پروتکل کارآزمایی بالینی
مرکز ثبت کارآزمایی بالینی ایران

۱۴۰۵/۰۹/۰۱

ارزیابی ایمنی و اثربخشی درمان آتاکسی تلانژکتازی با استفاده از پیوند سلول های بنیادی در کودکان در دانشگاه علوم پزشکی مشهد

چکیده پروتکل

هدف ازمطالعه

بررسی اثربخشی تزریق سلول های بنیادی بربهبود مقیاس نمره دهی آتاکسی مخچه ای (SARA) در بیماران مبتلا به AT پس از گذشت 12 ماه از درمان

طراحی

این مطالعه یک کارآزمایی بالینی پایلوت تک مرکزی,غیرتصادفی شده در فاز یک/دو است که به منظور ارزیابی ایمنی و اثربخشی پیوند سلول های بنیادی مزانشیمی آلوژنیک در 5 بیمار مبتلا به آتاکسی تلانژکتازی طراحی شده است

نحوه و محل انجام مطالعه

محل انجام: بیمارستان پاستور نحوه انجام: تزریق وریدی و داخل نخاعی سلول های بنیادی در بخش روزانه,پایش 24 ساعته و ارزیابی های دوره ای در کلینیک

شرکت کنندگان/شرایط ورود و عدم ورود

معیارهای ورود, *تایید تشخیص قطعی بیماری بر اساس معیارهای کلینیکی و تایید شده توسط تست ژنتیک *محدوده ی سنی بیماران در محدوده ی سنی 5 تا 15 سال *شدت بیماری: داشتن نمره خاصی در مقیاس درجه بندی آتاکسی(نمره SARA بین 5 تا 17) *ارائه رضایت نامه آگاهانه کتبی توسط والدین یا قیم قانونی بیمار *ثبات شرایط پزشکی: بیمارانی که از نظر شرایط پزشکی در وضعیت پایدار قرار دارند معیارهای خروج, *ابتلا به بیماری های شدید دیگر:ابتلا به سایر بیماری های عصبی پیشرونده ی شدید *وجود هرگونه بدخیمی یا سابقه ی سرطان *ابتلا به عفونت های فعال و کنترل نشده *داشتن سابقه ی حساسیت شدید یا واکنش آنافلاکسی به هر یک از مواد استفاده شده در فرآیند تزریق *عدم تمایل خانواده به همکاری با پروتکل مطالعه یا پیگیری منظم

گروه‌های مداخله

*درمان با تزریق داخل وریدی و انتراتکال سلولی های بنیادی مزانشیمی آلوژنیک سلول های بنیادی مزلنشیمی مشتق از مغزاستخوان انسانی *تزریق داخل وریدی و داخل نخاعی با دوز یک میلیون سلول به ازای هر کیلوگرم وزن بدن *سه نوبت تزریق به فاصله ی یک ماه از هم *تجویز داروی ضدحساسیت(آنتی هیستامین) 30 دقیقه قبل از تزریق

متغیرهای پیامد اصلی

*اثربخشی: تغییرات نمره مقیاس SARA از ابتدا تا 12 ماه پس از درمان *ایمنی: میزان بروز عوارض جانبی جدی مرتبط با درمان در 12 ماه

اطلاعات عمومی

علت بروز رسانی

نام اختصاری

CellTX-AT

اطلاعات ثبت در مرکز

شماره ثبت کارآزمایی در مرکز: **IRCT20250528065956N1**

تاریخ تایید ثبت در مرکز: **2025-09-19, ۱۴۰۴/۰۶/۲۸**

زمان‌بندی ثبت: **prospective**

آخرین بروز رسانی: **2025-09-19, ۱۴۰۴/۰۶/۲۸**

تعداد بروز رسانی‌ها: **0**

تاریخ تایید ثبت در مرکز

2025-09-19, ۱۴۰۴/۰۶/۲۸

اطلاعات تماس ثبت کننده

نام

امیرعلی لطیفیان علاف

نام سازمان / نهاد

کشور

جمهوری اسلامی ایران

تلفن

+98 51 3841 5352

آدرس ایمیل

latifianaa4021@mums.ac.ir

وضعیت بیمار گیری

بیمار گیری تمام شده

منبع مالی

تاریخ شروع بیمار گیری مورد انتظار

2025-10-17, ۱۴۰۴/۰۷/۲۵

تاریخ پایان بیمار گیری مورد انتظار

2025-12-16, ۱۴۰۴/۰۹/۲۵

تاریخ شروع بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ پایان بیمارگیری تحقق یافته

