

## Transmyocardial Autologous injection of mononuclear Bone-marrow derived stem cells in infants with HYpoplastic left ventricle syndrome

<b>State</b> Not Initialize	<b>Type participants</b> Incapable subjects of giving consent , Population especially vulnerable , Patient	<b>Age Ranges</b> Newborn infants
<b>Gender</b>	<b>Phases</b> Phase I	<b>Participants</b>

## Information

### Identifier

2012-005845-19

### Investigated Disease

Hypoplastic left ventricle syndrome

### Scientific Title

Transmyocardial Autologous injection of mononuclear Bone-marrow derived stem cells in infants with HYpoplastic left ventricle syndrome: the TABHY study

### Summary

Not provided

### Main Objective

Estudiar la factibilidad y seguridad de la administración intramiocárdica de células madre durante la cirugía de Glenn o Fontan en niños con síndrome del ventrículo izquierdo hipoplásico

### Primary Endpoints

Monitorización de sucesos cardiovasculares adversos, durante los primeros 6 meses tras la inyección, que incluyen

- muerte
- taquicardia ventricular sostenida/fibrilación ventricular
- empeoramiento de la insuficiencia cardíaca definida como cambio en la clase funcional ( medida por escala NYHA o Ross según practica clinica, siempre con el mismo método) - infarto de miocardio
- taponamiento cardíaco, que precise intervención (puncion percutanea, ventana u otras) para su evacuación

- cirugía cardíaca no programada, sobre el plan habitual de Glenn o Fontan
- infección sistémica en el primer mes tras la inyección

### Temporary moments of secondary assessment

Monitorización de sucesos cardiovasculares adversos, en los primeros 6 meses tras la inyección, que incluyen muerte, taquic. ventricular sostenida/fibrilación ventricular, empeoramiento de la I. Cardíaca definida como cambio en la clase funcional, Inf. de miocardio, taponamiento cardíaco, que precise intervención para su evacuación, cirugía cardíaca no programada, sobre el plan habitual de Glenn o Fontan, infección sistémica en el primer mes tras la inyección. Se realizará un seguimiento de seguridad a largo plazo recogiendo datos acerca de eventos ocurridos a los 6 meses del procedimiento, al año y a los dos años buscando infecciones, neoplasias etc mediante la H. clínica y Expl. física. De los 2 primeros años la cirugía se realizará una analítica completa, Eco-abdominal y RMN cardíaca.

### Secondary Objective

Estudiar el efecto de esta terapia celular en la evolución de los parámetros de función ventricular sistólica y diastólica

### Secondary Endpoints

- Estimación de la función ventricular sistólica y diastólica por ecocardiografía - Mediante modo M en paraesternal eje largo : diámetro diastólico ventricular, diámetro sistólico ventricular y cálculo de la fracción de acortamiento y de eyección. - Mediante doppler pulsado en proyección 4 o 2 cámaras de la válvula AV, doppler tisular de la pared lateral basal del ventrículo. - Mediante la obtención de imagen 2D en apical 4 o 2 cámaras para medición del anillo de la válvula AV (tricuspid= TAD)
- Mediante modo M de pared lateral basal del ventrículo para cálculo de la excursión sistólica ( tricuspid= TAPSE). - Mediante la obtención de imagen 2D en apical 4 o 2 cámaras para speckle tracking y cálculo posterior del strain longitudinal global - Las mediciones se realizarán en la visita basal, al alta hospitalaria, al mes, 3 meses y 6 meses.
- Determinación de biomarcadores de disfunción ventricular (BNP) basalmente, al alta hospitalaria, y a los 6 meses.

### Temporary moments of secondary assessment

Estimación de la función sistólica y diastólica por ecocardiografía. Mediante modo M : diámetro diastólico ventricular, diámetro sistólico ventricular y cálculo de la FE. Mediante doppler pulsado en proyección 4 o 2 cámaras de la válvula AV, doppler tisular de la pared lateral basal del ventrículo. Mediante la obtención de imagen 2D en apical 4 o 2 cámaras para medición del anillo de la válvula AV.

Mediante modo M de pared lateral basal del ventrículo para cálculo de la excursión sistólica.

Mediante la obtención de imagen 2D en apical 4 o 2 cámaras para speckle tracking y cálculo posterior del strain longitudinal global. Las mediciones se realizarán en la visita basal, al alta hospitalaria, al mes, 3 meses y 6 meses. Determinación de BNP basalmente, al alta y a los 6 meses.

### Criteria of inclusion

Firma del consentimiento informado escrito

? Los pacientes y/o sus representantes legales autorizados ( padres o tutores) deberán otorgar un consentimiento informado escrito y deberán ser capaces de leer y comprender el mismo.

