

NAVN:

Patientnummer

CPR:

Screening
CT-AMT-061-02 HOPE-B

Screening visit (ca. 4 uger før Visit L1 Lead-in)	
Informeret samtykke	0
In- eksklusionskriterier	0
Medical History inkl. : Historik og blødningsstatus Operationer (PI) Ledstatus HJHS (FYS)	0
Objektiv undersøgelse	0
Registrering af concom. medicin	0
Adverse events	0
Instruktion af patienten i e-dagbog, som udleveres af KAT	0
Værdier	Blodtryk: Puls: Temp: Højde: Vægt:
Spørgeskemaer QoL udl. af projektspl. Hver patient har sin egen mappe med skemaer på Rikkes kontor. OBS. Det tager ca. 45 min at udfylde	0
Blodprøve til eget lab. : KF9, KF9AB, ASAT, ALAT,	0
Projekt blodprøver RGH00062 og sædprøve til Central lab. Kit udleveres af KAT lab inden besøget. Prøverne tages på 5001.	0

NB! Husk at få udleveret arbejdsark af proj.spl Rikke Bo til dette besøg.

NAVN:

Behandlingskema Visit L og D

Patientnummer _____

CPR:

CT-AMT-061-02 HOPE-B

Trial period	Lead-in fase			IMP Dose administration (Frankfurt) ⁹		
	L1 (WO) ¹	L2- LX ²	L final	D pre-IMP	D	D post IMP 3t
Vindue	+/-14 dage	+/-14 dage	+/-14 dage	0	0	+/- 15 min
Dato						
In-/ eks. kriterier			0	0		
Informeret samtykke			0			
Administration af IMP					0	
Udtrapning af profylaktisk FIX						Se F1
Dosis af patientens profy faktor IX ³			0			0
Gennemgang af e- dagbog proj. spl. ⁴	0	0	0	0	0	0
Registrering af blødningsepisoder og FIX behandling i e- dagbog og af PI	0	0	0	0	0	0
Concom. medicin	0	0	0	0	0	0
Objektiv undersøgelse ⁵			0	0		
Ledstatus ⁶			0			
AE registrering ⁷	0	0	0	0	0	0
Værdier			0	0		0
Vægt			0			
lokal lab ⁸	0	0	0	0		
Projektprøver Sæd				0		
Projektprøver Blod Glas udleveres af proj.spl. 5-0509	0	0	0	0		0
Spørgeskema QoL udlev. af proj.spl.		L3	0			

NAVN:
CPR:**Behandlingskema Visit L og D**
CT-AMT-061-02 HOPE-B

Patientnummer _____

NB! Husk at få udleveret arbejdsark af proj.spl Rikke Bo til disse besøg.

1. Alle patienter gennemgår en washout periode fra deres normale faktor IX præparat, så vi får en dal værdi for FIX activity på Visit L1. 3-10 dage. Dette planlægges med PI.
2. Lead-in fasen varer min. 6 mdr. og varierer. Besøgene ligger hver 2. mdr og L2 starter 8 uger efter L1. Når kriterierne for IMP administration er opfyldt, og de er godkendt af sponsor går man til visit D
3. Forsøgspersonen fortsætter sin vanlige FIX profylakse frem til Doseringsbesøget. Iflg protokol skal profylakse-dosering tilpasses, så han på dag D er tættest muligt på sit trough/baseline. Hvis D foregår i udlandet, og forsøgspersonen skal flyve dertil, må sikkert profylaktisk niveau af FIX dog prioriteres frem for lav baseline. Profylakse tages på dag D efter indgift af IMP. Besøg F1 er 1 uge efter besøg D. Patienten kan tage vanlig dosis standard half life imellem besøg D og F1, men skal ikke tage yderligere reFIX imellem D og F, hvis han anvender EHL.
4. Der udleveres en e-dagbog til patienten, som han oplæres i af proj.spl. Meget vigtigt at patienten kan og vil bruge denne dagbog. Proj. spl. checker ugentligt i ERT at der tastes.
5. Objektiv undersøgelse: Generelt klinisk indtryk, almentilstand, grad af påvirkethed, Lymfadenopati, inspektion af øjne, otoskopi, inspektion af fauces og mundhule, hjerte- og lungestetoskopi, abdominal inspektion og palpation, inspektion af store led, inspektion for ødemer på ekstremiteter, inspektion af hud. Neurologisk: Gang, Romberg, FNF, FFF, dysdiadokokinese.
6. HJHS bruges af vores fysioterapeuter, som laver undersøgelsen. Dette skal planlægges i god tid.
7. AE'er indsamles og registreres i CRF'en fra underskrevet samtykke og til patienten udgår af studiet.
8. Lokale prøver i vores eget lab er: FIX: one-stage aPTT for FIX activity (KF9), FIX inhibitors (KF9ab), ASAT(ASAT) og ALAT (ALAT)
9. Vores patienter i denne protokol, skal doseres i Frankfurt, da de har mulighed for at blande forsøgsstoffet i et GMO klassificeret lab.
Se vejledning for at planlægge rejsen.

