

Titolo	12. Studio in aperto di fase 3 finalizzato alla valutazione della sicurezza di Aztreonam 75 mg polvere e solvente per soluzione per nebulizzatore/Aztreonam soluzione per inalazione (AZLI) in soggetti in età pediatrica affetti da fibrosi cistica (FC) e infezione cronica da Pseudomonas aeruginosa (PA) alle vie aeree inferiori (PALS)
Coordinatore (Referente dello studio)	Dr. Cesare Braggion (c.braggion@meyer.it)
Collaboratori del CRR di Firenze	Dr.ssa Roberta Pasotto, coordinatore dello studio
Tipo di studio	Studio di fase III, in aperto, multicentrico, che coinvolge circa 30 centri in Europa e Stati Uniti, con 5 centri italiani (Eudract no. 2011-001362-18)
Enti-Aziende finanziatrici	Gilead Sciences Inc.
Background ed obiettivi	AZLI 75 mg è una formulazione dell'antibiotico monobattamico 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 la sicurezza del trattamento con AZLI 75 mg 3 volte al giorno (TID) per 3 cicli di terapia (28 giorni di trattamento/28 giorni senza trattamento) in soggetti in età pediatrica di sesso femminile e maschile di età inferiore a 13 anni affetti da FC e infezione/colonizzazione cronica da PA.
Criteri di inclusione	Pazienti pediatrici con FC, di età inferiore a 13 anni, con documentata cultura positiva per <i>Pseudomonas aeruginosa</i> alla visita di screening più altre due colture positive entro 12 mesi dall'entrata nello studio (almeno tre mesi di distanza tra una coltura e l'altra), clinicamente stabili e senza sintomi e/o reperti radiografici allo screening che richiedano antibiotici IV 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 e.v. anti- <i>Pseudomonas</i> entro 14 giorni dall'inizio del trattamento, uso di altri farmaci o dispositivi sperimentali nei 30 giorni precedenti la visita di screening, presenza di una condizione o anomalia che comprometterebbe la sicurezza del partecipante o la qualità dei dati relativi allo studio, a parere dello sperimentatore.
Metodi	Studio multicentrico, in aperto, in pazienti pediatrici con meno di 13 anni d'età. Il farmaco AZLI 75 mg, verrà assunto tramite eFlow Nebulizer System 3 volte al giorno per 28 giorni, seguiti da 28 giorni senza AZLI. I cicli ripetuti della terapia con AZLI (28 giorni di trattamento/28 giorni senza trattamento) continueranno per un totale di 3 cicli. Lo studio prevede 8 visite: Screening, Basale (Giorno 1), Giorno 28, Giorno 56, Giorno 84, Giorno 112, Giorno 140 e Giorno 168. La durata totale dello studio sarà di 28 settimane.
Risultati o prodotti attesi	Valutare la sicurezza del trattamento con AZLI 75 mg 3 volte al giorno (TID) per 3 cicli di terapia (28 giorni di trattamento/28 giorni senza trattamento) in soggetti in età pediatrica di sesso femminile e maschile di età inferiore a 13 anni affetti da FC e infezione/colonizzazione cronica da PA.
Inizio del reclutamento	Per il nostro Centro marzo-aprile 2012.
Fine fase sperimentale	Per il nostro Centro marzo 2013.
Pubblicazione su rivista	Saranno arruolati 2-3 pazienti pediatrici di età inferiore a 13 anni.