

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۲۰

## مطالعه سلامت و اثربخشی تزریق سلول بنیادی مزانشیمال آلورن (جدا شده از ماتریکس بند ناف) در بیماران مبتلا به بیماریهای نورومتابولیک ارثی دیررس:

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

یافتن درمان موثر برای بعضی بیماریهای غیرقابل درمان نورومتابولیک

#### طراحی

کارآزمایی بالینی بدون گروه کنترل، مبتنی بر جامعه و عمل گرا، با گروه تنها، غیر کورشونده، غیر تصادفی شده

#### نحوه و محل انجام مطالعه

بیماران انتخاب شده جهت ورود به طرح، در بیمارستان لبافی نژاد یا فرمانیه تهران بستری خواهند شد و براساس نوع گروه مداخله ای، یک یا چند نوبت تزریق وریدی و در صورت درگیری سیستم عصبی مرکزی یک یا چند نوبت تزریق اینتراتکال انجام خواهد شد. در این تزریقات، سلولهای مزانشیمی تهیه شده در clean room شرکت سیناسل به میزان 3-4 میلیون سلول بازای هر کیلوگرم وزن بیمار در تزریقات وریدی با حجم 20 تا 50 میلی لیتر آلبومین انسانی قابل تزریق با درصد حیات بالای 90 درصد نگهداری شده و ظرف 1 تا 3 ساعت پس از خروج از محیط کشت به بیمار تزریق خواهد شد. در تزریقات اینتراتکال یک میلیون سلول بازای هر کیلوگرم وزن بیمار و با حجم آلبومین 5 تا 10 میلی لیتر است. فاصله تزریقات بین دو روز تا 2 هفته خواهند بود. مدت اقامت در بیمارستان در مورد تزریق وریدی 6 ساعت و در مورد تزریق اینتراتکال 24 الی 48 ساعت خواهد بود. بیماران برای مدت 2 سال با فواصل زمانی تعریف شده مورد ارزیابی بالینی و آزمایشگاهی قرار خواهند گرفت.

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

شرایط ورود: بیماران مبتلا به بیماریهای نورومتابولیک دیررس که براساس آزمایشات ژنتیک مولکولی به تشخیص قطعی رسیده باشند و تظاهرات بیماری شروع شده باشد ولی هنوز به مرحله ناتوانی شدید نرسیده باشند. شرایط عدم ورود: بیمارانی که استعداد ابتلا به بدخیمی داشته باشند، بیمارانی که مبتلا به بیماریهای عفونی مزمن مانند ایدز، هپاتیت، سیفلیس و HTLV باشند، بارداری، سنین و موقعیتهای آسیب پذیر

#### گروههای مداخله

تزریق پریفرال با یا بدون تزریق اینتراتکال سلول بنیادی مزانشیمی آلورن حاصل از ژل وارتن بند ناف که پس از کشت و کنترل کیفی آماده سازی شده و در حجم مناسب آلبومین برای تزریق به بیماران مبتلا به لکودیستروفی، آتاکسی، میوپاتی، نوروپاتی فراهم میگردد

#### متغیرهای پیامد اصلی

ارزیابی کمیته تعادلی به روش پرسشنامه SARA، ارزیابی کمیته عملکرد جسمی و ذهنی به روش پرسشنامه MSFC، ارزیابی وقوع دیابت، ارزیابی وقوع نارسایی قلبی

