

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۰۷

## کارآزمایی بالینی فاز سه، تک بازو، متقاطع، مولتی‌سانتر، جهت بررسی کارایی و ایمنی داروی YW17 (لارونیداز؛ شرکت تحقیقاتی و تولیدی سیناژن) در مقایسه با داروی لارونیداز (Aldurazyme®; Genzyme, BioMarin) در بیماران مبتلا به موکوپلی‌ساکاریدوزیس نوع 1 (MPS I)

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

هدف اولیه این مطالعه ارزیابی کارایی داروی YW17 (لارونیداز، شرکت تحقیقاتی و تولیدی سیناژن) در مقایسه با آلدورازیم® (Aldurazyme®; Genzyme, BioMarin) در بیماران مبتلا به موکوپلی‌ساکاریدوزیس نوع 1 (MPS I) است.

#### طراحی

کارآزمایی بالینی فاز سه، تک بازو، غیر کور، متقاطع و مولتی‌سانتر

#### نحوه و محل انجام مطالعه

مطالعه فاز سه، برچسب باز، تک بازو، چندمرکزی، متقاطع، کنترل فعال، با حجم نمونه 12 داوطلب (نسبت 1:1) در شهر تهران- ایران

#### شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

شرایط ورود: بیماران مبتلا به موکوپلی‌ساکاریدوزیس نوع 1 با سن ۵ تا ۱۸ سال؛ شرایط عدم ورود: سابقه انجام پیوند مغز استخوان یا کاندید بودن برای انجام آن، سابقه تراکتوستومی، بارداری یا شیردهی، ابتلا به بیماری ارگانیک شدید غیرمرتبط با موکوپلی‌ساکاریدوزیس نوع 1 (MPS I)، وجود سابقه واکنش ازدیاد حساسیت به لارونیداز یا اجزای موجود در محلول دارو، عملکرد کلیوی غیرطبیعی، هیدروسفالی حاد، بیماری که برای اولین بار داروی لارونیداز را دریافت می‌کند.

#### گروه‌های مداخله

تمامی بیماران در یک گروه مداخله قرار می‌گیرند. داروی آلدورازیم® (داروی لارونیداز تولیدی شرکت Genzyme, BioMarin) برای 12 هفته و سپس داروی YW17 (داروی لارونیداز تولیدی شرکت تحقیقاتی و تولیدی سیناژن) برای 12 هفته بعدی را با دوز 58 صدم میلی‌گرم به ازای هر کیلوگرم وزن بدن و به صورت انفوزیون وریدی دریافت می‌کنند. یک ساعت پیش از انفوزیون، استامینوفن به همراه دیفن‌هیدرامین نیز به عنوان پیش‌درمانی برای کاهش احتمال وقوع واکنش ناشی از انفوزیون متناسب با وزن بیمار تجویز می‌شود.

#### متغیرهای پیامد اصلی

میانگین سطح گلیکوزآمینوگلیکان ادراری تنظیم‌شده با سطح کراتینین ادراری؛ مسافت طی‌شده (بر اساس متر) در 6 دقیقه (6-minute walk test)؛ درصد ظرفیت حیاتی با فشار (Forced vital capacity)؛ رخداد‌های نامطلوب؛ سنجش آنزیمی

### اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

تغییر کد محصول

نام اختصاری

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20150303021315N30

تاریخ تایید ثبت در مرکز: 02-05-2022, ۱۴۰۱/۰۲/۱۲

زمان‌بندی ثبت: prospective

آخرین بروز رسانی: 11-08-2024, ۱۴۰۳/۰۵/۲۱

تعداد بروز رسانی‌ها: 2

تاریخ تایید ثبت در مرکز

02-05-2022, ۱۴۰۱/۰۲/۱۲

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

نسیم انجیدی

نام سازمان / نهاد

شرکت ارکیدفارمد

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

+98 21 4347 3000

آدرس ایمیل

amini@orchidpharmed.com

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2022-05-22, ۱۴۰۱/۰۳/۰۱

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2023-05-22, ۱۴۰۲/۰۳/۰۱

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

## عنوان علمی کارآزمایی

کارآزمایی بالینی فاز سه، تک بازو، متقاطع، مولتی-سائتر، جهت بررسی کارایی و ایمنی داروی YW17 (لارونیداز؛ شرکت تحقیقاتی و تولیدی سینازن) در مقایسه با داروی لارونیداز (Aldurazyme®; Genzyme) در بیماران مبتلا به موکوپلی ساکاریدوزیس نوع 1 (MPS I) (BioMarin)

