پروتکل کارآزمایی بالینی
مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۶/۲۶

ارزیابی کارآیی و ایمنی داروی رومی پلاستیم در کودکان مبتلا به کمخونی آپلاستیک اکتسابی مقاوم به داروهای سرکوبگر ایمنی

چکیده پروتکل

هدف ازمطالعه

اثربخشی و ایمنی داروی رومیپلاستیم در ایجاد پاسخ کامل یا نسبی هماتولوژیک در کودکان مبتلا به کمخونی آپلاستیک اکتسابی شدید که به داروهای سرکوبگر ایمنی پاسخ نداده اند.

طراحی

مطالعه فاز 2-3، تک بازویی بدون کورسازی با ارزیابی پیامد پس از درمان

نحوه و محل انجام مطالعه

داروی رومی پلاستیم بصورت زیرجلدی با دوز 10 میکروگرم به ازای وزن بدن از هفته 1 تا 4 درمان تزریق میشود. سپس از هفته 5 تا 27 درمان بر اساس پاسخ پلاکتی و عوارض جانبی احتمالی دوز دارو هر 4 هفته به میزان 5 میکروگرم به ازای وزن بدن افزایش می یابد تا حداکثر به دوز 20 میکروگرم به ازای وزن بدن برسد یا پاسخ پلاکتی ایجاد شود. درصورتیکه پلاکت به بالای 200 هزار رسید دوز رومی پلاستیم یک مرحله (5 میکروگرم به ازای وزن بدن) کاهش می یابد. زمانی که پاسخ درمانی در هر 3 رده خونی مشاهده شد دوز رومی پلاستیم بتدریج کاهش می یابد و در نهایت قطع می گردد.

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

کودکان 1 ماهه تا 18 ساله با کمخونی آپلاستیک اکتسابی شدید و خیلی شدید و همچنین انواع غیر شدید وابسته به تزریق خون و پلاکت که کاندید درمان با داروهای سرکوبگر ایمنی (آنتی تیموسیت گلوبولین به اضافه سیکلوسپورین) نیستند و یا به این داروها مقاوم بوذه اند وارد مطالعه خواهند شد. شرایط عدم ورود به مطالعه شامل موارد زیر است: کمخونی آپلاستیک ارثی، لوکمی میلویید حاد یا سندروم میلودیسپلاستیک، سرطان در طی 5 سال قبل از شروع مطالعه، هموگلوبینوری حمله ای شبانه، ناهنجاری کروموزومی در مغزاستخوان، فیبروز مغزاستخوان در رنگ آمیزی رتیکولین، بیماران کاندید پیوند مغزاستخوان در زمان مطالعه

گروه‌های مداخله

این مطالعه به صورت تک گروهی انجام میشود. داروی رومیپلاستیم به تمام بیمارانی که وارد مطالعه میشوند تزریق میشود.

متغیرهای پیامد اصلی

پاسخ کامل یا نسبی هماتولوژیک در هفته 27 درمان

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

نام اختصاری

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: **IRCT20221129056655N1**
تاریخ تایید ثبت در مرکز: **2023-06-01, ۱۴۰۲/۰۳/۱۱**
زمان‌بندی ثبت: **prospective**

آخرین بروز رسانی: **2023-06-01, ۱۴۰۲/۰۳/۱۱**
تعداد بروز رسانی‌ها: **0**

تاریخ تایید ثبت در مرکز

2023-06-01, ۱۴۰۲/۰۳/۱۱

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

محمدرضا بردبار

نام سازمان / نهاد

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

+98 71 3632 3067

آدرس ایمیل

mbordbar53@gmail.com

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2023-06-22, ۱۴۰۲/۰۴/۰۱

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2025-03-19, ۱۴۰۳/۱۲/۲۹

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی

ارزیابی کارآیی و ایمنی داروی رومی پلاستیم در کودکان مبتلا به کمخونی آپلاستیک اکتسابی مقاوم به داروهای سرکوبگر ایمنی