### اطلاعات عمومی

#### علت بروز رسانی

#### نام اختصاری

#### اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20180228038899N1

تاریخ تایید ثبت در مرکز: 16-07-2018, ۱۳۹۷/۰۴/۲۵

زمان بندی ثبت: registered\_while\_recruiting

آخرین بروز رسانی: 16-07-2018, ۱۳۹۷/۰۴/۲۵

تعداد بروز رسانیها: 0

#### تاریخ تایید ثبت در مرکز

16-07-2018, ۱۳۹۷/۰۴/۲۵

#### اطلاعات تماس ثبت کننده

#### نام

بینا شالبافان

#### نام سازمان / نهاد

#### کشور

جمهوری اسلامی ایران

#### تلفن

8565 2271 21 98+

#### آدرس ایمیل

shalbafan.b@gmail.com

#### وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

#### منبع مالی

#### تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2017-02-21, ۱۳۹۵/۱۲/۰۳

#### تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2020-09-21, ۱۳۹۹/۰۶/۳۱

#### تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

#### تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

#### تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

#### عنوان علمی کارآزمایی

مطالعه سلامت و اثربخشی تزریق سلول بنیادی مزانشیمال آلوژن (جدا شده از ماتریکس بند ناف) در بیماران مبتلا به بیماریهای نورومتابولیک ارثی دیررس:

### عنوان عمومی کارآزمایی

اثر سلولهای بنیادی آلوژن در بیماریهای نورومتابولیک

### هدف اصلی مطالعه

درمانی

### شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

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

تشخیص قطعی بیماریهای نورومتابولیک منجر به آنآکسی، لکودیستروفی، میوپاتی یا نوروپاتی براساس یافته های آزمایشگاهی ژنتیک مولکولی سن بین 18-40 سال رضایت کتبی بیمار و والدین جهت حضور در مطالعه نرمال بودن جواب آزمایشات روتین بیوشیمی، هماتولوژی، و منفی بودن تستهای سرولوژی و ویرولوژی منفی بودن Tumor survey شامل سونوگرافی شکم و لگن و پروستات و پستان و تیروئید و نداشتن خون مخفی در آزمایش مدفوع

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

بیمار باردار (تست حاملگی مثبت) یا شیرده و یا بیماری که قصد بارداری در طول مطالعه دارد. 2.3-41-، 5-6- بیماری که علاوه بر درگیری سیستم عصبی مبتلا به بیماری جدی دیگری از قبیل اختلالات همودینامیک، اختلالات هموستاز، دیابت، بیماری قلبی عروقی/ ربوی و ... می باشد ابتلا به بیماری قطعی سایکوتیک سابقه بیماری روانی جدی یا سابقه خودکشی درمان با داروهای سایتوتوکسیک ظرف یک ماه پیش از آغاز مطالعه وجود هرگونه توده مشکوک به بدخیمی کراتینین سرم بیش از 7/1 افزایش میزان آنزیمهای کبدی بیش از سه برابر نرمال تعداد سلول سفید خون پایین تر از ۳۰۰۰ وجود پاسخ مثبت هریک از تست های سرمی HTLV1,2 Ab, HIV1,2 Ab, HbC Ab, HbS, Ag, HCV Ab

### سن

از سن 18 ساله تا سن 40 ساله

### جنسیت

هر دو

### فاز مطالعه

2

### گروه های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

### حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش بینی شده: 25

### 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 گروه های مطالعه

تنها

### سایر مشخصات طراحی مطالعه

## کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین المللی

خالی

## تاییدیه کمیته های اخلاق

### 1

### کمیته اخلاق

### نام کمیته اخلاق

کمیته اخلاق دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی

## آدرس خیابان

ولنجک، خیابان دانشجو، خیابان شهید اعرابی، دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی ساختمان شماره 2 طبقه 6 مدیریت پژوهشی