## عنوان عمومی کارآزمایی

کارآزمایی بالینی فاز سه جهت بررسی کارایی و ایمنی داروی YW17 (لارونیداز؛ شرکت تحقیقاتی و تولیدی سینازن)

## هدف اصلی مطالعه

درمانی

## شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

### شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

سن ۵ تا ۱۸ سال تشخیص بیماری موکوپلی ساکاریدوز نوع 1 برای بیمار تمایل و داشتن رضایت آگاهانه شرکت کننده یا قیم قانونی وی برای شرکت در مطالعه

### شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

سابقه انجام پیوند مغز استخوان کاندید بودن برای انجام پیوند مغز استخوان سابقه انجام تراکتوستومی بارداری شیردهی سابقه مصرف داروی تحقیقاتی در مدت 30 روز پیش از ورود به مطالعه مشکل پزشکی یا شرایطی که به طور جدی کامپلیانس بیمار در مطالعه را تحت تأثیر قرار دهد ابتلا به بیماری ارگانیک شدید و غیرمرتبط با بیماری موکوپلی ساکاریدوزیس نوع 1 وجود سابقه واکنش ازدیاد حساسیت به لارونیداز یا هر یک از اجزای موجود در محلول دارو عملکرد کلیوی غیرنرمال که از طریق سنجش سطح کراتینین سرمی و نیتروژن اوره خون (BUN) مشخص می شود. هیدروسفالی حاد تجویز داروی لارونیداز برای اولین بار برای بیمار (بیمار naive به لارونیداز)

## سن

از سن 5 ساله تا سن 18 ساله

## جنسیت

هر دو

## فاز مطالعه

3

## گروه های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

## حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش بینی شده: 12

بیش از یک نمونه در هر نفر شرکت کننده

تعداد نمونه در هر نفر شرکت کننده: 2

در این مطالعه هر فرد دو بار دارو را دریافت می کنند و با یکدیگر مقایسه می شود.

## تصادفی سازی (نظر محقق)

مصادف ندارد

## توصیف نحوه تصادفی سازی

کور سازی (به نظر محقق)

کور نشده است

## توصیف نحوه کور سازی

دارو نما

ندارد

## اختصاص به گروه های مطالعه

مقنطاع

## سایر مشخصات طراحی مطالعه

این مطالعه شامل ویزیت غربالگری، ویزیت های 1 تا 24 و سپس ویزیت پایانی است. پس از غربالگری، فاصله بین ویزیت ها یک هفته است.

## تاییدیه کمیته های اخلاق

### 1

#### کمیته اخلاق

#### نام کمیته اخلاق

کمیته اخلاق پژوهشکده علوم دارویی دانشگاه علوم پزشکی و خدمات بهداشتی درمانی تهران

#### آدرس خیابان

خیابان پورسینا، دانشگاه علوم پزشکی تهران، دانشکده داروسازی، موسسه علوم دارویی

#### شهر

تهران

#### استان

تهران

#### کد پستی

14176-13151

#### تاریخ تایید

2022-03-17, ۱۴۰۰/۱۲/۲۶

#### کد کمیته اخلاق

IR.TUMS.TIPS.REC.1401.001

## بیماری های (موضوعات) مورد مطالعه

### 1

#### شرح

بیماران مبتلا به موکوپلی ساکاریدوزیس نوع 1 (MPS I)

#### کد ICD-10

E76.0

#### توصیف کد ICD-10

Mucopolysaccharidosis, type I

## متغیر پیامد اولیه

### 1

#### شرح متغیر پیامد

میانگین سطح گلیکوز آمینوگلیکان ادراری تنظیم شده با سطح کراتینین ادراری

#### مقنطاع زمانی اندازه گیری

ویزیت های 9، 11، 13 (مرتبط با درمان با آلدورازیم®) و همینطور ویزیت های 21، 23 و ویزیت پایانی (مرتبط با درمان با YW17)

