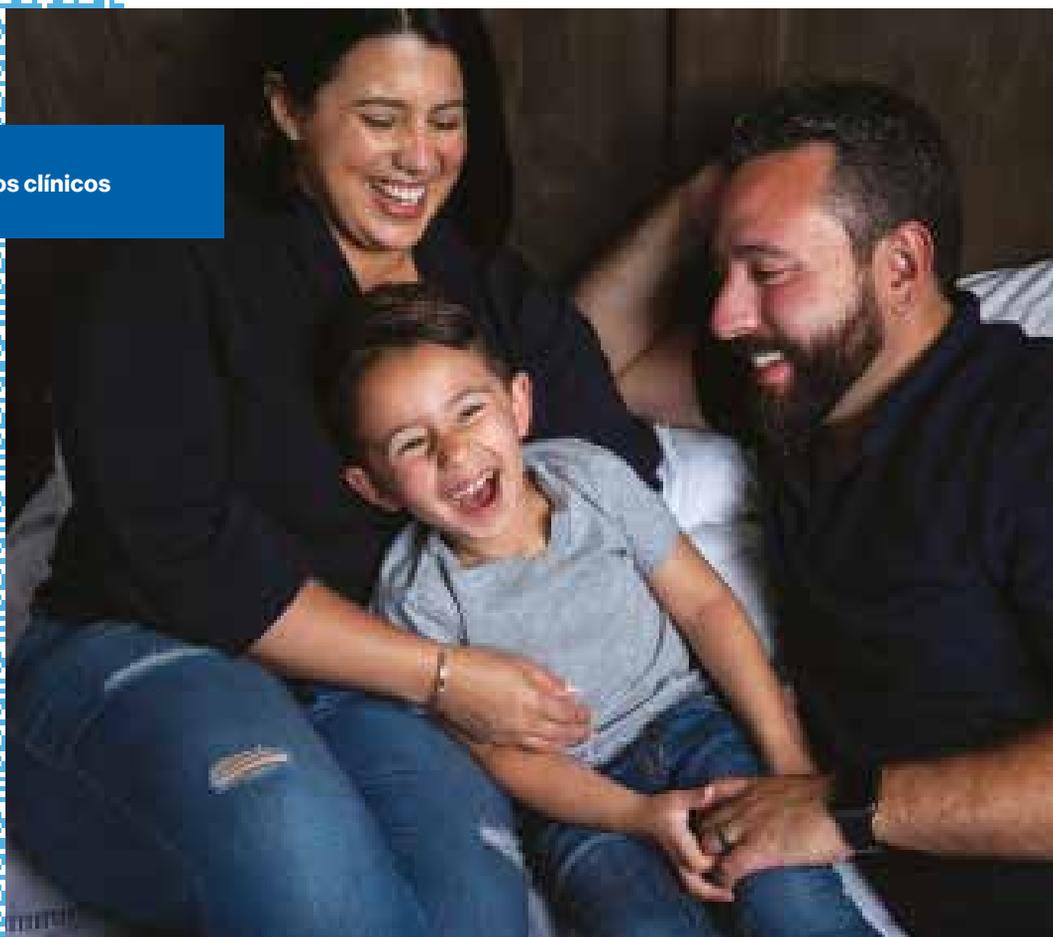


Ensayos clínicos



# Programa y planificador del estudio **STEER** **OAV101B12301**

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

## **Gracias por participar en el estudio STEER.**

Este estudio prueba una terapia génica en investigación llamada OAV101 para comprobar si es segura y puede mejorar los síntomas y el movimiento en niños/as de 2 a menos de 18 años con AME tipo 2.

Este folleto explica lo que sucederá en las visitas del estudio. También tiene espacio para que usted haga seguimiento de las citas programadas e información útil. Es importante que su hijo/a acuda a todas las visitas del estudio para que el médico pueda vigilar su salud y comprender cómo puede afectar OAV101 el cuerpo de su hijo/a.

