پروتکل کارآزمایی بالینی
مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۶/۲۷

بررسی ایمنی و اثربخشی تزریق موضعی عضلانی سلول های بنیادی مزانشیمی مشتق از ژل وارتن در کودکان 5 تا 12 ساله مبتلا به دیستروفی عضلانی دوشن

چکیده پروتکل

هدف ازمطالعه

بررررسی اثرات درمانی و عوارض درمان دیستروفی عضلانی دوشن با سلول های بنیادی

طراحی

کارآزمایی بالینی بر روی 5 نفر از بیماران که به جهت شروع درمان مراجعه کرده اند انجام میشود و به مدت یک سال پیگیری میشوند.

نحوه و محل انجام مطالعه

دو بار تزریق یک میلیون/کیلوگرم سلول بنیادی مشتق از ژل وارتن در محل 4 عضله 5 کودک مبتلا به دیستروفی دوشن

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

• سن 5 تا 12 سال • اثبات ژنتیکی • توانایی راه رفتن بیمار کاملا از دست نرفته باشد و استفاده از وسایل کمکی دائمی نباشد. • قدرت عضلانی بیمار در حال کاهش باشد. • داشتن تمایل و رضایت به شرکت در مطالعه شرایط • وزن 15 تا 35 کیلوگرم شرایط خروج: • اختلال حرکتی پیشرفته منجر به استفاده دائمی از عصا و والکر و ویلچر • سابقه بدخیمی • سابقه بیماریهای ژنتیک و غیر ژنتیک دژنراتیو همراه • سابقه هر بیماری حاد یا مزمن دیگری که به تشخیص پزشک بالینی مسئول اجرای طرح، مانع از ورود بیمار به مطالعه حاضر گردد.

گروه‌های مداخله

گروه مداخله: در هر بار تزریق به میزان 106 ×1 سلول مزانشیمال مشتق از ژل وارتن به ازای هر کیلوگرم وزن بدن تزریق میشود. حجم تزریق 25 سی سی شامل سوسپانسیون حاوی یک میلیون سلول مزانشیمال دو تزریق موضعی در 4 تا 5 منطقه زیر فاشیای عضله به فاصله ی 45 روز انجام میشود.

متغیرهای پیامد اصلی

عملکرد تنفسی (FVC)؛ عملکرد عضلانی(معاینه و بررسی آزمایشگاهی)؛ عملکرد قلبی(EF)

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

نام اختصاری

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: **IRCT20150206020981N4**

تاریخ تایید ثبت در مرکز: **۱۴۰۱/۰۹/۲۸, 19-12-2022**

زمان‌بندی ثبت: **registered_while_recruiting**

آخرین بروز رسانی: **۱۴۰۱/۰۹/۲۸, 19-12-2022**

تعداد بروز رسانی‌ها: **0**

تاریخ تایید ثبت در مرکز

۱۴۰۱/۰۹/۲۸, 19-12-2022

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

خدیجه حاجی نقی تهرانی

نام سازمان / نهاد

دانشگاه آزاد اسلامی واحد تهران پزشکی

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

+98 21 2257 1228

آدرس ایمیل

khtehrani@iautmu.ac.ir

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

۱۴۰۱/۰۹/۲۸, 19-12-2022

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

۱۴۰۲/۰۹/۲۸, 19-12-2023

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی

بررسی ایمنی و اثربخشی تزریق موضعی عضلانی سلول های بنیادی مزانشیمی مشتق از ژل وارتن در کودکان 5 تا 12 ساله مبتلا به دیستروفی عضلانی دوشن

عنوان عمومی کارآزمایی

بررسی ایمنی و اثربخشی تزریق موضعی عضلانی سلول های بنیادی مزانشیمی مشتق از ژل وارتن در کودکان 5 تا 12 ساله مبتلا به دیستروفی عضلانی دوشن

هدف اصلی مطالعه

درمانی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

• سن 5 تا 12 سال • اثبات ژنتیکی بیماری دوشن بعنوان علت میوپاتی • توانایی راه رفتن بیمار کاملا از دست نرفته باشد و استفاده از وسایل کمکی مانند عصا و walker دائمی نباشد. • قدرت عضلانی بیمار در حال کاهش باشد. • داشتن تمایل و رضایت به شرکت در مطالعه توسط جایگزین قانونی بیمار در تصمیم گیری و تمایل به مشارکت منظم در دوره های پیگیری • وزن 15 تا 35 کیلوگرم

شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

• اختلال حرکتی پیشرفته منجر به استفاده دائمی از عصا و والکر و ویلچر • سابقه بدخیمی شناخته شده در شرح حال • سابقه بیماریهای ژنتیک و غیر ژنتیک دژنراتیو همراه • سابقه هر بیماری حاد یا مزمن دیگری که به تشخیص پزشک بالینی مسئول اجرای طرح، مانع از ورود بیمار به مطالعه حاضر گردد.

