

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۲۰

## بررسی اثربخشی استفاده از سیمواستاتین در کاهش علائم در بیماران مبتلا به پاکونیشی مادرزادی

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

بررسی اثربخشی سیمواستاتین بر روی کاهش علائم بیماران مبتلا به پاکونیشی مادرزادی.

#### طراحی

کارآزمایی بالینی چند مرکزی دارای گروه کنترل، مبتنی بر جامعه و عمل گرا، با گروه های متقاطع، سه سوپه کور، تصادفی شده شامل 20 بیمار مبتلا به پاکونیشیا کانژنیتا که از دی ما 1397 تا شهریور ماه 1398 وارد مطالعه شده و به مدت 14 ماه تحت بررسی قرار گرفتند.

#### نحوه و محل انجام مطالعه

بیماران به طور تصادفی به دو گروه تقسیم شده، گروه اول تحت درمان با سیمواستاتین 40 میلی گرم روزانه (20 میلی گرم در گروه 10 تا 18 سال) قرار گرفته و گروه دوم تحت درمان با دارونما قرار می گیرد. درمان برای 6 ماه تداوم می یابد. پس از یک دوره دو ماهه استراحت، بیماران هر گروه مجدداً برای 6 ماه تحت درمان با داروی گروه مقابل قرار می گیرند. بهبود علائم بالینی و میزان رضایت از درمان در طی هر دوره ارزیابی و مقایسه می شود. جهت بررسی اثربخشی در سطح ملکولی یک نمونه بافتی در زمان آغاز درمان و یک نمونه پس از پایان هر دوره درمانی از کف پای بیماران تهیه می شود. به منظور کور سازی پزشکان ارزیابی کننده نتایج و تحلیلگران داده ها، دارو و دارونما به عنوان دو گروه A و B معرفی خواهند شد.

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

معیارهای ورود: سن بین 10 تا 65 سال. وزن برابر یا بیش از 32 کیلوگرم. از نظر ذهنی قادر به پاسخ به سوالات باشد. معیارهای عدم ورود: وجود بیماری های همراه مانند بیماری های قلبی عروقی، کلیوی، کبدی و دیابت. نگرانی های مربوط به عوارض جانبی دارو مانند سابقه قلبی میویاتی، حساسیت به استاتین ها، بارداری و شیر دهی. وجود عوامل مخدوش کننده مانند عفونت پوست، مصرف قلبی استاتین ها و سوء مصرف مواد مخدر / الکل.

#### گروه های مداخله

افراد مبتلا به بیماری پاکونیشی مادرزادی که از نظر ژنتیکی بیماری آنها ثابت شده است به طور تصادفی به دو گروه کنترل و مداخله تقسیم می شوند. گروه کنترل تحت درمان با دارونما قرار می گیرد و گروه مداخله تحت درمان با سیمواستاتین قرار می گیرند. درمان 6 ماه تداوم می یابد و پس طی دوره استراحت گروه ها جابه جا می شوند.

#### متغیرهای پیامد اصلی

ضخامت ضایعات هیپرکراتوتیک، ضخامت ناخن، تغییرات پاتولوژیک پوست، درد، کیفیت زندگی.

### اطلاعات عمومی

#### علت بروز رسانی

#### نام اختصاری

#### اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20160320027109N3

تاریخ تایید ثبت در مرکز: 09-01-2019, 1397/10/19

زمان بندی ثبت: registered\_while\_recruiting

آخرین بروز رسانی: 09-01-2019, 1397/10/19

تعداد بروز رسانی ها: 0

#### تاریخ تایید ثبت در مرکز

2019-01-09, 1397/10/19

#### اطلاعات تماس ثبت کننده

#### نام

فهیمة عبدالهی مجد

#### نام سازمان / نهاد

مرکز تحقیقات پوست دانشکده علوم پزشکی شهید بهشتی

#### کشور

جمهوری اسلامی ایران

#### تلفن

1507 2274 21 98+

#### آدرس ایمیل

fabdollahimajd@sbm.ac.ir

#### وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

#### منبع مالی

#### تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2019-01-01, 1397/10/11

#### تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2019-09-02, 1398/06/11

#### تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

#### تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

#### تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

## کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین‌المللی

خالی

## تاییدیه کمیته‌های اخلاق

### 1

#### کمیته اخلاق

##### نام کمیته اخلاق

کمیته اخلاق مرکز تحقیقات پوست دانشکده علوم پزشکی شهید بهشتی

##### آدرس خیابان

تهران، میدان قدس، خیابان شهرداری، نرسیده به میدان تجریش، مرکز پزشکی آموزشی درمانی شهدای تجریش، مرکز تحقیقات پوست

