

پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۲۰

بررسی اثر درمانی ترهالوز در بیمار مبتلا به موکوسولفاتیدوز (کمبود و یا نقص مالتیپل سولفاتاز)

چکیده پروتکل

هدف از مطالعه

بررسی اثر درمانی ترهالوز در کاهش علائم و اختلالات بیماری نقص مالتیپل سولفاتاز

طراحی

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

نحوه و محل انجام مطالعه

بیمارستان کودکان اکبر (مشهد)- دانشکده علوم پزشکی- دانشکده داروسازی بیماران از بیمارستان کودکان اکبر انتخاب شده و تحت درمان با سرم ترهالوز (تجویز بصورت وریدی 15 گرم در هفته) برای مدت 12 هفته قرار خواهند گرفت و نهایتاً در انتهای مطالعه پارامترهای مرتبط با بیماری ارزیابی خواهد شد.

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

بیمار با تشخیص قطعی MSD

گروه‌های مداخله

"گروه مداخله" شامل محلول 15% ترهالوز C12H22O11 که یک قندی (دی ساکارید) متشکل از دو واحد گلوکز است که با پیوند آلفا بهم متصل شده اند

متغیرهای پیامد اصلی

بررسی کیفیت زندگی مرتبط با سلامتی با انجام تست (TAPQOL)

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

نام اختصاری

TTEMSD

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20130829014521N17

تاریخ تایید ثبت در مرکز: 15-03-2021, 1399/12/25

زمان بندی ثبت: registered_while_recruiting

آخرین بروز رسانی: 15-03-2021, 1399/12/25

تعداد بروز رسانی‌ها: 0

تاریخ تایید ثبت در مرکز

1399/12/25, 2021-03-15

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

1399/12/01, 2021-02-19

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

1399/12/30, 2021-03-20

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی

بررسی اثر درمانی ترهالوز در بیمار مبتلا به موکوسولفاتیدوز (کمبود و

یا نقص مالتیپل سولفاتاز)

عنوان عمومی کارآزمایی

ترهالوز و بیماری نقص مالتیپل سولفاتاز

هدف اصلی مطالعه

درمانی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

ابتلا به بیماری نقص مالتیپل سولفاتاز (تشخیص قطعی بیماری)

شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

سن

بدون محدودیت سنی

جنسیت

هر دو

فاز مطالعه

2

گروه‌های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش‌بینی شده: 1

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

1

شرح متغیر پیامد

بررسی کیفیت زندگی مرتبط با سلامتی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

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

دوازدهم)

نحوه اندازه‌گیری متغیر

پرسشنامه و انجام تست TAPQOL که یک پرسشنامه شامل 43 آیتم و

سوال‌هایی در زمینه‌های متفاوت است که جنبه‌های مختلف سلامت

فیزیکی، اجتماعی، عملکرد شناختی و احساسی فرد بیمار را در بر می

گیرد.

متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد

1- بررسی اندازه کبد و طحال از طریق سونوگرافی توسط

رادیولوژیست

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 سطح سرمی آنزیم‌های کبدی شامل AST و ALT در سرم

بیمار

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

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

دوازدهم)

نحوه اندازه‌گیری متغیر

سنجش آنزیمی

3

شرح متغیر پیامد

بررسی ضایعات مغزی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

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

دوازدهم)

نحوه اندازه‌گیری متغیر

اسکن و تصویربرداری از مغز

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله

گروه مداخله: محلول 15% ترهالوز C12H22O11 که یک قند (دی

ساکارید) غیراحیا کننده متشکل از دو واحد گلوکز است که با پیوند آلفا

بهم متصل شده اند.

طبقه بندی

درمانی - داروها

مراکز بیمار گیری

1

کمیته اخلاق

نام کمیته اخلاق

Ethics Committee of Mashhad University of Medical

Sciences

آدرس خیابان

خیابان دانشگاه- ساختمان قریشی- معاونت پژوهشی دانشگاه

علوم پزشکی مشهد

شهر

مشهد

استان

خراسان رضوی

کد پستی

9138813944

تاریخ تایید

2021-01-30, 1399/11/11

کد کمیته اخلاق

IR.MUMS.REC.1399.619

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح

نقص مالتیپل سولفاتاز

کد ICD-10

E75.2

توصیف کد ICD-10

Multiple sulfatase deficiency (also known as 'Austin

disease', and 'mucosulfatidosis') is a very rare autosomal

recessive lysosomal storage disease caused by a

deficiency in multiple sulfatase enzymes, or in

formylglycine-generating enzyme, which activate

متغیر پیامد اولیه

فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
 دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
 امیرحسین صاحبکار
موقعیت شغلی
 دانشیار
آخرین مدرک تحصیلی
 .Ph.D
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
 داروسازی
آدرس خیابان
 مشهد، میدان آزادی، درب شرقی دانشگاه فردوسی، دانشکده داروسازی
شهر
 مشهد
استان
 خراسان رضوی
کد پستی
 9177899191
تلفن
 9260 1882 51 98+
فکس
 3251 1882 51 98+
ایمیل
 sahebkar@mums.ac.ir

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
 دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
 امیرحسین صاحبکار
موقعیت شغلی
 دانشیار
آخرین مدرک تحصیلی
 .Ph.D
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
 داروسازی
آدرس خیابان
 مشهد، میدان آزادی، درب شرقی دانشگاه فردوسی، دانشکده داروسازی
شهر
 مشهد
استان
 خراسان رضوی
کد پستی
 9177899191
تلفن
 9260 1882 51 98+
فکس
 3251 1882 51 98+
ایمیل
 sahebkar@mums.ac.ir

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد

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
 Sahebkar@mums.ac.ir

حمایت کنندگان / منابع مالی

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
 دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
 دکتر محسن تفتدی
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 با 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

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

کدهای استفاده شده در آنالیز

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

نظام دسته‌بندی داده (دیکشنری داده)

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد