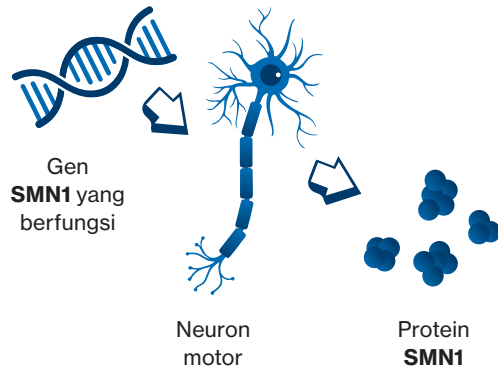


Apakah tujuan Kajian STEER ini?

Tujuan Kajian STEER adalah untuk memahami sama ada penyiasatan **terapi gen OAV101** selamat dan boleh memberi manfaat dengan meningkatkan fungsi motor dan pergerakan pada kanak-kanak berumur 2 hingga kurang daripada 18 tahun dengan SMA Jenis 2.

OAV101 ialah terapi gen yang mengandungi salinan gen **SMN1** yang berfungsi yang diperlukan oleh neuron motor untuk membuat protein SMN. Matlamatnya adalah untuk meningkatkan jumlah protein SMN untuk mengelakkan kehilangan neuron motor yang selanjutnya.



Terima kasih kerana mempertimbangkan Kajian STEER

Kajian klinikal ialah jenis kajian penyelidikan yang dilakukan untuk mengetahui lebih lanjut tentang cara badan bertindak balas terhadap ubat tertentu dan sama ada ubat tersebut berkesan untuk penyakit atau keadaan perubatan tertentu.

Anak anda mungkin atau mungkin tidak mendapat manfaat secara langsung daripada penyertaannya dalam kajian ini, tetapi maklumat yang dipelajari boleh membantu kanak-kanak lain yang mempunyai SMA pada masa hadapan.

Penyertaan dalam kajian klinikal adalah sukarela. Anda dan anak anda boleh keluar daripada kajian pada bila-bila masa.

Jika adan berminat untuk mengetahui lebih lanjut mengenai Kajian STEER, sila hubungi

di _____

Percubaan Klinikal



Memahami Kajian STEER OAV101B12301

Untuk kanak-kanak berumur 2 hingga kurang daripada 18 tahun dengan atrofi otot tulang belakang (SMA) Jenis 2

Kajian itu untuk siapa?

Kanak-kanak berumur 2 hingga kurang daripada 18 tahun dengan SMA Jenis 2 yang:

- Boleh duduk sendiri tetapi tidak dapat berjalan sendiri.
- Mula menunjukkan simptom SMA pada usia 6 bulan atau lebih.
- Belum menerima sebarang rawatan yang meningkatkan SMN.

Apakah yang berlaku semasa kajian ini?

Jika layak anak anda akan menyertai kajian sehingga 72 bulan (lebih kurang 17 bulan) dan mempunyai kira-kira 29 lawatan untuk memeriksa kesihatan mereka. Anak anda juga memerlukan 2 penginapan di hospital untuk menerima rawatan.

Penyaringan

Sehingga 60 hari | Sekurang-kurangnya 2 lawatan

Garis dasar (kajian bermula)

1 hari sebelum rawatan | 1 lawatan

Tempoh Rawatan 1

Penginapan di hospital

Tempoh Susulan 1

Minggu 52 (1 tahun) | 18 lawatan

Tempoh Rawatan 2

Penginapan di hospital

Tempoh Susulan 2

12 minggu (3 bulan) | 8 lawatan

*Pada penamatan kajian, anak anda akan mempunyai pilihan untuk mendaftar dalam kajian susulan jangka panjang di mana kesihatan anak anda akan dipantau untuk tempoh tambahan selama 15 tahun.

Bagaimanakah rawatan kajian diberikan?

- OAV101 diberikan sebagai suntikan sekali ke bahagian bawah tulang belakang. Ini dipanggil suntikan intratekal.
- Anak anda akan menerima rawatan kajian di hospital dan akan bermalam selama beberapa hari.

Tempoh Rawatan 1

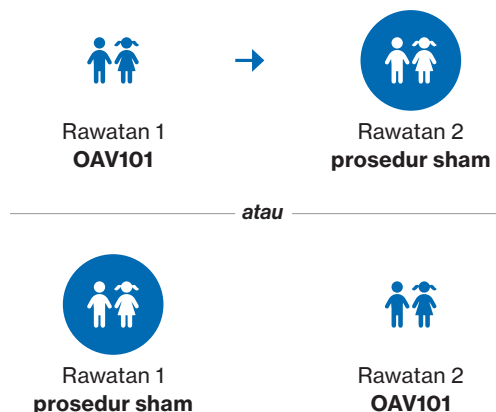
Anak anda akan ditetapkan secara kebetulan untuk menerima OAV101 atau "prosedur sham."

- Prosedur sham adalah cucukan jarum ke bahagian bawah punggung. Tiada ubat diberikan. Prosedur sham adalah penting supaya para doktor lebih memahami kesan OAV101.
- Anda dan doktor kajian tidak akan tahu anak anda berada dalam kumpulan mana. Ini membantu memastikan kajian adil dan tidak berat sebelah.

Tempoh Rawatan 2

Selepas melengkapkan 1 tahun lawatan susulan, anak anda akan menjalani beberapa pemeriksaan kesihatan untuk memastikan dia layak memasuki Tempoh Rawatan 2.

- Kanak-kanak yang layak yang menjalani prosedur sham semasa Tempoh 1 kini akan menerima OAV101.
- Kanak-kanak yang layak yang menerima OAV101 kini akan menerima prosedur sham.



Apakah jenis ujian yang akan dijalankan ke atas anak saya?



Ujian darah



Ujian pernafasan



Aktiviti jantung



Pengimejan jantung



Ujian fungsi motor



Peperiksaan neurologi



Pemeriksaan fizikal



Ketukan tulang belakang



Ujian air kencing



Sinar X

Anak anda tidak akan melakukan semua ujian pada setiap lawatan. Mungkin ada juga beberapa ujian tambahan. Sila bincang dengan doktor kajian untuk maklumat lanjut.