

招募 1 型脊髓性肌萎缩患者

尊敬的患者家属：

目前复旦大学附属儿科医院正在进行一项治疗 1 型脊髓性肌萎缩的临床研究。该研究已获国家药品监督管理局批准，临床试验批准通知书编号为：2022LP00989。

目前本院正在为这项“一项在 1 型脊髓性肌萎缩患者中评估静脉注射 EXG001-307 后的安全性和有效性的多中心、单臂、非随机、开放性临床试验（方案编号：EXG001-307-102）”招募患者；该研究预计招募 9-24 例 1 型脊髓性肌萎缩患者；该研究已获得本院伦理委员会批准，同意进行此项临床研究。

主要入选条件：

- 1) 年龄不超过出生后第 180 天
- 2) 经双侧等位基因 SMN1 突变（缺失或点突变）基因诊断为 SMA；具有 2 个拷贝 SMN2 基因；
- 3) 临床病史、体征符合 1 型 SMA 表现，即肌张力减退，运动功能发育滞后、头部控制不佳、圆肩姿势和关节过度活动；

主要排除条件：

- 1) 出生时胎龄小于 35 周（245 天）
- 2) 筛选期时，在清醒或睡眠且未接受任何辅助供氧或呼吸支持时，血氧饱和度 $<96\%$ 。
- 3) 需要有创通气或气管切开术，或当前使用无创通气支持平均 ≥ 16 小时/天。
- 4) 筛选前 2 周内患有严重非呼吸道疾病；筛选前 4 周内患有上呼吸道感染或下呼吸道感染。
- 5) 既往使用过其他 SMA 治疗药物（如诺西那生纳、利司扑兰及 Zolgensma 等）或参加过其他 SMA 治疗药物的临床研究（包括但不限于上述 3 种药物）。

如果您想详细咨询或参加本项目，请随时与研究医生联系：

复旦大学附属儿科医院联系人：朱医生

联系电话：18101843510

地址：上海市万源路 399 号