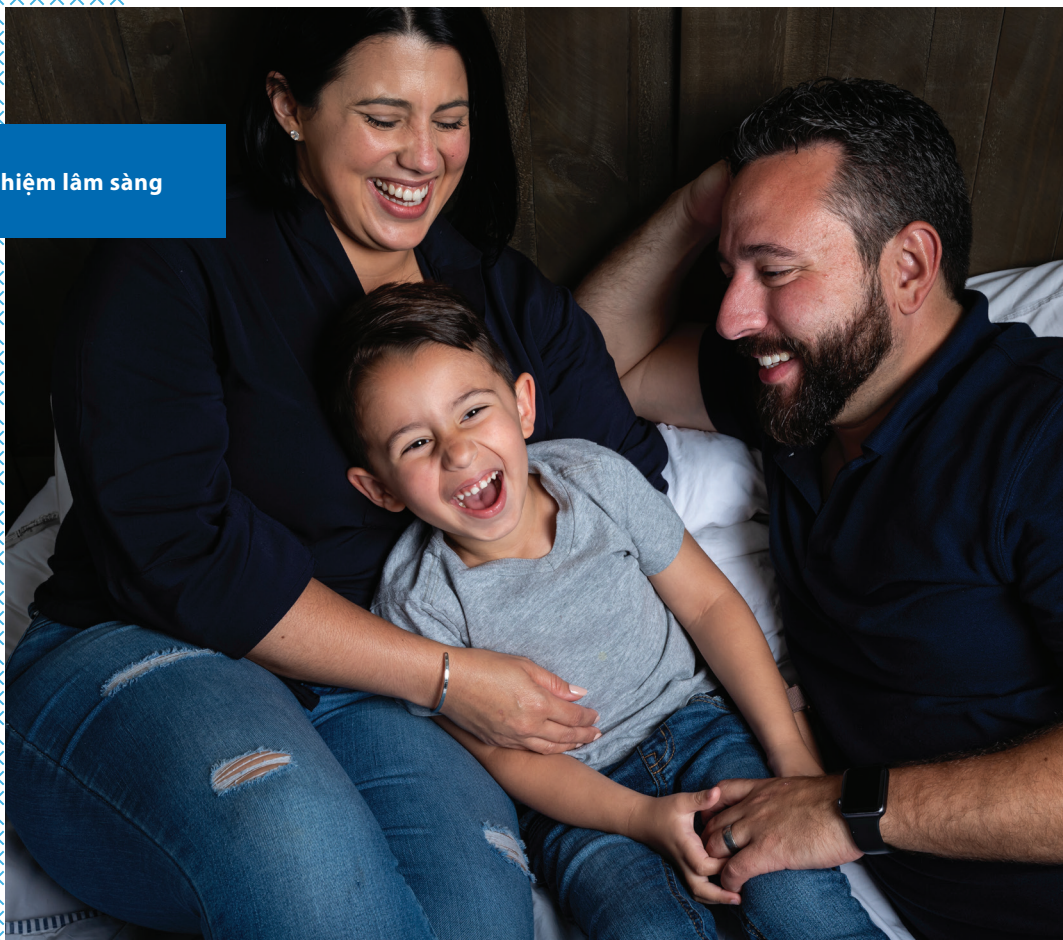


Thử nghiệm lâm sàng



OAV101B12301 STEER Lịch trình và kế hoạch

Dành cho trẻ em từ 2 tuổi đến dưới 18 tuổi bị
teo cơ tủy (SMA) loại 2

Cảm ơn bạn đã tham gia nghiên cứu STEER.

Nghiên cứu này đang thử nghiệm một liệu pháp gen thử nghiệm gọi là OAV101 để xem nó có an toàn và có thể cải thiện triệu chứng và khả năng cử động ở trẻ em từ 2 tuổi đến dưới 18 tuổi có bệnh SMA loại 2 hay không.

Tập sách này giải thích những gì sẽ xảy ra tại các lần thăm khám nghiên cứu. Trong này cũng có chỗ trống để bạn theo dõi các cuộc hẹn theo lịch và thông tin hữu ích. Điều quan trọng là con bạn tham dự tất cả các lần thăm khám nghiên cứu để bác sĩ có thể giám sát sức khỏe của cháu và hiểu OAV101 có thể ảnh hưởng đến cơ thể cháu như thế nào.

