پروتکل کارآزمایی بالینی
مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۸/۲۹

بررسی اثرات ان-استیل-ال-لوسین بر بهبود علایم بیماران مبتلا به آتاکسی-تلانژکتازی: کارآزمایی بالینی دو سو کور متقاطع

چکیده پروتکل

هدف ازمطالعه

تعیین اثربخشی ان-استیل-ال-لوسین بر بهبود علایم بیماران مبتلا به آتاکسی-تلانژکتازی

طراحی

مطالعه حاضر یک کارآزمایی بالینی تصادفی شده دوسویه کور متقاطع با گروه های موازی است. در مجموع 16 بیمار از 15آذر لغایت 15 مرداد 1401وارد مطالعه می شوند. جدول اعداد تصادفی برای تصادفی سازی استفاده شد.

نحوه و محل انجام مطالعه

بیماران مبتلا به آتاکسی-تلانژکتازی که به کلینیک اعصاب بیمارستان قائم مراجعه نمودند وارد مطالعه می شوند. کلیه شرکت کنندگان، مراقب بالینی و آنالیز کننده داده، بعد از تخصیص دارو نسبت به مداخله، کورسازی می شوند. بطوریکه، ظروف مکمل توسط شخص غیر محقق به عنوان A و B کدگذاری شده و تا زمان تحلیل آماری محرمانه باقی می ماند. قرص دارونما از نظر وزن و رنگ مشابه مکمل است.

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

شرایط ورود: بیماران دارای تشخیص قطعی آتاکسی تلانژکتازی که دارای علائم بالینی و عدم اعتیاد هستند و دارای دوز/مدت و نوع گفتاردرمانی یا فیزیوتراپی ثابت می باشند. شرایط عدم ورود: بیماران دارای اسهال مزمن، بدخیمی، دیابت شیرین وابسته به انسولین، سابقه حساسیت به ان-استیل-لوسین، بیمارانی که کم بینایی یا کم شنوایی دارند، بیمارانی که مبتلا به آرتروز یا سایر اختلالات اسکلتی عضلانی هستند.

گروه‌های مداخله

در گروه دارو (تعداد=8) مکمل ان-استیل-ال-لوسین به صورت خوراکی به مدت 6 هفته توسط بیماران مبتلا به آتاکسی-تلانژکتازی مصرف می شود و سپس پس از یک دوره 4 هفته ای استراحت، به درمان جایگزین منتقل شوند. در گروه کنترل (تعداد=8) قرص دارونمای هم شکل، هم وزن و همرنگ به مدت 6 هفته توسط بیماران مبتلا به آتاکسی-تلانژکتازی مصرف و سپس پس از یک دوره 6 هفته ای استراحت، به درمان جایگزین منتقل شوند.

متغیرهای پیامد اصلی

علایم حرکتی

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

-به علت تهیه کپلت و عدم مصرف پودر، پودر به کپلت تغییر یافت. -همچنین باتوجه به تاخیر ناخواسته در ترخیص دارو از گمرک، تاریخ بیمارگیری افزایش یافت. -ضمنا طبق رفرنس معتبر در اروپا، دوز مکمل از 1 تا 6 گرم به طور دقیقتر به 1 تا 4 گرم، بسته به وزن بیمار، اصلاح گردید. -همچنین یادآمد غذایی نیز در بیماران در هر مرحله مطالعه ثبت خواهد شد.

نام اختصاری

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: **IRCT20210413050958N1**

تاریخ تایید ثبت در مرکز: **2021-10-27, ۱۴۰۰/۰۸/۰۵**

زمان‌بندی ثبت: **prospective**

آخرین بروز رسانی: **2021-11-25, ۱۴۰۰/۰۹/۰۴**

تعداد بروز رسانی‌ها: **1**

تاریخ تایید ثبت در مرکز

2021-10-27, ۱۴۰۰/۰۸/۰۵

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

مریم صابری-کریمیان

نام سازمان / نهاد

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

+98 51 3764 3808

آدرس ایمیل

saberikm@mums.ac.ir

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2021-12-06, ۱۴۰۰/۰۹/۱۵

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2022-08-06, ۱۴۰۱/۰۵/۱۵

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی
بررسی اثرات ان-استیل-ال-لوسین بر بهبود علایم بیماران مبتلا به آتاکسی-تلانژکتازی: کارآزمایی بالینی دو سو کور متقاطع