عنوان عمومی کارآزمایی

بررسی اثر رومیپلاستیم در کمخونی آپلاستیک اکتسابی مقاوم به درمان

هدف اصلی مطالعه

درمانی

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

کودکان تا سن 18 سال مبتلا به کمخونی آپلاستیک شدید و خیلی شدید و نیز انواع غیر شدید وابسته به تزریق خون و پلاکت که کاندید دریافت داروی سرکوبگر ایمنی (آنتی تیموسیت گلوبولین و سیکلوسپورین) نیستند و یا به این درمانها مقاومند

شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

بیماران مبتلا به کمخونی آپلاستیک ارثی بیماران مبتلا به لوکمی میلویید حاد یا سندروم میلودیسپلاستیک ابتلا به سرطان فعال یا سابقه ابتلا به سرطان در 5 سال گذشته قبل از شروع مطالعه ابتلا به هموگلوبینوری حمله ای شبانه سابقه ناهنجاری کروموزومی در مغزاستخوان فیبروز مغزاستخوان در رنگ آمیزی رتیکولین بیماری که در زمان مطالعه در حال آماده سازی برای پیوند سلولهای بنیادی خونساز است

سن

از سن **1 ماهه** تا سن **18 ساله**

جنسیت

هر دو

فاز مطالعه

2-3

گروه‌های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش‌بینی شده: **24**

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 دانشگاه علوم پزشکی شیراز

آدرس خیابان

شیراز - خیابان زند - جنب هلال احمر - ساختمان مرکزی دانشگاه علوم پزشکی شیراز - طبقه هفتم

شهر

شیراز

استان

فارس

کد پستی

7134814336

تاریخ تایید

2023-04-29, ۱۴۰۲/۰۲/۰۹

کد کمیته اخلاق

IR.SUMS.MED.REC.1402.051

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح

کمخونی آپلاستیک اکتسابی

کد ICD-10

D61.3

توصیف کد ICD-10

Idiopathic aplastic anemia

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد

درصد افرادی که در پایان مطالعه به پاسخ هماتولوژیک کامل یا نسبی رسیده اند

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

هفته 27 ام

نحوه اندازه‌گیری متغیر

تقسیم بیماران دارای پاسخ کامل یا نسبی هماتولوژیک بر کل بیماران مطالعه

متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد

مدت زمان حصول پاسخ کامل یا نسبی هماتولوژیک

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

هفته ای یک بار

نحوه اندازه‌گیری متغیر

شمارش گلبولهای قرمز، سفید و پلاکت خون محیطی

2

شرح متغیر پیامد

میزان کاهش نیاز به تزریق خون یا پلاکت

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

هفته 27

نحوه اندازه‌گیری متغیر

نسبت افرادی که بی نیاز از تزریق شدند یا میزان تزریق آنها کاهش یافته است به کل بیمارانی که در طی 8 هفته قبل از شروع اولین دوز رومی پلاستیم نیاز به تزریق داشته اند

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله

گروه مداخله: داروی رومی پلاستیم بصورت زیرجلدی با دوز 10 میکروگرم به ازای وزن بدن از هفته 1 تا 4 درمان تزریق میشود. سپس از هفته 5 تا 27 درمان بر اساس پاسخ پلاکتی و عوارض جانبی احتمالی دوز دارو هر 4 هفته به میزان 5 میکروگرم به ازای وزن بدن افزایش می یابد تا حداکثر به دوز 20 میکروگرم به ازای وزن بدن برسد یا پاسخ پلاکتی ایجاد شود. درصورتیکه پلاکت به بالای 200 هزار رسید دوز رومی پلاستیم یک مرحله (5 میکروگرم به ازای وزن بدن) کاهش می یابد. زمانی که پاسخ درمانی در هر 3 رده خونی مشاهده شد دوز رومی پلاستیم بتدریج کاهش می یابد و در نهایت قطع می گردد. منظور از پاسخ در هر 3 رده خونی پلاکت بالای 50 هزار، هموگلوبین بالای 10