Sự tham gia của bạn được đánh giá rất cao. Con bạn có thể có hoặc không nhận được lợi ích trực tiếp từ việc tham gia vào nghiên cứu này, nhưng thông tin tìm hiểu được có thể giúp những trẻ khác bị SMA trong tương lai.

Như mọi loại thuốc, có khả năng xảy ra tác dụng phụ. Con bạn sẽ được theo dõi chặt chẽ trong toàn bộ thời gian nghiên cứu.

Nhóm nghiên cứu sẽ vui lòng trả lời bất kỳ câu hỏi nào bạn có. Hãy nhớ, tham gia là tự nguyện và bạn cũng như con bạn có thể chọn rời khỏi nghiên cứu bất cứ lúc nào.

Trân trọng,

Nhóm nghiên cứu STEER

Thời gian nghiên cứu và các lần thăm khám

Con bạn sẽ tham gia nghiên cứu trong tối đa 72 tuần (khoảng 17 tháng) và có khoảng 29 lần thăm khám để làm xét nghiệm và kiểm tra sức khỏe. Hầu hết các lần thăm khám nghiên cứu có thể mất đến 6 giờ tùy vào số lượng và loại xét nghiệm/kiểm tra.

Con bạn cũng sẽ có 2 lần nằm viện khi nhận điều trị.

Sàng lọc

Tối đa 60 ngày | Ít nhất 2 lần thăm khám

Cơ bản (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

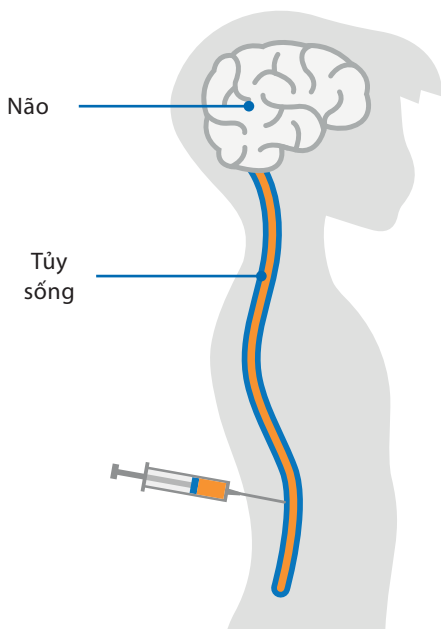
Giai đoạn theo dõi 2

12 tuần (3 tháng) | 8 lần thăm khám

Khi kết thúc nghiên cứu, con bạn sẽ có tùy chọn tham gia tiếp vào một nghiên cứu theo dõi dài hạn trong đó sức khỏe của con bạn sẽ được theo dõi thêm trong 15 năm nữa.

Điều trị nghiện cứu

OAV101 được cho dùng bằng cách tiêm một lần vào phần dưới của cột sống. Đây gọi là **tiêm tủy sống**.



Các nhóm điều trị nghiện cứu

Con bạn sẽ được chỉ định ngẫu nhiên để nhận liệu pháp gen **OAV101** hoặc một **“thủ thuật giả vờ”**. Bạn sẽ không biết con bạn được nhận phương pháp điều trị nghiện cứu nào.

Thủ thuật giả vờ là chọc kim vào lưng dưới. OAV101 không được tiêm. Thủ thuật giả vờ này có vai trò quan trọng để so sánh với OAV101 nhằm giúp bác sĩ có thể hiểu tác dụng của OAV101.

Cả việc tiêm OAV101 và thủ thuật giả vờ đều được thực hiện tại bệnh viện nơi con bạn sẽ ở lại qua đêm một vài ngày.

Các lần khám sàng lọc

Lần khám 1 Ngày: _____ Giờ: _____

Lần khám 2 Ngày: _____ Giờ: _____

Trước khi bắt đầu nghiên cứu, bạn sẽ cần đưa ra chấp nhận cho con bạn tham gia bằng cách đọc và ký tên vào **Phiếu chấp thuận tham gia nghiên cứu**. Tùy thuộc vào tuổi của con bạn, cháu cũng có thể đưa ra chấp nhận bằng cách ký **Phiếu đồng ý tham gia nghiên cứu**.



Bác sĩ nghiên cứu sẽ thu thập thông tin và làm xét nghiệm/kiểm tra để đảm bảo nghiên cứu phù hợp với con bạn.

