پروتکل کارآزمایی بالینی
مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۹/۰۱

اثر بخشی Everolimus در کودکان مبتلا به توبروزاسکلروزیس و استروسیتوم سلول ژانت ساب اپاندیمی

چکیده پروتکل

هدف ازمطالعه
تعیین تأثیر Everolimus بر تغییر سایز SEGA قبل و بعد از درمان و تعیین تأثیر این دارو بر آنژیومیولیپوم کلیه (AML)، ضایعات پوستی و تشنج در بیماران TSC.
طراحی
حجم نمونه بر اساس مقایسه دو نسبتی (قبل و بعد) [آزمون مک نمر]، با در نظر گرفتن نسبت 28.5 درصد پاسخ به درمان محاسبه شد.
نحوه و محل انجام مطالعه
کلیه بیماران با تشخیص توبروسکلروزیس و تمامی معیارهای فوق که به کلینیک انکولوژی اطفال امام رضا (ع) مراجعه کرده بودند وارد مطالعه شدند و در فواصل زمانی مشخص معاینه و پرسشنامه تکمیل می گردد.
شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود
معیارهای ورود: بیمارانی که به طور قطعی با تشخیص کمپلکس توبروس اسکلروزیس و از نظر پزشکی پایدار هستند. معیارهای خروج: نیاز به هرگونه جراحی برای آستروسیتومای سلول ژانت ساب اپاندیمی، هیدروسفالی بحرانی یا فتق قریب الوقوع مغزی بیماران با اختلال شدید عملکرد کبدی
گروه‌های مداخله
اورولیموس به صورت خوراکی با دوز اولیه 4.5 میلی گرم بر متر مربع سطح بدن در روز تجویز می شود و با توجه به عوارض جانبی سمی، برای دستیابی به غلظت های خونی 5-15 نانوگرم در میلی لیتر تنظیم می شود.
متغیرهای پیامد اصلی
هدف نهایی اولیه به عنوان پاسخ تایید شده تومور در نظر گرفته می شود که به عنوان کاهش حجم کل آستروسیتومای سلول غول پیکر ساب اپاندیمال هدف به میزان 50 درصد یا بیشتر نسبت به سطح پایه، در غیاب بدتر شدن آستروسیتومای سلول غول پیکر ساب اپاندیمی غیر هدف، تعریف می شود.

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی
نام اختصاری
اطلاعات ثبت در مرکز
شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: **IRCT20240112060688N1**
تاریخ تایید ثبت در مرکز: **2024-12-23, ۱۴۰۳/۱۰/۰۳**
زمان‌بندی ثبت: **registered_while_recruiting**
آخرین بروز رسانی: **2024-12-23, ۱۴۰۳/۱۰/۰۳**
تعداد بروز رسانی‌ها: **0**
تاریخ تایید ثبت در مرکز
2024-12-23, ۱۴۰۳/۱۰/۰۳

اطلاعات تماس ثبت کننده
نام
هادی متقی پیشه
نام سازمان / نهاد
کشور
جمهوری اسلامی ایران
تلفن
+98 71 3830 3110
آدرس ایمیل
mottaghipisheh@sums.ac.ir

وضعیت بیمار گیری
بیمار گیری تمام شده
منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار
2024-12-21, ۱۴۰۳/۱۰/۰۱
تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار
2025-12-22, ۱۴۰۴/۱۰/۰۱
تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته
خالی
تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته
خالی
تاریخ خاتمه کارآزمایی
خالی

عنوان علمی کارآزمایی
اثر بخشی Everolimus در کودکان مبتلا به توبروزاسکلروزیس و استروسیتوم سلول ژانت ساب اپاندیمی

عنوان عمومی کارآزمایی
Everolimus در استروسیتوم سلول ژانت ساب اپاندیمی
هدف اصلی مطالعه
درمانی
شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه
شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:
بیمارانی که طبق تعریف کرایتریای تشخیصی توبروس اسکلروزیس

دارند و از نظر پزشکی پایدار هستند کودکان با سن یک تا 18 سال
شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:
نیاز به هرگونه جراحی برای آستروسیتوموای ژانت سل ساب اپندیمال ، هیدروسفالی واضح یا هرنیاسیون مغزی
سن
از سن **1 ساله** تا سن **18 ساله**
جنسیت
هر دو

فاز مطالعه
4
گروه‌های کور شده در مطالعه
اطلاعات موجود نیست
حجم نمونه کل
حجم نمونه پیش‌بینی شده: **29**
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 پزشکی - دانشگاه علوم پزشکی شیراز
آدرس خیابان
فرهنگ شهر ایستگاه 11 بیمارستان انکولوژی امیر
شهر
شیراز
استان
فارس
کد پستی
۷۱۸۷۹۱۵۹۹۸
تاریخ تایید
2024-09-28, ۱۴۰۳/۰۷/۰۷
کد کمیته اخلاق
IR.SUMS.MED.REC.1403.433

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح
توبروس اسکلروزیس
کد ICD-10
Q85.1
توصیف کد ICD-10
Tuberous sclerosis

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد
کاهش سایز ضایعات استروسیتوموای سلول ژانت ساب اپاندیمال
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
در ابتدای مطالعه و سپس هر سه ماه تا یک سال
نحوه اندازه‌گیری متغیر
یافته های ام آر آی

2

شرح متغیر پیامد
تغییر مطلق در تکرار تشنج در 24 ساعت طی 24 هفته از سطح اولیه
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
در ابتدای مطالعه و سپس هر سه ماه تا یک سال
نحوه اندازه‌گیری متغیر
نوار مغز الکتریکی

3

شرح متغیر پیامد
میزان پاسخ ضایعات پوستی در بیماران دارای حداقل یک ضایعه پوستی در سطح اولیه
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
در ابتدای مطالعه و سپس هر سه ماه تا یک سال
نحوه اندازه‌گیری متغیر
معاینه بالینی

4

شرح متغیر پیامد
میزان پاسخ آنژیومیولیپوما
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
در ابتدای مطالعه و سپس هر سه ماه تا یک سال
نحوه اندازه‌گیری متغیر
سونوگرافی

متغیر پیامد ثانویه

خالی

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله
گروه مداخله:گروه مداخله: کودکان واجد شرایط (سن زیر ۱۸ سال) با تشخیص قطعی توبروس اسکلروزیس به روش نمونه‌گیری بر اساس معیارهای ورود و خروج از مطالعه وارد می‌شوند: اورولیموس به صورت خوراکی با دوز اولیه 4.5 میلی گرم به ازای متر مربع سطح بدن در روز برای 12 ماه و برای رسیدن به غلظت خونی 5-15 نانوگرم در میلی لیتر با در نظر گرفتن سمیت و عوارض جانبی تجویز می شود. همه بیماران در طول درمان با اورولیموس از نظر عوارض جانبی مانند استوماتیت، زخم آفتی، برافروختگی، فشار خون بالا، ادم محیطی، هیپرگلیسمی، درد شکم و سایر مواردی که در پرسشنامه گنجانده شده بودند، تحت نظر قرار می گیرند. در برخی از بیماران به دلیل در دسترس نبودن تست برای سطح اورولیموس، پس از ایجاد ضایعات آفتی شدید یا سمیت شدید، 20 درصد دوز تجویزی را کاهش می دهیم. اگر بیماران اورولیموس را تحمل نکنند، دارو قطع شده و از مطالعه حذف می شود. بیماران ما حداقل یک سال پس از شروع اورولیموس پیگیری خواهند شد. MRI مغز هر 3 ماه یکبار پس از شروع درمان و

سونوگرافی شکم و لگن برای ضایعات آنژیومیولیپوما در یک مرکز تخصصی و گزارش توسط رادیولوژیست متخصص انجام می شود. تمام بیماران در ابتدا و ۲۴ هفته (یا پایان درمان برای کسانی که درمان را قطع کرده اند) نوار مغزی تکمیل می شود. ضایعات پوستی هر ۳ ماه یکبار توسط پزشک در کلینیک بر اساس اندازه، تعداد، رنگ و محل ارزیابی می شود. در هر ویزیت از هفته 2 برای سطح داروی اورولیموس شامل هماتولوژی و شیمی خون، خون گیری می شود و در 4 هفته اول هر 2 هفته یکبار و سپس ماهانه انجام می شود.

طبقه بندی

درمانی - داروها

مراکز بیمار گیری

1

مرکز بیمار گیری

نام مرکز بیمار گیری

کلینیک انکولوژی اطفال درمانگاه امام رضا شیراز

نام کامل فرد مسوول

هادی متقی پیشه

آدرس خیابان

فلکه نمازی

شهر

شیراز

استان

فارس

کد پستی

7134814734

تلفن

+98 71 3212 7000

ایمیل

hmottaghipisheh@gmail.com

حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی شیراز

نام کامل فرد مسوول

محمد هاشم هاشم پور

آدرس خیابان

خیابان زند،ساختمان مرکزی دانشگاه علوم پزشکی شیراز،طبقه هفتم،معاونت تحقیقات و فناوری

شهر

شیراز

استان

فارس

کد پستی

7134814336

تلفن

+98 71 3212 2430

ایمیل

vcrdep@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

هادی متقی پیشه

موقعیت شغلی

استادیار

آخرین مدرک تحصیلی

فوق تخصص

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

انکولوژی

آدرس خیابان

فرهنگ شهر - ایستگاه ۱۱ - بیمارستان آنکولوژی امیر

شهر

شیراز

استان

فارس

کد پستی

7187915998

تلفن

+98 71 3632 3534

ایمیل

hmottaghipisheh@gmail.com

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد

دانشگاه علوم پزشکی شیراز

نام کامل فرد مسوول

هادی متقی پیشه

موقعیت شغلی

استادیار

آخرین مدرک تحصیلی

فوق تخصص

سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها

انکولوژی

آدرس خیابان

فرهنگ شهر - ایستگاه ۱۱ - بیمارستان آنکولوژی امیر

شهر

شیراز

استان

فارس

کد پستی

7187915998

تلفن

+98 71 3632 3534

ایمیل

hmottaghipisheh@gmail.com

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس

نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی شیراز
نام کامل فرد مسوول
هادی متقی پیشه
موقعیت شغلی
استادیار
آخرین مدرک تحصیلی
فوق تخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
خون شناسی
آدرس خیابان
فرهنگ شهر - ایستگاه ۱۱ - بیمارستان آنکولوژی امیر
شهر
شیراز
استان
فارس
کد پستی
7187915998
تلفن
+98 71 3632 3534
ایمیل
hmottaghipisheh@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
کل داده ها پس از غیر قابل شناسایی کردن افراد
بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند
دسترسی پس از چاپ نتایج
کسانی که اجازه دارند به داده/مستند دسترسی پیدا کنند
محققین شاغل در موسسات دانشگاهی و علمی
به چه منظور و تحت چه شرایطی داده/مستند قابل استفاده است
شرایط خاصی وجود ندارد
برای دریافت داده/مستند به چه کسی یا کجا مراجعه شود
ایمیل
یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند
ایمیل
سایر توضیحات