پروتکل کارآزمایی بالینی
مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۶/۲۷

بررسي اثر درماني ميگلوستات بر علائم عصبي و سيستميك در فرم شيرخوارگی بیماری های سندهوف و تي ساكس

چکیده پروتکل

هدف ازمطالعه

بررسی تاثیر میگلوستات بر فرم شیرخوارگی سندهوف و تی ساکس

طراحی

درمان با میگلوستات طبق دوز توصیه شده آغاز شده و تا یک سال ادامه می یابد. بیماران در ابتدای مطالعه و همچنین هر چهار ماه پس از شروع درمان و همچنین یک سال پس از قطع درمان ویزیت می شوند. و در این ویزیت ها از نظر معاینه نورولوژیک، تشنج، راه تغذیه، پنومونی آسپیراسیون و کیفیت زندگی ارزیابی و اطلاعات در چک لیست ثبت می گردد. با وجود آنکه مطالعه تصادفی کارآزمایی بالینی دارای بیشترین اعتبار جهت بررسی اثربخشی دارویی در پژوهش ها می باشد، به دلیل ملاحظات اخلاقی موجود درمورد بیماریهای نادری مانند سندهوف و تی ساکس، امکان در نظر گرفتن گروه کنترل در این مطالعه مقدور نمی باشد. لذا بیماران در زمان دریافت دارو و همچنین تا یک سال بعد از قطع درمان مورد بررسی قرار گرفته و وضعیت آنان مقایسه می گردد.

نحوه و محل انجام مطالعه

در ویزیت های مکرر بیماران از نظر معاینه عصبی، تشنج، قدرت بلع، پنومونی آسپیراسیون و کیفیت زندگی بررسی و نتایج جهت مقایسه، ثبت می شوند. متغیرهای معاینه عصبی عبارتند از: تون عضلانی، آتروفی عضلانی و کنتراکچر. عملکرد حرکتی بر اساس سیستم طبقه بندی GMFCS و کیفیت زندگی بر اساس پرسشنامه ITQOL نمره دهی می شوند. و بر اساس نتایج، تاثیر دارو تعیین و همچنین وضعیت بیماران در زمان دریافت میگلوستات با دوره بعد از قطع درمان مقایسه می گردد.

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

بیماران مبتلا به سندهوف و تی ساکس که تشخیص آنها با تست ژنتیک و بررسی آنزیمی تایید شده است و به مرکز طبی کودکان -کلینیک بیماریهای میلین مراجعه داشته اند. معیارهای خروج از مطالعه عبارتند از: اسهال (دفع آبکی بیش از سه با روزانه)، اختلال عملکرد کلیه (کلیرانس کراتینین کمتر از 1.73)، عدم مراجعه جهت پیگیری، مصرف همزمان سایر داروها و ابتلای همزمان به بیماری سیستمیک دیگر

گروه‌های مداخله

درمان با میگلوستات براساس رژیم درمانی ذیل: کودکان کمتر از 12 سال بر اساس سطح بدن دوز تعیین می شود (از روزانه 100 میلی گرم تا 200 میلی گرم هر هشت ساعت).

متغیرهای پیامد اصلی

دفعات بستری تغذیه با NG-T یاتغذیه دهانی دفعات تشنج دفعات پنومونی آسپیراسیون عملکرد حرکتی کیفیت زندگی

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

نام اختصاری

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: **IRCT20181023041435N1**

تاریخ تایید ثبت در مرکز: **۱۳۹۷/۰۸/۱۳ ,04-11-2018**

زمان‌بندی ثبت: **prospective**

آخرین بروز رسانی: **۱۳۹۷/۰۸/۱۳ ,04-11-2018**

تعداد بروز رسانی‌ها: **0**

تاریخ تایید ثبت در مرکز

۱۳۹۷/۰۸/۱۳, 2018-11-04

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

مطهره طالبیان

نام سازمان / نهاد

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

+98 21 4425 8510

آدرس ایمیل

mh.69tn@gmail.com

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

۱۳۹۷/۰۹/۰۱, 2018-11-22

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

۱۳۹۹/۰۹/۰۱, 2020-11-21

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی

بررسي اثر درماني ميگلوستات بر علائم عصبي و سيستميك در فرم شيرخوارگی بیماری های سندهوف و تي ساكس

عنوان عمومی کارآزمایی
بررسي اثرات ميگلوستات بر علائم عصبی وسيستميک بيماران سندهوف و تي ساكس
هدف اصلی مطالعه
حمایتی
شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه
شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:
بيماران مبتلا به علايم بالينی سندهوف/تي ساكس با تايید تشخيص توسط تست ژنتيك بيماران ارجاع شده به كلينيک بيماريهای ميلين- بيمارستان مركز طبي كودكان با شک بالينی به بيماريهای تی ساكس وسندهوف
شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:
ابتلا به اسهال اختلال عملكرد كليوي عدم مراجعه در ويزيت هاي پيگيري ابتلاي همزمان به بيماريهاي زمينه اي ديگر دريافت درمان دارويي ديگري به جز ميگلوستات كه ممكن است بر روی سيستم اعصاب تاثيرگذار باشد
سن
از سن **6 ماهه** تا سن **24 ماهه**
جنسیت
هر دو

