پروتکل کارآزمایی بالینی
مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۸/۲۱

اثربخشی سلول های بنیادی مزانشیمی بافت چربی آلوژن در تغییرات فنوتیپی مبتلایان به بیماری وردنیگ هافمن

چکیده پروتکل

چکیده

۱) اهداف: در حال حاضر درمانی برای وردنیگ هافمن وجود ندارد، یک راهکار که بطور فعالی در حال تحقیق و توسعه می باشد انتقال سلول های بنیادی جهت حفاظت نورون ها می باشد. می توان از سلول های غیر عصبی جهت جلوگیری از مرگ نورون های حرکتی استفاده نمود. برخی مطالعات استفاده از سلول های بنیادی خون ساز، سلول های میکروگلیا و سلول های بنیادی مزانشیمی را با تزریق به درون مایع مغزی نخاعی در حفاظت نورون های حرکتی موثر دانسته اند. از اینرو شاید تنها راه پیش روی چنین بیمارانی استفاده از سلول های بنیادی باشد که بتوانند فاکتورهای تروفیک را به سلول های در حال از دست رفتن برسانند. ۲) طراحی: در این مطالعه به کارآزمایی غیرتصادفی تاثیر سلول های بنیادی مزانشیمی بر تغییرات فنوتیپی احتمالی در این بیماران خواهیم پرداخت. ۳) نحوه انجام: پردازش بافت چربی و جداسازی سلول های مزانشیمی در شرایط GMP ، تکثیر سلول ها، آزمایشات کنترل کیفی، انجام تست الکترومیوگرام پیش از تزریق، اولین تزریق سلول ها با دوز نهایی ۱ میلیون سلول، بصورت اینتراتکال، تزریق دوم به فاصله ۲ هفته بعد با دوز ۳ میلیون سلول، آخرین تزریق به فاصله ۴ هفته پس از اولین تزریق با دوز نهایی ۵ میلیون سلول، نمونه برداری از مایع مغزی نخاعی جهت رویت وجود سلول های تزریق شده، الکترومیوگرام پس از تزریق نهایی. ۴) شرایط ورود به مطالعه: سن بیمار کمتر از ۱۲ ماه باشد; تون ماهیچه ای ضعیفی داشته باشد; نشستن بیمار از روی هدایت کامل عصبی نباشد; بیمار دارای حواس اصلی باشد; عملکرد مغز بیمار عادی باشد; شرایط خروج از مطالعه: بیمار بالای ۱۲ ماه سن; انواع دیگر آتروفی نخاعی عضلانی; بیماری که حواس خود را از دست داده باشد; ضایعه مغزی داشته باشد. ۵) مداخلات: بطور کل ۱۰ بیمار وارد مطالعه خواهند شد که از این میان ۵ بیمار تزریق سلول خواهند داشت. ۶) متغیرهای پیامد اصلی: بهبود فنوتیپ بیماری، احتمال افزایش طول عمر بیمار.

اطلاعات عمومی

نام اختصاری

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: **IRCT2015073023417N1**

تاریخ تایید ثبت در مرکز: **2015-09-12, ۱۳۹۴/۰۶/۲۱**

زمان‌بندی ثبت: **prospective**

آخرین بروز رسانی:

تعداد بروز رسانی‌ها: **0**

تاریخ تایید ثبت در مرکز

2015-09-12, ۱۳۹۴/۰۶/۲۱

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

امیرعلی حمیدیه

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی تهران

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

+98 21 8353 2371

آدرس ایمیل

aahamidieh@tums.ac.ir

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

معاونت پژوهشی دانشگاه علوم پزشکی تهران; ستاد سلول های بنیادی معاونت علمی و فناوری ریاست جمهوری

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2015-09-23, ۱۳۹۴/۰۷/۰۱

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2016-05-21, ۱۳۹۵/۰۳/۰۱

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی

اثربخشی سلول های بنیادی مزانشیمی بافت چربی آلوژن در تغییرات فنوتیپی مبتلایان به بیماری وردنیگ هافمن