##### شهر

تهران

##### استان

تهران

##### کد پستی

1989934148

##### تاریخ تایید

1397/09/18, 2018-12-09

##### کد کمیته اخلاق

IR.SBMU.SRC.REC.1397.019

## بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

### 1

#### شرح

پاکونیشی مادرزادی

#### کد ICD-10

Q84.5

#### توصیف کد ICD-10

Enlarged and hypertrophic nails

## متغیر پیامد اولیه

### 1

#### شرح متغیر پیامد

مساحت ضایعات هایپرکراتوتیک دست و پا

#### مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه

#### نحوه اندازه‌گیری متغیر

عکس برداری و محاسبه ی مساحت با نرم افزار imagej

### 2

#### شرح متغیر پیامد

ضخامت ضایعات هایپرکراتوتیک کف پا

#### مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه

#### نحوه اندازه‌گیری متغیر

برحسب ارتفاع ضایعات مشهود در سونوگرافی 20 مگا هرتز و مود B

### 3

#### شرح متغیر پیامد

ضخامت ضایعات هایپرکراتوتیک ناخن

## عنوان علمی کارآزمایی

بررسی اثربخشی استفاده از سیمواستاتین در کاهش علائم در بیماران مبتلا به پاکونیشی مادرزادی

## عنوان عمومی کارآزمایی

بررسی اثر سیمواستاتین در پاکونیشی مادرزادی

## هدف اصلی مطالعه

درمانی

## شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

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

وزن برابر یا بیش از 32 کیلوگرم، سلامت روانی و هوش کافی جهت درک سوالات و پاسخ صحیح به آنها.

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

ابتلا به بیماری قلبی عروقی قبلی، ابتلا به اختلال کلیوی، ابتلا به بیماری کبدی و بیماری شدید گوارشی، ابتلا به دیابت، سابقه ابتلا به میوپاتی، ابتلا به عفونت ناخن و پوست، اگر عفونت در پوست یا ناخن وجود داشته باشد، قبل از شروع مطالعه باید آن را درمان کرد، بارداری و شیردهی، حساسیت قبلی نسبت به استاتین‌ها، وجود سابقه مصرف استاتین‌ها به دلایل دیگر، سابقه مصرف مواد مخدر و الکل.

## سن

از سن 10 ساله تا سن 65 ساله

## جنسیت

هر دو

## فاز مطالعه

2-3

## گروه‌های کور شده در مطالعه

- شرکت کننده
- مراقب بالینی
- محقق
- ارزیابی کننده پیامد
- آنالیز کننده داده

## حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش‌بینی شده: 20

## تصادفی سازی (نظر محقق)

اختصاص تصادفی به گروه‌های مداخله و کنترل

## توصیف نحوه تصادفی سازی

بیماران وارد شده به مطالعه، به صورت تصادفی به دو گروه درمان یا کنترل تقسیم می‌شوند. تعداد اعضاء در هر دو بازو مساوی هستند. توالی تصادفی به روش تصادفی ساده توسط نرم افزار Random Allocation Software version 1.0 May 2004 تولید می‌شود. این یک کد تصادفی برای هر شرکت کننده ایجاد می‌کند (واحد تصادفی سازی فردی است). تصادفی سازی تنها یک بار در ابتدای مطالعه انجام می‌شود. پاکت های مهر و موم شده که به طور پیوسته شماره گذاری می‌شوند برای پنهان سازی استفاده خواهند شد. هر شرکت کننده یک پاکت حاوی کد تصادفی را دریافت می‌کند.

