

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۲۰

## بررسی اثر درمانی میگلوستات بر علائم عصبی و سیستمیک در فرم شیرخوارگی بیماری های سندروف و تی ساکس

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

بررسی تاثیر میگلوستات بر فرم شیرخوارگی سندروف 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 در مورد بیماریهای نادری مانند سندروف 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 سندروف و تی ساکس که تشخیص آنها با تست ژنتیک و بررسی آنزیمی تایید شده است و به مرکز طبی کودکان -کلینیک بیمارهای میلین مراجعه داشته اند. معیارهای خروج از مطالعه عبارتند از: اسهال (دفع آبکی بیش از سه بار روزانه)، اختلال عملکرد کلیه (کلیترانس کراتینین کمتر از 1.73)، عدم مراجعه جهت پیگیری، مصرف همزمان سایر داروها و ابتلای همزمان به بیماری سیستمیک دیگر

#### گروه های 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 یا تغذیه 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

زمان بندی ثبت: prospective

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

تعداد بروز رسانی ها: 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

8510 4425 21 98+

#### 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

بررسی اثر درمانی میگلوستات بر علائم عصبی و سیستمیک در فرم شیرخوارگی بیماری های سندروف و تی ساکس

### عنوان عمومی کارآزمایی

بررسی اثرات میگلوستات بر علائم عصبی و سیستمیک بیماران سندروف و تی ساکس

### هدف اصلی مطالعه حمایتی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

بیماران مبتلا به علائم بالینی سندروف/تی ساکس با تایید تشخیص توسط تست ژنتیک بیماران ارجاع شده به کلینیک بیماریهای میلین- بیمارستان مرکز طبی کودکان با شک بالینی به بیماریهای تی ساکس و سندروف

شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

ابتلا به اسهال اختلال عملکرد کلیوی عدم مراجعه در ویزیت های پیگیری ابتلاي همزمان به بیماریهای زمینه ای دیگر دریافت درمان دارویی دیگری به جز میگلوستات که ممکن است بر روی سیستم اعصاب تاثیرگذار باشد

### سن

از سن 6 ماهه تا سن 24 ماهه

### جنسیت

هر دو

### فاز مطالعه

4

### گروه های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

### حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش بینی شده: 30

### 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

کمک به افزایش کیفیت زندگی بیماران مبتلا به بیماریهای مورد 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 تهران

#### آدرس خیابان

بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، پلاک 62 بیمارستان مرکز طبی کودکان

#### شهر

تهران

#### استان

تهران

#### کد پستی

1419733151

### تاریخ تایید

2018-10-20, 1397/07/28

### کد کمیته اخلاق

IR.TUMS.VCR.REC.1397.515

## بیماری های (موضوعات) مورد مطالعه

### 1

#### شرح

سندروف

#### 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 اندازه گیری

ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12 درمان و یک سال بدون درمان

#### نحوه اندازه گیری متغیر

چک لیست

### 2

#### شرح متغیر پیامد

دفعات ابتلا به پنومونی آسپیراسیون

#### مقاطع زمانی اندازه گیری

ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12 درمان و یک سال بدون درمان

#### نحوه اندازه گیری متغیر

چک لیست

### 3

#### شرح متغیر پیامد

دفعات تشنجات

#### مقاطع زمانی اندازه گیری

ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12 درمان و یک سال بدون درمان

#### نحوه اندازه گیری متغیر

چک لیست

### 4

#### شرح متغیر پیامد

نیاز به تعبیه لوله تغذیه ای

#### مقاطع زمانی اندازه گیری

ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12 درمان و یک سال بدون درمان

#### نحوه اندازه گیری متغیر

چک لیست

5

**شرح متغیر پیامد**

مهارت های حرکتی

**مقاطع زمانی اندازه گیری**

ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12 و یک سال بدون درمان

**نحوه اندازه گیری متغیر**

سیستم طبقه بندی عملکرد حرکتی

6

**شرح متغیر پیامد**

کیفیت زندگی

**مقاطع زمانی اندازه گیری**

ابتدای مطالعه، ماه های 4 و 8 و 12 و یک سال بدون درمان

**نحوه اندازه گیری متغیر**

پرسشنامه کیفیت زندگی شیرخواران و نویابان

**متغیر پیامد ثانویه**

خالی

**گروه های مداخله**

1

**شرح مداخله**

گروه مداخله: بیماران مبتلا به فرم شیرخوارگی بیماری های سندروف

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

2917 6147 21 98+

فکس

0024 6693 21 98+

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

6694 8889 21 98+

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 حوزه های کاری/تخصص ها

کودکان

آدرس خیابان

بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، پلاک 62

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1419733151

تلفن

2751 6147 21 98+

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 توبسلی

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

2751 6147 21 98+

فکس

ایمیل

alirezatavasoli236@gmail.com

آدرس صفحه وب

## فرد مسوول به روز 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

8510 4425 21 98+

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