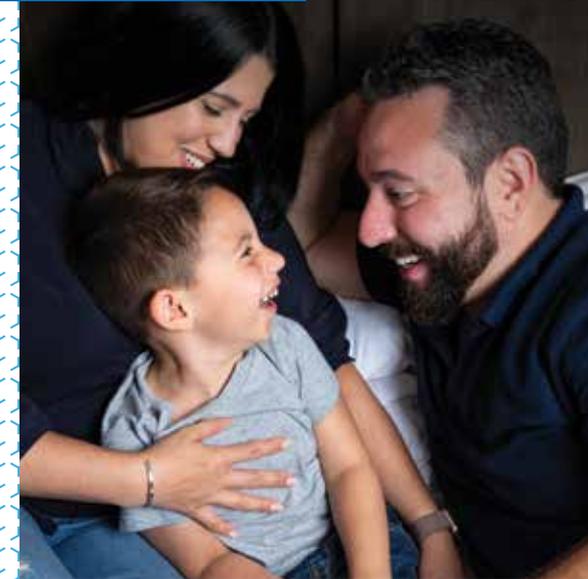
您的孩子可能会从本研究中直接获益，也可能不会直接获益，但了解到的信息可能会在将来帮助其他患有 SMA 的孩子。

参加临床研究纯属自愿。您和您的孩子可以随时停止参与研究。

如果您有兴趣了解更多关于 STEER 研究的信息，请联系

_____，联系方式为 _____

临床试验



了解 STEER 研究 OAV101B12301

适用于年龄为 2 至 18 岁以下患有 2 型脊髓性肌萎缩症 (spinal muscular atrophy, SMA) 的儿童

研究对象是谁？

年龄为2至18岁以下患有2型SMA的儿童，该儿童：

- 能够独立坐着，但无法独立行走。
- 在年龄为6个月或更大时开始出现SMA症状。
- 还未接受任何能增加SMN的治疗。

在研究期间会发生什么？

如果符合资格，您的孩子将参与研究持续最多72周（大约17个月），并将有大约29次访视，以进行测试来检查他们的健康状况。您的孩子还将住院2次，以接受治疗。

筛选

最多60天 | 至少2次访视

基线（研究开始）

治疗前1天 | 1次访视

治疗期1

住院

随访期1

52周（1年） | 18次访视

治疗期2

住院

随访期2

12周（3个月） | 8次访视

在研究结束时，您的孩子将可以选择参加一个长期的随访研究，而在该研究中，您孩子的健康状况将被监测额外15年。

如何给予研究治疗药物？

- OAV101将以一次性注射到脊柱下部的方式给药。这被称为鞘内注射。
- 您的孩子将在医院接受研究治疗，并将在医院住几天。

治疗期1

您的孩子将被随机分配接受 OAV101 或“安慰剂注射程序”。

- 安慰剂注射程序是在下背部进行一次针刺。不会注射任何药物。安慰剂注射程序很重要，以便让医生能更好地了解 OAV101 的效果。
- 您和研究医生将不知道您的孩子处于的组别。这有助于保持研究的公平和公正。

治疗期2

完成1年的随访访视后，您的孩子将进行一些健康检查，以确保他/她符合进入治疗期2的资格。

- 在治疗期1符合接受假安慰剂注射程序资格的儿童现在将接受 OAV101。
- 符合接受 OAV101 资格的儿童现在将接受安慰剂注射程序。



OAV101
治疗 1



安慰剂注射程序
治疗 2

或



安慰剂注射程序
治疗 1



OAV101
治疗 2

我的孩子要接受哪些类型的测试？



血液测试



呼吸测试



心脏活动



心脏成像



运动功能测试



神经系统检查



身体检查



脊椎穿刺



尿液测试



X光检查

您的孩子将不会在每次访视时都进行所有测试。可能还会有一些额外的测试。请联系研究医生，以获取更多信息。