



Azienda Ospedaliero-Universitaria "A. Meyer"  
Dipartimento Attività Integrate Pediatria Internistica

**Centro Regionale Toscano di  
riferimento per la Fibrosi Cistica**

Responsabile: Dr. C. Braggion



Day Hospital: 055 5662474  
Fax: 055 5662474

email: [centro.fc@meyer.it](mailto:centro.fc@meyer.it)  
Sito web: [www.fibrosicisticatoscana.org](http://www.fibrosicisticatoscana.org)

Laboratorio: 055 5662509  
e-mail: [lab.fc@meyer.it](mailto:lab.fc@meyer.it)

Firenze, 15 Marzo 2013

All'attenzione del/della Sign./Sign.ra

\_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_  
\_\_\_\_\_

### **RISULTATI DELLO STUDIO DI FASE 3 SUL TIOTROPIO, EROGATO ATTRAVERSO IL DISPOSITIVO RESPIMAT**

Carissimo/a \_\_\_\_\_

Lo Studio di fase 3 (NCT01179347) "Studio randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo per confermare l'efficacia dopo 12 settimane e la sicurezza di tiotropio 5 µg somministrato una volta al giorno con il dispositivo Respimat® in soggetti con fibrosi cistica" è stato condotto nel corso del 2011-2012 in 99 Centri FC, in 20 paesi.

463 soggetti con fibrosi cistica (298 di età ≥ 12 anni e 165 sotto ai 12 anni) sono stati arruolati per valutare l'efficacia e la sicurezza a lungo termine dell'uso per inalazione di tiotropio in soluzione, un farmaco broncodilatatore a lunga durata d'azione e somministrato una volta al giorno. 308 pazienti hanno ricevuto la soluzione di tiotropio (5 µg somministrati tramite l'inalatore Respimat® una volta al giorno) e 105 soggetti hanno ricevuto il placebo durante le 12 settimane di studio.

I risultati hanno mostrato che la funzione polmonare, misurata con la spirometria ed in particolare con il parametro "FEV1" (volume di espirazione forzata in 1 secondo), era leggermente migliorata nei soggetti, che avevano ricevuto il tiotropio rispetto ai soggetti che avevano ricevuto il placebo. Comunque, le differenze nella funzione polmonare erano molto piccole e non statisticamente significative. Nessuna differenza è stata osservata fra il gruppo tiotropio ed il gruppo placebo per quanto riguardava i risultati dei questionari relativi alla qualità di vita o il numero di esacerbazioni polmonari.

Il profilo di sicurezza era buono in tutti i gruppi di età, con nessun effetto collaterale nei partecipanti, anche se i soggetti che hanno inalato il tiotropio hanno avuto leggermente più tosse. Non è stata notata alcuna anomalia negli esami del sangue di nessuno dei partecipanti e nessuna modificazione dell'elettrocardiogramma.

Hanno partecipato a questo studio 12 centri del Clinical Trial Network della Società Europea per la Fibrosi Cistica, di cui il nostro Centro fa parte. I 12 Centri FC erano in Belgio, Francia, Germania, Italia, Portogallo e Gran Bretagna ed hanno arruolato 94 dei 463 pazienti.

Ti ringraziamo molto per aver partecipato a questo studio, che ha contribuito ad ottenere informazioni importanti su un farmaco, che aveva molte aspettative di essere incisivo per la malattia polmonare. Restiamo a Tua disposizione per fornirti ulteriori informazioni o dettagli sullo studio. Ci auguriamo che tu voglia in un prossimo futuro partecipare ad altri studi, nei quali il nostro Centro è coinvolto, e che sono indispensabili, indipendentemente dai risultati, per definire con "prove" di efficacia la terapia della fibrosi cistica.

Cari saluti

Dr. Cesare Braggion

Dr.ssa Michela Francalanci