#### نحوه اندازه گیری متغیر

کروماتوگرافی مایع- طیف سنجی جرمی

## متغیر پیامد ثانویه

### 1

#### شرح متغیر پیامد

مسافت طی شده (بر اساس متر) در 6 دقیقه (minute walk test-6)

#### مقنطاع زمانی اندازه گیری

ویزیت 1، ویزیت 13 و ویزیت پایانی

#### نحوه اندازه گیری متغیر

زمان سنج و متر

### 2

#### شرح متغیر پیامد

درصد ظرفیت حیاتی با فشار (Forced vital capacity)

## کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین المللی

خالی

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
ویزیت 1، ویزیت 13 و ویزیت پایانی  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
اسپیرومتر

**3**

**شرح متغیر پیامد**  
رخدادهای نامطلوب  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
در تمامی ویزیت‌ها  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

تمامی رخدادهای نامطلوب از طریق گزارش بیمار و تشخیص پزشک ارزیابی شده و سپس بر اساس شدت (بر اساس گایدلاین CTCAE)، جدیت و ارتباط با داروی مطالعه طبقه‌بندی می‌شوند.

**4**

**شرح متغیر پیامد**  
سنجش آنزیمی (سنجش فعالیت آنزیم آلفا-ال-ایدورونیداز)  
**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**  
بلافاصله بعد، نیم ساعت بعد و 1.5 ساعت بعد از انفوزیون دارو در ویزیت 12 و 24  
**نحوه اندازه‌گیری متغیر**  
کروماتوگرافی مایع- طیف سنجی جرمی یا طیف سنجی جرمی با توان بالا

## گروه‌های مداخله

**1**

**شرح مداخله**

گروه مداخله: بیماران از ویزیت 1 تا ویزیت 12 (ویزیت‌های هفته‌ای یک مرتبه)، داروی آلدورازایم® (داروی لارونیداز تولیدی شرکت (Genzyme, BioMarin) و سپس از ویزیت 13 الی 24 داروی YW17 (داروی لارونیداز تولیدی شرکت تحقیقاتی و تولیدی سینازن) را دریافت می‌کنند. دوز تجویزی از داروی لارونیداز 0.58 میلی‌گرم به ازای هر کیلوگرم وزن بدن است. نحوه تجویز این دارو به صورت انفوزیون داخل وریدی 3 الی 4 ساعته است. هر دو محصول به صورت ویال حاوی محلول با غلظت 2.9 میلی‌گرم در 5 میلی‌لیتر جهت رقیق‌سازی با نرمال سالین هستند. یک ساعت پیش از انفوزیون، استامینوفن به همراه دیفن‌هیدرامین نیز به عنوان پیش‌درمانی برای کاهش احتمال وقوع واکنش ناشی از انفوزیون متناسب با وزن بیمار تجویز می‌شود.

**طبقه بندی**

درمانی - داروها

## مراکز بیمار گیری

**1**

**مرکز بیمار گیری**

**نام مرکز بیمار گیری**

مرکز تحقیقات رشد و تکامل، آزمایشگاه متابولیک ایران

**نام کامل فرد مسوول**

دکتر علی ربانی - دکتر آریا ستوده

**آدرس خیابان**

انتهای بلوار کشاورز، خیابان دکتر قریب، پلاک 62، مرکز طبی کودکان، ساختمان شماره 2، آزمایشگاه متابولیک مرکز طبی کودکان