خالی

تاریخ خاتمه کارآزمایی

خالی

عنوان علمی کارآزمایی
ارزیابی ایمنی و اثربخشی درمان آتاکسی تلانژکتازی با استفاده از پیوند سلول های بنیادی در کودکان در دانشگاه علوم پزشکی مشهد

عنوان عمومی کارآزمایی
بررسی ایمنی و کارایی پیوند سلول های بنیادی در بیماران مبتلا به آتاکسی تلانژکتازی
هدف اصلی مطالعه
درمانی
شرایط عمده ورود و عدم ورود به مطالعه
شرایط عمده ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:
سن ابتلا بین 5 تا 15 سال رضایت آگاهانه ی والدین یا کفیل قانونی تشخیص قطعی بیماری بر اساس معیارهای بالینی و ژنتیکی
شرایط عمده عدم ورود به مطالعه قبل از تصادفی سازی:
ابتلا به سایر اختلالات عصبی تکاملی عدم رضایت در شرکت در مطالعه ابتلا به صرع یا اختلال تشنجی حساسیت به تزریق سلول های بنیادی
سن
از سن **5 ساله** تا سن **15 ساله**
جنسیت
هر دو

فاز مطالعه
1
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 ی اخلاق دانشگاه علوم پزشکی مشهد
آدرس خیابان
خیابان احمدآباد- قائم 16- پلاک44-زنگ4
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
9183889341
تاریخ تایید
۱۴۰۴/۰۲/۱۷, 2025-05-07
کد کمیته اخلاق
IR.MUMS.REC.1404.053

بیماری‌های (موضوعات) مورد مطالعه

1

شرح
آتاکسی تلانژکتازی
کد ICD-10
G11.3
توصیف کد ICD-10
Cerebellar ataxia with defective DNA repair

متغیر پیامد اولیه

1

شرح متغیر پیامد
پیامد اول: اثربخشی: تغییر نمره ی مقیاس SARA (ارزیابی آتاکسی) از ابتدا تا 12 ماه پس از درمان - پیامد دو: ایمنی : تعداد بیماران دچار عوارض جانبی مرتبط با درمان در 12 ماه
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
زمان های اندازه گیری: قبل از شروع درمان(خط پایه)- 3 ماه پس از درمان - 6 ماه پس از درمان-12 ماه پس از درمان
نحوه اندازه‌گیری متغیر
برای متغییر اثربخشی(نمره SARA): روش اندازه گیری: ارزیابی بالینی توسط متخصص مغز واعصاب با استفاده از مقیاس استاندارد SARA- برای متغیر ایمنی(عوارض جانبی) روش اندازه گیری : پایش و ثبت عوارض بر اساس معیارهای CTCAE(ویرایش5)

متغیر پیامد ثانویه

1

شرح متغیر پیامد
بهبود عملکرد ایمنی- بهبود عملکرد زندگی- بهبود عملکرد روزانه- بقا بدون پیشرفت بیماری
مقاطع زمانی اندازه‌گیری
پیش از درمان(خط پایه)-3ماه پس از درمان-6 ماه پس از درمان- 12 ماه پس از درمان
نحوه اندازه‌گیری متغیر
سطح ایمونوگلوبولین ها: تست الایزا از نمونه خون وریدی- کیفیت زندگی: پرسشنامه استاندارد PedsQLتکمیل شده توسط والدین - عملکرد روزانه: مشاهده و مصاحبه بالینی توسط کاردرمانگر- پیشرفت بیماری: ارزیابی بالینی توسط متخصص مغز و اعصاب

