

پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۶/۲۶

بررسی اثرات ان-استیل-ال-لوسین بر بهبود علایم حرکتی در بیمار مبتلا به بیماری کمبود مالتیپل سولفاتاز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20210413050958N5
تاریخ تایید ثبت در مرکز: ۱۴۰۱/۰۳/۱۸, 08-06-2022
زمان بندی ثبت: registered_while_recruiting

چکیده پروتکل

هدف از مطالعه

تعیین اثرات ان-استیل-ال-لوسین بر علایم حرکتی در بیمار مبتلا به بیماری کمبود مالتیپل سولفاتاز

طراحی

مطالعه حاضر یک کارآزمایی بالینی فاز 2 تصادفی دوسویه کور متقاطع با گروه های موازی است. در مجموع 1 بیمار از 1 خرداد 1401 وارد مطالعه می شود. توالی تخصیص دارو به روش تصادفی ساده انجام می شود.

نحوه و محل انجام مطالعه

بیمار مبتلا به کمبود مالتیپل سولفاتاز که به کلینیک اعصاب بیمارستان قائم مراجعه نموده وارد مطالعه می شود. شرکت کننده، 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. کپلت دارونما از نظر وزن و رنگ مشابه مکمل است.

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

شرایط ورود: بیمار دارای تشخیص قطعی کمبود مالتیپل سولفاتاز که دارای علائم بالینی است و هیچگونه داروی ممنوعی را مصرف نمیکند. شرایط عدم ورود: بیمار دارای اسهال مزمن، بدخیمی، دیابت شیرین وابسته به انسولین، سابقه حساسیت به ان-استیل-لوسین، بیماری که کم بینایی یا کم شنوایی دارد، بیماری که مبتلا به آرتروز یا سایر اختلالات اسکلتی عضلانی است.

گروه های مداخله

در گروه دارو (تعداد=1) کپلت ان-استیل-ال-لوسین به صورت خوراکی به مدت 4 هفته توسط بیمار مبتلا به کمبود مالتیپل سولفاتاز مصرف می شود و سپس پس از یک دوره 4 هفته ای استراحت، به درمان جایگزین منتقل شوند. در گروه کنترل (تعداد=1) کپلت دارونمای هم شکل، هم وزن و هم رنگ به مدت 4 هفته توسط بیمار مبتلا به کمبود مالتیپل سولفاتاز مصرف و سپس پس از یک دوره 4 هفته ای استراحت، به درمان جایگزین منتقل شوند.

متغیرهای پیامد اصلی

معیار رتبه بندی و ارزیابی آتاکسی (SARA) ; شاخص عملکرد آتاکسی نخاع-مخچه ای (SCAFI)

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

مریم صابری-کریمیان

نام سازمان / نهاد

جمهوری اسلامی ایران

کشور

تلفن

3808 3764 51 98+

آدرس ایمیل

saberikm@mums.ac.ir

وضعیت بیمار گبری

بیمار گبری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گبری مورد انتظار

۱۴۰۱/۰۳/۱۰, 2022-05-31

تاریخ پایان بیمار گبری مورد انتظار

۱۴۰۱/۰۷/۱۵, 2022-10-07

تاریخ شروع بیمارگبری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگبری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی

بررسی اثرات ان-استیل-ال-لوسین بر بهبود علایم حرکتی در بیمار مبتلا به بیماری کمبود مالتیپل سولفاتاز

عنوان عمومی کارآزمایی

اثر ان-استیل-ال-لوسین در درمان کمبود مالتیپل سولفاتاز

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

نام اختصاری

اطلاعات ثبت در مرکز

هدف اصلی مطالعه

درمانی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

سن بالای 6 سال بیماری که تشخیص قطعی کمبود مالتیپل سولفاتاز دارد باید علائم بالینی 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 باشد (از جمله هر واریانته از ان-استیل-دی-ال-لوسین، آمینوپیریدین ها، ریلوزول، گاباپنتین، واریسین، کلرزوکسازون، سولفاسالازین، روزوواستاتین بیماری که هر یک از موارد زیر را دارد: 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)، سابقه حساسیت شناخته شده نسبت به داروهای اورا-بلند یعنی ساکارز، سوربیتول، سلولز، کربوکسی متیل سلولز، صمغ گزانتان، کاراگینان، دیمتیکون، متیل پارابن و سوربات پتاسیم بیماری که کم بینایی یا کم شنوایی دارد که توانایی او در انجام ارزیابی های مطالعه را مختل می کند. بیماری که مبتلا به آرتروز یا سایر اختلالات اسکلتی عضلانی است که بر تحرک او تأثیر می گذارد و توانایی او در انجام ارزیابی های مطالعه را مختل می کند.

