

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۲۲

## مطالعه پاسخ درمانی بیماران مبتلا به نوتروپنی مادرزادی شدید به داروی جدید پی دی لستا و بررسی عوارض زودرس و دیررس این دارو

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

بررسی فواید و عوارض مصرف داروی پی دی لستا در بیماران مبتلا به نوتروپنی مادرزادی با سن بالای 12 سال

#### طراحی

10 بیمار بالای 12 سال که قبلاً تحت درمان با پی دی گراستیم بوده اند و تمام معیارهای ورود به مطالعه را دارند پس از اخذ رضایت آگاهانه وارد این مطالعه کارآزمایی بالینی می شوند.

#### نحوه و محل انجام مطالعه

بیماران داروی پی دی لستا را طبق پروتکل به صورت رایگان دریافت می کنند، سپس به منظور بررسی اثرات بالینی، شمارش سلول های خونی، بررسی عوارض جانبی و تعیین دوز دارو مراجعه هفتگی تا 3 ماه و سپس ماهانه دارند.

#### شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

شرایط ورود: بیماران مبتلا به نوتروپنی مادرزادی شدید بالای 12 سال که قبلاً تحت درمان با فیلگراستیم بوده اند، با توقف در رده میلوئید، فاقد جهش در ژن گیرنده فاکتور تحریک گرانولوسیت؛ شرایط عدم ورود: بیماران مبتلا به نوتروپنی با علل دیگر، دچار بیماری های همزمان دیگر یا اسپلنومگالی شدید

#### گروه های مداخله

توزیع پی دی لستا به بیماران و بررسی علایم بالینی و سنجش میزان نوتروفیل ها در خون  
متغیرهای پیامد اصلی  
افزایش تعداد مطلق نوتروفیل ها و کاهش تعداد عفونت ها و بستری ها به دلیل عفونت

### اطلاعات عمومی

#### علت بروز رسانی

#### نام اختصاری

#### اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20150125020786N3

تاریخ تایید ثبت در مرکز: ۱۳۹۷/۰۴/۱۷, 08-07-2018

زمان بندی ثبت: prospective

آخرین بروز رسانی: ۱۳۹۷/۰۴/۱۷, 08-07-2018

تعداد بروز رسانی ها: 0

تاریخ تایید ثبت در مرکز

۱۳۹۷/۰۴/۱۷, 2018-07-08

#### اطلاعات تماس ثبت کننده

##### نام

مرضیه مداح

##### نام سازمان / نهاد

مرکز تحقیقات ایمنولوژی، آسم و آلرژی

##### کشور

جمهوری اسلامی ایران

##### تلفن

5855 6693 21 98+

##### آدرس ایمیل

pourpakz@tums.ac.ir

#### وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

#### منبع مالی

Pooyesh Darou Pharmaceuticals Company, Tehran, Iran

#### تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

۱۳۹۷/۰۵/۰۱, 2018-07-23

#### تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

۱۳۹۸/۰۵/۰۱, 2019-07-23

#### تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

#### تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

#### تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

#### عنوان علمی کارآزمایی

مطالعه پاسخ درمانی بیماران مبتلا به نوتروپنی مادرزادی شدید به داروی جدید پی دی لستا و بررسی عوارض زودرس و دیررس این دارو

#### عنوان عمومی کارآزمایی

مطالعه پاسخ درمانی بیماران مبتلا به نوتروپنی مادرزادی شدید به داروی جدید پی دی لستا و بررسی عوارض زودرس و دیررس این دارو

#### هدف اصلی مطالعه

درمانی

#### شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

#### شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

بیماران بزرگسال و کودکان بالای 12 سال مبتلا به نوتروپنی شدید مادرزادی نمونه بیوپسی مغز استخوان توقف در رده میلوئید تایید شده باشد پاسخ مثبت درمانی به فیلگراستیم عدم وجود جهش در گیرنده

