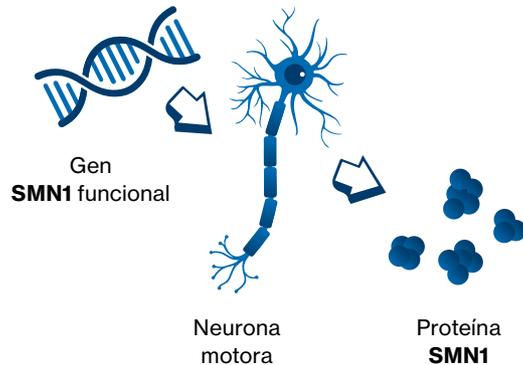


## ¿Cuál es el propósito del estudio STEER?

El objetivo del estudio STEER es comprender si la **terapia génica en investigación OAV101** es segura y puede proporcionar beneficios a niños/as de 2 a menos de 18 años con AME tipo 2.

OAV101 es una terapia génica que contiene un duplicado funcional del gen **SMN1** que las neuronas motoras necesitan para producir la proteína SMN. El objetivo es aumentar la cantidad de proteína SMN para evitar cualquier pérdida adicional de neuronas motoras.



## Gracias por considerar el estudio STEER

Los estudios clínicos son tipos de estudios de investigación realizados para obtener más información sobre cómo responde el cuerpo a un determinado medicamento y si ese medicamento funciona para una enfermedad o padecimiento médico específico.

Su hijo/a puede o no beneficiarse directamente de participar en este estudio, pero la información obtenida puede ayudar en el futuro a otros/as niños/as con AME.

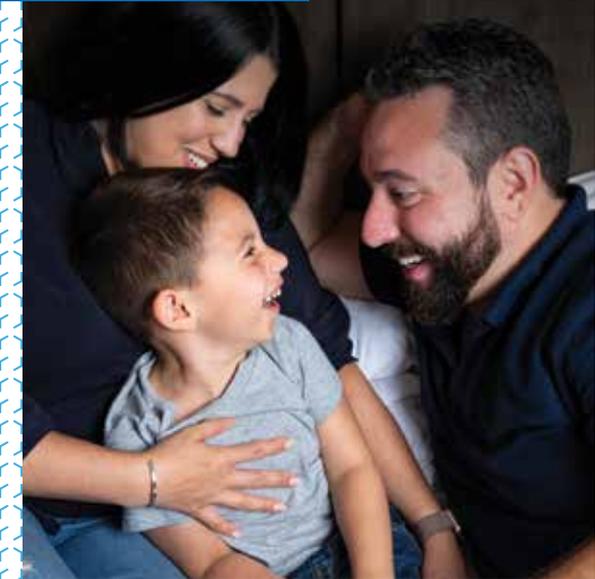
Participar en un estudio clínico es voluntario. Usted y su hijo/a pueden dejar de participar en cualquier momento.

Si está interesado en obtener más información sobre el estudio STEER, póngase en contacto con

\_\_\_\_\_

al \_\_\_\_\_

Ensayos clínicos



## Comprendiendo el estudio STEER OAV101B12301

Para niños/as de 2 a menos de 18 años con atrofia muscular espinal (AME) tipo 2

## ¿Para quién es el estudio?

### Niños/as de 2 a menos de 18 años con AME tipo 2 que:

- Son capaces de sentarse de forma independiente, pero nunca han sido capaces de caminar de forma independiente.
- Comenzaron a mostrar síntomas de AME a partir de los 6 meses.
- Todavía no han recibido ningún tratamiento que aumente el SMN.

## ¿Qué ocurre durante el estudio?

Si reúne los requisitos, su hijo/a será parte del estudio un máximo de 72 semanas (unos 17 meses) y tendrá unas 29 visitas para realizarle exámenes para comprobar su salud. Su hijo/a también tendrá dos hospitalizaciones para recibir tratamiento.

### Selección

Hasta 60 días | Al menos dos visitas

### Visita inicial (inicio del estudio)

1 día antes del tratamiento | 1 visita

### Periodo de tratamiento 1

Hospitalización

### Periodo de seguimiento 1

52 semanas (1 año) | 18 visitas

### Periodo de tratamiento 2

Hospitalización

### Periodo de seguimiento 2

12 semanas (3 meses) | 8 visitas

Al final del estudio, su hijo/a tendrá la opción de inscribirse en un estudio de seguimiento a largo plazo en el que se monitorizará su salud 15 años más.

## ¿Cómo se administra el tratamiento del estudio?

- OAV101 se administra en una única inyección en la parte inferior de la columna vertebral. Esto se denomina inyección intratecal.
- Su hijo/a recibirá el tratamiento del estudio en el hospital y deberá pasar la noche durante unos días.

### Periodo de tratamiento 1

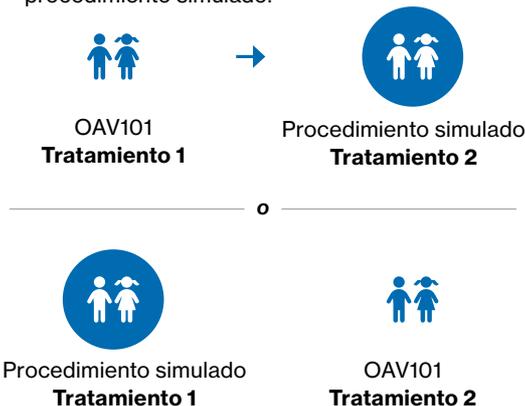
Se asignará a su hijo/a al azar para recibir OAV101 o un “procedimiento simulado”.

- El procedimiento simulado es un pinchazo de aguja en la parte inferior de la espalda. No se administra ningún medicamento. El procedimiento simulado es importante para que los médicos puedan comprender mejor la eficacia de OAV101.
- Ni usted ni el médico del estudio sabrán en qué grupo está su hijo/a. Esto ayuda a mantener el estudio justo e imparcial.

### Periodo de tratamiento 2

Después de completar un año de visitas de seguimiento, a su hijo/a se le realizarán algunos exámenes médicos para asegurarnos de que reúne los requisitos para ser parte del periodo de tratamiento 2.

- Los/as niños/as que reúnen los requisitos y que se sometieron al procedimiento simulado durante el periodo 1 recibirán ahora OAV101.
- Los/as niños/as que reúnen los requisitos y que recibieron OAV101 ahora se someterán al procedimiento simulado.



## ¿A qué tipo de pruebas se someterá mi hijo/a?



Análisis de sangre



Examen respiratorio



Actividad cardíaca



Imágenes del corazón



Pruebas de función motora



Examen neurológico



Examen físico



Punción lumbar



Análisis de orina



Radiografía

Su hijo/a no se someterá a todas las pruebas en cada visita. También puede haber algunas pruebas adicionales. Hable con el médico del estudio para obtener más información.