Le agradecemos enormemente su participación. 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.

Como ocurre con todos los medicamentos, existe la posibilidad de que se produzcan efectos secundarios. Se monitoreará estrechamente a su hijo/a durante todo el estudio.

El personal del estudio responderá con gusto cualquier duda que tenga. Recuerde que la participación es voluntaria y usted y su hijo/a pueden decidir abandonar el estudio en cualquier momento.

Con mucho agradecimiento,

**el personal del estudio STEER**

## Duración y visitas del estudio

Su hijo estará en el estudio hasta 72 semanas (alrededor de 17 meses) y tendrá alrededor de 29 visitas para exámenes médicos y pruebas de salud. La mayor parte de las visitas del estudio pueden durar hasta 6 horas dependiendo del número y el tipo de pruebas.

Su hijo/a también tendrá dos hospitalizaciones cuando reciba 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

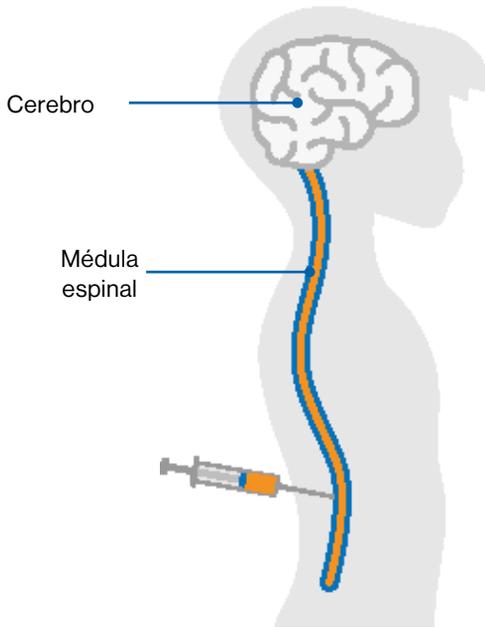
12 semanas (3 meses) | 8 visitas

---

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

## Tratamiento del estudio

OAV101 se administra en una única inyección en la parte inferior de la columna vertebral. Esto se denomina **inyección intratecal**.



## Grupos de tratamiento del estudio

Se asignará a su hijo/a al azar para recibir la terapia génica **OAV101** o un “**procedimiento simulado**”. No sabrá qué tratamiento del estudio recibirá su hijo/a.

**El procedimiento simulado es un piquete de aguja en la parte inferior de la espalda. OAV101 no se inyecta. Es importante someterse a un procedimiento simulado para compararlo con el OAV101, de modo que los médicos puedan comprender los efectos del OAV101.**

**La inyección de OAV101 y el procedimiento simulado se realizan en el hospital en el que su hijo/a pasará la noche unos días.**

## Visitas de selección

**Visita 1** Fecha: \_\_\_\_\_ Hora: \_\_\_\_\_

**Visita 2** Fecha: \_\_\_\_\_ Hora: \_\_\_\_\_

Para dar permiso para que su hijo/a participe, antes de comenzar el estudio deberá leer y firmar un **formulario de consentimiento informado**. Dependiendo de su edad, su hijo/a también debe dar permiso mediante la firma de un **formulario de asentimiento informado**.



El médico del estudio recopilará información y realizará pruebas para asegurarse de que el estudio sea adecuado para su hijo/a.

## Exámenes médicos y pruebas de salud



Análisis de sangre



Masa corporal



Examen respiratorio



Medición de la cabeza



Actividad cardíaca



Imágenes del corazón



Altura



Historia clínica



Revisión de medicamentos



Comprobación de la salud mental\*



Capacidad de movimiento



Examen neurológico



Examen físico



Prueba de deglución



Análisis de orina



Signos vitales



Peso



Radiografía

\*Es posible que la comprobación de la salud mental no se aplique en niños/as menores de 7 años

## Visita inicial (inicio del estudio)

**Visita 1** Fecha: \_\_\_\_\_ Hora: \_\_\_\_\_

Su hijo/a recibirá un esteroide (prednisolona) o placebo 24 horas antes de recibir el tratamiento del estudio, dependiendo del grupo en el que se encuentre.

