

پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۴/۲۵

بررسی اثر درمانی ترهالوز در بیماران مبتلا به بیماری های ذخیره ای لیزوزومی (نیمن پیک A و B) و (موکوپلی ساکاریدوز تایپ 3/سن فیلیپو)

چکیده پروتکل

هدف از مطالعه

بررسی اثر درمانی ترهالوز در کاهش علائم و اختلالات بیماری ذخیره ای لیزوزومال

طراحی

این مطالعه به صورت یک کارآزمایی بالینی غیرتصادفی و بدون گروه کنترل و دارونما طراحی شده است.

نحوه و محل انجام مطالعه

کلینیک غدد و متابولیسم اطفال بیمارستان امام رضا (ع)

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

بیماران مبتلا به نیمن پیک تایپ A و B و موکوپلی ساکاریدوز تایپ 3 که بیماری به طور قطعی در این افراد تشخیص داده شده است.

گروه های مداخله

در گروه مداخله ترهالوز به صورت داخل وریدی و به مدت 12 هفته تزریق خواهد

متغیرهای پیامد اصلی

- 1- بررسی اختلالات شناختی، رفتاری و تکاملی از طریق پرسشنامه.
- 2- تست های بیوشیمیایی برای ارزیابی سطح سرمی آنزیم های موثر در بیماری.
- 3- میزان گلیکوزآمینوگلیکان های سرم و ادرار (هپاران سولفات).
- 4- بررسی کبد و طحال با سونوگرافی

اطلاعات عمومی

عنوان پروژ رسانی

نام اختصاری

Trehalose Therapeutic Effects in Lysosomal Storage Diseases (TTELSD)

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20130829014521N16

تاریخ تایید ثبت در مرکز: ۱۳۹۸/۱۲/۱۳، 03-03-2020

زمان بندی ثبت: prospective

آخرین بروز رسانی: ۱۳۹۹/۱۰/۲۰، 09-01-2021

تعداد بروز رسانی ها: 1

تاریخ تایید ثبت در مرکز

۱۳۹۸/۱۲/۱۳، 2020-03-03

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

امیرحسین صاحبکار

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی مشهد

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

9260 1882 51 98+

آدرس ایمیل

sahebkar@mums.ac.ir

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

۱۳۹۹/۰۳/۳۱، 2020-06-20

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

۱۳۹۹/۱۱/۳۰، 2021-02-18

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی

بررسی اثر درمانی ترهالوز در بیماران مبتلا به بیماری های ذخیره ای لیزوزومی (نیمن پیک A و B) و (موکوپلی ساکاریدوز تایپ 3/سن فیلیپو)

عنوان عمومی کارآزمایی

ترهالوز و بیماری های ذخیره ای لیزوزومی

هدف اصلی مطالعه

درمانی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

مبتلایان به بیماری (نیمن پیک تیپ های A و B) و (موکوپلی ساکاریدوز تایپ 3/سن فیلیپو)

شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

سن

بدون محدودیت سنی

جنسیت

هر دو

فار مطالعه

3

گروه‌های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش‌بینی شده: 10

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 گروه‌های مطالعه

تنها

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 مشهد

آدرس خیابان

خیابان دانشگاه- ساختمان قریشی- معاونت پژوهشی دانشگاه

علوم پزشکی مشهد

شهر

مشهد

استان

خراسان رضوی

کد پستی

9138813944

تاریخ تایید

1398/09/15, 2019-12-06

کد کمیته اخلاق

IR.MUMS.REC.1398.257

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح

موکوپلی ساکاریدوز تایپ 3/ سندروم سن فیلیپو

کد ICD-10

E76.22

توصیف کد ICD-10

Sanfilippo mucopolysaccharidoses

2

شرح

نیمن پیک تیپ A و B

کد ICD-10

E75.24

توصیف کد ICD-10

Niemann-Pick disease

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد

بررسی اندازه کبد و طحال

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

ابتدای مطالعه (قبل از شروع مداخله) و در انتهای مطالعه (بعد از هفته

دوازدهم)

نحوه اندازه‌گیری متغیر

از طریق سونوگرافی توسط رادیولوژیست

2

شرح متغیر پیامد

بررسی اختلالات شناختی، رفتاری و تکاملی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

ابتدای مطالعه (قبل از شروع مداخله) و در انتهای مطالعه (بعد از هفته

دوازدهم)

نحوه اندازه‌گیری متغیر

بررسی اختلالات رفتاری طبق پرسشنامه خواهد بود که هم توسط

والدین و هم پزشک تکمیل می‌شود.

متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد

بررسی سطح پلاسمایی اسفنگومیلین

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

ابتدای مطالعه (قبل از شروع مداخله) و در انتهای مطالعه (بعد از هفته

دوازدهم)

نحوه اندازه‌گیری متغیر

کیت اندازه‌گیری اسفنگومیلین سرمی جهت ارزیابی پاسخ به درمان و

پیشرفت بیماری

2

شرح متغیر پیامد

بررسی غلظت سرمی هپاران سولفات و گلیکوزآمینوگلیکان

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

ابتدای مطالعه (قبل از شروع مداخله) و در انتهای مطالعه (بعد از هفته

دوازدهم)

نحوه اندازه‌گیری متغیر

کیت هپاران سولفات و گلیکوزآمینوگلیکان سرمی جهت ارزیابی پاسخ

به درمان و پیشرفت بیماری

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله

گروه مداخله: گروه مداخله ترهالوز به صورت داخل وریدی و به مدت

12 هفته تزریق خواهد

طبقه بندی

درمانی - داروها

مراکز بیمار گیری

فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی مشهد

نام کامل فرد مسوول

دکتر امیرحسین صاحبکار

موقعیت شغلی

دانشیار

آخرین مدرک تحصیلی

.Ph.D

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

بیوتکنولوژی دارویی

آدرس خیابان

مشهد، میدان آزادی، درب شرقی دانشگاه فردوسی، دانشکده

داروسازی

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

9177899191

تلفن

9260 1882 51 98+

فکس

3251 1882 51 98+

ایمیل

sahebkhara@mums.ac.ir

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی مشهد

نام کامل فرد مسوول

دکتر امیر حسین صاحبکار

موقعیت شغلی

دانشیار

آخرین مدرک تحصیلی

.Ph.D

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

بیوتکنولوژی دارویی

آدرس خیابان

دانشکده داروسازی، مشهد، میدان آزادی، درب شرقی دانشگاه

فردوسی

شهر

مشهد

استان

خراسان رضوی

کد پستی

9177899191

تلفن

2288 1800 51 98+

ایمیل

sahebkhara@mums.ac.ir

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی مشهد

نام کامل فرد مسوول

مرکز بیمار گیری

نام مرکز بیمار گیری

کلینیک غدد و متابولیسم اطفال بیمارستان اکبر

نام کامل فرد مسوول

دکتر امیرحسین صاحبکار

آدرس خیابان

بلوار شهید فکوری

شهر

مشهد

استان

خراسان رضوی

کد پستی

30007273010022

تلفن

1000 3180 51 98+

ایمیل

Sahebkhara@mums.ac.ir

حمایت کنندگان / منابع مالی

حمایت کننده مالی

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی مشهد

نام کامل فرد مسوول

Dr. Mohsen Tafaghodi

آدرس خیابان

معاونت پژوهش و فناوری، مشهد، خیابان دانشگاه، ساختمان

قریشی

شهر

مشهد

استان

خراسان رضوی

کد پستی

9138813944

تلفن

1538 3841 51 98+

ایمیل

vcresraech@mums.ac.ir

ردیف بودجه

کد بودجه

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

بلی

عنوان منبع مالی

دانشگاه علوم پزشکی مشهد

درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع

100

بخش عمومی یا خصوصی

عمومی

مبدأ اعتبار از داخل یا خارج کشور

داخلی

طبقه بندی منابع اعتبار خارجی

خالی

کشور مبدأ

طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار

دانشگاهی

برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

توجیه/علت عدم تصمیم/عدم انتشار IPD

"اطلاعات بیشتری وجود ندارد"

پروتکل مطالعه

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

نقشه آنالیز آماری

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

فرم رضایتنامه آگاهانه

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

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)

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

دکتر امیرحسین صاحبکار

موقعیت شغلی

دانشیار

آخرین مدرک تحصیلی

.Ph.D

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

بیوتکنولوژی دارویی

آدرس خیابان

دانشکده داروسازی، مشهد، میدان آزادی، درب شرقی دانشگاه

فردوسی

شهر

مشهد

استان

خراسان رضوی

کد پستی

9177899191

تلفن

2288 1800 51 98+

ایمیل

sahebkhara@mums.ac.ir