

Titolo	9. Studio clinico di Fase II in aperto, volto alla valutazione della sicurezza e dell'efficacia di Aztreonam soluzione per inalazione (AZLI) in pazienti pediatriche con fibrosi cistica (FC) e coltura delle vie respiratorie inferiori positiva per Pseudomonas aeruginosa (PA) di nuovo esordio. (Studio ALPINE)
Coordinatore (Referente dello studio)	Dr. Cesare Braggion (c.braggion@meyer.it)
Collaboratori del CRR di Firenze	Dr.ssa Roberta Pasotto (study coordinator); infermieri e fisioterapisti.
Tipo di studio	Studio di fase II, multicentrico, che coinvolge circa 50 centri in Europa e Stati Uniti, con 5 centri italiani (Eudract no. 2011-001255-36)
Enti-Aziende finanziatrici	Gilead Sciences Inc.
Background ed obiettivi	AZLI 75 mg è una formulazione dell'antibiotico monobactamico aztreonam, approvato in Europa per la terapia soppressiva dell'infezione cronica dovuta a <i>Pseudomonas aeruginosa</i> in pazienti maggiorenni. Questo studio ha l'obiettivo di valutare l'efficacia e la sicurezza di un ciclo di 28 giorni di AZLI in pazienti pediatriche con infezione iniziale da <i>Pseudomonas aeruginosa</i> .
Criteri di inclusione	Pazienti pediatriche con FC, di età compresa tra 3 mesi e 18 anni, con FEV1 \geq 80% predetto, con documentata nuova infezione da <i>Pseudomonas aeruginosa</i> entro 30 giorni dallo screening, clinicamente stabili (non sintomi e/o reperti radiografici allo screening che richiedano antibiotici ev. antipseudomonas, supplementazione con ossigeno o ospedalizzazione).
Criteri di esclusione	Pazienti con nota ipersensibilità/reazione avversa al farmaco o ai farmaci beta-agonisti, uso di antibiotici inalatori o ev. anti- <i>Pseudomonas</i> entro 2 anni dallo screening, uso di antibiotici per bocca anti- <i>Pseudomonas</i> entro 30 giorni dall'entrata nello studio, uso di altri farmaci o dispositivi sperimentali nei 28 giorni precedenti la visita di screening.
Metodi	Studio multicentrico, multinazionale, in aperto, della durata di circa 6 mesi. Il farmaco verrà assunto 3 volte al giorno per 28 giorni. Dopo il trattamento attivo con AZLI 75 mg seguiranno 6 mesi di osservazione. La valutazione di efficacia si basa sulla valutazione delle colture microbiologiche ottenute al Basale, al Giorno 28 (fine del trattamento), Giorno 56, Giorno 112, Giorno 196. La valutazione di sicurezza si basa su eventi avversi, reattività delle vie aeree, segni vitali, esami di laboratorio.
Risultati o prodotti attesi	Valutare efficacia e sicurezza di un ciclo AZLI 75 mg somministrato tre volte al giorno per 28 giorni.
Inizio del reclutamento	Per il nostro Centro aprile 2012.
Fine fase sperimentale	Per il nostro Centro ottobre 2012.
Pubblicazione su rivista	Saranno arruolati 2-3 pazienti pediatriche di età compresa tra 3 mesi e 18 anni.