

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۴/۱۹

## مقایسه اثربخشی و ایمنی داروهای ریسدیپلام (اوربیدی) و نوسینرسن (اسپینرازا) در بیماران آتروفی نخاعی عضلانی (SMA) بر عملکرد حرکتی و کیفیت زندگی این بیماران

تاریخ تایید ثبت در مرکز: 22-10-2023, ۱۴۰۲/۰۷/۳۰  
زمان بندی ثبت: prospective

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

- 1- مقایسه اثربخشی داروی ریسدیپلام و نوسینرسن در بیماران SMA
- 2- مقایسه عوارض داروی ریسدیپلام و نوسینرسن در بیماران SMA 3- مقایسه میزان تغییر در یافته های NCS در این دو گروه

#### طراحی

کارآزمایی بالینی بدون گروه کنترل، با گروه های موازی، کورسازی نشده، تصادفی نشده، فاز 1 بر روی 40 بیمار.

#### نحوه و محل انجام مطالعه

قبل از شروع دارو از بیماران معاینات بالینی کامل بعمل آمده و از اندکس های رشدی، یافته های آزمایشگاهی و امتیازبندی توانایی های حرکتی بیماران بر اساس معیار CHOP INTEND, RULM, HFMSE و SMAIS استفاده خواهد شد و معیارهای ارزیابی عملکرد مذکور در طول مدت مطالعه با فواصل 0 و 1 و 3 و 6 ماه و در صورت امکان 12 ماه) مجددا مورد ارزیابی و ثبت قرار می گیرد. همچنین عوارض ناخواسته داروها نیز بررسی خواهد شد. NCV اولیه در زمان ورود به مطالعه انجام میگردد و در ادامه برای بیماران با SMA تیپ 1 هر 3 ماه در طول مدت مطالعه و برای بیماران تیپ 2 و 3 با فواصل 6 ماه تکرار می گردد. همچنین بررسی های آزمایشگاهی در پایان هفته 4 ام و ماه ششم مجدد تکرار می شود.

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

بیماران SMA تیپ 1 و 2 و 3 تایید شده ژنتیکی با تعداد کپی SMN2 بین 2 تا 4 عدد و سن کمتر مساوی 10 سال

#### گروه های مداخله

گروه دریافت کننده اسپینرازا گروه دریافت کننده ریسدیپلام

#### متغیرهای پیامد اصلی

ارزیابی عملکرد حرکتی، تغییرات آمپلیتود در NCS، عوارض جانبی داروها

### اطلاعات عمومی

#### علت بروز رسانی

#### نام اختصاری

Spinal Muscular Atrophy(SMA), Survival motor neuron2 (SMN2), Central nervous system (CNS), Cerebrospinal Fluid (CSF), Homozygous Gene Mutation or Deletion (5q SMA), Children's hospital of philadelphia infant test of neuromuscular disorders (CHOP INT

#### اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20131012014988N8

آخرین بروز رسانی: 22-10-2023, ۱۴۰۲/۰۷/۳۰  
تعداد بروز رسانی ها: 0  
تاریخ تایید ثبت در مرکز  
22-10-2023, ۱۴۰۲/۰۷/۳۰

#### اطلاعات تماس ثبت کننده

##### نام

محمد برزگر

##### نام سازمان / نهاد

مرکز تحقیقات سلامت کودکان دانشگاه علوم پزشکی تبریز

##### کشور

جمهوری اسلامی ایران

##### تلفن

2265 3526 41 98+

##### آدرس ایمیل

phrc\_mb@tbzmed.ac.ir

#### وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

#### منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

23-10-2023, ۱۴۰۲/۰۸/۰۱

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

22-10-2024, ۱۴۰۳/۰۸/۰۱

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

#### عنوان علمی کارآزمایی

مقایسه اثربخشی و ایمنی داروهای ریسدیپلام (اوربیدی) و نوسینرسن (اسپینرازا) در بیماران آتروفی نخاعی عضلانی (SMA) بر عملکرد حرکتی و کیفیت زندگی این بیماران

#### عنوان عمومی کارآزمایی

## هدف اصلی مطالعه

درمانی

## شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

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

تشخیص ژنتیکی قطعی SMA 5q (موتاسیون یا حذف هموزیگوت ژن) بیماران با سن کمتر یا مساوی 10 سال تعداد کپی SMN2، دو تا چهار عدد

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

عفونت فعال نیازمند درمان سیستمیک با آنتی بیوتیک یا آنتی ویرال تا ۲ هفته بعد از بهبودی وجود بیماری صعب العلاج همراه ( سابقه آسفیکسی، سابقه تشنج، درگیری شدید کبدی، قلبی عروقی، غدد و...) نارسایی کبدی (به دلیل احتمال افزایش سطح دارو) Child Pugh (class C) دریافت داروی متفورمین (جهت داروی ریسدپیلام) شیردهی و بارداری شرح حال بیماریهای چشمی اخیر (گلوکوم کنترل نشده) (جهت ریسدپیلام) وجود کیفواسکولیوز شدید یا عمل جراحی اصلاحی (جهت نوسینرسن) داشتن شانت و کاتتر مایع مغزی نخاعی (CSF) (جهت نوسینرسن) سابقه مننژیت باکتریال (جهت نوسینرسن)

## سن

تا سن 10 ساله

## جنسیت

هر دو

## فاز مطالعه

مصادق ندارد

## گروه‌های کور شده در مطالعه

اطلاعات موجود نیست

## حجم نمونه کل

حجم نمونه پیش‌بینی شده: 40

## تصادفی سازی (نظر محقق)

مصادق ندارد

## توصیف نحوه تصادفی سازی

کور سازی (به نظر محقق)

کور نشده است

## توصیف نحوه کور سازی

دارو نما

ندارد

## اختصاص به گروه‌های مطالعه

موازی

## 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 تبریز

### آدرس خیابان

خیابان گلگشت، دانشکده پزشکی

### شهر

تبریز

### استان

آذربایجان شرقی

### کد پستی

5157610144

### تاریخ تایید

## بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

### 1

#### شرح

آتروفی عضلانی - نخاعی

#### کد ICD-10

G12

#### توصیف کد ICD-10

Spinal muscular atrophy and related syndromes

## متغیر پیامد اولیه

### 1

#### شرح متغیر پیامد

ارزیابی عملکرد حرکتی

#### مقاطع زمانی اندازه‌گیری

یک ماه، سه ماه، و شش ماه و در صورت امکان یکسال پس از شروع دارو

#### نحوه اندازه‌گیری متغیر

در پایان ماه 1 و 3 و 6 از شروع درمان توسط نورولوژیست اطفال و با فلوشیپ نورولوژی اطفال وبزیت و تست های CHOP INTENT و HFMSE و RULM و SMAIS برای بیماران انجام می شود.

### 2

#### شرح متغیر پیامد

تغییرات امپلیتود در NCS

#### مقاطع زمانی اندازه‌گیری

هر 3 ماه برای SMA-1، هر 6 ماه برای SMA 2,3

#### نحوه اندازه‌گیری متغیر

توسط یک متخصص طب فیزیکی و توانبخشی (عضو ثابت گروه تحقیقاتی) ارزیابی تغییرات امپلیتود CMAP یک عصب واحد انجام خواهد شد.

### 3

#### شرح متغیر پیامد

عوارض جانبی داروها

#### مقاطع زمانی اندازه‌گیری

هر 2 هفته در ماه اول و سپس ماهانه توسط پرسش از خود بیماران و یا والدین آنها

#### نحوه اندازه‌گیری متغیر

توسط پرسش از خود بیماران و یا والدین آنها

## متغیر پیامد ثانویه

خالی

## گروه‌های مداخله

### 1

#### شرح مداخله

گروه مداخله: گروه دریافت کننده آمپول spinraza

#### طبقه بندی

درمانی - داروها

**مبدأ اعتبار از داخل یا خارج کشور**  
داخلی  
**طبقه بندی منابع اعتبار خارجی**  
خالی  
**کشور مبدأ**  
**طبقه بندی موسسه تامین کننده اعتبار**  
دانشگاهی