Población del estudio

? Niños o niñas menores de 18 años con síndrome de ventrículo izquierdo hipoplásico

? Supervivientes al nacimiento a la cirugía paliativa de Norwood o sus variantes

? Tener programada cirugía de Glenn o de Fontan

## Criteria of exclusion

Excepciones respecto al sexo y situación reproductora

? Mujeres jóvenes en edad fértil .

Excepciones respecto a la enfermedad de referencia

? Historia de taquicardia ventricular sostenida ó fibrilación ventricular

Anamnesis y enfermedades concomitantes

? Presentar déficit neurológicos graves tras la cirugía de Norwood

Datos analíticos y datos obtenidos en la exploración física

? Presentar algún trastorno de coagulación grave

? Presentar alguna enfermedad hematológica grave

Terapias y/o medicamentos prohibidos

? Participación previa en otro ensayo clínico con fármacos o productos celulares

Otros criterios de exclusión

? Cualquier otra afección clínica o terapia previa que, en opinión del investigador, haría que el enfermo no fuese apto para participar en el estudio o no pudiera cumplir con los requisitos de posología.

## Calendar

Authorization	Start of Test	End of test	Last Update
15/10/2013	No aportado	No aportado	16/06/2016

## Sponsor

**Fundación para la Investigación biomédica del Hopsital Gregorio Marañón España**

C/ Doctor Esquerdo, 46 28007 Madrid

### Contact Person

Fundación para la Investigación biomédica del Hopsital Gregorio Marañón - ucaicec

[ucaicec@fibhgm.org](mailto:ucaicec@fibhgm.org)

Monetary support: Ministry of Health(Spain)

## Centers

<b>Inactive</b>	<b>HOSPITAL GENERAL UNIVERSITARIO GREGORIO MARAÑÓN</b>
	MADRID
	MADRID
	Cardiología pediátrica

## Medication

<b>Células mononucleares troncales autólogas de Médula ósea no expandidas</b>
Solución inyectable
Active Principles: Células mononucleares troncales autólogas de Médula ósea no expandidas]
<b>Experimental</b>

Ensayo clínico de factibilidad y seguridad de la inyección intramiocárdica de células madre autólogas procedentes de médula ósea en niños con síndrome del ventrículo izquierdo hipoplásico

Estado  
No iniciado

Tipo Participantes  
Sujetos incapaces de otorgar consentimiento ,  
Población especialmente vulnerable , Pacientes

Rangos de Edad  
Recién nacidos

Género

Fases  
Fase I

Participantes

## Información

### Identificador

2012-005845-19

### Enfermedad investigada

Síndrome del ventrículo Izquierdo hipoplásico

### Título Científico

Ensayo clínico de factibilidad y seguridad de la inyección intramiocárdica de células madre autólogas procedentes de médula ósea en niños con síndrome del ventrículo izquierdo hipoplásico. El estudio TABHY

### Justificación

No aportado

### Objetivo Principal

Estudiar la factibilidad y seguridad de la administración intramiocárdica de células madre durante la cirugía de Glenn o Fontan en niños con síndrome del ventrículo izquierdo hipoplásico

### Variables de Evaluación Primaria

Monitorización de sucesos cardiovasculares adversos, durante los primeros 6 meses tras la inyección, que incluyen

- muerte
- taquicardia ventricular sostenida/fibrilación ventricular
- empeoramiento de la insuficiencia cardíaca definida como cambio en la clase funcional ( medida por escala NYHA

- o Ross según practica clínica, siempre con el mismo método) - infarto de miocardio
- taponamiento cardíaco, que precise intervención (punción percutánea, ventana u otras) para su evacuación
- cirugía cardíaca no programada, sobre el plan habitual de Glenn o Fontan
- infección sistémica en el primer mes tras la inyección

### **Momentos temporales de evaluación primaria**

Monitorización de sucesos cardiovasculares adversos, en los primeros 6 meses tras la inyección, que incluyen muerte, taquic. ventricular sostenida/fibrilación ventricular, empeoramiento de la I. Cardíaca definida como cambio en la clase funcional, Inf. de miocardio, taponamiento cardíaco, que precise intervención para su evacuación, cirugía cardíaca no programada, sobre el plan habitual de Glenn o Fontan, infección sistémica en el primer mes tras la inyección. Se realizará un seguimiento de seguridad a largo plazo recogiendo datos acerca de eventos ocurridos a los 6 meses del procedimiento, al año y a los dos años buscando infecciones, neoplasias etc mediante la H. clínica y Expl. física. De los 2 primeros años la cirugía se realizará una analítica completa, Eco-abdominal y RMN cardíaca.

