

|  |  |
|--|--|
| <b>Titolo</b>                                | <b>8.</b><br><b>Studio randomizzato, controllato, doppio cieco verso placebo, a gruppi paralleli, per confermare l'efficacia e la sicurezza di 5µg di tiotropio bromuro somministrato mediante dispositivo Respimat® una volta al giorno per 12 settimane, in pazienti affetti da fibrosi cistica.</b>   |
| <b>Coordinatore (Referente dello studio)</b> | Dr. Cesare Braggion ( <a href="mailto:c.braggion@meyer.it">c.braggion@meyer.it</a> )   |
| <b>Collaboratori del CRR di Firenze</b>      | Dr.ssa Roberta Pasotto (coordinatore e data manager)   |
| <b>Tipo di studio</b>                        | Studio di fase III, multicentrico europeo, che coinvolge anche il CTN* (il nostro Centro è coordinatore dei Centri italiani, che sono 3). (Eudract no. 2010-019802-17).<br><br>*: <i>Clinical Trial Network dell'European Cystic Fibrosis Society (18 Centri, di cui 3 italiani)</i>   |
| <b>Enti-Aziende finanziatrici</b>            | Boehringer Ingelheim   |
| <b>Background ed obiettivi</b>               | 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 confermare l'efficacia di tiotropio bromuro 5 µg/die in un periodo di 12 settimane in pazienti con fibrosi cistica (FC).   |
| <b>Criteri di inclusione</b>                 | Pazienti con FC, collaboranti per l'esecuzione della spirometria, con FEV <sub>1</sub> > 25% predetto, clinicamente stabili (FEV <sub>1</sub> entro il 15% del valore della visita 1 e non sintomi e/o segni di esacerbazione polmonare nelle 4 settimane precedenti).   |
| <b>Criteri di esclusione</b>                 | 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.  |
| <b>Metodi</b>                                | Studio multicentrico, multinazionale, randomizzato in doppio cieco e controllato verso placebo, per gruppi paralleli, della durata di 12 settimane seguite da un periodo di trattamento attivo in aperto (13 mesi).<br>Il farmaco o il placebo verranno inalati con il dispositivo Respimat. La valutazione di efficacia si basa sulla variazione percentuale di FEV <sub>1</sub> , FVC e FEF <sub>25-75</sub> 30 minuti prima e 60, 120, 180 e 240 minuti dopo l'inalazione del farmaco (curva AUC), la variazione degli items dei questionari CFQ ed RSSQ. La valutazione di sicurezza si basa su esame fisico, segni vitali, esami di laboratorio, "vital status" ed eventi avversi riferiti. |
| <b>Risultati o prodotti attesi</b>           | Confermare l'efficacia della dose di 5 µg di tiotropio identificata nello studio precedente di fase II.  |
| <b>Inizio del reclutamento</b>               | Per il nostro Centro l'08.02.2011.   |
| <b>Fine fase sperimentale</b>                | Per il nostro Centro: per gli adulti luglio 2011, per la fascia 9-11 anni agosto 2011  |
| <b>Pubblicazione su rivista</b>              | Sono stati arruolati 4 pazienti adulti e 3 pazienti nella fascia di età 9-11 anni  |