

Thử nghiệm lâm sàng



Nghiên cứu OAV101B12301 STEER

Hệ chiếu nghiên cứu

 **NOVARTIS** | Reimagining Medicine

Chào mừng cháu đến với nghiên cứu

STEER!

Tấm hộ chiếu này sẽ giúp cháu theo dõi các xét nghiệm/kiểm tra và các lần thăm khám nghiên cứu của mình.

Cháu sẽ nhận được một tem cho mỗi lần thăm khám mà cháu hoàn thành.

Người liên hệ của nhóm nghiên cứu

Tên: _____

Điện thoại: _____

Email: _____

Tên: _____

Điện thoại: _____

Email: _____

Việc tham gia nghiên cứu là lựa chọn của cháu và cháu có thể rời khỏi bất cứ lúc nào.

Đây là tôi! _____

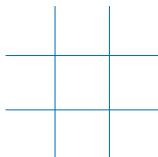
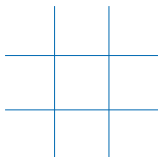
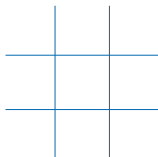
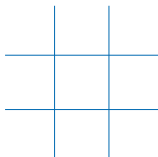
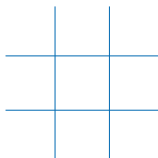
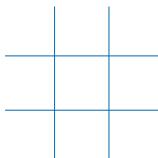
Hãy vẽ một bức tranh về chính cháu

Lá cờ của tôi _____

Hãy vẽ lá quốc kỳ của cháu

Ngày tôi bắt đầu nghiên cứu: _____

Tic-tac-toe:



Nghiên cứu STEER

Cháu sẽ tham gia nghiên cứu STEER trong tối đa 17 tháng và có khoảng 29 lần thăm khám với bác sĩ để xét nghiệm và kiểm tra sức khỏe. Cháu cũng sẽ ở lại qua đêm trong bệnh viện hai lần. Cha mẹ hoặc người giám hộ của cháu có thể ở lại cùng với cháu.

Sàng lọc

Tối đa 60 ngày | Ít nhất 2 lần thăm khám

Ban đầu (bắt đầu nghiên cứu)

1 ngày trước điều trị | 1 lần thăm khám

Giai đoạn điều trị 1

Nằm viện

Giai đoạn theo dõi 1

52 tuần (1 năm) | 18 lần thăm khám

Giai đoạn điều trị 2

Nằm viện

Giai đoạn theo dõi 2

12 tuần (3 tháng) | 8 lần thăm khám

Sàng lọc ít nhất 2 lần thăm khám

Trước khi cháu có thể bắt đầu nghiên cứu, cha mẹ cháu sẽ ký vào **Phiếu chấp thuận tham gia nghiên cứu** để thể hiện họ chấp nhận cho cháu tham gia. Cháu cũng có thể ký **Phiếu đồng ý tham gia nghiên cứu** nếu cháu đồng ý.

Sau đó bác sĩ sẽ đặt câu hỏi về sức khỏe của cháu và làm xét nghiệm/kiểm tra để đảm bảo nghiên cứu phù hợp với cháu.



Xét nghiệm
máu



Chỉ số khối
cơ thể



Xét nghiệm
hô hấp



Khám sức
khỏe



Đo vòng đầu



Lịch sử sức
khỏe



Hoạt động
của tim



Chụp hình
tim



Chiều cao



Kiểm tra
thuốc



Kiểm tra
tâm trạng



Khả năng
cử động



Khám thần
kinh



Kiểm tra
chức năng
nuốt



Xét nghiệm
nước tiểu



Dấu hiệu
sinh tồn



Cân nặng



X-quang

Cháu sẽ không phải làm tất cả xét nghiệm/
kiểm tra ở cả hai lần thăm khám.

TEM

TEM

Lần khám cơ bản Bắt đầu nghiên cứu



Xét nghiệm
máu



Chỉ số khối
cơ thể



Xét nghiệm
hô hấp



Khám sức
khỏe



Đo vòng đầu



Hoạt động
của tim



Chiều cao



Kiểm tra
thuốc



Khả năng
cử động



Giám sát cử
động*



Dịch ngoáy
mũi



Khám thần
kinh



Xét nghiệm
nước bọt



Xét nghiệm
phân



Kiểm tra
chức năng
nuốt



Điểm triệu
chứng



Xét nghiệm
nước tiểu



Dấu hiệu
sinh tồn



Cân nặng

*Chỉ đối với một số người tham gia. Có thể thực hiện tại nhà.



Điều trị

Nghiên cứu này có 2 giai đoạn điều trị. Với mỗi giai đoạn, cháu sẽ ở lại bệnh viện trong một vài ngày.