### **Objetivo Secundario**

Estudiar el efecto de esta terapia celular en la evolución de los parámetros de función ventricular sistólica y diastólica

### **VARIABLES DE EVALUACIÓN SECUNDARIA**

- Estimación de la función ventricular sistólica y diastólica por ecocardiografía - Mediante modo M en paraesternal eje largo : diámetro diastólico ventricular, diámetro sistólico ventricular y cálculo de la fracción de acortamiento y de eyección. - Mediante doppler pulsado en proyección 4 o 2 cámaras de la válvula AV, doppler tisular de la pared lateral basal del ventrículo. - Mediante la obtención de imagen 2D en apical 4 o 2 cámaras para medición del anillo de la válvula AV (tricuspid= TAD)
- Mediante modo M de pared lateral basal del ventrículo para cálculo de la excursión sistólica ( tricuspid= TAPSE). - Mediante la obtención de imagen 2D en apical 4 o 2 cámaras para speckle tracking y cálculo posterior del strain longitudinal global - Las mediciones se realizarán en la visita basal, al alta hospitalaria, al mes, 3 meses y 6 meses.
- Determinación de biomarcadores de disfunción ventricular (BNP) basalmente, al alta hospitalaria, y a los 6 meses.

### **Momentos temporales de evaluación secundaria**

Estimación de la función sistólica y diastólica por ecocardiografía. Mediante modo M : diámetro diastólico ventricular, diámetro sistólico ventricular y cálculo de la FE. Mediante doppler pulsado en proyección 4 o 2 cámaras de la válvula AV, doppler tisular de la pared lateral basal del ventrículo. Mediante la obtención de imagen 2D en apical 4 o 2 cámaras para medición del anillo de la válvula AV. Mediante modo M de pared lateral basal del ventrículo para cálculo de la excursión sistólica. Mediante la obtención de imagen 2D en apical 4 o 2 cámaras para speckle tracking y cálculo posterior del strain longitudinal global. Las mediciones se realizarán en la visita basal, al alta hospitalaria, al mes, 3 meses y 6 meses. Determinación de BNP basalmente, al alta y a los 6 meses.

### **Criterios de Inclusión**

- Firma del consentimiento informado escrito
- ? Los pacientes y/o sus representantes legales autorizados ( padres o tutores) deberán otorgar un consentimiento informado escrito y deberán ser capaces de leer y comprender el mismo.
- Población del estudio
- ? Niños o niñas menores de 18 años con síndrome de ventrículo izquierdo hipoplásico
- ? Supervivientes al nacimiento a la cirugía paliativa de Norwood o sus variantes

? Tener programada cirugía de Glenn o de Fontan

### Criterios de Exclusión

Excepciones respecto al sexo y situación reproductora

? Mujeres jóvenes en edad fértil .

Excepciones respecto a la enfermedad de referencia

? Historia de taquicardia ventricular sostenida ó fibrilación ventricular

Anamnesis y enfermedades concomitantes

? Presentar déficit neurológicos graves tras la cirugía de Norwood

Datos analíticos y datos obtenidos en la exploración física

? Presentar algún trastorno de coagulación grave

? Presentar alguna enfermedad hematológica grave

Terapias y/o medicamentos prohibidos

? Participación previa en otro ensayo clínico con fármacos o productos celulares

Otros criterios de exclusión

? Cualquier otra afección clínica o terapia previa que, en opinión del investigador, haría que el enfermo no fuese apto para participar en el estudio o no pudiera cumplir con los requisitos de posología.

## Calendario

**Autorización**

15/10/2013

**Inicio de Ensayo**

No aportado

**Fin de ensayo**

No aportado

**Última actualización**

16/06/2016

## Promotor

**Fundación para la Investigación biomédica del Hopsital Gregorio Marañón España**

C/ Doctor Esquerdo, 46 28007 Madrid

**Contact Person**

Fundación para la Investigación biomédica del Hopsital Gregorio Marañón - ucaicec

[ucaicec@fibhgm.org](mailto:ucaicec@fibhgm.org)

Monetary support: Ministry of Health(Spain)

## Centros

<b>Inactivo</b>	<b>HOSPITAL GENERAL UNIVERSITARIO GREGORIO MARAÑÓN</b>
	MADRID
	MADRID
	Cardiología pediátrica

## Medicamentos

<b>Células mononucleares troncales autólogas de Médula ósea no expandidas</b>
Solución inyectable
Principios Activos: Células mononucleares troncales autólogas de Médula ósea no expandidas
<b>Experimental</b>