پروتکل کارآزمایی بالینی
مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۸/۲۶

بررسی اثربخشی تزریق اینتراتکال سلولهای بنیادی مزانشیمی آلوژنیک مشتق ازبندناف در تغییرات فنوتیپی مبتلایان به تحلیل عضلانی نخاعی نوع یک ، دو و سه در مقایسه با گروه شاهد ، کارآزمایی بالینی فاز 1و2

چکیده پروتکل

هدف ازمطالعه

تعیین اثربخشی تزریق اینتراتکال سلولهای بنیادی مزانشیمی مشتق از بند ناف در تغییرات فنوتیپی مبتلایان به بیماری تحلیل عضلانی نخاعی نوع یک ، دو و سه

طراحی

مطالعه کارآزمایی بالینی دو سو کور فاز 1و2 با گروه کنترل است . 60 بیمار اثبات شده تحلیل نخاعی عضلانی (20 مورد از هر سه نوع) در این مطالعه وارد میشوند . بعد از توجیه احتمال اثر و بروز عوارض وکسب رضایت آگاهانه والدین هر نوع بیماری به صورت اتفاقی به دو گروه ده عددی مداخله و یا شاهد تفکیک میشوند.

نحوه و محل انجام مطالعه

از بیماران معاینات بالینی بعمل آمده و تست الکترو دیاگنوز پایه انجام میگردد. بیماران در مرکز طبی کودکان بستری و بعد تزریق تا 24 ساعت تحت نظر میمانند . بعد گرفتن 2 میلی لیتر مایع مغزی نخاعی ، سو سپانسیون سلولی تزریق میشود. با تقلید ظاهری شبیه به تزریق اینتراتکال در گروه کنترل بیماران و همچنین ارزیابهای بالینی از دو گروه اطلاعی نخواهند داشت . ارزیابی های بالینی وتستهای الکنرو دیاگنوستیک تا یکسال ادامه خواهد داشت .

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

شرایط ورود :اثبات ژنتیکی بیماری تحلیل عضلانی نخاعی و نوع آن ، حداقل سن 6ماه و حداکثر 16 سال ، عدم وابستگی به ونتیلاتور ، فقدان اختلالات سایر ارگانها شرایط عدم ورود : سن زیر 6 ماه و بالای 16 سال ،وابستگی به ونتیلاتور در شروع درمان،وجود بیماری جدی سایر ارگانها

گروه‌های مداخله

در گروه مداخله سه نوبت تزریق سلول مزانشیمی اینتراتکال به فاصله دو هفته هر بار 20 میلیون سلول انجام میشود . در گروه شاهد سه جلسه هر دو هفته تنها ظاهر شبیه تزریق اینتراتکال تقلید شده و تزریقی انجام نمیشود .

متغیرهای پیامد اصلی

تعیین اثر بخشی سلولهای بنیادی مزانشیمی بر روی طول عمر و احتمالا قدرت عضلانی تحلیل عضلانی نخاعی نوع یک -تعیین اثر بخشی سلولهای بنیادی مزانشیمی بر روی قدرت عضلانی تحلیل عضلانی نخاعی نوع دو و سه

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

نام اختصاری

MSCSMA

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: **IRCT20110628006907N15**

تاریخ تایید ثبت در مرکز: **2020-03-17, ۱۳۹۸/۱۲/۲۷**

زمان‌بندی ثبت: **prospective**

آخرین بروز رسانی: **2020-03-17, ۱۳۹۸/۱۲/۲۷**

تعداد بروز رسانی‌ها: **0**

تاریخ تایید ثبت در مرکز

2020-03-17, ۱۳۹۸/۱۲/۲۷

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

دکتر محمودرضا اشرفی

نام سازمان / نهاد

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

+98 21 6612 9252

آدرس ایمیل

ashrafim@tums.ac.ir

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2020-04-20, ۱۳۹۹/۰۲/۰۱

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2021-04-20, ۱۴۰۰/۰۱/۳۱

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی

بررسی اثربخشی تزریق اینتراتکال سلولهای بنیادی مزانشیمی آلوژنیک مشتق ازبندناف در تغییرات فنوتیپی مبتلایان به تحلیل عضلانی نخاعی نوع یک ، دو و سه در مقایسه با گروه شاهد ، کارآزمایی بالینی فاز 1و2

عنوان عمومی کارآزمایی

اثر ات تزریق سلولهای بنیادی مزانشیمی مشتق از بند ناف در درمان بیماری تحلیل عضلانی نخاعی

