

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۰۹

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

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

تعیین اثربخشی ان-استیل-ال-لوسین بر بهبود علائم 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 15 آذر لغایت 15 مرداد 1401 وارد 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.

#### گروه های 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 هم رنگ 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

علائم 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: 27-10-2021, ۱۴۰۰/۰۸/۰۵

زمان بندی ثبت: prospective

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

تعداد بروز رسانی ها: 1

#### تاریخ تایید ثبت در مرکز

27-10-2021, ۱۴۰۰/۰۸/۰۵

#### اطلاعات تماس ثبت کننده

#### نام

مریم صابری-کریمیان

#### نام سازمان / نهاد

#### کشور

جمهوری اسلامی ایران

#### تلفن

+98 3808 3764 51

#### 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 علائم بیماران مبتلا به آنآکسی-تلائنکتازی: کارآزمایی بالینی دو سو کور متقاطع

## عنوان عمومی کارآزمایی

اثر ان-استیل-ال-لوسین در درمان آنآکسی-تلائنکتازی

## 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 واریانتهی از ان-استیل-دی-ال-لوسین، آمینوپیریدین ها، ریلوزول، گاباپنتین، واریسیلین، کلرزوکسازون، سولفاسالازین، روزوواستاتین بیماران بدون علامت بیمارانی که دارای علائم بالینی آنآکسی-تلائنکتازی 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

## گروه های کور شده در مطالعه

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

## حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش بینی شده: 16

## تصادفی سازی (نظر محقق)

اختصاص تصادفی به گروه های 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 B (AB, ABBA, ABAB, AAB, BAAB, BBAA, BABA) 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 سوپه 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 بهداشتی 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 گروه های مطالعه

متقاطع

## سایر مشخصات طراحی مطالعه

## کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین المللی

خالی

## تاییدیه کمیته های 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, 1400/06/02

#### کد کمیته اخلاق

IR.MUMS.MEDICAL.REC.1400.389

## بیماری های (موضوعات) مورد مطالعه

### 1

#### شرح

آنآکسی-تلائنکتازی

#### کد ICD-10

G11.3

#### توصیف کد ICD-10

Cerebellar ataxia with defective DNA repair

## متغیر پیامد اولیه

### 1

#### شرح متغیر پیامد

علائم حرکتی

#### مقاطع زمانی اندازه گیری

قبل از شروع مداخله و 6 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2

مرحله مطالعه

#### نحوه اندازه گیری متغیر

با استفاده از معیار رتبه بندی و ارزیابی آنآکسی و شاخص عملکرد

آنآکسی 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 سلول‌های 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 اتوانالایزر

**4**

**شرح متغیر پیامد**

آسپارات 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 اتوانالایزر

**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 اتوانالایزر

**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 اتوانالایزر

**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 اتوانالایزر

**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 اتوانالایزر

**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 اتوانالایزر

**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 اتوانالایزر

**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 اتوانالایزر

**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 اتوانالایزر

**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

## گروه‌های مداخله

### 1

#### شرح مداخله

گروه مداخله: گروه مداخله مکمل ان-استیل-ال-لوسین (مصرف روزانه بین 1 تا 4 گرم بسته به وزن داوطلب) را به مدت 6 هفته دریافت می‌نمایند (تعداد = 8) و سپس پس از یک دوره 4 هفته‌ای wash-out به درمان جایگزین منتقل شوند. شرکت کنندگان هر روز دارو را بصورت خوراکی مصرف می‌کنند که داخل یک بطری بدون برچسب می‌باشد. مکمل‌ها از شرکت بیوتکنولوژی هویی (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 هفته‌ای wash-out به درمان جایگزین منتقل شوند. شرکت کنندگان هر روز، پلاسبو را بصورت خوراکی مصرف می‌کنند که داخل یک بطری بدون برچسب می‌باشد. پلاسبو‌ها از دانشکده داروسازی (مشهد، ایران) تهیه می‌شود.

#### 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

0001 3840 51 98+

ایمیل

maryamsabery2012@gmail.com

## حمایت کنندگان / منابع مالی

### 1

#### حمایت کننده مالی

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی مشهد

نام کامل فرد مسوول

مجید غبور مبرهن

آدرس خیابان

خیابان دانشگاه، ساختمان قریشی، معاونت پژوهشی

شهر

مشهد

استان

خراسان رضوی

کد پستی

9138813944

تلفن

1538 3841 51 98+

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

0001 3840 51 98+

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

0001 3840 51 98+  
ایمیل  
maryamsabery2012@gmail.com

## برنامه انتشار

### فایل داده شرکت کنندگان (IPD)

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد  
**توجه/ علت عدم تصمیم/ عدم انتشار IPD**  
داده‌های خام تنها در صورت درخواست موجه قابل ارائه می‌باشد.  
**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 جزئیات 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 سنجش‌های ژنتیکی، ایمونولوژیکی، بیوشیمیایی و تغذیه‌ای پیش‌بینی نشده در آینده صرفاً با اهداف تحقیقاتی بر روی نمونه‌های ذخیره شده، صورت خواهد پذیرفت.

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**  
0001 3840 51 98+  
ایمیل  
maryamsabery2012@gmail.com

## فرد مسوول به روز 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**