عنوان عمومی کارآزمایی
اثر ان-استیل-ال-لوسین در درمان آتاکسی-تلانژکتازی
هدف اصلی مطالعه
درمانی
شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه
شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:
امضای فرم رضایت آگاهانه توسط داوطلبان یا والدین آنها پس از توضیح اهداف طرح توسط تیم تحقیقاتی بیمارانی که تشخیص قطعی AT دارند باید علائم بالینی داشته باشند عدم اعتیاد به مواد مخدر و الکل در صورتی که بیمار بطور همزمان، گفتاردرمانی یا فیزیوتراپی انجام می دهد باید حداقل 4 هفته قبل از ویزیت 1 و طی مدت مطالعه، دوز/مدت و نوع درمان پایدار داشته باشد در صورتی که بیمار دارو مصرف می کند باید دوز ثابت خود را حفظ کند/در طول مدت مطالعه درمان خود را تغییر ندهد.
شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:
هیچ گونه داروی ممنوعی را حداقل 4 هفته قبل از ویزیت 1 و طی مدت مطالعه مصرف نکرده باشند (از جمله هر واریانتی از ان- استیل-دی-ال-لوسین ، آمینوپیریدین ها، ریلوزول ، گاباپنتین، وارنیسلین، کلرزوکسازون، سولفاسالازین، روزوواستاتین بیماران بدون علامت بیمارانی که دارای علایم بالینی آتاکسی-تلانژکتازی هستند اما فاقد تایید تست ژنتیکی قبلی برای آن باشند. بیمارانی که هر یک از موارد زیر را دارند: اسهال مزمن، از دست دادن بینایی غیرقابل توضیح، بدخیمی ها، دیابت شیرین وابسته به انسولین، سابقه حساسیت به ان-استیل-لوسین یا سایر مشتقات آن (دی، ال، دل-ال) بیمارانی که کم بینایی یا کم شنوایی دارند که توانایی آنها در انجام ارزیابی های مطالعه را مختل می کند. بیمارانی که مبتلا به آرتروز یا سایر اختلالات اسکلتی عضلانی هستند که بر تحرک بیمار تأثیر می گذارد و توانایی آنها در انجام ارزیابی های مطالعه را مختل می کند.
سن
بدون محدودیت سنی
جنسیت
هر دو

فاز مطالعه
2
گروه‌های کور شده در مطالعه

- شرکت کننده
- مراقب بالینی
- محقق
- آنالیز کننده داده
- کمیته ایمنی و نظارت بر داده‌ها

حجم نمونه کل
حجم نمونه پیش‌بینی شده: **16**
تصادفی سازی (نظر محقق)
اختصاص تصادفی به گروه‌های مداخله و کنترل
توصیف نحوه تصادفی سازی
با توجه به وجود عامل مخدوشگر جنسیت، روش تصادفی سازی بلوکی را درون هر طبقه (مذکر و مونث) به صورت جداگانه اجرا می نماییم. بدین منظور درون هر طبقه بلوک های با سایز 4 و 2 از ترکیب حروف A و AB)، B (ABBA, ABAB, AABB, BAAB, BBAA, BABA) و BA) به تعداد مورد نیاز به کمک جدول اعداد تصادفی انتخاب و افراد طبق دنباله ایجاد شده به گروهها تخصیص می یابند.
کور سازی (به نظر محقق)
سه سویه کور
توصیف نحوه کور سازی
توالی تخصیص تصادفی با استفاده از جدول اعداد تصادفی ساخته شده است. برای پیاده سازی توالی تخصیص تصادفی، پاکت های مهر و موم شده با شماره متوالی توسط شخصی که در این پروژه درگیر نشده است به کار برده می شوند. شرکت کنندگان، ارائه دهندگان خدمات بهداشتي و متخصص آمار پس از تخصیص مداخله کور می شوند. به طوریکه، بطری های مکمل توسط یک شخص غیر محقق کدگذاری شده و تا زمان تجزیه و تحلیل داده ها محرمانه باقی می ماند. علاوه بر این، قرص دارونما از نظر شکل، وزن و رنگ مشابه قرص مکمل است.
دارو نما
دارد
اختصاص به گروه‌های مطالعه
متقاطع
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
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تاریخ تایید
2021-08-24, ۱۴۰۰/۰۶/۰۲
کد کمیته اخلاق
IR.MUMS.MEDICAL.REC.1400.389

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح
آتاکسی-تلانژکتازی
کد ICD-10
G11.3
توصیف کد ICD-10
Cerebellar ataxia with defective DNA repair

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد
علایم حرکتی
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
با استفاده از معیار رتبه بندی و ارزیابی آتاکسی و شاخص عملکرد آتاکسی نخاع-مخچه ای

متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد
کیفیت زندگی
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
با استفاده از پرسشنامه PedsQL

2

شرح متغیر پیامد
شمارش سلول های خونی
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
شمارنده سلول سیسمکس

3

شرح متغیر پیامد
لاکتات دهیدروژناز
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

4

شرح متغیر پیامد
آسپارتات آمینوترانسفراز
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

5

شرح متغیر پیامد
آلانین آمینوترانسفراز
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

6

شرح متغیر پیامد
اوره
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

7

شرح متغیر پیامد
کراتینین
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

8

شرح متغیر پیامد
آلکالین فسفاتاز
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