Phần 1

Trong phần 1 của điều trị, cháu sẽ được đưa ngẫu nhiên vào một nhóm để nhận:

hoặc

Tiên một lần thuốc điều trị nghiên cứu (OAV101) vào lưng dưới của cháu

Một lần chọc kim vào da lưng dưới (không có thuốc)

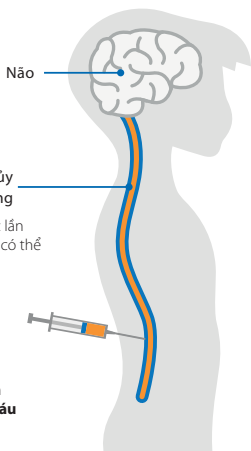
Phần 2

Sau khoảng 1 năm diễn ra các lần thăm khám nghiên cứu, cháu có thể vào phần 2 của điều trị.

hoặc

Nếu cháu đã được tiêm thuốc điều trị nghiên cứu trong phần 1 thì bây giờ cháu sẽ được chọc kim.

Nếu cháu đã được chọc kim trong phần 1 thì bây giờ cháu sẽ được tiêm thuốc điều trị nghiên cứu.



Điều trị 1 Nằm viện



Xét nghiệm
máu



Khám sức
khỏe



Kiểm tra
thuốc



Dịch ngoáy
mũi



Khám thần
kinh



Xét nghiệm
nước bọt



Chọc dò
tủy sống



Xét nghiệm
phân



Xét nghiệm
nước tiểu



Dấu hiệu
sinh tồn



Cân nặng

Cháu cũng sẽ được kiểm tra để xem điều trị có khiến cháu cảm thấy ốm yếu hay không.

TEM

TEM

TEM

Theo dõi 1 18 lần thăm khám



Xét nghiệm
máu



Chỉ số khối
cơ thể



Xét nghiệm
hô hấp



Khám sức
khỏe



Hoạt động
của tim



Chụp hình
tim



Chiều cao



Kiểm tra
thuốc



Kiểm tra
tâm trạng



Khả năng
cử động



Giám sát cử
động*



Dịch ngoáy
mũi



Khám thần
kinh



Xét nghiệm
nước bọt



Điểm SMA



Xét
nghiệm
phân



Kiểm tra
chức năng
nuốt



Điểm triệu
chứng



Xét
nghiệm
nước
tiểu



Dấu hiệu
sinh tồn



Cân nặng



X-quang**

*Chỉ đối với một số người tham gia. Có thể thực hiện tại nhà.

**Chỉ ở lần thăm khám cuối cùng.

Cháu sẽ không phải làm tất cả xét nghiệm/kiểm tra ở cả hai lần thăm khám.

Cháu cũng sẽ được kiểm tra để xem điều trị có khiến cháu cảm thấy ốm yếu hay không.

Theo dõi 1 18 lần thăm khám

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM



TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

Điều trị 2 Nằm viện



Chỉ số khối
cơ thể



Khám sức
khỏe



Kiểm tra
thuốc



Dịch ngoáy
mũi



Khám thần
kinh



Xét nghiệm
nước bọt



Chọc dò tủy
sống



Xét nghiệm
phân



Xét nghiệm
nước tiểu



Dấu hiệu
sinh tồn



Cân nặng

Cháu cũng sẽ được kiểm tra để xem điều trị có khiến cháu cảm thấy ốm yếu hay không.

TEM

TEM

TEM

Theo dõi 2 8 lần thăm khám



Xét nghiệm
máu



Chỉ số khối
cơ thể



Xét nghiệm
hô hấp*



Khám sức
khỏe



Hoạt động
của tim



Chụp hình
tim



Chiều cao



Kiểm tra
thuốc



Kiểm tra
tâm trạng



Khả năng
cử động



Giám sát cử
động**



Dịch ngoáy
mũi



Khám thần
kinh



Xét nghiệm
nước bọt



Điểm SMA

*Chỉ ở lần thăm khám cuối cùng.

**Chỉ đối với một số người tham gia. Có thể thực hiện tại nhà.

Theo dõi 2 lần thăm khám (tiếp)



Xét
nghiệm
phân



Kiểm tra
chức năng
nuốt



Điểm triệu
chứng



Xét
nghiệm
nước
tiểu



Dấu hiệu
sinh tồn



Cân nặng

Cháu sẽ không phải làm tất cả xét nghiệm/kiểm tra ở cả hai lần thăm khám.

Cháu cũng sẽ được kiểm tra để xem điều trị có khiến cháu cảm thấy ốm yếu hay không.



TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

TEM

Bảng thuật ngữ:



Xét nghiệm máu: Các mẫu máu nhỏ sẽ được lấy để xem có nhiều lượng thuốc nghiên cứu ở trong cơ thể của cháu và thuốc có thể làm gì bên trong cơ thể cháu. Các bé gái đã bắt đầu có kinh nguyệt cũng sẽ được làm xét nghiệm máu để xem có mang thai hay không.



Chỉ số khối cơ thể: Bác sĩ sẽ tính toán cháu có bao nhiêu mỡ trong cơ thể căn cứ trên chiều cao và cân nặng của cháu.



Xét nghiệm hô hấp: Cháu sẽ thở vào một cái ống gắn với một máy tính để đo lượng không khí cháu có thể hít vào và thở ra khỏi phổi và cháu có thể thổi không khí ra khỏi phổi nhanh đến mức nào.