Các xét nghiệm và kiểm tra sức khỏe



Xét nghiệm máu



Chỉ số khối cơ thể



Xét nghiệm hô hấp



Đo vòng đầu



Hoạt động của tim



Chụp hình tim



Chiều cao



Bệnh sử



Xem xét thuốc



Kiểm tra sức khỏe tâm thần*



Khả năng cử động



Khám thần kinh



Khám thể chất



Kiểm tra chức năng nuốt



Xét nghiệm nước tiểu



Dấu hiệu sinh tồn



Cân nặng



X-quang

*Kiểm tra sức khỏe tâm thần có thể không áp dụng (với trẻ < 7 tuổi)

Lần khám ban đầu (Bắt đầu nghiên cứu)

Lần khám 1 Ngày: _____ Giờ: _____

Con bạn sẽ nhận được một thuốc steroid (prednisolone) hoặc giả dược 24 giờ trước khi nhận điều trị nghiên cứu, tùy thuộc vào nhóm mà cháu tham gia.

Các xét nghiệm và kiểm tra sức khỏe



Xét nghiệm máu



Chỉ số khối cơ thể



Xét nghiệm hô hấp



Đo vòng đầu



Hoạt động của tim



Chiều cao



Xem xét thuốc



Khả năng cử động



Giám sát cử động*



Dịch ngoáy mũi



Khám thần kinh



Khám thể chất



Xét nghiệm nước bột



Xét nghiệm phân



Kiểm tra chức năng nuốt



Xét nghiệm nước tiểu



Dấu hiệu sinh tồn



Cân nặng

*Một số người tham gia có thể được cấp một thiết bị giống đồng hồ đeo tay để theo dõi cử động. Thiết bị này sẽ được đeo ở nhà.

Giai đoạn điều trị (Nằm viện)

Ngày: _____ Giờ: _____

Con bạn sẽ được nhận OAV101 hoặc thủ thuật giả vờ tại bệnh viện và ở lại qua đêm một vài ngày.

Các xét nghiệm và kiểm tra sức khỏe



Xét nghiệm
máu



Xem xét
thuốc



Dịch ngoáy
mũi



Khám thần kinh



Khám thể
chất



Xét nghiệm
nước bột



Chọc dò
tủy sống



Xét nghiệm
phân



Xét nghiệm
nước tiểu



Dấu hiệu
sinh tồn



Cân nặng

Con bạn sẽ được theo dõi liên tục trong suốt nghiên cứu về bất kỳ tác dụng phụ nào từ thuốc nghiên cứu.

Giai đoạn theo dõi 1 (1 năm)

Trong thời gian này, con bạn sẽ có 18 lần thăm khám để làm xét nghiệm/kiểm tra: một lần mỗi tuần trong tháng đầu tiên, một lần mỗi 2 tuần từ tuần 5 đến tuần 12 và sau đó là một lần mỗi 4 tuần.

Con bạn sẽ không phải làm tất cả xét nghiệm/kiểm tra tại mỗi lần thăm khám.

Các xét nghiệm và kiểm tra sức khỏe

				
Xét nghiệm máu	Chỉ số khối cơ thể	Xét nghiệm hô hấp	Hoạt động của tim	Chụp hình tim
				
Chiều cao	Điểm cải thiện	Xem xét thuốc	Kiểm tra sức khỏe tâm thần**	Khả năng cử động
				
Giám sát cử động*	Dịch ngoáy mũi	Khám thần kinh	Khám thể chất	Bảng câu hỏi
				
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	X-quang		

Con bạn sẽ được theo dõi liên tục trong suốt nghiên cứu về bất kỳ tác dụng phụ nào từ thuốc nghiên cứu.

*Một số người tham gia có thể được cấp một thiết bị giống đồng hồ đeo tay để theo dõi cử động. Thiết bị này sẽ được đeo ở nhà. **Kiểm tra sức khỏe tâm thần có thể không áp dụng cho trẻ em dưới 7 tuổi.