9

شرح متغیر پیامد
سدیم
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

10

شرح متغیر پیامد
پتاسیم
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

11

شرح متغیر پیامد
بیلی روبین تام
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

12

شرح متغیر پیامد
بیلی روبین مستقیم
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه
نحوه اندازه‌گیری متغیر
دستگاه اتوآنالایزر

13

شرح متغیر پیامد
یادآمد غذایی
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه

نحوه اندازه‌گیری متغیر
پرسشنامه یادآمد غذایی 24 ساعته

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله
گروه مداخله: گروه مداخله مکمل ان-استیل-ال-لوسین (مصرف روزانه بین 1 تا 4گرم بسته به وزن داوطلب) را به مدت 6 هفته دریافت می نمایند (تعداد = 8) و سپس پس از یک دوره 4 هفته ای wash-out به درمان جایگزین منتقل شوند. شرکت کنندگان هر روز دارو را بصورت خوراکی مصرف می کنند که داخل یک بطری بدون برچسب می باشد. مکمل ها از شرکت بیوتکنولوژی هوبی (شنژن ، چین) است.
طبقه بندی
درمانی - داروها

2

شرح مداخله
گروه کنترل: گروه کنترل، دارونما (مصرف روزانه بین 1 تا 4 گرم بسته به وزن داوطلب) را به مدت 6 هفته دریافت نموده (تعداد = 8) و سپس پس از یک دوره 4 هفته ای wash-out به درمان جایگزین منتقل شوند. شرکت کنندگان هر روز، پلاسبو را بصورت خوراکی مصرف می کنند که داخل یک بطری بدون برچسب می باشد. پلاسبو ها از دانشکده داروسازی (مشهد، ایران) تهیه می شود.
طبقه بندی
دارو نما

مراکز بیمار گیری

1

مرکز بیمار گیری
نام مرکز بیمار گیری
بیمارستان قائم
نام کامل فرد مسوول
مریم صابری کریمیان
آدرس خیابان
خیابان احمدآباد
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تلفن
+98 51 3840 0001
ایمیل
maryamsabery2012@gmail.com

حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
مجید غیور مبرهن
آدرس خیابان
خیابان دانشگاه، ساختمان قریشی، معاونت پژوهشی
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
9138813944
تلفن
+98 51 3841 1538
ایمیل
ghayourm@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
مبدا اعتبار از داخل یا خارج کشور
داخلی
طبقه بندی منابع اعتبار خارجی
خالی
کشور مبدا
طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار
دانشگاهی

فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
مریم صابری کریمیان
موقعیت شغلی
استادیار
آخرین مدرک تحصیلی
.Ph.D
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
بیوشیمی
آدرس خیابان
خیابان احمدآباد، بیمارستان قائم
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تلفن
+98 51 3840 0001
ایمیل
maryamsabery2012@gmail.com

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
مریم صابری کریمیان
موقعیت شغلی

استادیار
آخرین مدرک تحصیلی
.Ph.D
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
بیوشیمی
آدرس خیابان
خیابان احمدآباد، بیمارستان قائم
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تلفن
+98 51 3840 0001
ایمیل
maryamsabery2012@gmail.com

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
مریم صابری کریمیان
موقعیت شغلی
استادیار
آخرین مدرک تحصیلی
.Ph.D
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
بیوشیمی
آدرس خیابان
خیابان احمدآباد، بیمارستان قائم
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تلفن
+98 51 3840 0001
ایمیل
maryamsabery2012@gmail.com

برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)
خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد
توجیه/علت عدم تصمیم/عدم انتشار IPD
داده های خام تنها در صورت درخواست موجه قابل ارائه می باشد.
پروتکل مطالعه
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد
نقشه آنالیز آماری
خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد
فرم رضایتنامه آگاهانه
هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست
گزارش مطالعه بالینی
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد
کدهای استفاده شده در آنالیز
خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد
نظام دسته‌بندی داده (دیکشنری داده)
خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد
عنوان و جزییات بیشتر در مورد داده/مستند
دیتاها در صورت دریافت درخواست موجه بصورت هویت زدایی شده در اختیار قرار داده خواهد شد.
بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند
پس از چاپ مقاله یا مقالات حاصله در صورت درخواست موجه
کسانی که اجازه دارند به داده/مستند دسترسی پیدا کنند
مجریان و همکاران طرح
به چه منظور و تحت چه شرایطی داده/مستند قابل استفاده است
به منظور استفاده تحقیقاتی و یا بالینی موجه
برای دریافت داده/مستند به چه کسی یا کجا مراجعه شود
مریم صابری کریمیان
یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند
ایمیل مستقیم
سایر توضیحات
همچنین در صورت نیاز، سایر سنجش های ژنتیکی، ایمونولوژیکی، بیوشیمیایی و تغذیه ای پیش بینی نشده در آینده صرفا با اهداف تحقیقاتی بر روی نمونه های ذخیره شده، صورت خواهد پذیرفت.