## کور سازی (به نظر محقق)

سه سوپه کور

## توصیف نحوه کور سازی

برای مخفی کردن نوع درمان از بیماران هر گروه، از دارونما با بسته بندی، شکل، رنگ، طعم و مزه، بوی، اندازه، دوز و نحوه مصرف یکسان با داروی اصلی استفاده خواهد شد. به منظور کور سازی پزشکان ارزیابی کننده نتایج، محققان و تحلیلگران داده‌ها، دارو و دارونما به عنوان دو گروه A و B معرفی خواهند شد.

## دارو نما

دارد

## اختصاص به گروه‌های مطالعه

متقاطع

## سایر مشخصات طراحی مطالعه

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
برحسب ارتفاع ضایعات مشهود در سونوگرافی 20 مگا هرتز و مود B

**4**

**شرح متغیر پیامد**  
نیاز به مراقبت ناخن  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
مقیاس لیکرت

**5**

**شرح متغیر پیامد**  
نیاز به مراقبت از ضایعات هایپیرکراتوتیک  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
مقیاس لیکرت

**6**

**شرح متغیر پیامد**  
برآورد پزشک از پاسخ درمانی بیمار  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
مقیاس لیکرت

**7**

**شرح متغیر پیامد**  
توانایی راه رفتن روی تردمیل  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
مدت زمان قابل تحمل برای راه رفتن روی تردمیل

**8**

**شرح متغیر پیامد**  
پرسشنامه درد مک گیل  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
پرسشنامه

**9**

**شرح متغیر پیامد**  
شاخص کیفیت زندگی مرتبط با بیماری پوستی  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
پرسشنامه

**10**

**شرح متغیر پیامد**  
بیان ژن کراتین 16، c6، b6، a6 و 17  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

قبل از شروع و پایان هر فاز مطالعه  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
بررسی نمونه پوست

## متغیر پیامد ثانویه

**1**

**شرح متغیر پیامد**  
عوارض جانبی  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
در تمام طول درمان  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
هر گونه تشدید علائم بالینی . تغییرات آزمایشگاهی

**2**

**شرح متغیر پیامد**  
میزان رعایت برنامه درمانی توسط بیمار  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
در تمام طول درمان  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
برحسب برآورد پزشک، مقیاس لیکرت.

## گروه‌های مداخله

**1**

**شرح مداخله**  
گروه مداخله: شرکت کنندگان تحت درمان با 40 میلی گرم سیمواستاتین به صورت تک دوز خوراکی عصر ها قرار می گیرند. درمان در افراد 10 تا 18 ساله با دوز 20 میلی گرم سیمواستاتین صورت می پذیرد. پیش از شروع درمان و چس از 6 ماه تدوam درمان بیماران از نظر مساحت ضایعات، ضخامت و شاخص های مربوط به درد و کیفیت زندگی مورد ارزیابی قرار می گیرند. از بیماران قبل از شروع درمان و پس از پایان آن نمونه پوستی جهت ارزیابی بیان ژن ها گرفته می شود. بیماران پس از یک دوره استراحت دو ماه بدون درمان به گروه کنترل وارد می شوند.

**طبقه بندی**

درمانی - داروها

**2**

**شرح مداخله**  
گروه کنترل: شرکت کنندگان تحت درمان با دارونما به صورت تک دوز خوراکی عصر ها قرار می گیرند. پیش از شروع درمان و پس از 6 ماه تدوam درمان بیماران از نظر مساحت ضایعات، ضخامت و شاخص های مربوط به درد و کیفیت زندگی مورد ارزیابی قرار می گیرند. از بیماران قبل از شروع درمان و پس از پایان آن نمونه پوستی جهت ارزیابی بیان ژن ها گرفته می شود. بیماران پس از یک دوره استراحت دو ماه بدون درمان به گروه کنترل وارد می شوند.