فاکتور تحریک کننده گرانولوسیت سونوگرافی کبد و طحال نرمال باشد رضایت نامه ورود به مطالعه را امضا کرده باشد توانایی بیمار جهت پیگیری طبق پروتکل  
**شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:**  
 نوتروپنی ثانویه به کموتراپی یا بیماری دیگر سابقه ایجاد عارضه تهدید کننده حیات نظیر آنافیلاکسی و پارگی طحال و... با مصرف فیلگراستیم عدم توانایی بیمار جهت پیگیری طبق پروتکل اسپلنومگالی شدید وجود بیمارهای همزمان (بیمارهای قلبی عروقی و یا بیمارهای کبدی و ...)

**سن**

از سن 12 ساله

**جنسیت**

هر دو

**فاز مطالعه**

1-2

**گروه‌های کور شده در مطالعه**

اطلاعات موجود نیست

**حجم نمونه کل**

حجم نمونه پیش‌بینی شده: 10

**تصادفی سازی (نظر محقق)**

مصادق ندارد

**توصیف نحوه تصادفی سازی**

کور سازی (به نظر محقق)

کور نشده است

**توصیف نحوه کور سازی**

دارو نما

ندارد

**اختصاص به گروه‌های مطالعه**

تنها

سایر مشخصات طراحی مطالعه

## کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین‌المللی

خالی

## تاییدیه کمیته‌های اخلاق

**1**

**کمیته اخلاق**

**نام کمیته اخلاق**

کمیته اخلاق مرکز تحقیقات ایمونولوژی آسم و آلرژی

**آدرس خیابان**

انتهای بلوار کشاورز، خیابان دکتر فریب، مرکز طبی کودکان،

طبقه چهارم، مرکز تحقیقات ایمونولوژی آسم و آلرژی

**شهر**

تهران

**استان**

تهران

**کد پستی**

1419733151

**تاریخ تایید**

1392/10/14, 2014-01-04

**کد کمیته اخلاق**

182412

## بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

**1**

**شرح**

نوتروپنی مادرزادی

**کد ICD-10**

D70

**توصیف کد ICD-10**

Neutropenia

## متغیر پیامد اولیه

**1**

**شرح متغیر پیامد**

تعداد مطلق نوتروفیل‌ها

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

ابتدای مطالعه، روز هفتم، روز چهاردهم روز بیست و یک، روز بیست

وهشت، روز سی و پنج، روز چهل و دوم، روز چهل و نهم، روز پنجاه و

ششم، روز شصت و سوم، روز هفتم، روز هشتاد و هفتم، روز هشتاد

و چهارم، روز نود و یکم و سپس هر ماه تا زمانی که دارو دریافت

میشود

**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

از طریق نمونه خون

## متغیر پیامد ثانویه

**1**

**شرح متغیر پیامد**

عفونت

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

هر ماه

**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

پرسشنامه بالینی

**2**

**شرح متغیر پیامد**

دفعات بستری در بیمارستان

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

هر ماه

**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

ثبت دفعات بستری در پرسشنامه

## گروه‌های مداخله

**1**

**شرح مداخله**

داروی PEG GCSF تولید شرکت پویش دارو به صورت هفتگی یا

دوهفته یک بار شروع شده و بسته به پاسخ بیمار میزان دارو به طور

ثابت تنظیم خواهد شد.

**طبقه بندی**

درمانی - داروها

## مراکز بیمار گیری

**1**

**مرکز بیمار گیری**

**نام مرکز بیمار گیری**

مرکز تحقیقات ایمونولوژی آسم و آلرژی

**نام کامل فرد مسؤل**

دکتر مرضیه مداح

**آدرس خیابان**

انتهای بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، بیمارستان مرکز طبی  
کودکان، ساختمان شماره 3، طبقه چهارم