عنوان عمومی کارآزمایی

اثر سلول درمانی بر بیماران وردنیگ هافمن

هدف اصلی مطالعه

درمانی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط ورود به مطالعه: سن بیمار کمتر از 12 ماه باشد; تون ماهیچه ای ضعیفی داشته باشد; قابلیت حرکتی ضعیفی داشته باشد و نشستن بیمار از روی هدایت کامل عصبی نباشد; بیمار دارای حواس اصلی باشد; عملکرد مغز بیمار عادی باشد; شرایطخروج از مطالعه: سن بالای ۱۲ ماه; اختلالات مغزی و نداشتن حواس اصلی; بدخیمی ها.

سن
از سن **6 ماهه** تا سن **1 ساله**

جنسیت
هر دو

فاز مطالعه
2

گروه‌های کور شده در مطالعه
اطلاعات موجود نیست

حجم نمونه کل
حجم نمونه پیش‌بینی شده: **10**

تصادفی سازی (نظر محقق)
مصداق ندارد

توصیف نحوه تصادفی سازی

کور سازی (به نظر محقق)
کور نشده است

توصیف نحوه کور سازی

دارو نما
ندارد

اختصاص به گروه‌های مطالعه
موازی

سایر مشخصات طراحی مطالعه

کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین‌المللی

خالی

تاییدیه کمیته‌های اخلاق

1

کمیته اخلاق

نام کمیته اخلاق
کمیته اخلاق دانشگاه علوم پزشکی تهران

آدرس خیابان
بلوار کشاورز، نبش خ قدس، سازمان مرکزی دانشگاه، طبقه ششم، تلفن: ۸۸۹۸۷۳۸۱

شهر
تهران

کد پستی

تاریخ تایید
2015-08-17, ۱۳۹۴/۰۵/۲۶

کد کمیته اخلاق
IR.TUMS.REC.1394.607

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح
وردنیگ هافمن

کد ICD-10
G12

توصیف کد ICD-10
Infantile spinal muscular atrophy, type I [Werdnig-Hoffman]

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد
تون عضلانی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از اولین مداخله، ۳ ماه پس از آخرین مداخله

نحوه اندازه‌گیری متغیر
الکترومیوگرام

متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد
تغییر تون عضلانی بیمار

مقاطع زمانی اندازه‌گیری
بلافاصله پس از مداخلات

نحوه اندازه‌گیری متغیر
الکترومیوگرام

2

شرح متغیر پیامد
حضور سلول های تزریق شده

مقاطع زمانی اندازه‌گیری
پس از آخرین مداخله

نحوه اندازه‌گیری متغیر
نمونه برداری از مایع مغزی نخاعی

3

شرح متغیر پیامد
حساسیت یا عفونت

مقاطع زمانی اندازه‌گیری
پس از مداخله

نحوه اندازه‌گیری متغیر
مشاهده مستقیم

4

شرح متغیر پیامد
افزایش طول عمر بیمار

مقاطع زمانی اندازه‌گیری
پس از آخرین مداخله

نحوه اندازه‌گیری متغیر
مشاهده مستقیم

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله
در گروه مداخله که ۵ بیمار در آن شرکت خواهند داشت: پس از تایید ژنتیکی بیماری و آزمون الکترومیوگرام، تزریق اینتراتکال سلول های بنیادی مزانشیمی در ۳ دوز با فواصل دو هفته ای صورت خواهد گرفت. این دوزها افزایشی و به ترتیب ۲ ، ۵ و ۱۰ میلیون سلول بنیادی مزانشیمی حاصل از بافت چربی آلوژن می باشند. پس از آخرین تزریق سلول های بنیادی، تست الکترومیوگرام تاییدی انجام می شود.