فاز مطالعه
4
گروه‌های کور شده در مطالعه
اطلاعات موجود نیست
حجم نمونه کل
حجم نمونه پیش‌بینی شده: **30**
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
تنها
سایر مشخصات طراحی مطالعه
کمک به افزایش کیفیت زندگی بیماران مبتلا به بیماریهای مورد 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، خیابان دکتر قریب، پلاک62 بیمارستان مرکز طبی کودکان
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تاریخ تایید
۱۳۹۷/۰۷/۲۸, 2018-10-20
کد کمیته اخلاق
IR.TUMS.VCR.REC.1397.515

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح
سندهوف
کد ICD-10
E75.0
توصیف کد ICD-10
GM2 gangliosidosis

2

شرح
تی ساکس
کد ICD-10
E75.0
توصیف کد ICD-10
GM2 gangliosidosis

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد
دفعات بستری در بیمارستان
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12درمان و یک سال بدون درمان
نحوه اندازه‌گیری متغیر
چک لیست

2

شرح متغیر پیامد
دفعات ابتلا به پنومونی آسپیراسیون
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12ذرمان و یک سال بدون درمان
نحوه اندازه‌گیری متغیر
چک لیست

3

شرح متغیر پیامد
دفعات تشنجات
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12ذرمان و یک سال بدون درمان
نحوه اندازه‌گیری متغیر
چک لیست

4

شرح متغیر پیامد
نیاز به تعبیه لوله تغذیه ای
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12ذرمان و یک سال بدون درمان
نحوه اندازه‌گیری متغیر
چک لیست

5

شرح متغیر پیامد
مهارت های حرکتی
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12 و یک سال بدون درمان
نحوه اندازه‌گیری متغیر
سیستم طبقه بندی عملکرد حرکتی

6

شرح متغیر پیامد
کیفیت زندگی
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12 و یک سال بدون درمان
نحوه اندازه‌گیری متغیر
پرسشنامه کیفیت زندگی شیرخواران و نوپایان

متغیر پیامد ثانویه

خالی

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله
گروه مداخله: بیماران مبتلا به فرم شیرخوارگی بیماری های سندهوف و تی ساکس
طبقه بندی
درمانی - داروها

مراکز بیمار گیری

1

مرکز بیمار گیری
نام مرکز بیمار گیری
مرکز طبی کودکان
نام کامل فرد مسوول
رضا شروین بدو
آدرس خیابان
بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، پلاک 62
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تلفن
+98 21 6147 2917
فکس
+98 21 6693 0024
ایمیل
cmc.tums@gmail.com
آدرس صفحه وب
http://chmc.tums.ac.ir/

حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
محمد علی صحراییان
آدرس خیابان
بلوار کشاورز، نبش خیابان قدس، سازمان مرکزی دانشگاه دفتر هماهنگی مراکز تحقیقاتی - معاونت پژوهشی دانشگاه طبقه ششم - اتاق 608
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
14155-6559
تلفن
+98 21 8889 6694
ایمیل
office@sina.tums.ac.ir
ردیف بودجه
کد بودجه
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟
بلی
عنوان منبع مالی
دانشگاه علوم پزشکی تهران
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
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
علیرضا توسلی
موقعیت شغلی
دانشیار
آخرین مدرک تحصیلی
فوق تخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
کودکان
آدرس خیابان
بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، پلاک 62
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تلفن
+98 21 6147 2751
فکس

ایمیل
alirezatavasoli236@gmail.com
آدرس صفحه وب

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
علیرضا توسلی
موقعیت شغلی
دانشیار
آخرین مدرک تحصیلی
فوق تخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
کودکان
آدرس خیابان
بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، پلاک 62
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تلفن
+98 21 6147 2751
فکس
ایمیل
alirezatavasoli236@gmail.com
آدرس صفحه وب

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
مطهره طالبیان
موقعیت شغلی
رزیدنت
آخرین مدرک تحصیلی
دکترای پزشکی
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
کودکان
آدرس خیابان
انتهای بلوار کشاورز ، خیابان دکتر محمد قریب ، جنب بیمارستان امام خمینی(ره) ، پلاک ۶۲،مرکز طبی کودکان
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تلفن
+98 21 4425 8510
فکس
ایمیل
mh.69tn@gmail.com

برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)
هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست
پروتکل مطالعه
هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست
نقشه آنالیز آماری
هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست
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)
هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست