

# 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  
sahebkhara@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

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  
دانشکده داروسازی، مشهد، میدان آزادی، درب شرقی دانشگاه  
فردوسی  
شهر  
مشهد  
استان  
خراسان رضوی  
کد پستی  
9177899191  
تلفن  
2288 1800 51 98+  
ایمیل

## 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