سن

از سن **5 ساله** تا سن **12 ساله**

جنسیت

مذکر

فاز مطالعه

2

گروه‌های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش‌بینی شده: **5**

تصادفی سازی (نظر محقق)

مصداق 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

کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین‌المللی

خالی

تاییدیه کمیته‌های اخلاق

1

کمیته اخلاق

نام کمیته اخلاق

کمیته اخلاق در پژوهش دانشکده داروسازی و علوم دارویی - دانشگاه علوم پزشکی آزاد اسلامی تهران

آدرس خیابان

خیابان دکتر شریعتی- قلهک- اول خیابان یخچال

شهر

تهران

استان

تهران

کد پستی

1941933111

تاریخ تایید

2022-12-04, ۱۴۰۱/۰۹/۱۳

کد کمیته اخلاق

IR.IAU.PS.REC.1401.334

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح

دیستروفی عضلانی دوشن

کد ICD-10

G71.0

توصیف کد ICD-10

Muscular dystrophy

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد

وضیعت تنفسی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

1، 3، 6، 9 و 12 ماه بعد از تزریق

نحوه اندازه‌گیری متغیر

اسپیرومتری

2

شرح متغیر پیامد

وضعیت عضلانی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

ابتدا هر 14 روز تا یک ماه، سپس هر 1 ماه تا یک سال

نحوه اندازه‌گیری متغیر

معاینه فیزیکی

3

شرح متغیر پیامد

وضعیت قلبی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

1، 3، 6، 9 و 12 ماه بعد از تزریق

نحوه اندازه‌گیری متغیر

اکوکاردیوگرافی

متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد

آنزیمهای عضلانی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

ماه 1، 3، 6، 9 و 12 بعد از تزریق

نحوه اندازه‌گیری متغیر

بررسی آزمایشگاهی

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله

گروه مداخله: در هر بار تزریق به میزان یک میلیون سلول مزانشیمال مشتق از ژل وارتن به ازای هر کیلوگرم وزن بدن تزریق میشود. حجم تزریق 25 سی سی شامل سوسپانسیون حاوی یک میلیون سلول مزانشیمال دو تزریق موضعی در 4 تا 5 منطقه زیر فاشیای عضله به فاصله ی 45 روز انجام میشود.

طبقه بندی

درمانی - داروها

مراکز بیمار گیری

1

مرکز بیمار گیری
نام مرکز بیمار گیری
انجمن دیستروفی عضلانی ایران
نام کامل فرد مسوول
دکتر خدیجه حاجی نقی تهرانی
آدرس خیابان
میدان شهدا. خیابان پیروزی. خیابان منتظری. بالاتر از کوچه تابنده دوست. نرسیده به پارک خیام. پلاک ۲۷
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
17117
تلفن
+98 21 3660 7093
ایمیل
dr_tehrani10@yahoo.com

حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
شرکت سیناسل
نام کامل فرد مسوول
احسان سید جعفری
آدرس خیابان
پارک فن آوری پردیس، خیابان نو آوری شانزدهم، پلاک 162
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1657163871
تلفن
+98 21 7625 0661
فکس
ایمیل
Seyedjafari@ut.ac.ir
ردیف بودجه
کد بودجه
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟
بلی
عنوان منبع مالی
شرکت سیناسل
درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع
100
بخش عمومی یا خصوصی
خصوصی
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 آزاد اسلامی
نام کامل فرد مسوول
خدیجه حاجی نقی تهرانی
موقعیت شغلی
متخصص نورولوژی/ مجری طرح
آخرین مدرک تحصیلی
متخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
نورولوژی
آدرس خیابان
تهران ، انتهای بزرگراه شهید ستاری شمال، میدان دانشگاه، به سمت حصارک، بیمارستان فرهیختگان
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1477899679
تلفن
+98 21 4486 7262
ایمیل
Khtehrani@iautmu.ac.ir

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه آزاد اسلامی
نام کامل فرد مسوول
خدیجه حاجی نقی تهرانی
موقعیت شغلی
متخصص نورولوژی
آخرین مدرک تحصیلی
متخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
نورولوژی
آدرس خیابان
تهران ، انتهای بزرگراه شهید ستاری شمال، میدان دانشگاه، به سمت حصارک، بیمارستان فرهیختگان
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1477899679
تلفن
+98 21 4486 7262
ایمیل
Khtehrani@iautmu.ac.ir

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه آزاد اسلامی

نام کامل فرد مسوول
خدیجه حاجی نقی تهرانی
موقعیت شغلی
متخصص نورولوژی/ مجری طرح
آخرین مدرک تحصیلی
متخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
نورولوژی
آدرس خیابان
تهران ، انتهای بزرگراه شهید ستاری شمال، میدان دانشگاه، به سمت حصارک، بیمارستان فرهیختگان
شهر
تهران
استان
تهران
کد پستی
1477899679
تلفن
+98 21 4486 7262
ایمیل
Khtehrani@iautmu.ac.ir

برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد
پروتکل مطالعه
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد
نقشه آنالیز آماری
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد
فرم رضایتنامه آگاهانه
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد
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
عنوان و جزییات بیشتر در مورد داده/مستند
فقط بخشی از دیتا های افراد مورد مطالعه به اشتراک گذاشته خواهد شد.
بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند
5 ماه پس از چاپ
کسانی که اجازه دارند به داده/مستند دسترسی پیدا کنند
فقط محققین دانشگاهی
به چه منظور و تحت چه شرایطی داده/مستند قابل استفاده است
با اجازه رسمی محقق
برای دریافت داده/مستند به چه کسی یا کجا مراجعه شود
از طریق نویسنده مسول طرح
یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند
از طریق نامه رسمی خطاب به نویسنده مسوول و در صورت موافقت
سایر توضیحات