### Exámenes médicos y pruebas de salud



Análisis de sangre



Masa corporal



Examen respiratorio



Medición de la cabeza



Actividad cardíaca



Altura



Revisión de medicamentos



Capacidad de movimiento



Monitoreo del movimiento\*



Hisopado nasal



Examen neurológico



Examen físico



Prueba de saliva



Análisis de heces



Prueba de deglución



Análisis de orina



Signos vitales



Peso

\*A algunos participantes se les puede dar un dispositivo similar a un reloj de pulsera que realiza un seguimiento del movimiento. Esto se usará en la casa

## Periodo de tratamiento (hospitalización)

Fecha: \_\_\_\_\_ Hora: \_\_\_\_\_

Su hijo/a recibirá OAV101 o un procedimiento simulado y pasará la noche en el hospital unos días.

### Exámenes médicos y pruebas de salud



Análisis de sangre



Revisión de medicamentos



Hisopado nasal



Examen neurológico



Examen físico



Prueba de saliva



Punción lumbar



Análisis de heces



Análisis de orina



Signos vitales



Peso

---

**Se monitoreará continuamente a su hijo a lo largo del estudio para detectar cualquier efecto secundario del medicamento del estudio.**

## Periodo de seguimiento 1 (1 año)

Durante este tiempo, su hijo/a tendrá 18 visitas para realizarse pruebas: una vez a la semana durante el primer mes, una vez cada dos semanas desde la semana 5 hasta la 12 y, después de esto, una vez cada cuatro semanas.

Es posible que su hijo/a no tenga que someterse a todas las pruebas en cada visita.

### Exámenes médicos y pruebas de salud



Análisis de sangre



Masa corporal



Examen respiratorio



Actividad cardíaca



Imágenes del corazón



Altura



Calificación de mejora



Revisión de medicamentos



Comprobación de la salud mental\*\*



Capacidad de movimiento



Monitoreo del movimiento\*



Hisopado nasal



Examen neurológico



Examen físico



Cuestionario



Prueba de saliva



Análisis de heces



Prueba de deglución



Calificación de los síntomas



Análisis de orina



Signos vitales



Peso



Radiografía

**Se monitoreará continuamente a su hijo a lo largo del estudio para detectar cualquier efecto secundario del medicamento del estudio.**

\*A algunos participantes se les puede dar un dispositivo similar a un reloj de pulsera que realiza un seguimiento del movimiento. Esto se usará en la casa. \*\*Es posible que los exámenes de salud mental no se apliquen a niños/as menores de 7 años.

# Periodo de seguimiento 1 (18 visitas)

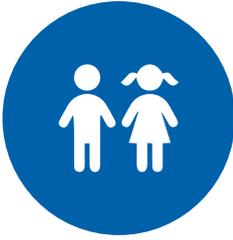
Utilice la siguiente tabla para hacer seguimiento de las visitas programadas de su hijo/a y de la información importante que compartir con el médico del estudio.

Visita	Semana	Fecha/hora programada	Notas y recordatorios
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		

## 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 recibieron OAV101 durante el periodo de tratamiento 1 se someterán al procedimiento simulado en el periodo de tratamiento 2. Los/as niños/as que reúnen los requisitos y que se sometieron al procedimiento simulado durante el periodo de tratamiento 1 recibirán ahora OAV101.