هدف اصلی مطالعه

درمانی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

اثبات ژنتیکی حذف ژن اس ام ان یک برای تشخیص بیماری تحلیل عضلانی نخاعی ، شمارش تعداد کپی نامبر ژن اس ام ان دو برای طبقه بندی تیپ بیماری ، حداقل سن 6 ماه در تیپ 1 ،عدم نیاز به دستگاه ونتیلاتور در شروع درمان در تیپ 1 ، حداکثر سن 16 سال در تیپ 2و3 ،عدم نیاز به دستگاه ونتیلاتور در تیپ 2و 3 ، فقدان صدمه مغزی - فقدان بیماری کبد - فقدان بیماری کلیه - فقدان بیماری خونی - رضایت آگاهانه بیمار و والدین آنها

شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

جراحت اکتسابی مغز ازجمله هیپوکسی ، اختلالات ساختمانی و فانکشنال مغزی ، عفونت های حاد ازجمله (HCV HBV،HIV) ، بدخیمی ها ، استعداد خونریزی، آنمی شدید (هموگلوبین کمتر از 8) ، اختلال عملکرد کلیوی ، اختلال عملکرد کبدی

سن

از سن **6 ماهه** تا سن **16 ساله**

جنسیت

هر دو

فاز مطالعه

مصداق ندارد

گروه‌های کور شده در مطالعه

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

حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش‌بینی شده: **60**

تصادفی سازی (نظر محقق)

اختصاص تصادفی به گروه‌های مداخله و کنترل

توصیف نحوه تصادفی سازی

بیماران با استفاده از روش تصادفی سازی بلوک بندی شده به دو گروه مداخله و کنترل (سی مورد گروه مداخله با تزریق سلول های مزانشیمی مشتق از بند ناف ده نفر از هر نوع بیماری و سی مورد گروه شاهد بدون تزریق ده نفر از هر نوع بیماری) تقسیم می شوند.تصادفی سازی با استفاده از بلوکهای 6 و 9 تایی صورت می پذیرد. بلوک بندی قبلا توسط نرم افزار آنلاین تصادفی سازی صورت گرفته است. هماهنگ کننده تصادفی سازی و ارزیابهای بالینی از بیماران هرگروه مطلع نخواهند بود .

کور سازی (به نظر محقق)

دو سویه کور

توصیف نحوه کور سازی

این مطالعه دوسو کوراست وبنابراین ، در گروه کنترل نیز با فروکردن سوزن در پوست ظاهری شبیه انجام پونکسیون لومبار تقلیدشده و سوزن بدون هیچ تزریقی خارج میشود . این روش مشابه گروههای مداخله سه نوبت هر دوهفته تکرار میشود . بیماران ، والدین آنها و گروه ارزیاب از این موضوع آگاه نخواهند بود . در پایان مطالعه چنان که ثابت شود سلول درمانی در گروهای مداخله ها بی خطر بوده و اثرات درمانی نیز به دنبال داشته است در گروهای کنترل نیز تزریقهای سلول بنیادی انجام خواهد شد تا از لحاظ اخلاقی قابل توجیه باشد .

دارو نما

دارد

اختصاص به گروه‌های مطالعه

موازی

سایر مشخصات طراحی مطالعه

اولین مطالعه سلول درمانی اینتراتکال بیماری تحلیل عضلانی نخاعی در مقایسه با گروه شاهد در ایران، اولین مطالعه سلول درمانی بااستفاده از سلولهای مزانشیمی دربیماری تحلیل عضلانی نخاعی در ایران

کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین‌المللی

خالی

تاییدیه کمیته‌های اخلاق

1

کمیته اخلاق

نام کمیته اخلاق

دانشگاه علو.م پزشکی تهران

آدرس خیابان

بلوار کشاورز نبش خیابان قدس ساختمان مرکزی دانشگاه علوم پزشکی تهران پلاک 226

شهر

Tehran

استان

تهران

کد پستی

1417653761

تاریخ تایید

2020-02-04, ۱۳۹۸/۱۱/۱۵

کد کمیته اخلاق

IR.TUMS.VCR.REC.1398.899

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح

بیماری تحلیل عضلانی نخاعی تیپ یک ، دو و سه

کد ICD-10

G12

توصیف کد ICD-10

Spinal muscular atrophy and related syndromes

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد

تعیین اثر بخشی سلولهای بنیادی مزانشیمی مشتق از بند ناف بر روی افزایش طول عمر بیماران مبتلا به بیماری تحلیل عضلانی نخاعی تیپ یک

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل مداخله وبعد هردو ماه تا یکسال

نحوه اندازه‌گیری متغیر

پرسشنامه و معاینات بالینی

2

شرح متغیر پیامد

تعیین اثر بخشی سلولهای بنیادی مزانشیمی مشتق از بند ناف بر روی

قدرت عضلانی بیماران مبتلا به بیماری تحلیل عضلانی نخاعی تیپ یک

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل مداخله وبعد هردو ماه تا یکسال

