

# پروتکل کارآزمایی بالینی مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۳/۲۰

## بررسی اثر ترهالوز بر کیفیت زندگی و یافته های آزمایشگاهی بیماران مبتلا به بیماریهای ذخیره ای لیزوزومی (نیمن پیک و موکوپلی ساکاریدوز تپ 3 (Sanfilippo))

### چکیده پروتکل

#### هدف از مطالعه

بررسی اثر ترهالوز بر کیفیت زندگی و یافته های آزمایشگاهی بیماران مبتلا به بیماریهای ذخیره ای لیزوزومی (نیمن پیک و موکوپلی ساکاریدوز تپ 3 (Sanfilippo))

#### طراحی

کارآزمایی بالینی یک گروه بدون گروه کنترل، فاز 2 روی 40 بیمار

#### نحوه و محل انجام مطالعه

بیماران با تشخیص قطعی نیمن پیک ویا موکوپلی ساکاریدوز تپ 3 (سندروم سن فیلیپو) که واجد کرایتریای ورود باشند، وارد مطالعه میشوند و به مدت 12 هفته (3 ماه) ترهالوز را بصورت وریدی با دوز 15 گرم در هفته دریافت خواهند کرد. در ابتدا و انتهای مطالعه بیماران از نظر پیامدهایی که در ادامه توضیح داده میشود تحت ارزیابی قرار میگیرند.

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

شرایط ورود: بیماران نیمن پیک ویا موکوپلی ساکاریدوز تپ 3 (سندروم سن فیلیپو) که خودشان یا والدین یا قیم قانونی آنها (درمورد کودکان) رضایت جهت شرکت در مطالعه داشته باشد.

#### گروه های مداخله

گروه مداخله: ترهالوز وریدی 15 گرم در هفته برای 12 هفته ساخت مجموعه داروسازی دکتر رجبی.

#### متغیرهای پیامد اصلی

پیامد اولیه: کیفیت زندگی با استفاده از پرسشنامه Ped.QL در افراد زیر 18 و پرسشنامه SF-36 در افراد بالای 18 سال. پیامدهای ثانویه: اندازه کبد و طحال، سطح پلاسمایی اسفنگومیلین، سطح سرمی هپاران سولفات، غلظت ادراری هپاران سولفات و گلیکوزآمینوگلیکان، Lung HRCT، آنزیمهای کبدی (AST, ALT, LDH, CBC)، کراتینین.

### اطلاعات عمومی

#### علت بروز رسانی

با توجه به نادر بودن بیماری و فوت تعدادی از بیماران شناسایی شده (مبتلا به سندرم سن فیلیپو و یا نیمن پیک) حجم نمونه کاهش یافت. تمام تیپهای نیمن پیک و موکوپلی ساکاریدوز تپ 3 وارد مطالعه خواهند شد.

#### نام اختصاری

#### اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: IRCT20130829014521N23

تاریخ تایید ثبت در مرکز: ۱۴۰۲/۰۸/۰۵, 27-10-2023

زمان بندی ثبت: prospective

آخرین بروز رسانی: 04-02-2024, ۱۴۰۲/۱۱/۱۵

تعداد بروز رسانی ها: 1

تاریخ تایید ثبت در مرکز  
2023-10-27, ۱۴۰۲/۰۸/۰۵

#### اطلاعات تماس ثبت کننده

##### نام

امیرحسین صاحبکار

##### نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی مشهد

##### کشور

جمهوری اسلامی ایران

##### تلفن

9260 1882 51 98+

##### آدرس ایمیل

sahebkar@mums.ac.ir

#### وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

#### منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2024-04-08, ۱۴۰۳/۰۱/۲۰

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2026-04-09, ۱۴۰۵/۰۱/۲۰

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

#### عنوان علمی کارآزمایی

بررسی اثر ترهالوز بر کیفیت زندگی و یافته های آزمایشگاهی بیماران مبتلا به بیماریهای ذخیره ای لیزوزومی (نیمن پیک و موکوپلی ساکاریدوز تپ 3 (Sanfilippo))

#### عنوان عمومی کارآزمایی

بررسی اثر ترهالوز بر کیفیت زندگی بیماران مبتلا به بیماریهای ذخیره ای لیزوزومی

#### هدف اصلی مطالعه

درمانی

Other sphingolipidosis

2

شرح

موکوپلی ساکاریدوز نوع 3 (سن فیلپو)

کد ICD-10

E76.2

توصیف کد ICD-10

Other mucopolysaccharidoses

## متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد

کیفیت زندگی

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

نحوه اندازه‌گیری متغیر

در مورد افراد زیر 18 سال با استفاده از پرسشنامه Peds-qI و برای

افراد بالای 18 سال پرسشنامه SF-36 تکمیل خواهد شد.

## متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد

اندازه کبد و طحال

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

نحوه اندازه‌گیری متغیر

سونوگرافی

2

شرح متغیر پیامد

سطح پلاسمایی اسفنگومیلین

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

نحوه اندازه‌گیری متغیر

آزمایش خون

3

شرح متغیر پیامد

سطح سرمی هپاران سولفات

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

نحوه اندازه‌گیری متغیر

آزمایش خون

4

شرح متغیر پیامد

غلظت ادراری هپاران سولفات و گلیکوزآمینوگلیکان

مقاطع زمانی اندازه‌گیری

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

نحوه اندازه‌گیری متغیر

آزمایش ادرار

شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه

شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

متنبایان به بیماری موکوپلی ساکاریدوز نوع 3 و نیمین پیک رضایت

آگاهانه افراد یا والدین آنها (درمورد کودکان)

شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:

وقوع شرایط خاص پزشکی

سن

بدون محدودیت سنی

جنسیت

هر دو

فاز مطالعه

2

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

تنها

سایر مشخصات طراحی مطالعه

کد ثبت در سایر مراکز ثبت بین‌المللی

خالی

تأییدیه کمیته‌های اخلاق

1

کمیته اخلاق

نام کمیته اخلاق

کمیته اخلاق در پژوهش دانشگاه علوم پزشکی مشهد

آدرس خیابان

خیابان دانشگاه، ساختمان قرشی

شهر

مشهد

استان

خراسان رضوی

کد پستی

9138813944

تاریخ تأیید

2023-09-23, 1402/07/01

کد کمیته اخلاق

IR.MUMS.REC.1402.213

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح

نیمین پیک

کد ICD-10

E75.2

توصیف کد ICD-10

5

**شرح متغیر پیامد**

HRCT ریه (سی تی اسکن با رزولوشن بالا از ریه)

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

HRCT

**آدرس خیابان**  
خیابان امام خمینی، کیلومتر 10، بیمارستان کودکان حضرت امام  
حسین (ع)  
**شهر**  
اصفهان  
**استان**  
اصفهان  
**کد پستی**  
8195163381

**تلفن**

6266 3386 31 98+

**ایمیل**

sahebkhara@mums.ac.ir

**حمایت کنندگان / منابع مالی**

1

**حمایت کننده مالی**

**نام سازمان / نهاد**

معاونت تحقیقات و فناوری وزارت بهداشت

**نام کامل فرد مسوول**

یونس پناهی

**آدرس خیابان**

شهرک قدس، بلوار فرحزادی، بلوار ایوانک، وزارت بهداشت،

درمان و آموزش پزشکی

**شهر**

تهران

**استان**

تهران

**کد پستی**

1467664961

**تلفن**

5211 8145 21 98+

**ایمیل**

info@hbi.ir

**آدرس صفحه وب**

[/https://research.behdasht.gov.ir](https://research.behdasht.gov.ir)

**ردیف بودجه**

**کد بودجه**

آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟

بلی

**عنوان منبع مالی**

معاونت تحقیقات و فناوری وزارت بهداشت

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 اصفهان

**نام کامل فرد مسوول**

6

**شرح متغیر پیامد**

شمارش سلولهای خونی (CBC)

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

آزمایش خون

7

**شرح متغیر پیامد**

آنزیمهای کبدی (شامل SGOT, SGPT)

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

آزمایش خون

8

**شرح متغیر پیامد**

کراتینین

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

آزمایش خون

9

**شرح متغیر پیامد**

لاکتات دهیدروژناز (LDH)

**مقاطع زمانی اندازه‌گیری**

در ابتدای مطالعه و پس از 12 هفته

**نحوه اندازه‌گیری متغیر**

آزمایش خون

**گروه‌های مداخله**

1

**شرح مداخله**

گروه مداخله: تره هالوز وریدی 15 گرم در هفته برای 12 هفته

**طبقه بندی**

درمانی - داروها

**مراکز بیمار گیری**

1

**مرکز بیمار گیری**

**نام مرکز بیمار گیری**

بیمارستان کودکان امام حسین (ع)

**نام کامل فرد مسوول**

امیرحسین صاحبکار

## فرد مسوول به روز رسانی اطلاعات

**اطلاعات تماس**  
**نام سازمان / نهاد**  
 دانشگاه علوم پزشکی مشهد  
**نام کامل فرد مسوول**  
 امیرحسین صاحبکار  
**موقعیت شغلی**  
 استاد  
**آخرین مدرک تحصیلی**  
 Ph.D  
**سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها**  
 بیوتکنولوژی دارویی  
**آدرس خیابان**  
 میدان آزادی، پردیس دانشگاه، دانشکده داروسازی  
**شهر**  
 مشهد  
**استان**  
 خراسان رضوی  
**کد پستی**  
 9177948954  
**تلفن**  
 1100 3180 51 98+  
**ایمیل**  
 sahebkhara@mums.ac.ir

## 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

محمد باقرنیا  
**موقعیت شغلی**  
 استادیار  
**آخرین مدرک تحصیلی**  
 Ph.D

**سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها**  
 تغذیه  
**آدرس خیابان**  
 خیابان هزارجریب، دانشگاه علوم پزشکی اصفهان، دانشکده تغذیه و علوم غذایی، گروه تغذیه جامعه  
**شهر**  
 اصفهان  
**استان**  
 اصفهان  
**کد پستی**  
 8174673461  
**تلفن**  
 3154 3792 31 98+  
**ایمیل**  
 Bagherniya@yahoo.com

## فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

**اطلاعات تماس**  
**نام سازمان / نهاد**  
 دانشگاه علوم پزشکی مشهد  
**نام کامل فرد مسوول**  
 امیرحسین صاحبکار  
**موقعیت شغلی**  
 استاد  
**آخرین مدرک تحصیلی**  
 Ph.D  
**سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها**  
 بیوتکنولوژی دارویی  
**آدرس خیابان**  
 میدان آزادی، پردیس دانشگاه، دانشکده داروسازی  
**شهر**  
 مشهد  
**استان**  
 خراسان رضوی  
**کد پستی**  
 9177948954  
**تلفن**  
 0098513180110  
**ایمیل**