

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۲۰

## بررسی میزان اثربخشی درمان توسط جایگزین کردن آنزیم با آگلوزیداز آلفا در بیماران مبتلا به نوع دیررس بیماری پمپه

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

بررسی اثرات درمانی و عوارض جایگزینی آنزیمی

#### طراحی

در این تحقیق بیماران نوع دیررس تحت بررسی قرار می گیرند که علائم بالینی از سنین نوجوانی شروع شده و در ابتدا به صورت ضعف عضلات اسکلتی می باشد و سپس به صورت درگیری سیستم قلبی و تنفسی بروز می کند.

#### نحوه و محل انجام مطالعه

20 میلی گرم آنزیم آلفا گلوکزیداز هر 14 روز به مدت 24 ماه

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

شرایط ورود: 1. ابتلا به پمپه دیررس 2. عدم دریافت درمان های آنزیمی شرایط خروج از مطالعه: 1. بارداری 2. عدم تمایل به شرکت در مطالعه 3. ابتلا به بیماریهای کبدی و کلیوی پیشرفته

#### گروه های مداخله

در این تحقیق بیماران نوع دیررس تحت بررسی قرار می گیرند که علائم بالینی از سنین نوجوانی شروع شده

#### متغیرهای پیامد اصلی

سطح آنزیم های عضلانی و عملکرد تنفسی

### اطلاعات عمومی

#### علت بروز رسانی

#### نام اختصاری

#### اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT2017111120981N2

تاریخ تایید ثبت در مرکز: ۱۳۹۶/۰۸/۲۸، 19-11-2017

زمان بندی ثبت: retrospective

آخرین بروز رسانی: 11-06-2018، ۱۳۹۷/۰۳/۲۱

تعداد بروز رسانی ها: 1

تاریخ تایید ثبت در مرکز

۱۳۹۶/۰۸/۲۸، 2017-11-19

#### اطلاعات تماس ثبت کننده

#### نام

خدیجه حاجی نقی تهرانی

#### نام سازمان / نهاد

دانشگاه آزاد اسلامی واحد تهران پزشکی

#### کشور

جمهوری اسلامی ایران

#### تلفن

1228 2257 21 98+

#### آدرس ایمیل

khtehrani@iautmu.ac.ir

#### وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

#### منبع مالی

معاونت پژوهشی دانشگاه آزاد اسلامی واحد پزشکی تهران

#### تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

۱۳۹۲/۱۲/۱۴، 2014-03-05

#### تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

۱۳۹۳/۱۲/۱۴، 2015-03-05

#### تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

۱۳۹۲/۱۲/۲۰، 2014-03-11

#### تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

۱۳۹۳/۱۲/۰۱، 2015-02-20

#### تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

#### عنوان علمی کارآزمایی

بررسی میزان اثربخشی درمان توسط جایگزین کردن آنزیم با آگلوزیداز آلفا در بیماران مبتلا به نوع دیررس بیماری پمپه

#### عنوان عمومی کارآزمایی

بررسی میزان اثربخشی درمان توسط جایگزین کردن آنزیم با آگلوزیداز آلفا در بیماران مبتلا به نوع دیررس بیماری پمپه