**Periodo de tratamiento 1**



**OAV101**

**Visitas de seguimiento**

**52  
semanas**  
→

**Periodo de tratamiento 2**



**Procedimiento  
simulado**

**Periodo de  
tratamiento 1**

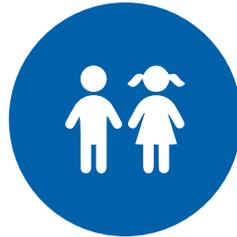


**Procedimiento  
simulado**

**Visitas de seguimiento**

**52  
semanas**  
→

**Periodo de tratamiento 2**



**OAV101**

## Periodo de tratamiento 2 (hospitalización)

Fecha: \_\_\_\_\_ Hora: \_\_\_\_\_

Su hijo/a recibirá OAV101 o un procedimiento simulado en el hospital y pasará la noche unos días.

### Exámenes médicos y pruebas de salud



Análisis de sangre



Revisión de medicamentos



Hisopado nasal



Examen neurológico



Examen físico



Prueba de saliva



Punción lumbar



Análisis de heces



Análisis de orina



Signos vitales



Peso

---

**Se monitoreará continuamente a su hijo a lo largo del estudio para detectar cualquier efecto secundario del medicamento del estudio.**

## Periodo de seguimiento 2 (12 semanas)

Durante este tiempo, su hijo/a tendrá 8 visitas para realizarle pruebas: una vez a la semana y, después de esto, una vez cada dos semanas. Es posible que su hijo/a no tenga que someterse a todas las pruebas en cada visita.

### Exámenes médicos y pruebas de salud



Análisis de sangre



Masa corporal



Actividad cardíaca



Imágenes del corazón



Altura



Calificación de mejora



Revisión de medicamentos



Comprobación de la salud mental\*\*



Capacidad de movimiento



Monitoreo del movimiento\*



Hisopado nasal



Examen neurológico



Examen físico



Cuestionario



Prueba de saliva



Análisis de heces



Prueba de deglución



Calificación de los síntomas



Análisis de orina



Signos vitales



Peso

\*A algunos participantes se les puede dar un dispositivo similar a un reloj de pulsera que realiza un seguimiento del movimiento. Esto se usará en el hogar.

\*\*Es posible que los exámenes de salud mental no se apliquen a niños/as menores de 7 años.

## Periodo de seguimiento 2 (8 visitas)

Utilice la siguiente tabla para hacer seguimiento de las visitas programadas de su hijo/a y de la información importante que compartir con el médico del estudio.

Visita	Semana	Fecha/hora programada	Notas y recordatorios
1	53		
2	54		
3	55		
4	56		
5	58		
6	60		
7	62		
8	64		

## Información de contacto del estudio

**Nombre del médico del estudio:**

---

**Número de teléfono:**

---

**Nombre del coordinador del estudio:**

---

**Número de teléfono:**

---

**Correo electrónico:**

---

**Póngase en contacto con el personal del estudio si tiene alguna pregunta o si necesita reprogramar una cita.**

## Glosario



**Análisis de sangre:** se extraerán muestras de sangre para observar las células sanguíneas y el efecto del medicamento del estudio dentro del cuerpo. Los análisis de sangre pueden medir cuánto medicamento del estudio hay en el organismo y cómo puede afectar otras partes del cuerpo. Las participantes que hayan empezado a menstruar se someterán a un análisis de sangre para comprobar si están embarazadas.



**Masa corporal:** el médico calculará cuánta grasa corporal tiene su hijo/a en función de su estatura y peso.



**Examen respiratorio:** su hijo/a respirará en un tubo conectado a una computadora para medir la cantidad de aire que puede inhalar y exhalar de los pulmones y la rapidez con la que puede expulsar el aire de los pulmones.



**Medición de la cabeza:** el personal del estudio colocará una cinta métrica flexible alrededor de la cabeza de su hijo/a para determinar su tamaño.



**Actividad cardíaca:** se usará una prueba simple llamada electrocardiograma (ECG) para verificar la actividad eléctrica (ritmo) del corazón de su hijo/a. Para esta prueba, su hijo/a se acostará y le colocarán pequeños parches adhesivos (electrodos) en el pecho. Los parches se conectan con cables a una computadora.