Giai đoạn theo dõi 1

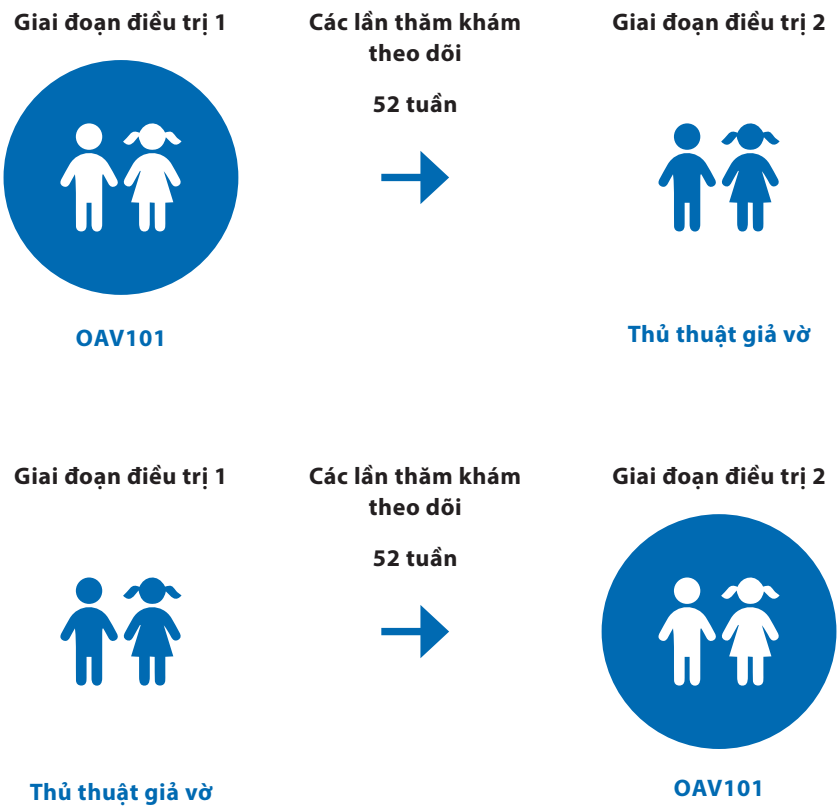
(18 lần thăm khám)

Sử dụng bảng dưới đây để theo dõi các lần thăm khám theo lịch của con bạn và thông tin quan trọng cần chia sẻ với bác sĩ nghiên cứu.

Lần thăm khám	Tuần	Ngày/giờ theo lịch	Ghi chú và lời nhắc
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		

Giai đoạn điều trị 2

Sau khi hoàn thành 1 năm cho các lần thăm khám theo dõi, con bạn sẽ có một vài lần kiểm tra sức khỏe để đảm bảo cháu đủ điều kiện tham gia vào giai đoạn điều trị 2. Những trẻ đủ điều kiện đã nhận OAV101 trong giai đoạn điều trị 1 sẽ có thủ thuật giả vờ trong giai đoạn điều trị 2. Những trẻ đủ điều kiện đã nhận thủ thuật giả vờ trong giai đoạn điều trị 1 bây giờ sẽ được nhận OAV101.



Giai đoạn điều trị 2 (Nằm viện)

Ngày: _____ Giờ: _____

Con bạn sẽ được nhận OAV101 hoặc thủ thuật giả vờ tại bệnh viện và sẽ ở lại qua đêm một vài ngày.

Các xét nghiệm và kiểm tra sức khỏe



Xét nghiệm
máu



Xem xét
thuốc



Dịch ngoáy
mũi



Khám thần kinh



Khám thể
chất



Xét nghiệm
nước bọt



Chọc dò
tủy sống



Xét nghiệm
phân



Xét nghiệm
nước tiểu



Dấu hiệu
sinh tồn



Cân nặng

Con bạn sẽ được theo dõi liên tục trong suốt nghiên cứu về bất kỳ tác dụng phụ nào từ thuốc nghiên cứu.

Giai đoạn theo dõi 2 (12 tuần)

Trong thời gian này, con bạn sẽ có 8 lần thăm khám để làm xét nghiệm/kiểm tra: một lần mỗi tuần, sau đó là một lần mỗi 2 tuần. Con bạn sẽ không phải làm tất cả xét nghiệm/kiểm tra tại mỗi lần thăm khám.

Các xét nghiệm và kiểm tra sức khỏe

				
Xét nghiệm máu	Chỉ số khối cơ thể	Hoạt động của tim	Chụp hình tim	Chiều cao
				
Điểm cải thiện	Xem xét thuốc	Kiểm tra sức khỏe tâm thần**	Khả năng cử động	Giám sát cử động*
				
Dịch ngoáy mũi	Khám thần kinh	Khám thể chất	Bảng câu hỏi	Xét nghiệm nước bọt
				
Xét nghiệm phân	Kiểm tra chức năng ruột	Điểm triệu chứng	Xét nghiệm nước tiểu	Dấu hiệu sinh tồn
				
Cân nặng				

*Một số người tham gia có thể được cấp một thiết bị giống đồng hồ đeo tay để theo dõi cử động. Thiết bị này sẽ được đeo ở nhà.