سن

از سن 6 ساله

جنسیت

هر دو

فاز مطالعه

2

گروه های کور شده در مطالعه

- شرکت کننده
- مراقب بالینی
- محقق
- آنالیز کننده داده

حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش بینی شده: 1

تصادفی سازی (نظر محقق)

اختصاص تصادفی به گروه های مداخله و کنترل

توصیف نحوه تصادفی سازی

توالی تخصیص دارو به روش تصادفی ساده انجام می شود. 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.

کور سازی (به نظر محقق)

دو سوپه کور

توصیف نحوه کور سازی

شرکت کننده، مراقب بالینی و آنالیز کننده داده ها پس از تخصیص دارو نسبت به مداخله، کور سازی شدند. بطوریکه ظروف کپسول توسط شخصی غیر محقق به عنوان A و B کدگذاری شده و تا زمان تحلیل آماری بصورت محرمانه باقی ماند. کپسولهای دارونما از نظر وزن و رنگ مشابه داروها بودند.

دارو نما

دارد

اختصاص به گروه های مطالعه

مقاطع

سایر مشخصات طراحی مطالعه

کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین المللی

خالی

تأییدیه 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 تأیید

17-05-2022, 1401/02/27

کد کمیته اخلاق

IR.MUMS.MEDICAL.REC.1401.127

بیماری های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح

کمبود مالتیپل سولفاتاز

کد ICD-10

E75

توصیف کد ICD-10

Disorders of sphingolipid metabolism and other lipid storage disorders

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد

علائم حرکتی

مقاطع زمانی اندازه گیری

قبل از شروع مداخله و 4 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه

نحوه اندازه گیری 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 اندازه گیری

قبل از شروع مداخله و 4 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه

نحوه اندازه گیری متغیر

با استفاده از پرسشنامه PedsQL

2

شرح متغیر پیامد

شمارش سلول های خونی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل از شروع مداخله و 4 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه

نحوه اندازه‌گیری متغیر

شمارنده سلول سیستمکس

3

شرح متغیر پیامد

لاکناکته دھیدروژناز

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

قبل از شروع مداخله و 4 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 4 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 4 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 4 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 4 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 4 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 4 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 4 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 4 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 4 هفته بعد از مصرف مکمل یا دارونما در هر 2 مرحله مطالعه

نحوه اندازه‌گیری متغیر

دستگاه اتوانالایزر

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله

داوطلب مکمل ان-استیل-ال-لوسین (مصرف روزانه بین 2 تا 4 گرم بسته به وزن داوطلب) را به مدت 4 هفته دریافت می نماید (تعداد = 1) و سپس پس از یک دوره 4 هفته ای استراحت به پلاسبو منتقل می شود. شرکت کننده هر روز دارو را بصورت خوراکی مصرف می کند که داخل یک بطری بدون برچسب می باشد. مکمل ها از شرکت بیوتکنولوژی هوبی (شنژن ، چین) است.

طبقه بندی

درمانی - داروها

2

شرح مداخله

داوطلب ، پلاسبو (مصرف روزانه بین 2 تا 4 گرم بسته به وزن داوطلب) را به مدت 4 هفته دریافت نموده (تعداد = 1) و سپس پس از یک دوره 4 هفته ای استراحت به درمان ا-استیل-ال-لوسین منتقل

میشود. شرکت کننده هر روز پلاسبو را بصورت خوراکی مصرف می کند که داخل یک بطری بدون برچسب می باشد. پلاسبو ها از دانشکده داروسازی (مشهد، ایران) تهیه می شود.

طبقه بندی
دارو نما

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 حوزه های کاری/تخصص ها
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

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 غیور 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

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 حوزه های کاری/تخصص ها
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

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

فرد مسوول به روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی مشهد

بخش عمومی یا خصوصی
عمومی
مبدا اعتبار از داخل یا خارج کشور
داخلی
طبقه بندی منابع اعتبار خارجی

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

برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)

خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد

توجیه/علت عدم تصمیم/عدم انتشار IPD

دیتاها در صورت دریافت درخواست موجه بصورت هویت زدایی شده در

اختیار قرار داده خواهد شد.

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

-

بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند

-

کسانی که اجازه دارند به داده/مستند دسترسی پیدا کنند

-

به چه منظور و تحت چه شرایطی داده/مستند قابل استفاده

است

-

برای دریافت داده/مستند به چه کسی یا کجا مراجعه شود

-

یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند

-

سایر توضیحات