**طبقه بندی**

درمانی - داروها

## مراکز بیمار گیری

**1**

**مرکز بیمار گیری**  
**نام مرکز بیمار گیری**  
بیمارستان شهدای تجریش، درمانگاه پوست  
**نام کامل فرد مسوول**

درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع  
40  
بخش عمومی یا خصوصی  
عمومی  
مبدا اعتبار از داخل یا خارج کشور  
داخلی  
طبقه بندی منابع اعتبار خارجی  
خالی  
کشور مبدا  
کشور  
طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار  
دانشگاهی

## فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

### اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد  
دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی  
نام کامل فرد مسوول  
فاطمه رجبی  
موقعیت شغلی  
دستیار پوست  
آخرین مدرک تحصیلی  
دکترای پزشکی  
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
درماتولوژی  
آدرس خیابان  
تهران، میدان قدس، خیابان شهرداری، نرسیده به میدان تجریش،  
مرکز پزشکی آموزشی درمانی شهدای تجریش، مرکز تحقیقات  
پوست  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
1989934148  
تلفن  
1507 2274 21 98+  
ایمیل  
fatemarajabi@gmail.com

## فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

### اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد  
دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی  
نام کامل فرد مسوول  
فهیمه عبداللهی مجد  
موقعیت شغلی  
استادیار  
آخرین مدرک تحصیلی  
متخصص  
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
درماتولوژی  
آدرس خیابان  
تهران، میدان قدس، خیابان شهرداری، نرسیده به میدان تجریش،  
مرکز پزشکی آموزشی درمانی شهدای تجریش، مرکز تحقیقات  
پوست  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی

فهیمه عبداللهی مجد  
آدرس خیابان  
تهران، میدان قدس، مرکز پزشکی آموزشی درمانی شهدای  
تجریش  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
1989934148  
تلفن  
1507 2274 21 98+  
ایمیل  
fabdollahimajd@sbmu.ac.ir

## 2

مرکز بیمار گیری  
نام مرکز بیمار گیری  
دانشگاه توماس جفرسون بخش پوست و بیولوژی پوست  
نام کامل فرد مسوول  
حسن وحیدنژاد  
آدرس خیابان  
2335، خیابان 10، Suite 450 BLSB.  
شهر  
فیلادلفیا  
کد پستی  
PA 19107  
تلفن  
215-503-5785 1+  
ایمیل  
Hassan.Vahidnezhad@jefferson.edu  
آدرس صفحه وب

## حمایت کنندگان / منابع مالی

## 1

حمایت کننده مالی  
نام سازمان / نهاد  
دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی  
نام کامل فرد مسوول  
دکتر حمیده مروج  
آدرس خیابان  
تهران، میدان قدس، بیمارستان شهدای تجریش، مرکز تحقیقات  
پوست  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
1989934148  
تلفن  
1507 2274 21 98+  
ایمیل  
fabdollahimajd@sbmu.ac.ir

ردیف بودجه  
کد بودجه  
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟  
بلی  
عنوان منبع مالی  
دانشگاه علوم پزشکی شهید بهشتی

1989934148

تلفن

1507 2274 21 98+

ایمیل

fabdollahimajd@sbmu.ac.ir

## فرد مسوول به روز رسانی اطلاعات

### اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

دانشگاه توماس جفرسون بخش پوست و بیولوژی پوست

نام کامل فرد مسوول

معصومه فغان خانی

موقعیت شغلی

دستیار پژوهشی

آخرین مدرک تحصیلی

دکترای پزشکی

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

درماتولوژی

آدرس خیابان

S 233, خیابان 10, Suite 450 BLSB.

شهر

فیلادلفیا

استان

پنسیلوانیا

کد پستی

PA 19107

تلفن

215-503-5785 1+

ایمیل

Masoomah.Faghankhani@jefferson.edu

## 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

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

عنوان و جزئیات بیشتر در مورد داده/مستند

اطلاعات بیشتری وجود ندارد

بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند

اطلاعات بیشتری وجود ندارد

کسانی که اجازه دارند به داده/مستند دسترسی پیدا کنند

اطلاعات بیشتری وجود ندارد

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

اطلاعات بیشتری وجود ندارد

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

اطلاعات بیشتری وجود ندارد

یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند

اطلاعات بیشتری وجود ندارد

سایر توضیحات