**Kiểm tra sức khỏe tâm thần có thể không áp dụng cho trẻ em dưới 7 tuổi.

Giai đoạn theo dõi 2 (18 lần thăm khám)

Sử dụng bảng dưới đây để theo dõi các lần thăm khám theo lịch của con bạn và thông tin quan trọng cần chia sẻ với bác sĩ nghiên cứu.

Lần thăm khám	Tuần	Ngày/giờ theo lịch	Ghi chú và lời nhắc
1	53		
2	54		
3	55		
4	56		
5	58		
6	60		
7	62		
8	64		

Thông tin người liên hệ của nghiên cứu

Tên bác sĩ nghiên cứu:

Số điện thoại:

Tên điều phối viên nghiên cứu:

Số điện thoại:

Email:

Hãy liên hệ nhóm nghiên cứu nếu bạn có bất kỳ câu hỏi nào hoặc nếu bạn cần lên lại lịch một cuộc hẹn.

Bảng thuật ngữ



Xét nghiệm máu: Các mẫu máu sẽ được lấy để xem xét các tế bào máu và thuốc nghiên cứu có thể làm gì bên trong cơ thể. Xét nghiệm máu có thể đo có bao nhiêu lượng thuốc nghiên cứu ở trong cơ thể và thuốc có thể ảnh hưởng đến các bộ phận khác của cơ thể như thế nào. Người tham gia đã bắt đầu có kinh nguyệt sẽ được làm xét nghiệm máu để xem có mang thai hay không.



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



Xét nghiệm hô hấp: Con bạn 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 thở không khí ra nhanh đến mức nào.



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



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 con bạn. Để làm xét nghiệm này, con bạn sẽ nằm xuống và các miếng dán nhỏ (điện cực) sẽ được gắn lên ngực cháu. Các miếng dán này được kết nối với các 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 con bạn.



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



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



Phiếu chấp thuận tham gia nghiên cứu: Nếu bạn đồng ý cho con tham gia nghiên cứu, bạn sẽ ký các phiếu để thể hiện sự chấp nhận của bạn. Con bạn cũng có thể đưa ra chấp nhận tham gia bằng cách ký tên vào phiếu đồng ý tham gia nghiên cứu.



Bệnh sử: Bác sĩ sẽ đặt câu hỏi về sức khỏe của con bạn, bao gồm bệnh SMA của cháu và bất kỳ phẫu thuật nào cháu có thể đã có.

Bảng thuật ngữ



Xem xét thuốc: Bác sĩ nghiên cứu sẽ đặt câu hỏi về các loại thuốc con bạn đang dùng và đã dùng trước đây.



Kiểm tra sức khỏe tâm thần: Con bạn (nếu trên 7 tuổi) sẽ trả lời một số câu hỏi về tâm trạng và hành vi của cháu và liệu cháu có cảm thấy buồn không.



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



Giám sát cử động: Một số người tham gia có thể được cấp 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 con bạn.



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



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



Bảng câu hỏi: Là người chăm sóc của con bạn, bạn sẽ điền vào một bảng câu hỏi về mức độ ảnh hưởng của bệnh SMA của cháu tới đời sống hàng ngày của bạn.



Xét nghiệm nước bọt: Con bạn 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.



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



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



Kiểm tra khả năng nuốt: Một chuyên gia sẽ đánh giá xem con bạn 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 con bạn và chúng ảnh hưởng thế nào đến khả năng làm các nhiệm vụ mỗi ngày của cháu.



Xét nghiệm nước tiểu: Một mẫu nước tiểu của con bạn sẽ được xét nghiệm để tìm một số thứ như đường, protein và máu. Người tham gia đã bắt đầu có kinh nguyệt 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, nhịp thở, nhịp tim (mạch) và huyết áp của con bạn để xem tim của con bạn bơm máu như thế nào.



Cân nặng: Bác sĩ nghiên cứu sẽ sử dụng một cái cân để cân con bạn trong khi cháu không đi giày và mặc quần áo nhẹ. Ai đó sẽ giúp nâng đỡ con bạn trên cân trong khi cháu được cân.



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

Ghi chú và lời nhắc

This image shows a single sheet of white paper with horizontal ruling lines. The lines are evenly spaced and run across the width of the page. There are no margins, text, or other markings on the paper.

This image shows a single sheet of white paper with horizontal ruling lines. The lines are evenly spaced and run across the width of the page. There are no margins, text, or other markings on the paper.