**Imágenes del corazón:** una prueba indolora llamada ecocardiograma utiliza ondas sonoras para comprobar cómo bombea y late el corazón de su hijo/a dentro del cuerpo.



**Altura:** el médico del estudio utilizará una cinta métrica para medir la longitud de la parte inferior de la pierna de su hijo/a (desde la rodilla hasta el tobillo) y así calcular su estatura.



**Calificación de mejoría:** el personal del estudio utilizará un sistema de calificación para evaluar si la AME de su hijo/a mejora y cómo lo hace.



**Consentimiento informado:** si está de acuerdo en que su hijo/a sea parte del estudio, deberá firmar unos formularios para dar su autorización. Su hijo/a también debe dar permiso para participar mediante la firma de un asentimiento informado.



**Historia clínica:** el médico le hará preguntas sobre la salud de su hijo/a, incluida la AME y cualquier cirugía que pueda haber tenido.

## Glosario



**Revisión de medicamentos:** el médico del estudio le hará preguntas sobre los medicamentos que su hijo/a está tomando ahora o ha tomado en el pasado.



**Comprobación de salud mental:** su hijo/a (si es mayor de 7 años) responderá a algunas preguntas sobre su estado de ánimo y comportamiento y si se siente triste.



**Capacidad de movimiento:** el personal del estudio evaluará qué tan bien puede realizar su hijo/a ciertos movimientos. Le darán a su hijo/a calificaciones basadas en sus capacidades físicas.



**Monitoreo del movimiento:** se les dará a algunos participantes un monitor de movimiento alrededor de la muñeca mientras están en su hogar para así hacer un seguimiento de su movimiento.



**Hisopado nasal:** el médico del estudio recogerá una muestra frotando suavemente el interior de la nariz de su hijo/a con un hisopo de algodón.



**Examen neurológico:** el médico del estudio comprobará qué tan bien pueden sentir diferentes partes del cuerpo de su hijo/a.



**Examen físico:** el médico evaluará diferentes partes del cuerpo de su hijo/a, como el corazón, los pulmones, los músculos y el estómago.



**Cuestionario:** como cuidador de su hijo/a, completará un cuestionario sobre cómo la AME de su hijo/a afecta su vida diaria.



**Prueba de saliva:** su hijo/a deberá escupir en una taza y se analizará la muestra para comprobar qué puede hacer el tratamiento dentro de su cuerpo.



**Punción lumbar:** se extraerá una pequeña cantidad del líquido alrededor de la columna vertebral de su hijo/a con una aguja fina. Se analizará el líquido cefalorraquídeo para comprobar cómo responde el cuerpo de su hijo/a al tratamiento.



**Análisis de heces:** se recogerá una pequeña muestra de heces (popó) de su hijo/a y se analizará para comprobar qué puede hacer el tratamiento dentro del cuerpo.



**Prueba de deglución:** un especialista evaluará la capacidad de su hijo/a para comer y deglutir.



**Calificación de los síntomas:** el personal del estudio utilizará un sistema de calificación para evaluar los síntomas de la AME de su hijo/a y cómo afectan su capacidad para realizar las tareas cotidianas.



**Análisis de orina:** se analizará una muestra de orina de su hijo/a para detectar ciertos factores, como el azúcar, las proteínas y la sangre. Las participantes que hayan empezado a menstruar se someterán a un análisis de orina para comprobar si están embarazadas.



**Signos vitales:** el médico del estudio comprobará la temperatura, la frecuencia respiratoria, la frecuencia cardíaca (pulso) y la presión arterial de su hijo/a para comprobar cómo bombea el corazón de su hijo/a.



**Peso:** el médico del estudio utilizará una báscula para pesar a su hijo/a sin zapatos mientras lleva ropa ligera. Alguien ayudará a apoyar a su hijo/a en la báscula mientras lo pesan.



**Radiografía:** se utiliza una radiografía para tomar imágenes en blanco y negro del interior del cuerpo. A su hijo/a se le realizará una radiografía de tórax y espalda.