گروه‌های مداخله

1

شرح مداخله
گروه مداخله:بیمارانی که تزریق داخل وریدی و داخل نخاعی سلول‌های بنیادی مزانشیمی آلوژنیک (3 دوز با فواصل 1 ماه) دریافت می‌کنند و پس از تزریق 24 ساعت تحت نظر هستند
طبقه بندی
درمانی - داروها

مراکز بیمار گیری

1

مرکز بیمار گیری
نام مرکز بیمار گیری

بیمارستان قائم
نام کامل فرد مسوول
مهران بیرقی
آدرس خیابان
خیابان احمدآباد-قائم16-پلاک44-زنگ4
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
9183889341
تلفن
+98 915 311 6987
ایمیل
aa2.latifian@gmail.com

حمایت کنندگان / منابع مالی

1

حمایت کننده مالی
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
محسن تفقدی
آدرس خیابان
بیمارستان قائم خیابان احمدآباد
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تلفن
+98 51 3801 2469
ایمیل
latifianaa4021@mums.ac.ir
ردیف بودجه
کد بودجه
آیا منبع مالی همان سازمان یا نهاد حمایت کننده مالی است؟
بلی
عنوان منبع مالی
دانشگاه علوم پزشکی مشهد
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 مشهد
نام کامل فرد مسوول
امیرعلی لطیفیان علاف
موقعیت شغلی
دستیار فوق تخصصی
آخرین مدرک تحصیلی
متخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
کودکان
آدرس خیابان
بیمارستان قائم خیابان احمدآباد
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تلفن
+98 51 3801 2469
ایمیل
latifianaa4021@mums.ac.ir

فرد مسوول پاسخگویی علمی مطالعه

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
امیرعلی لطیفیان علاف
موقعیت شغلی
دستیار فوق تخصصی
آخرین مدرک تحصیلی
متخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
کودکان
آدرس خیابان
خیابان احمدآباد
شهر
مشهد
استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تلفن
+98 51 3801 2469
ایمیل
latifianaa4021@mums.ac.ir

فرد مسوول به‌روز رسانی اطلاعات

اطلاعات تماس
نام سازمان / نهاد
دانشگاه علوم پزشکی مشهد
نام کامل فرد مسوول
امیرعلی لطیفیان علاف
موقعیت شغلی
دستیار فوق تخصصی
آخرین مدرک تحصیلی
متخصص
سایر حوزه‌های کاری/تخصص‌ها
کودکان
آدرس خیابان
احمدآباد
شهر
مشهد

استان
خراسان رضوی
کد پستی
99199-91766
تلفن
+98 51 3801 2469
ایمیل
latifianaa4021@mums.ac.ir

برنامه انتشار

فایل داده شرکت کنندگان (IPD)
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد
پروتکل مطالعه
خیر - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود ندارد
نقشه آنالیز آماری
مصداق ندارد
فرم رضایتنامه آگاهانه
هنوز تصمیم نگرفته‌ام - برنامه انتشار آن هنوز مشخص نیست
گزارش مطالعه بالینی
بله - برنامه‌ای برای انتشار آن وجود دارد
کدهای استفاده شده در آنالیز
مصداق ندارد
نظام دسته‌بندی داده (دیکشنری داده)
مصداق ندارد
عنوان و جزییات بیشتر در مورد داده/مستند
غیر از اطلاعات هویتی و تماس
بازه زمانی امکان دسترسی به داده/مستند
شروع دوره دسترسی 6 ماه 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
با ذکر منبع آزاد است.
برای دریافت داده/مستند به چه کسی یا کجا مراجعه شود
دکتر امیرعلی لطیفیان
یک درخواست برای داده/مستند چه فرایندی را طی می‌کند
ایمیل به latifianaa4021@mums.ac.ir داده میشود و در صورت موافقت طی 2 ماه اطلاعات داده می شود.
سایر توضیحات