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1419733151

تلفن

9589 6691 21 98+

ایمیل

marzieh.maddah@gmail.com

## حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی

نام سازمان / نهاد

شرکت پویش دارو

نام کامل فرد مسوول

آقای دکتر طباطبایی

آدرس خیابان

خیابان فاطمی، خیابان پنجم، شماره 13

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

123456798

تلفن

7248 8899 21 98+

ایمیل

info@pooyeshdarou.com

ردیف بودجه

کد بودجه

آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟

بلی

عنوان منبع مالی

شرکت پویش دارو

درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع

50

بخش عمومی یا خصوصی

خصوصی

مبدا اعتبار از داخل یا خارج کشور

داخلی

طبقه بندی منابع اعتبار خارجی

خالی

کشور مبدا

طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار

صنعتی

2

حمایت کننده مالی

نام سازمان / نهاد

مرکز تحقیقات ایمونولوژی، آسم و آلرژی

نام کامل فرد مسوول

دکتر زهرا پوریاک

آدرس خیابان

تهران، انتهای بلوار کشاورز، بیمارستان مرکز طبی کودکان،

ساختمان شماره 3، طبقه چهارم

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1419733151

تلفن

9589 6691 21 98+

ایمیل

pourpakz@tums.ac.ir

ردیف بودجه

کد بودجه

آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟

خیر

عنوان منبع مالی

مرکز تحقیقات ایمونولوژی، آسم و آلرژی

درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع

50

بخش عمومی یا خصوصی

عمومی

مبدا اعتبار از داخل یا خارج کشور

داخلی

طبقه بندی منابع اعتبار خارجی

خالی

کشور مبدا

طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار

دانشگاهی

## فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

مرکز تحقیقات ایمونولوژی آسم و آلرژی

نام کامل فرد مسوول

مرضیه مداح

موقعیت شغلی

پزشک متخصص، پژوهشگر

آخرین مدرک تحصیلی

متخصص

سایر حوزه های کاری/تخصص ها

کودکان

آدرس خیابان

انتهای بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، مرکز تحقیقات

ایمونولوژی آسم و آلرژی

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1419733151

تلفن

5855 6693 21 98+

فکس

ایمیل

marzieh.maddah@gmail.com

آدرس صفحه وب

## فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

مرکز تحقیقات ایمونولوژی آسم و آلرژی

نام کامل فرد مسوول

مصطفی معین

موقعیت شغلی

استاد، فوق تخصص ایمونولوژی آسم و آلرژی کودکان

آخرین مدرک تحصیلی

فوق تخصص

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

ایمونولوژی

آدرس خیابان

تهای بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، مرکز طبی کودکان، ساختمان شماره سه، طبقه چهارم، مرکز تحقیقات ایمونولوژی

آسم و آلرژی

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1419733151

تلفن

5855 6693 21 98+

فکس

ایمیل

mmoin@tums.ac.ir

آدرس صفحه وب

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

کودکان

آدرس خیابان

انتهای بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، مرکز طبی کودکان،

ساختمان شماره سه، طبقه چهارم، مرکز تحقیقات ایمونولوژی

آسم و آلرژی

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1419733151

تلفن

5855 6693 21 98+

فکس

ایمیل

marzieh.maddah@gmail.com

آدرس صفحه وب

### برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

توجه/علت عدم تصمیم/عدم انتشار IPD

بیمارگیری برای این مطالعه قبل از تاریخ 11 دی ماه 1397 خواهد بود.

پروتکل مطالعه

هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست

نقشه آنالیز آماری

مصادق ندارد

فرم رضایتنامه آگاهانه

هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست

گزارش مطالعه بالینی

هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست

کدهای استفاده شده در آنالیز

هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست

نظام دسته‌بندی داده (دیکشنری داده)

مصادق ندارد

### فرد مسوول به روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

مرکز تحقیقات ایمونولوژی آسم و آلرژی

نام کامل فرد مسوول

مرضیه مداح

موقعیت شغلی

بزشک پژوهشگر

آخرین مدرک تحصیلی

متخصص