### شهر

تهران

### استان

تهران

### کد پستی

1983963113

### تاریخ تایید

2017-02-21, 1395/12/03

### کد کمیته اخلاق

lr.sbm.u.rec.1395.82

## بیماری های (موضوعات) مورد مطالعه

### 1

#### شرح

آنآکسی پیشرونده

#### کد ICD-10

G11

#### توصیف کد ICD-10

Hereditary ataxia

### 2

#### شرح

میوپاتی

#### کد ICD-10

M62.5

#### توصیف کد ICD-10

Muscle wasting and atrophy, not elsewhere classified, unspecified site

### 3

#### شرح

نوروپاتی

#### کد ICD-10

G60

#### توصیف کد ICD-10

Hereditary and idiopathic neuropathy

### 4

#### شرح

لکودیستروفی

#### کد ICD-10

E75.2

#### توصیف کد ICD-10

Other sphingolipidosis

## متغیر پیامد اولیه

### 1

#### شرح متغیر پیامد

اختلال تعادل در پرسشنامه SARA

#### مقاطع زمانی اندازه گیری

در ابتدای مطالعه (قبل از شروع مداخله) و 1 و 3 و 6 و 12 و 18 و 24 ماه بعد از تزریق

## مراکز بیمار گیری

1

### مرکز بیمار گیری

نام مرکز بیمار گیری

بیمارستان لبافی نژاد

نام کامل فرد مسوول

بیبا شالبافان

آدرس خیابان

پلاک 133، خیابان بوستان نهم، خیابان پاسداران

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1666659534

تلفن

3140 2278 21 98+

ایمیل

shalbafan.b@gmail.com

## حمایت کنندگان / منابع مالی

1

### حمایت کننده مالی

نام سازمان / نهاد

انستیتو پاستور ایران

نام کامل فرد مسوول

دکتر محسن آسوری

آدرس خیابان

آمل، کیلومتر 5 جاده قدیم بابل، پژوهشکده شمال انستیتو پاستور

شهر

ایران

شهر

آمل

استان

مازندران

کد پستی

4619332976

تلفن

8074 4319 11 98+

فکس

8651 4319 11 98+

ایمیل

mohsen.asouri@yahoo.com

ردیف بودجه

کد بودجه

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

بلی

عنوان منبع مالی

انستیتو پاستور ایران

درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع

100

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

## نحوه اندازه گیری متغیر

تکمیل پرسشنامه Scale of Assessment and Rating of Ataxia در

بیماران مبتلا به اختلال تعادل

2

### شرح متغیر پیامد

Functional Capacity در بیماران دچار ضعف عضلانی و اختلال

تعادلی با یا بدون اختلال منتال

مقاطع زمانی اندازه گیری

در ابتدای مطالعه (قبل از شروع مداخله) و 1و3و6و12و18و24 ماه بعد

از تزریق

نحوه اندازه گیری متغیر

پرسشنامه Multiple Sclerosis Functional Capacity

3

### شرح متغیر پیامد

اندازه گیری قند خون در بیماران فریدریش آتاکسی

مقاطع زمانی اندازه گیری

در ابتدای مطالعه (قبل از شروع مداخله) و 1و3و6و12و18و24 ماه بعد

از تزریق

نحوه اندازه گیری متغیر

آزمایش Fasting Blood Sugar و هموگلوبین A1C

4

### شرح متغیر پیامد

ارزیابی نارسایی قلبی در بیماران آتاکسی فریدریش

مقاطع زمانی اندازه گیری

در ابتدای مطالعه (قبل از شروع مداخله) و 1و3و6و12و18و24 ماه بعد

از تزریق

نحوه اندازه گیری متغیر

اندازه گیری Ejection Fraction در اکوکاردیوگرافی

## متغیر پیامد ثانویه

خالی

## گروه های مداخله

1

### شرح مداخله

گروه مداخله: پس از انتخاب بیماران نورومتابولیک، یک یا چند نوبت

تزریق وریدی و در صورت درگیری سیستم عصبی مرکزی یک یا چند

نوبت تزریق اینترتکال انجام خواهد شد. در این تزریقات، سلولهای

مزاننشیمی تهیه شده در clean room شرکت سیناسل به میزان 3-4

میلیون سلول بازای هر کیلوگرم وزن بیمار در تزریقات وریدی با حجم

20 تا 50 میلی لیتر آلبومین انسانی قابل تزریق با درصد حیات بالای 90

درصد نگهداری شده و طرف 1 تا 3 ساعت پس از خروج از محیط کشت

به بیمار تزریق خواهد شد. در تزریقات اینترتکال یک میلیون سلول

بازای هر کیلوگرم وزن بیمار و با حجم آلبومین 5 تا 10 میلی لیتر است.