#### هدف اصلی مطالعه

درمانی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

ابتلا به پمپه دیررس عدم دریافت درمان های آنزیمی

شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

بارداری عدم تمایل به شرکت در مطالعه ابتلا به بیماریهای کبدی و

کلیوی پیشرفته

#### سن

بدون محدودیت سنی

#### جنسیت

هر دو

## فاز مطالعه

مصادق ندارد

## گروه‌های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

## حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش‌بینی شده: 2

حجم نمونه تحقق یافته: 2

## 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 در پژوهش دانشگاه آزاد اسلامی واحد تهران پزشکی

#### آدرس خیابان

خیابان خاقانی- دانشگاه آزاد اسلامی واحد تهران پزشکی

#### شهر

تهران

#### استان

تهران

#### کد پستی

19395-1495

#### تاریخ تایید

1394/12/05, 2016-02-24

#### کد کمیته اخلاق

IR.IAU.TMU.REC.1394.70

## بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

### 1

#### شرح

پمپه

#### کد ICD-10

E74.0

#### توصیف کد ICD-10

Glycogen storage disease

## متغیر پیامد اولیه

### 1

#### شرح متغیر پیامد

وضعیت تنفسی

#### مقاطع زمانی اندازه‌گیری

هر 6 ماه

## نحوه اندازه‌گیری متغیر

اسپیرومتری

### 2

#### شرح متغیر پیامد

وضعیت عضلانی

#### مقاطع زمانی اندازه‌گیری

هر 6 ماه

#### نحوه اندازه‌گیری متغیر

معاینه فیزیکی

## متغیر پیامد ثانویه

### 1

#### شرح متغیر پیامد

آنزیمهای عضلانی

#### مقاطع زمانی اندازه‌گیری

هر 6 ماه

#### نحوه اندازه‌گیری متغیر

بررسی آزمایشگاهی

## گروه‌های مداخله

### 1

#### شرح مداخله

20 میلی گرم آنزیم آلفا گلوکزیداز هر 14 روز

#### طبقه بندی

درمانی - داروها

## مراکز بیمار گیری

### 1

#### مرکز بیمار گیری

#### نام مرکز بیمار گیری

بیمارستان بوعلی

#### نام کامل فرد مسوول

دکتر خدیجه حاجی نفی تهرانی

#### آدرس خیابان

خیابان دماوند

#### شهر

تهران

#### استان

تهران

#### کد پستی

19395-1495

#### تلفن

6660 2200 21 98+

#### ایمیل

dr\_tehrani10@yahoo.com

## حمایت کنندگان / منابع مالی

### 1

#### حمایت کننده مالی

#### نام سازمان / نهاد

معاونت پژوهشی دانشگاه آزاد اسلامی واحد تهران پزشکی

## فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

**اطلاعات تماس**  
نام سازمان / نهاد  
بیمارستان بوعلی  
نام کامل فرد مسوول  
خدیجه حاجی نقی تهرانی  
موقعیت شغلی  
متخصص نورولوژی  
آخرین مدرک تحصیلی  
متخصص  
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
نورولوژی  
آدرس خیابان  
بیمارستان بوعلی  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
19395-1495  
تلفن  
8036 3334 21 98+  
فکس  
ایمیل  
Khtehrani@iautmu.ac.ir  
آدرس صفحه وب

## فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

**اطلاعات تماس**  
نام سازمان / نهاد  
بیمارستان بوعلی  
نام کامل فرد مسوول  
احسان جانقلی  
موقعیت شغلی  
دکتری حرفه ای  
آخرین مدرک تحصیلی  
دکترای پزشکی  
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
پزشکی عمومی  
آدرس خیابان  
بیمارستان بوعلی  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
19395-1495  
تلفن  
8036 3334 21 98+  
فکس  
ایمیل  
ehsanjangholi@yahoo.com  
آدرس صفحه وب

## برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)  
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد  
پروتکل مطالعه  
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

## نام کامل فرد مسوول

خانم الهام کوه بر  
آدرس خیابان  
خیابان خاقانی- دانشگاه آزاد اسلامی واحد تهران پزشکی  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
19395-1495  
تلفن  
6660 2200 21 98+  
ایمیل  
dr\_tehrani10@yahoo.com

## ردیف بودجه

کد بودجه  
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟  
بلی

## عنوان منبع مالی

معاونت پژوهشی دانشگاه آزاد اسلامی واحد تهران پزشکی  
درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع  
100

## 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  
بیمارستان بوعلی  
نام کامل فرد مسوول  
خدیجه حاجی نقی تهرانی  
موقعیت شغلی  
متخصص نورولوژی/ مجری طرح  
آخرین مدرک تحصیلی  
متخصص  
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
نورولوژی  
آدرس خیابان  
بیمارستان بوعلی  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
19395-1495  
تلفن  
3324 149 912 98+  
فکس  
ایمیل  
Khtehrani@iautmu.ac.ir  
آدرس صفحه وب

### **نقشه آنالیز آماری**

بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

### **فرم رضایتنامه آگاهانه**

بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

### **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)**

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

### **عنوان و جزئیات بیشتر در مورد داده/مستند**

فقط بخشی از دیتا‌های افراد مورد مطالعه به اشتراک گذاشته خواهد شد.

### **بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند**

5 ماه پس از چاپ

### **کسانی که اجازه دارند به داده/مستند دسترسی پیدا کنند**

فقط محققین دانشگاهی

### **به چه منظور و تحت چه شرایطی داده/مستند قابل استفاده است**

با اجازه رسمی محقق

### **برای دریافت داده/مستند به چه کسی یا کجا مراجعه شود**

از طریق نویسنده مسؤل طرح

### **یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند**

از طریق نامه رسمی خطاب به نویسنده مسؤل و در صورت موافقت

### **سایر توضیحات**