



# Estudio Clínico de NOVARTIS

## DECOAV101A12301 – STEEROTE



Bogotá D.C. 09 de junio de 2023

**Famecol S&S**  
**Fundación Atrofia Muscular Espinal Colombia Sara & Sofia**  
**Ciudad**

**Ref:** Estudio **COAV101A12301 – STEER**. "Estudio aleatorizado, controlado con terapia simulada, doble ciego, para evaluar la eficacia y la seguridad del OAV101 intratecal en pacientes con atrofia muscular espinal (AME) de tipo 2 de aparición tardía que tienen  $\geq 2$  a  $< 18$  años de edad, no han recibido tratamiento previo, se pueden sentar y no caminan."

Reciban un cordial saludo de mi parte. Quisiera informarle que actualmente el Hospital Universitario San Ignacio (HUSI) está llevando a cabo el estudio OAV101A12301 – STEER. "Estudio aleatorizado, controlado con terapia simulada, doble ciego, para evaluar la eficacia y la seguridad del OAV101 intratecal en pacientes con atrofia muscular espinal (AME) de tipo 2 de aparición tardía que tienen  $\geq 2$  a  $< 18$  años de edad, no han recibido tratamiento previo, se pueden sentar y no caminan" patrocinado por NOVARTIS en el cual participo como Investigador Principal.

El propósito de este estudio es comparar la eficacia del OAV101 intratecal frente al control con placebo y medir los cambios de la función motora de los pacientes.

Por lo anterior, quisiera invitarlo a que si alguno de sus pacientes cumple con los criterios principales de elección le agradecería se comunique con los datos registrados al final de esta comunicación.

Criterios de Inclusión:

- Diagnóstico confirmado o sospecha diagnóstica de Atrofia Muscular Espinal.
- El paciente no debe haber recibido tratamiento previo con ninguna terapia dependiente de SMN.
- Edad entre  $\geq 2$  años y  $< 18$  años de edad.
- Inicio de signos y síntomas clínicos a los  $\geq 6$  meses de edad

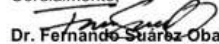
Si desea conocer más información relacionada con el protocolo, por favor comuníquese con:

- Dr. Fernando Suárez Obando, Investigador Principal. Teléfono 601 5946161 Ext. 2473 e-mail: [fsuarez@husi.org.co](mailto:fsuarez@husi.org.co)
- Dr. Adriana Tibaduiza, Sub Investigadora. Teléfono 3138719895, e-mail: [altibaduiza@husi.org.co](mailto:altibaduiza@husi.org.co)
- Katherine Castrillón, Coordinadora del Estudio. Teléfono 3123778139, e-mail: [kcvelez@husi.org.co](mailto:kcvelez@husi.org.co)

Los pacientes o familiares que quieran dejar sus datos de contacto también pueden acceder a la siguiente dirección web: [Formulario](#).

Agradezco de antemano y quedo atento a cualquier respuesta y/o comentario.

Cordialmente,

  
**Dr. Fernando Suárez Obando**  
Investigador Principal STEER  
Hospital Universitario San Ignacio

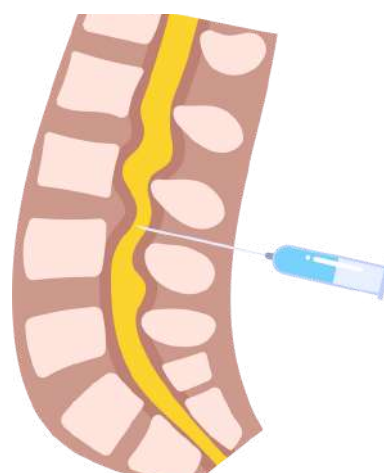


# Estudio Clínico de NOVARTIS

## DECOAV101A12301 – STEEROTE

### DECOAV101A12301

es el nombre del estudio clínico de fase III patrocinado por **Novartis** INICIADO EN EL 2021, para evaluar la eficacia y seguridad de OAV-101 en pacientes con atrofia muscular espinal (AME) tipo 2 y 3.