فاصله تزریقات بین دو روز تا 2 هفته خواهند بود. مدت اقامت در

بیمارستان در مورد تزریق وریدی 6 ساعت و در مورد تزریق اینترتکال

24 الی 48 ساعت خواهد بود. بیماران برای مدت 2 سال با فواصل

زمانی تعریف شده مورد ارزیابی بالینی و آزمایشگاهی قرار خواهند

گرفت.

طبقه بندی

درمانی - داروها

## فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

### اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد  
سازمان تامین اجتماعی

نام کامل فرد مسوول  
بیبا شالبافان

موقعیت شغلی  
پزشک متخصص غیرهینت علمی

آخرین مدرک تحصیلی  
متخصص

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
نورولوژی

آدرس خیابان  
پلاک 133، خیابان بوستان نهم، خیابان پاسداران

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1666659534

تلفن

3140 2278 21 98+

ایمیل

shalbafan.b@gmail.com

## فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

### اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد  
سازمان تامین اجتماعی ایران

نام کامل فرد مسوول  
بیبا شالبافان

موقعیت شغلی  
پزشک متخصص غیرهینت علمی

آخرین مدرک تحصیلی  
متخصص

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
نورولوژی

آدرس خیابان  
پلاک 133، خیابان بوستان نهم، خیابان پاسداران

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1666659534

تلفن

3140 2278 21 98+

ایمیل

shalbafan.b@gmail.com

## فرد مسوول به روز رسانی اطلاعات

### اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد  
سازمان تامین اجتماعی ایران

نام کامل فرد مسوول

بیبا شالبافان

موقعیت شغلی

پزشک متخصص غیرهینت علمی  
آخرین مدرک تحصیلی

متخصص

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
نورولوژی

آدرس خیابان

پلاک 133، خیابان بوستان نهم، خیابان پاسداران

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1666659534

تلفن

3140 2278 21 98+

ایمیل

Shalbafan.b@gmail.com

## برنامه انتشار

### فایل داده شرکت کنندگان (IPD)

بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

### پروتکل مطالعه

هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست

### نقشه آنالیز آماری

بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

### فرم رضایتنامه آگاهانه

بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

### گزارش مطالعه بالینی

بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

### کدهای استفاده شده در آنالیز

مصادق ندارد

### نظام دسته‌بندی داده (دیکشنری داده)

مصادق ندارد

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

داده‌های دموگرافیک شرکت کنندگان و داده‌های مربوط به پیامد اصلی بعد از غیر قابل شناسایی کردن افراد امکان اشتراک گذاری دارد.

### بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند

شروع زمان به اشتراک گذاری داده‌ها شش ماه بعد از انتشار نتایج در فرمت چاپ مقاله خواهد بود.

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

افراد که در موسسات دانشگاهی و تحقیقاتی در حوزه سلولهای بنیادی در حال پژوهش می باشند.

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

برای پژوهشگران در زمینه سلولهای بنیادی آنالیزهای آماری مختلف قابل انجام می باشد.

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

1- دکتر بیبا شالبافان شماره موبایل: 09161119656 آدرس ایمیل: shalbafan.b@gmail.com - دکتر ماندانا محی الدین بناب شماره

موبایل: 09122024962 آدرس ایمیل:

mohyeddin@sina.tums.ac.ir

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

6 ماه بعد از چاپ مقاله نهایی درخواست کنندگان از طریق ایمیل یا تلفن درخواست خود را اعلام می دارند و طرف مدت حداکثر یک ماه داده‌ها را از طریق ایمیل دریافت می کنند.

### سایر توضیحات

ندارد