طبقه بندی
درمانی - غیره

2

شرح مداخله
در گروه کنترل که در آن ۵ بیمار شرکت خواهند داشت: هیچ تزریقی صورت نمی گیرد و تنها همزمان با گروه مداخله آزمون الکترومیوگرام صورت خواهد گرفت.
طبقه بندی
غیره

مراکز بیمار گیری

1

مرکز بیمار گیری
نام مرکز بیمار گیری
مرکز طبی کودکان
نام کامل فرد مسوول
محمودرضا اشرفی
آدرس خیابان
انتهای بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، جنب بیمارستان امام خمینی، مرکز طبی کودکان، گروه نورولوژی
شهر
تهران

حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
معاونت پژوهشی دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
دکتر مسعود یونسیان
آدرس خیابان
بلوار کشاورز، خ قدس، سازمان مرکزی دانشگاه
شهر
تهران
ردیف بودجه
کد بودجه
28524
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟
بلی
عنوان منبع مالی
معاونت پژوهشی دانشگاه علوم پزشکی تهران
درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع
بخش عمومی یا خصوصی
خالی
مبدا اعتبار از داخل یا خارج کشور
خالی
طبقه بندی منابع اعتبار خارجی
خالی
کشور مبدا
طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار
خالی

2

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
معاونت علمی و فناوری ریاست جمهوری
نام کامل فرد مسوول
دکتر رامین حشمت
آدرس خیابان
خ ملاصدرا، خ شیخ بهایی شمالی، ک لادن
شهر
تهران
ردیف بودجه
کد بودجه
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟
بلی
عنوان منبع مالی
معاونت علمی و فناوری ریاست جمهوری
درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع
بخش عمومی یا خصوصی
خالی
مبدا اعتبار از داخل یا خارج کشور
خالی
طبقه بندی منابع اعتبار خارجی
خالی
کشور مبدا
طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار
خالی

فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشکده فناوری های نوین پزشکی، دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
راشین محسنی
موقعیت شغلی
دانشجوی دکترای تخصصی
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
آدرس خیابان
بلوار کشاورز، خ قدس، خ ایتالیا، پلاک ۸۸،دانشکده فناوری های نوین پزشکی
شهر
تهران
کد پستی
1417755469
تلفن
+98 21 8899 1121
فکس
+98 21 8899 1117
ایمیل
rashin_mohseni@yahoo.com; aahamidieh@tums.ac.ir
آدرس صفحه وب
http://samt.tums.ac.ir

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
محمودرضا اشرفی
موقعیت شغلی
استاد گروه نورولوژی کودکان
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
آدرس خیابان
انتهای بلوار کشاورز ، خیابان دکتر محمد قریب ، جنب بیمارستان امام خمینی(ره) ، پلاک ۶۲،مرکز طبی کودکان
شهر
تهران

کد پستی

تلفن
+98 21 6693 5848

فکس

ایمیل
ashrafi@tums.ac.ir; mr_ashrafi@yahoo.com

آدرس صفحه وب
http://chmc.tums.ac.ir

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد
دانشکده فناوری های نوین پزشکی، دانشگاه علوم پزشکی تهران

نام کامل فرد مسوول
راشین محسنی

موقعیت شغلی
دانشجوی دکترای تخصصی

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

آدرس خیابان
بلوار کشاورز، خ قدس، خ ایتالیا، پلاک ۸۸،دانشکده فناوری های نوین پزشکی

شهر
تهران

کد پستی
1417755469

تلفن
+98 21 8899 1121

فکس
+98 21 8899 1117

ایمیل
rashin_mohseni@yahoo.com; aahamidieh@tums.ac.ir

آدرس صفحه وب
http://samt.tums.ac.ir

برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)
خالی

پروتکل مطالعه
خالی

نقشه آنالیز آماری
خالی

فرم رضایتنامه آگاهانه
خالی

گزارش مطالعه بالینی
خالی

کدهای استفاده شده در آنالیز
خالی

نظام دسته‌بندی داده (دیکشنری داده)
خالی