### Algunos de los Criterios de inclusión

- Diagnóstico confirmado o sospecha diagnóstica de Atrofia Muscular Espinal.
- El paciente no debe haber recibido tratamiento previo con ninguna terapia dependiente de SMN.
- Edad entre  $\geq 2$  años y  $< 18$  años de edad
- Inicio de signos y síntomas clínicos a los  $\geq 6$  meses de edad
- Pacientes con un peso corporal  $\geq 10$  kg y  $\leq 60$  kg en el momento de la firma del consentimiento informado
- Pacientes con un estado general aceptable, definido como una puntuación  $\geq 3$  en la escala Lansky o Karnofsky según la edad.
- Debe poder sentarse y no caminar

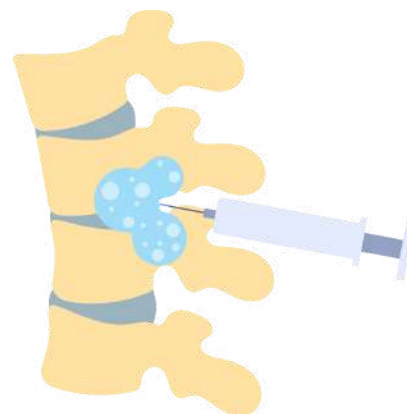


# Estudio Clínico de NOVARTIS







## DECOAV101A12301 – STEEROTE

### DECOAV101A12301

El objetivo principal de este estudio es medir el cambio en la puntuación de la versión ampliada de la escala Hammersmith para la función motora (HFMSE) a los 12 meses después del tratamiento con OV101A12301



### Algunos de los Criterios de Exclusión

-  Pacientes con evidencia clínica o radiológica de hidrocefalia, anomalías estructurales del sistema nervioso central o enfermedades neurológicas concurrentes que puedan interferir con la evaluación del estudio.
-  Pacientes con antecedentes de malignidad activa o en remisión en los últimos 5 años, excepto carcinoma basocelular o espinocelular tratado localmente.
-  Pacientes con antecedentes de reacción alérgica grave a cualquier componente de OAV-101 IT o a otros productos derivados de baculovirus o Spodoptera frugiperda (gusano cogollero).
-  Pacientes con antecedentes de trasplante de órganos sólidos o células madre hematopoyéticas.
-  Pacientes con infección activa por citomegalovirus (CMV), virus de Epstein-Barr (EBV), virus herpes simple (HSV), virus varicela-zóster (VZV), virus del papiloma humano (HPV), virus de la hepatitis B (HBV), virus de la hepatitis C (HCV) o virus de la inmunodeficiencia humana (VIH).
-  Pacientes con antecedentes o evidencia actual de enfermedad hepática significativa, definida como una elevación persistente (> 6 meses) de las transaminasas séricas (AST y/o ALT) > 3 veces el límite superior de la normalidad (ULN) o una bilirrubina total > 2 veces el ULN

# Estudio Clínicos ATROFIA MUSCULAR ESPINAL en Colombia

Abierto  
Reclutando  
Pacientes

## Mayor Información

FUNDACION ATROFIA MUSCULAR ESPINAL  
DE COLOMBIA SARA Y SOFIA  
(Famecol S&S)

**Email**

registrodepacientes@famecolombia.org

**teléfono**

+57 316 8531503

[www.famecolombia.org](http://www.famecolombia.org)



### investigadores del estudio

**Dr. Fernando Suárez-Obando.**

Investigador Principal.  
Teléfono 601 5946161 Ext. 2473  
e mail: fsuarez@husi.org.co

**Dr. Adriana Tibaduiza.**

Sub Investigadora.  
Teléfono 3138719895,  
e-mail: altibaduiza@husi.org.co

**Katherine Castrillón.**

Coordinadora del Estudio.  
Teléfono 3123778139,  
e-mail: kcvelez@husi.org.co

Hospital Universitario San Ignacio  
Bogotá - Colombia



Más información sobre el ensayo  
está disponible en

<https://www.novartis.com/clinicaltrials/NCT05089656>