NAVN:
 CPR:

Besøg F1 til F Final
CT-AMT-061-02 HOPE-B

Patientnummer _____

Trial period	Post-treatment Follow-up											
	Visit F1 til F12 hver uge											
Besøg	F1	F2	F3	F4	F5	F6	F7	F8	F9	F10	F11	F12
Vindue	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2	+/- 2
Dato												
Objektiv undersøgelse ¹	0	0		0		0						0
Concom. medication	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
AE'er ²	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Værdier: BT, Puls, Temp.	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Projektprøver Blod ³	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Projektprøver sæd ⁴						0						0
Lokale blodprøver ⁵	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Gennemgang af e-dagbog proj. spl. ⁶	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Registrering af blødningsepisoder og FIX behandling i e-dagbog og af PI ⁷	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0

NB! Husk at få udleveret arbejdsark af proj.spl Rikke Bo til dette besøg.

NAVN:
 CPR:

Besøg F1 til F Final
CT-AMT-061-02 HOPE-B

Patientnummer _____

Trial period	Post-treatment Follow-up								
	Visit F13 til F Final hver måned								
Besøg	F13	F14	F15	F16	F17	F18	F19	F20	F Final
Vindue	+/- 5	+/- 5	+/- 5	+/- 5	+/- 5	+/- 5	+/- 5	+/- 5	+/- 5
Dato									
Objektiv undersøgelse ¹	0		0		0		0		0
Concom. medication	0	0	0	0	0	0	0	0	0
AE'er ²	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Værdier: BT, Puls og temp.	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Projektprøver Blod ³	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Projektprøver Sæd ⁴	0		0						0
Lokale blodprøver ⁵	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Ledstatus HJHS (Fys) ⁸									0
Spørgeskema QoL udlev. af proj.spl. ⁹			0						0
Gennemgang af e-dagbog proj. spl. ⁶	0	0	0	0	0	0	0	0	0
Registrering af blødningsepisoder og FIX behandling i e-dagbog og af PI ⁷	0	0	0	0	0	0	0	0	0

NB! Husk at få udleveret arbejdsark af proj.spl Rikke Bo til dette besøg.

NAVN:
CPR:

Besøg F1 til F Final
CT-AMT-061-02 HOPE-B

Patientnummer _____

1. Objektiv undersøgelse: Generelt klinisk indtryk, almentilstand, grad af påvirkethed, Lymfadenopati, inspektion af øjne, otoskopi, inspektion af fauces og mundhule, hjerte- og lungestetoskopi, abdominal inspektion og palpation, inspektion af store led, inspektion for ødemer på ekstremiteter, inspektion af hud. Neurologisk: Gang, Rhomberg, FNF, FFF, dysdiadokokinese.
2. AE'er indsamles og registreres i CRF'en fra underskrevet samtykke og til patienten udgår af studiet.
3. Glas udleveres af proj. spl. 5-0509 og prøverne tages i 5001
4. Sædprøven må laves hjemme på dagen eller dagen før. Husk at udlevere kop til opsamling. Afleveres til proj. spl. 5-0509
5. Lokale prøver i vores eget lab er: FIX: one-stage aPTT for FIX activity (KF9), FIX inhibitors (KF9AB), ASAT og ALAT

Inhibitor kun på F6, F12, F15 og F-Final
6. Dagbogen gennemgås ugentligt af proj. spl i ERT
7. Patienten opfordres til at taste blødninger og faktor medicin i dagbogen. Der skal registres dagligt.
8. HJHS bruges af vores fysioterapeuter, som laver undersøgelsen. Dette skal planlægges i god tid.
9. Spørgeskemaer QoL udl. af projektspl. Hver patient har sin egen mappe med skemaer på Rikkes kontor. OBS. Det tager ca. 45 min at udfylde