**شرح مداخله**  
گروه مداخله: گروه دریافت کننده شربت ریسدیپلام  
**طبقه بندی**  
درمانی - داروها

## مراکز بیمار گیری

## فرد مسوول پاسخگویی عمومی کارآزمایی

**اطلاعات تماس**  
**نام سازمان / نهاد**  
دانشگاه علوم پزشکی تبریز  
**نام کامل فرد مسوول**  
دکتر محمد برزگر  
**موقعیت شغلی**  
استاد  
**آخرین مدرک تحصیلی**  
فوق تخصص  
**سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها**  
کودکان  
**آدرس خیابان**  
تبریز- کوی گلپاد - کوی مریم، پلاک 3  
**شهر**  
تبریز  
**استان**  
آذربایجان شرقی  
**کد پستی**  
5143377505  
**تلفن**  
0492 117 914 98+  
**فکس**  
2105 3159 41 98+  
**ایمیل**  
mm\_barzegar@yahoo.com

**مرکز بیمار گیری**  
**نام مرکز بیمار گیری**  
بیمارستان کودکان زهرا مردانی آذری  
**نام کامل فرد مسوول**  
دکتر محمد برزگر  
**آدرس خیابان**  
شهرک خاوران ، خیابان مردانی آذری، خیابان مشهوری  
**شهر**  
تبریز  
**استان**  
آذربایجان شرقی  
**کد پستی**  
5143377505  
**تلفن**  
2105 3159 41 98+  
**ایمیل**  
mardaniazar@tbzmed.ac.ir  
**آدرس صفحه وب**  
[/https://mardaniazari.tbzmed.ac.ir](https://mardaniazari.tbzmed.ac.ir)

## حمایت کنندگان / منابع مالی

## فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

**اطلاعات تماس**  
**نام سازمان / نهاد**  
دانشگاه علوم پزشکی تبریز  
**نام کامل فرد مسوول**  
دکتر محمد برزگر  
**موقعیت شغلی**  
استاد  
**آخرین مدرک تحصیلی**  
فوق تخصص  
**سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها**  
کودکان  
**آدرس خیابان**  
تبریز- گلپاد، کوی مریم ، پلاک 3  
**شهر**  
تبریز  
**استان**  
آذربایجان شرقی  
**کد پستی**  
5143377505  
**تلفن**  
0492 117 914 98+  
**ایمیل**  
mm\_barzegar@yahoo.com

**حمایت کننده مالی**  
**نام سازمان / نهاد**  
دانشگاه علوم پزشکی تبریز  
**نام کامل فرد مسوول**  
دکتر پرویز شهابی  
**آدرس خیابان**  
خیابان گلگشت  
**شهر**  
تبریز  
**استان**  
آذربایجان شرقی  
**کد پستی**  
5143377505  
**تلفن**  
7310 3335 41 98+  
**ایمیل**  
dabir Khanecent@tbzmed.ac.ir

**ردیف بودجه**  
**کد بودجه**  
**آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟**  
خیر  
**عنوان منبع مالی**  
هیات امنای وزارت بهداشت  
**درصد تامین مالی مطالعه توسط این منبع**  
100  
**بخش عمومی یا خصوصی**  
عمومی

## فرد مسوول بهروز رسانی اطلاعات

### اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی تبریز

نام کامل فرد مسوول

دکتر بیتا پورشیری

موقعیت شغلی

استادیار

آخرین مدرک تحصیلی

فوق تخصص

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

کودکان

آدرس خیابان

تبریز- خیابان توانیر، برج ارس

شهر

تبریز

استان

آذربایجان شرقی

کد پستی

5138933171

تلفن

3061 301 914 98+

ایمیل

bpskam@yahoo.com

### 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