نحوه اندازه‌گیری متغیر

پرسشنامه های HINE ,CHOP intent

3

شرح متغیر پیامد

تعیین اثر بخشی سلولهای بنیادی مزانشیمی مشتق از بند ناف بر روی قدرت عضلانی بیماران مبتلا به بیماری تحلیل عضلانی نخاعی تیپ 2

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل مداخله وبعد هرچهار ماه تا یکسال

نحوه اندازه‌گیری متغیر

پرسشنامه های ULMS , WMM, HFMSE

4

شرح متغیر پیامد

تعیین اثر بخشی سلولهای بنیادی مزانشیمی مشتق از بند ناف بر روی قدرت عضلانی بیماران مبتلا به بیماری تحلیل عضلانی نخاعی تیپ 3

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل مداخله وبعد هرچهار ماه تا یکسال

نحوه اندازه‌گیری متغیر

پرسشنامه های 6MWT, ULMS , WMM , HFMSE

متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد

بهبود اندکسهای ارزیابی الکترودیاگنوزیس بیماران تحلیل عضلانی نخاعی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل مداخله ، 2ماه بعد از آخرین تزریق و سپس هر4ماه تا یکسال از اولین تزریق

نحوه اندازه‌گیری متغیر

تکنیک تخمین تعداد موتور یونیت ها (با استفاده از روش اسکن CMAP)

2

شرح متغیر پیامد

تعداد شرکت کنندگانی که عوارض جانبی را تجربه میکنند و عوارض جانبی جدی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

24 ساعت اول بعد تزریق و بعد هر زمان که اتفاق بیفتد

نحوه اندازه‌گیری متغیر

پرسشنامه ، گزارش والدین وارزیابیهای بالینی دوره ای طراحی شده

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله

گروه مداخله یک : بیماران تحلیل عضلانی نخاعی تیپ یک که سه تزریق اینتراتکال سلول های بنیادی مزانشیمال مشتق از بند ناف تهیه شده توسط شرکت فناوری های بن یاخته های رویان و شرکت سل تک فارمد را دریافت خواهند کرد.تزریق اینتراتکال زیر بیهوشی و از طریق پونکسیون کمری انجام خواهد شد. بعد از گرفتن 2 میلی لیتر از مایع مغزی نخاعی 2 میلی لیتر سوسپانسیون حاوی 20 میلیون سلولهای بنیادی با یک سرنگ تزریق خواهد شد . بیمار یک روز به جهت مشاهده عوارض جانبی احتمالی بستری میگردد. پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .د . بیمار یک روز به جهت مشاهده واکنشهای ناسازگار بستری میشود .پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .

طبقه بندی

درمانی - داروها

2

شرح مداخله

گروه مداخله دو : بیماران تحلیل عضلانی نخاعی تیپ دو که سه تزریق اینتراتکال سلول های بنیادی مزانشیمال مشتق از بند ناف تهیه شده توسط شرکت فناوری های بن یاخته های رویان و شرکت سل تک فارمد را دریافت خواهند کرد.تزریق اینتراتکال زیر بیهوشی و از طریق پونکسیون کمری انجام خواهد شد. بعد از گرفتن 2 میلی لیتر از مایع مغزی نخاعی 2 میلی لیتر سوسپانسیون حاوی 20 میلیون سلولهای بنیادی با یک سرنگ تزریق خواهد شد . بیمار یک روز به جهت مشاهده عوارض جانبی احتمالی بستری میگردد. پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .د . بیمار یک روز به جهت مشاهده واکنشهای ناسازگار بستری میشود .پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .

طبقه بندی

درمانی - داروها

3

شرح مداخله

گروه مداخله سه: بیماران تحلیل عضلانی نخاعی تیپ سه که سه تزریق اینتراتکال سلول های بنیادی مزانشیمال مشتق از بند ناف تهیه شده توسط شرکت فناوری های بن یاخته های رویان و شرکت سل تک فارمد را دریافت خواهند کرد.تزریق اینتراتکال زیر بیهوشی و از طریق پونکسیون کمری انجام خواهد شد. بعد از گرفتن 2 میلی لیتر از مایع مغزی نخاعی 2 میلی لیتر سوسپانسیون حاوی 20 میلیون سلولهای بنیادی با یک سرنگ تزریق خواهد شد . بیمار یک روز به جهت مشاهده عوارض جانبی احتمالی بستری میگردد. پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .ناسازگار بستری میشود .پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .

طبقه بندی

درمانی - داروها

4

شرح مداخله

گروه کنترل یک : بیماران تحلیل عضلانی نخاعی تیپ یک که بعد فروکردن سوزن در پوست بدون ورود به فضای مایع مغزی نخاعی سوزن خارج وتزریقی انجام نخواهد شد . در این گروه تنها ظاهری شبیه تزریق اینتراتکال ایجاد میشود و بیماریا والدین آنها مطلع نخواهند بود . .بیمار یک روز به جهت مشاهده عوارض جانبی احتمالی بستری میگردد. پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .

طبقه بندی

دارو نما

5

شرح مداخله

گروه کنترل دو: بیماران تحلیل عضلانی نخاعی تیپ دو که بعد فروکردن سوزن در پوست بدون ورود به فضای مایع مغزی نخاعی سوزن خارج وتزریقی انجام نخواهد شد . در این گروه تنها ظاهری شبیه تزریق اینتراتکال ایجاد میشود و بیماریا والدین آنها و ارزیابها مطلع نخواهند بود . .بیمار یک روز به جهت مشاهده عوارض جانبی احتمالی بستری میگردد. پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .

طبقه بندی

دارو نما

6

شرح مداخله
گروه کنترل سه : : بیماران تحلیل عضلانی نخاعی تیپ سه است که بدون تزریق بعد فروکردن سوزن در پوست بدون ورود به فضای مایع مغزی نخاعی سوزن خارج وتزریقی انجام نشده وتنها ظاهری شبیه تزریق اینتراتکال بدون آگاهی بیماریا والدین آنها ایجاد میشود .بیمار یک روز به جهت مشاهده عوارض جانبی احتمالی بستری میگردد. پیگیری و ارزیابی یکساله همراه با درمانهای توانبخشی منظم و مشابه انجام میشود .
طبقه بندی
دارو نما

مراکز بیمار گیری

1

مرکز بیمار گیری
نام مرکز بیمار گیری
بیمارستان مرکز طبی کودکان
نام کامل فرد مسوول
رضا شروین بدو
آدرس خیابان
بیمارستان مرکز طبی کودکان ،انتهای بلوار کشاورز ، خیابان قریب ، پلاک 62
شهر
Tehran
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تلفن
+98 21 6692 9234
فکس
+98 21 6612 9252
ایمیل
drbadv@gmail.com

حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
آقای دکتر محمد علی صحراییان
آدرس خیابان
بلوار کشاورز نبش خیابان قدس ساختمان مرکزی دانشگاه علوم پزشکی تهران پلاک 226
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1417653761
تلفن
+98 21 8898 7381
ایمیل
msahrai@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
1
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

2

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
شرکت فناوری بن یاخته های رویان
نام کامل فرد مسوول
آقای دکتر مرتضی ضرابی
آدرس خیابان
بزرگراه رسالت خیابان بنی هاشم -بعد از میدان بنی هاشم -نبش حافظ شرقی پلاک 24
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1665666311
تلفن
+98 21 8978 1307
ایمیل
info@rsct.ir
ردیف بودجه
کد بودجه
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟
بلی
عنوان منبع مالی
شرکت فناوری بن یاخته های رویان
درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع
99
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
اشخاص

فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول

مرتضی حیدری
موقعیت شغلی
استاد یار
آخرین مدرک تحصیلی
فوق تخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
نورولوژی
آدرس خیابان
بیمارستان مرکزطبی کودکان ، انتهای بلوار کشاورز خیابان قریب پلاک 62
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تلفن
+98 21 6612 9252
ایمیل
mortezah93@gmail.com

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
محمودرضا اشرفی
موقعیت شغلی
استاد
آخرین مدرک تحصیلی
فوق تخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
نورولوژی
آدرس خیابان
بیمارستان مرکز طبی کودکان ، انتهای بلوار کشاورز خیابان قریب پلاک 62
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تلفن
+98 21 6612 9252
فکس
+98 21 6612 9252
ایمیل
mr_ashrafi@yahoo.com

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی تهران
نام کامل فرد مسوول
آناهیتا مجمع
موقعیت شغلی
فلوشیپ مراقبتهای ویژه کودکان
آخرین مدرک تحصیلی
متخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
کودکان
آدرس خیابان
بیمارستان مرکز طبی کودکان ، انتهای بلوار کشاورز خیابان قریب پلاک 62
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1419733151
تلفن
+98 21 6612 9252
ایمیل
majmaaa911@yahoo.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
هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست
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
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 جزییات بیشتر در مورد داده/مستند
کل داده ها بالقوه پس از غیر قابل شناسایی کردن افراد قابل اشتراک گذاری است
بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند
شروع دوره دسترسی داده ها 6 ماه پس از چاپ نتایج بدون محدودیت زمانی برای دسترسی
کسانی که اجازه دارند به داده/مستند دسترسی پیدا کنند
محققین شاغل در موسسات دانشگاهی و علمی و افرادی که در صنعت مشغول هستند
به چه منظور و تحت چه شرایطی داده/مستند قابل استفاده است
استفاده از مستندات برای انجام مطالعه در سایر مراکز دانشگاهی مجاز است
برای دریافت داده/مستند به چه کسی یا کجا مراجعه شود
پست الکترونیک
یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند
درخواست از طریق پست الکترونیک
سایر توضیحات