

Titolo	7. Studio randomizzato, controllato, doppio cieco verso placebo, a gruppi paralleli, per la valutazione della sicurezza e dell'efficacia del tiotropio bromuro in due dosaggi (2,5µg e 5µg), somministrato mediante dispositivo Respimat® una volta al giorno per 12 settimane, in pazienti affetti da fibrosi cistica.
Coordinatore (Referente dello studio)	Dr. Cesare Braggion (c.braggion@meyer.it)
Collaboratori del CRR di Firenze	Dr.ssa Maria Chiara Cavicchi Dr.ssa Gemma Braccini
Tipo di studio	Studio di fase II, multicentrico europeo, che coinvolge anche il CTN* (il nostro Centro è coordinatore dei Centri italiani, che sono 4). (Eudract no. 2008-001156-43). *: <i>Clinical Trial Network dell'European Cystic Fibrosis Society (18 Centri, di cui 3 italiani)</i>
Enti-Aziende finanziatrici	Boehringer Ingelheim
Background ed obiettivi	Il tiotropio bromuro è un farmaco broncodilatatore della categoria degli antagonisti del vago, che ha due vantaggi, una durata d'azione prolungata, fino a 24 ore, ed una somministrazione in soluzione acquosa per via inalatoria con apposito strumento (Respimat). Il farmaco è stato valutato come efficace in altre malattie polmonari, come la broncopneumopatia cronica ostruttiva. Lo scopo dello studio è di identificare la dose più efficace e più sicura, confrontando i 2.5 e 5 µg/die in un periodo di 12 settimane in pazienti con fibrosi cistica (FC).
Criteri di inclusione	Pazienti con FC, collaboranti per l'esecuzione della spirometria, con FEV1 > 25% predetto, clinicamente stabili (FEV1 entro il 15% del valore della visita 1 e non sintomi e/o segni di esacerbazione polmonare nelle 4 settimane precedenti).
Criteri di esclusione	Pazienti con ipersensibilità nota al farmaco, che partecipano o hanno partecipato entro un mese dall'arruolamento ad un altro studio; gravidanza o allattamento o non uso di metodi contraccettivi; assunzione di un nuovo farmaco nella terapia di base nelle 4 settimane precedenti; malattia non-FC significativa o patologia FC-correlata (malattie ematologiche, epatiche, renali, cardiovascolari e neurologiche) significativa ed instabile.
Metodi	Studio multidose, multicentrico, multinazionale, randomizzato in doppio cieco e controllato verso placebo, per gruppi paralleli, della durata di 12 settimane. Il farmaco o il placebo verranno inalati con il dispositivo Respimat. La valutazione di efficacia si basa sulla variazione percentuale di FEV1, CVF e FEF25-75 5, 20, 60, 120, 180 e 240 minuti dopo l'inalazione del farmaco (curva AUC), la variazione degli items del questionario CFQ ed il numero di esacerbazioni polmonari. La valutazione di sicurezza include la variazione dei segni vitali, la comparsa di eventi avversi e la farmacocinetica del farmaco con determinazioni del livello del farmaco nel siero ed urine.
Risultati o prodotti attesi Inizio del reclutamento Fine fase sperimentale	Identificare la dose efficace e sicura di tiotropio bromuro per uno studio di fase III.
	Per il nostro Centro il 29.09.2009.
	Per il nostro Centro e per gli adulti il 5.11.2009
Pubblicazione su rivista	Sono stati arruolati ed hanno condotto a termine lo studio 5 pazienti (screening per 7 pazienti, contattati 16 pazienti).