و نوتروفیل بالای 1000 می باشد که به مدت حداقل 8 هفته بدون نیاز به تزریق خون پایدار بماند.
طبقه بندی
درمانی - داروها

مراکز بیمار گیری

1

مرکز بیمار گیری
نام مرکز بیمار گیری
بیمارستان آنکولوژی امیر
نام کامل فرد مسوول
محمدرضا بردبار
آدرس خیابان
فرهنگ شهر- بیمارستان آنکولوژی امیر
شهر
شیراز
استان
فارس
کد پستی
7187915998
تلفن
+98 71 3632 3532
فکس
+98 71 3632 5655
ایمیل
mbordbar53@gmail.com

حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی شیراز
نام کامل فرد مسوول
محمدهاشم هاشم پور
آدرس خیابان
شیراز - خیابان زند - جنب هلال احمر - ساختمان مرکزی دانشگاه علوم پزشکی شیراز - طبقه هفتم
شهر
شیراز
استان
فارس
کد پستی
7134814336
تلفن
+98 71 3235 7282
فکس
+98 71 3212 2430
ایمیل
hashempurm@sums.ac.ir
ردیف بودجه
کد بودجه
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟
بلی
عنوان منبع مالی
دانشگاه علوم پزشکی شیراز
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 شیراز
نام کامل فرد مسوول
محمدرضا بردبار
موقعیت شغلی
استاد
آخرین مدرک تحصیلی
فوق تخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
خون شناسی
آدرس خیابان
فرهنگ شهر، بیمارستان آنکولوژی امیر
شهر
شیراز
استان
فارس
کد پستی
71879-15998
تلفن
+98 71 3632 3532
ایمیل
mbordbar53@gmail.com

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی شیراز
نام کامل فرد مسوول
محمدرضا بردبار
موقعیت شغلی
استاد
آخرین مدرک تحصیلی
فوق تخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
خون شناسی
آدرس خیابان
فرهنگ شهر- بیمارستان آنکولوژی امیر
شهر
شیراز
استان
فارس
کد پستی
71879-15998
تلفن
+98 71 3632 3532
ایمیل
mbordbar53@gmail.com

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی شیراز

نام کامل فرد مسوول
محمدرضا بردبار

موقعیت شغلی
استاد

آخرین مدرک تحصیلی
فوق تخصص

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
خون شناسی

آدرس خیابان
فرهنگ شهر، بیمارستان آنکولوژی امیر

شهر
شیراز

استان
فارس

کد پستی
71879-15998

تلفن
+98 71 3632 3532

ایمیل
mbordbar53@gmail.com

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
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

کدهای استفاده شده در آنالیز
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

نظام دسته‌بندی داده (دیکشنری داده)
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد

عنوان و جزییات بیشتر در مورد داده/مستند
داده های فردی شرکت کنندگان بدون ذکر نام قابل اشتراک گذاری است

بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند
داده ها در صورت لزوم پس از چاپ نتایج قابل دسترسی خواهد بود

کسانی که اجازه دارند به داده/مستند دسترسی پیدا کنند
داده ها در صورت درخواست در اختیار محققین دانشگاهی قرار خواهد گرفت.

به چه منظور و تحت چه شرایطی داده/مستند قابل استفاده است
سایر محققین با اجازه محقق اصلی طرح جهت مقاصد پژوهشی اجازه استفاده از داده ها را خواهند داشت.

برای دریافت داده/مستند به چه کسی یا کجا مراجعه شود
جهت دریافت داده ها به محقق اصلی پیام دهید.

یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند
داده ها در صورت موافقت کمیته اخلاق دانشگاه قابل دسترسی خواهند بود

سایر توضیحات