**شهر**

تهران

**استان**

تهران  
**کد پستی**

14197333141

**تلفن**

5730 6657 21 98+

**فکس**

9662 6694 21 98+

**ایمیل**

gdrc@tums.ac.ir

**2**

**مرکز بیمار گیری**

**نام مرکز بیمار گیری**

بیمارستان لقمان حکیم

**نام کامل فرد مسوول**

دکتر شاداب صالح پور

**آدرس خیابان**

تهران، خیابان کارگر جنوبی، خیابان کمالی، بیمارستان لقمان حکیم

**شهر**

تهران

**استان**

تهران

**کد پستی**

1333635445

**تلفن**

9005 5541 21 98+

**فکس**

9009 5541 21 98+

**ایمیل**

loghman.hospital@sbmu.ac.ir

**3**

**مرکز بیمار گیری**

**نام مرکز بیمار گیری**

بیمارستان کودکان مفید

**نام کامل فرد مسوول**

دکتر محمدرضا علایی - دکتر مرجان شکیبا

**آدرس خیابان**

تهران، خیابان شریعتی، بالاتر از حسینیه ارشاد، بیمارستان کودکان

مفید

**شهر**

تهران

**استان**

تهران

**کد پستی**

15468 - 15514

**تلفن**

7021 2222 21 98+

**ایمیل**

info-mch@sbmu.ac.ir

**4**

**مرکز بیمار گیری**

**نام مرکز بیمار گیری**

بیمارستان کودکان اکبر

**نام کامل فرد مسوول**

دکتر سمانه نوروزی اصل - دکتر پیمان اشراقی

**آدرس خیابان**

مشهد، بلوار شهید کاوه، مقابل شهید کاوه ۱۴، بیمارستان کودکان

اکبر

داروسازی  
آدرس خیابان  
ایران، تهران، میدان ونک، خیابان عطار، پلاک 42  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
1994766411  
تلفن  
3000 4347 21 98+  
ایمیل  
anjidani.n@orchidpharmed.com

شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
9177897157  
تلفن  
3801 3871 51 98+  
ایمیل  
ak.pr@mums.ac.ir

## حمایت کنندگان / منابع مالی

### 1 فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس  
نام سازمان / نهاد  
شرکت ارکید فارمد  
نام کامل فرد مسوول  
دکتر نسیم انجیدنی  
موقعیت شغلی  
داروساز، مدیر واحد مطالعات بالینی  
آخرین مدرک تحصیلی  
دکترای پزشکی  
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
داروسازی  
آدرس خیابان  
ایران، تهران، میدان ونک، خیابان عطار، پلاک 42  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
1994766411  
تلفن  
3000 4347 21 98+  
ایمیل  
anjidani.N@orchidpharmed.com

### فرد مسوول به روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس  
نام سازمان / نهاد  
شرکت ارکید فارمد  
نام کامل فرد مسوول  
دکتر نسیم انجیدنی  
موقعیت شغلی  
مدیر دپارتمان مدیکال  
آخرین مدرک تحصیلی  
دکترای پزشکی  
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها  
داروسازی  
آدرس خیابان  
ایران، تهران، میدان ونک، خیابان عطار، پلاک 42  
شهر  
تهران  
استان  
تهران  
کد پستی  
1994766411  
تلفن

1

حمایت کننده مالی  
نام سازمان / نهاد  
شرکت تحقیقاتی و تولیدی سیناژن  
نام کامل فرد مسوول  
دکتر هاله حامدی فر  
آدرس خیابان  
ایران، البرز، کرج، شهرک صنعتی سیمین دشت  
شهر  
کرج  
استان  
البرز  
کد پستی  
3165933155  
تلفن  
0980 3667 26 98+  
ایمیل  
cinnagen@cinnagen.com

ردیف بودجه  
کد بودجه  
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟  
بلی  
عنوان منبع مالی  
شرکت تحقیقاتی و تولیدی سیناژن  
درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع  
100

بخش عمومی یا خصوصی  
خصوصی  
مبدأ اعتبار از داخل یا خارج کشور  
داخلی  
طبقه بندی منابع اعتبار خارجی  
خالی  
کشور مبدأ  
طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار  
صنعتی

### فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

اطلاعات تماس  
نام سازمان / نهاد  
شرکت ارکید فارمد  
نام کامل فرد مسوول  
دکتر نسیم انجیدنی  
موقعیت شغلی  
مدیر دپارتمان مدیکال  
آخرین مدرک تحصیلی  
دکترای پزشکی  
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

## برنامه انتشار

### فایل داده شرکت کنندگان (IPD)

هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست

### 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

هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست

### گزارش مطالعه بالینی

هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست

### 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