Khám sức khỏe: Bác sĩ sẽ kiểm tra các bộ phận khác nhau của cơ thể cháu, chẳng hạn như tim, phổi, cơ và bụng.



Đo vòng đầu: Nhóm nghiên cứu sẽ quấn một cái thước đo mềm quanh đầu cháu để xem đầu cháu to thế nào.



Lịch sử sức khỏe: Bác sĩ sẽ đặt câu hỏi về sức khỏe của cháu, bệnh SMA và bất kỳ phẫu thuật nào cháu có thể đã được làm.



Hoạt động của tim: Một xét nghiệm đơn giản gọi là điện tâm đồ (ECG) sẽ được sử dụng để kiểm tra hoạt động điện (nhịp đập) của tim cháu. Để làm xét nghiệm này, cháu sẽ nằm xuống và những miếng dán nhỏ sẽ được gắn lên da cháu. Các miếng dán này được kết nối với các sợi dây đến một máy tính.



Chụp hình tim: Một xét nghiệm không đau gọi là siêu âm tim sử dụng sóng âm để xem hoạt động bơm máu và đập của trái tim bên trong cơ thể cháu.



Chiều cao: Bác sĩ nghiên cứu sẽ sử dụng một thước đo để đo chiều dài cẳng chân (từ đầu gối đến mắt cá) cháu để tính xem cháu cao bao nhiêu.



Kiểm tra thuốc: Bác sĩ nghiên cứu sẽ đặt câu hỏi về các loại thuốc cháu đang dùng và đã dùng trước đây.



Kiểm tra tâm trạng: Cháu sẽ trả lời một số câu hỏi về tâm trạng của cháu và cháu có cảm thấy buồn không.



Khả năng cử động: Nhóm nghiên cứu sẽ tìm hiểu xem cháu có thể thực hiện một số cử động tốt như thế nào. Họ sẽ chấm điểm cho cháu dựa trên khả năng thể chất của cháu.



Giám sát cử động: Một số người tham gia sẽ được chọn để đeo một máy theo dõi cử động quanh cổ tay trong khi ở nhà để theo dõi cử động của họ.



Dịch ngoáy mũi: Bác sĩ nghiên cứu sẽ lấy một mẫu thử bằng cách dùng một cây tăm bông cọ nhẹ bên trong mũi của cháu.



Khám thần kinh: Bác sĩ nghiên cứu sẽ kiểm tra để xem các bộ phận khác nhau của cơ thể cháu có khả năng cảm giác tốt như thế nào.



Xét nghiệm nước bọt: Cháu sẽ nhổ nước bọt vào một chiếc cốc và mẫu thử đó sẽ được xét nghiệm để xem thuốc điều trị có thể làm gì bên trong cơ thể cháu.



Điểm SMA: Nhóm nghiên cứu sẽ sử dụng một hệ thống chấm điểm để đánh giá xem bệnh SMA của cháu có cải thiện không và cải thiện ở mức nào.



Chọc dò tủy sống: Một lượng nhỏ chất dịch bao quanh cột sống của cháu sẽ được lấy ra bằng một cây kim mảnh. Dịch tủy sẽ được xét nghiệm để xem cơ thể cháu có thể đáp ứng với điều trị như thế nào.



Xét nghiệm phân: Một mẫu nhỏ phân của cháu sẽ được lấy và xét nghiệm để xem thuốc điều trị có thể làm gì bên trong cơ thể cháu.



Kiểm tra chức năng nuốt: Một chuyên gia sẽ khám để xem cháu có thể ăn và nuốt tốt như thế nào.



Điểm triệu chứng: Nhóm nghiên cứu sẽ sử dụng một hệ thống chấm điểm để đánh giá các triệu chứng SMA của cháu và chúng ảnh hưởng thế nào đến khả năng làm các nhiệm vụ mỗi ngày của cháu.



Xét nghiệm nước tiểu: Cháu sẽ đi tiểu vào một cái cốc và nước tiểu của cháu sẽ được xét nghiệm để tìm một số thứ, chẳng hạn như đường, protein và máu. Các bé gái đã bắt đầu có kinh nguyệt cũng sẽ được làm xét nghiệm nước tiểu để xem có mang thai hay không.



Dấu hiệu sinh tồn: Bác sĩ nghiên cứu sẽ kiểm tra nhiệt độ, đếm số hơi thở cháu thở mỗi phút, đếm số lần tim cháu đập mỗi phút và đo huyết áp của cháu để xem tim cháu bơm máu thế nào.



Cân nặng: Bác sĩ nghiên cứu sẽ cân cháu trên một chiếc cân khi cháu không đi giày và trong khi cháu mặc quần áo nhẹ. Ai đó sẽ giúp cháu đứng trên cân và giữ cháu trong khi cân.



X-quang: X-quang được sử dụng để chụp các bức hình đen trắng bên trong cơ thể cháu. Cháu sẽ được chụp X-quang ngực và lưng.

Ghi chú:
