

**ÇOCUK GÖĞÜS
HASTALIKLARI**

3. KONGRESİ

26 - 28 Eylül 2018
Marriott Hotel, Şişli - İSTANBUL



Kistik Fibrozisli Hastalarda Okul Öncesi Dönemdeki Klinik Çalışmalar

Dr. Yasemin Gökdemir

Marmara Üniversitesi Çocuk Göğüs Hastalıkları BD

Okul öncesi çocukluk döneminde çalışma yapmak zor! Çünkü...

- Kooperasyon gerektiren testlere uyum zor
- Bu yaş grubunda solunum hızı yüksek, akımlar ve akciğer volümü düşük
- Çocuklar daha az semptomatik ve özellikle tedavilerin etkinliklerini araştıran çalışmalarda klinik ve fizik muayene bulguları çok faydalı değil
- Outcome ölçüm parametreleri sınırlı
- Bu yaş grubunda kullanılmak üzere üretilmiş cihazlar yok

ClinicalTrials.gov: Kayıtlı 5 tane KF çalışması

NIH U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

Home > Search Results

[Modify Search](#) [Start Over](#) [+](#)

5 Studies found for: **preschool | Cystic Fibrosis**

Not enough studies found? Try these [search suggestions](#): [+](#)

[List](#) [By Topic](#) [On Map](#) [Search Details](#)

[Hide Filters](#) [Download](#) [Subscribe to RSS](#) [Show/Hide Columns](#)

Filters

[Apply](#) [Clear](#)

Status

Recruitment ⓘ

☐ Not yet recruiting

☐ Recruiting

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Locations
1	☐	Recruiting	Respiratory Function at Preschool Age of Children Detected of Cystic Fibrosis in Neonatal Period	• Cystic Fibrosis	• Other: 3 years-assessment of respiratory function	• University Hospital of Montpellier, Arnaud de Villeneuve Montpellier, France
2	☐	Completed Has Results	Behavioral & Nutritional Treatment to Help CF Preschoolers Grow	• Cystic Fibrosis • Pancreatic • Cystic Fibrosis	• Behavioral: Behavioral and Nutrition Treatment • Behavioral: Education and	• University of Arizona Tucson, Arizona, United States • University of Michigan Health System

Type here to search

11:10 AM 8/28/2018

CLINICAL TRIAL FINDER

Blaze a trail to better treatments and a cure for cystic fibrosis.

Share [f](#) [t](#) [e](#) | [Print](#) 

Search

(Protocol, drug name, CFTR mutation, etc.)

Enter keyword



As a clinical trial volunteer, you are paving the way for new treatments. Search for trials that may be right for you using the filter on the left, or learn more about what it means to be a [trailblazer](#).

Showing 1-5 of 157 studies

Clinicaltrialsregister.eu: Kayıtlı 1 tane KF çalışması

 EU Clinical Trials Register Help

[Home & Search](#) [Joining a trial](#) [Contacts](#) [About](#)

Clinical trials for cystic fibrosis, preschool

The European Union Clinical Trials Register allows you to search for protocol and results information on:

- interventional clinical trials that are conducted in the European Union (EU) and the European Economic Area (EEA);
- clinical trials conducted outside the EU / EEA that are linked to European paediatric-medicine development.

Learn [more about the EU Clinical Trials Register](#) including the source of the information and the legal basis.

The EU Clinical Trials Register currently displays **33327** clinical trials with a EudraCT protocol, of which **5397** are clinical trials conducted with subjects less than 18 years old.

The register also displays information on **18700** older paediatric trials (in scope of Article 45 of the Paediatric Regulation (EC) No 1901/2006).

X Search

Examples: Cancer AND drug name. Pneumonia AND sponsor name.
[How to search \[pdf\]](#)

Advanced Search: [Search tools](#) 

Trials with a EudraCT protocol (1)

Paediatric studies in scope of Art45 of the Paediatric Regulation (0)

ÇOCUK GÖĞÜS HASTALIKLARI

3. KONGRESİ

26 - 28 Eylül 2018
Marriott Hotel, Şişli - İSTANBUL



Sunum Planı



- Takip
- Tedavi
 - 1-Yeni tedaviler (Ivacaftor, Ivacaftor/Lumacaftor)
 - 2-Mukolitik tedaviler (Dornaz alfa, hipertonic salin)
 - 3-Pseudomonas eradikasyon
 - 4-Alevlenme tedavisi

Preschool Multiple-Breath Washout Testing

An Official American Thoracic Society Technical Statement

Paul D. Robinson, Philipp Latzin, Kathryn A. Ramsey, Sanja Stanojevic, Paul Aurora, Stephanie D. Davis, Monika Gappa, Graham L. Hall, Alex Horsley, Renee Jensen, Sooky Lum, Carlos Milla, Kim G. Nielsen, Jessica E. Pittman, Margaret Rosenfeld, Florian Singer, Padmaja Subbarao, Per M. Gustafsson*, and Felix Ratjen*; on behalf of the ATS Assembly on Pediatrics

Laboratuvar çocuk için uygun şekilde dekorize edilmeli ve çocuk ebeveyni ile birlikte çalışmaya alınmalı

İki teknisyen ile yapılmalı ve hastaya en az 1 saat süre ayrılmalı

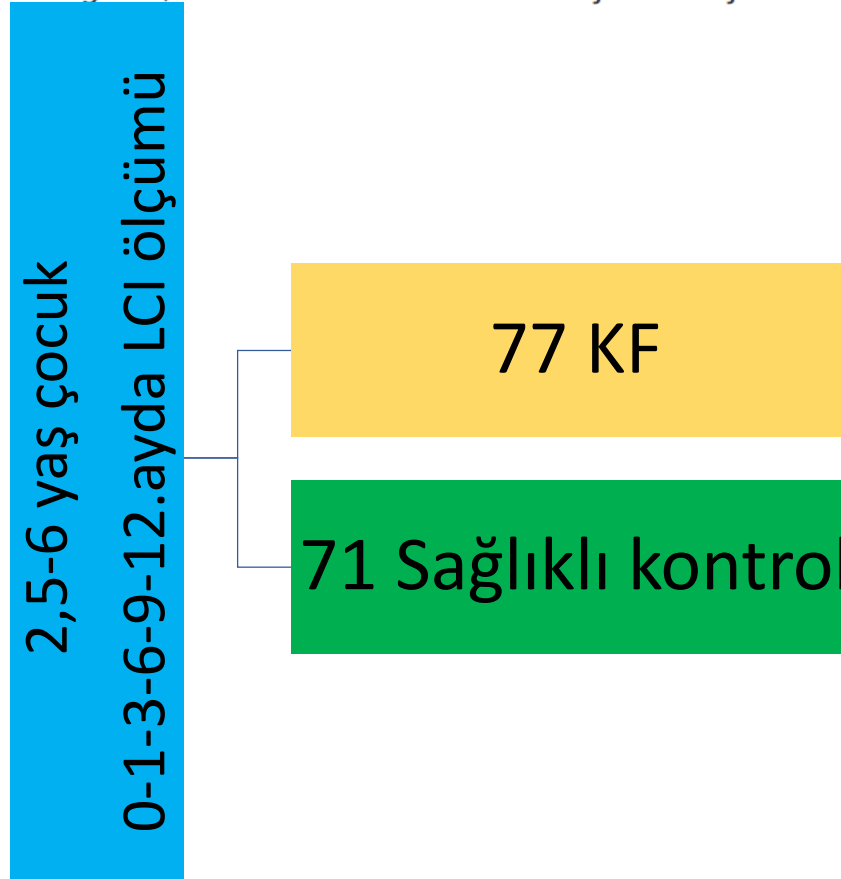
Çocuğa ağızlık veya yüz maskesi ile LCI uygulanabilir. Hasta bazında karar verilmeli ve dikkatli bir şekilde seçim yapılmalıdır

LCI ölçümü için üst üste 3 ölçüm gerekmele birlikte iki ölçüm ile de çok dikkatli bir değerlendirme sonucunda rapor verilebileceği bildirilmiştir

Bu yaş grubu için LCI referans değeri olmadığı için çalışmalarda uygun yaş grubu ve benzer özelliklerdeki kontrol grubu da bulunmalıdır

Inter-test reproducibility of the lung clearance index measured by multiple breath washout

Esther Oude Engberink^{1,2}, Felix Ratjen^{1,3}, Stephanie D. Davis⁴, George Retsch-Bogart⁵, Reshma Amin^{1,3} and Sanja Stanojevic^{1,3}



Okul öncesi çocuklarda LCI ölçümünde %15 ve üzerinde artış anlamlı kabul edilmelidir

Trial record **1 of 5** for: preschool | Cystic Fibrosis | Child

[Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study ▶](#)

Respiratory Function at Preschool Age of Children Detected of Cystic Fibrosis in Neonatal Period (REVOLMUCO)

Fransa'dan açık uçlu tek grup çalışması

YD tarama ile KF tanısı alan hastalar

Çalışmaya 40 hasta dahil edilmesi planlanmış

Başlangıç tarihi: 2014

Sonlanma tarihi: Ağustos 2019

Çalışma planı:

- **Primer outcome:** He dilüsyon yöntemi ile fonksiyonel rezidüel kapasite
- **Sekonder outcome:**
 - Havayolu rezistansı rint yöntemi ile
 - Pletismografi
 - Spirometri
 - Arter kan gazı analizi
 - Organ hasar değerlendirmeleri
 - Sigara dumanı maruziyeti
 - Antibiyotik ve antiastmatik tedavi kullanımı

4 yıllık intervaller ile değerlendirme yapılacak

Bu hastaların sonuçları tarama öncesinde tanı alan hastaların sonuçları ile karşılaştırılacak



Sunum Planı



- Takip
- Tedavi
 - 1-Yeni tedaviler (Ivacaftor, Ivacaftor/Lumacaftor)
 - 2-Mukolitik tedaviler (Dornaz alfa, hipertonic salin)
 - 3-Pseudomonas eradikasyon
 - 5-Alevlenme tedavisi

1-Yeni Tedaviler-İvakaftor

Safety, pharmacokinetics, and pharmacodynamics of ivacaftor in patients aged 2–5 years with cystic fibrosis and a *CFTR* gating mutation (KIWI): an open-label, single-arm study

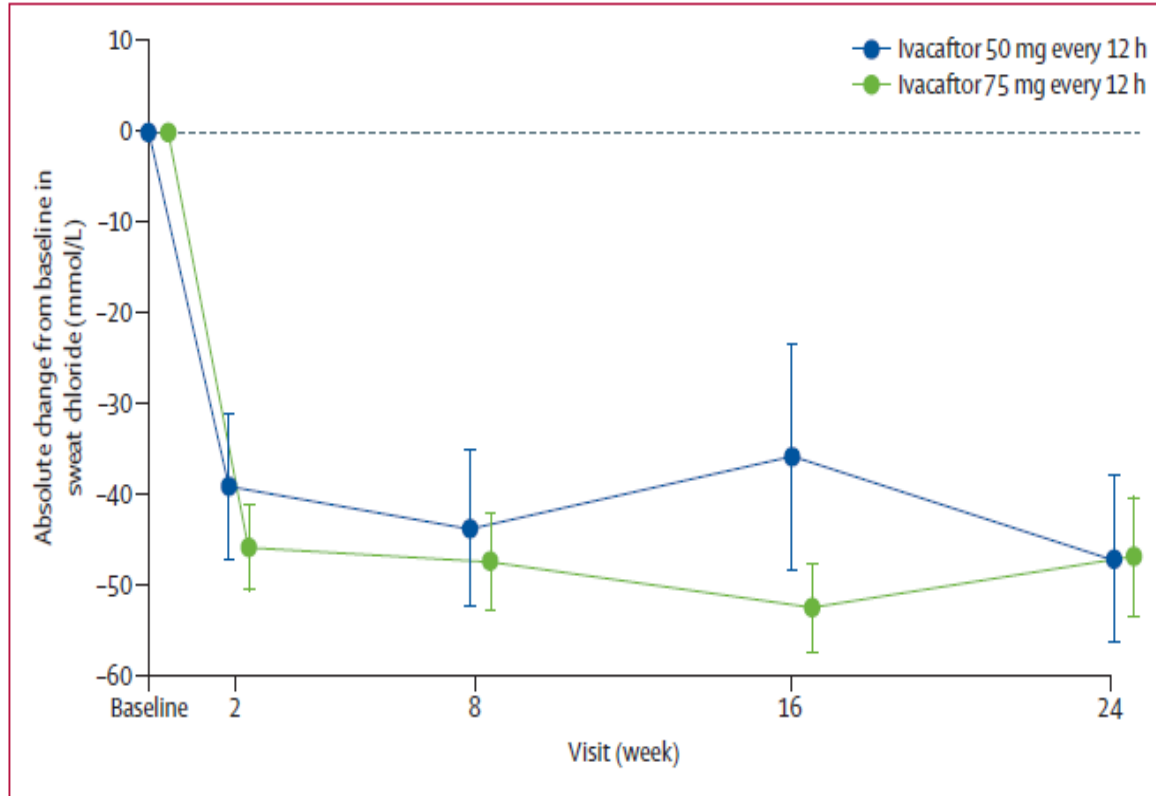


*Jane C Davies, Steve Cunningham, William T Harris, Allen Lapey, Warren E Regelman, Gregory S Sawicki, Kevin W Southern, Sarah Robertson, Yulia Green, Jon Cooke, Margaret Rosenfeld, on behalf of the KIWI Study Group**

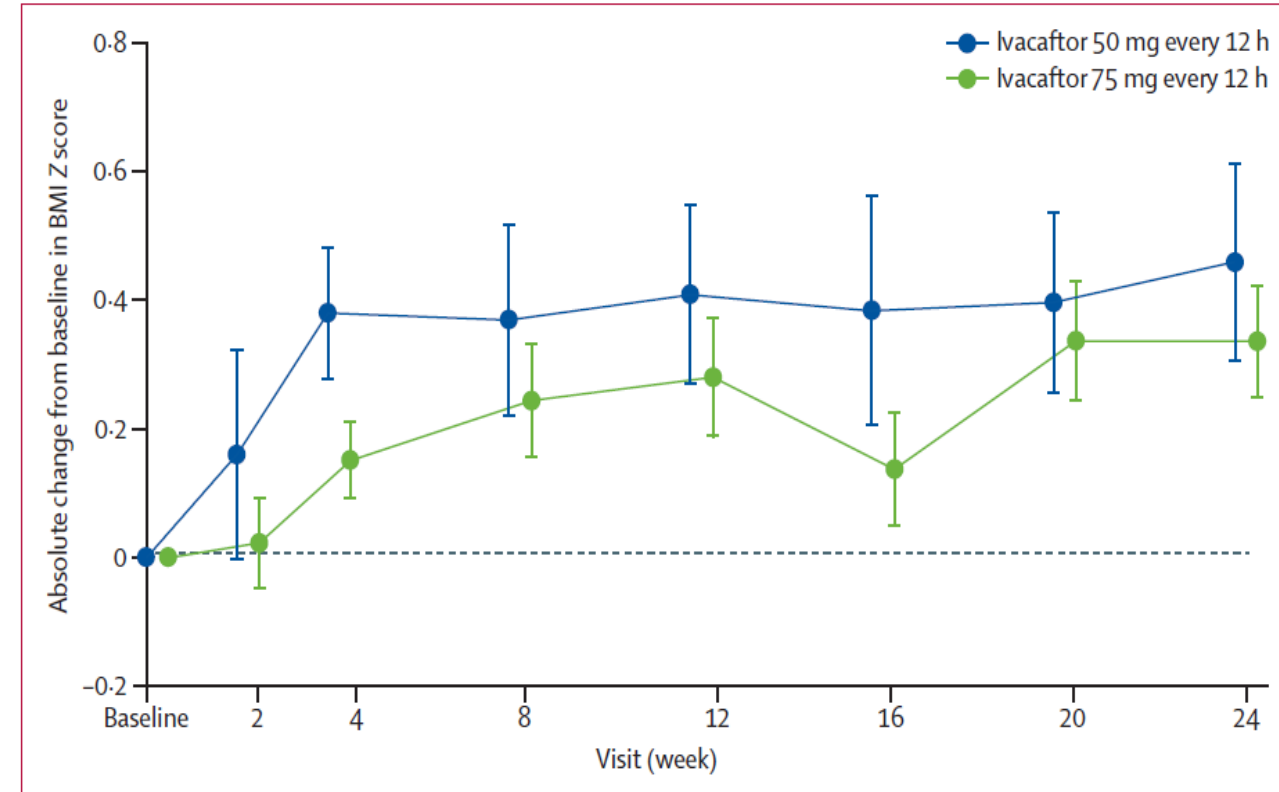
- 2-5 yaş arası KF hastaları kiloya göre 50 ve 75 mg ivakaftor
- İlk bölüm: 4 gün (9 hasta)
- İkinci bölüm: 24 hafta (34 hasta, 4 ü ilk çalışmada yer alan hasta)

Çalışma sonuçları:

Ter testinde ortalama -46.9 mmol/L düşme



BMI Z skorda anlamlı artış $p < 0.0001$



Safety, pharmacokinetics, and pharmacodynamics of ivacaftor in patients aged 2–5 years with cystic fibrosis and a *CFTR* gating mutation (KIWI): an open-label, single-arm study



*Jane C Davies, Steve Cunningham, William T Harris, Allen Lapey, Warren E Regelman, Gregory S Sawicki, Kevin W Southern, Sarah Robertson, Yulia Green, Jon Cooke, Margaret Rosenfeld, on behalf of the KIWI Study Group**

YE: Öksürük (n:19 [56%]), mide bulantısı (n:10 [29%])

Kc enzimlerinde en az 8 kat yükselme (n:5 [%15])

4 hastada tedavi geçici olarak, 1 hastada ise tamamen kesildi

Sonuç: 2-5 yaş arasında ivacaftor 24 haftalık kullanımda güvenilir saptanmıştır.

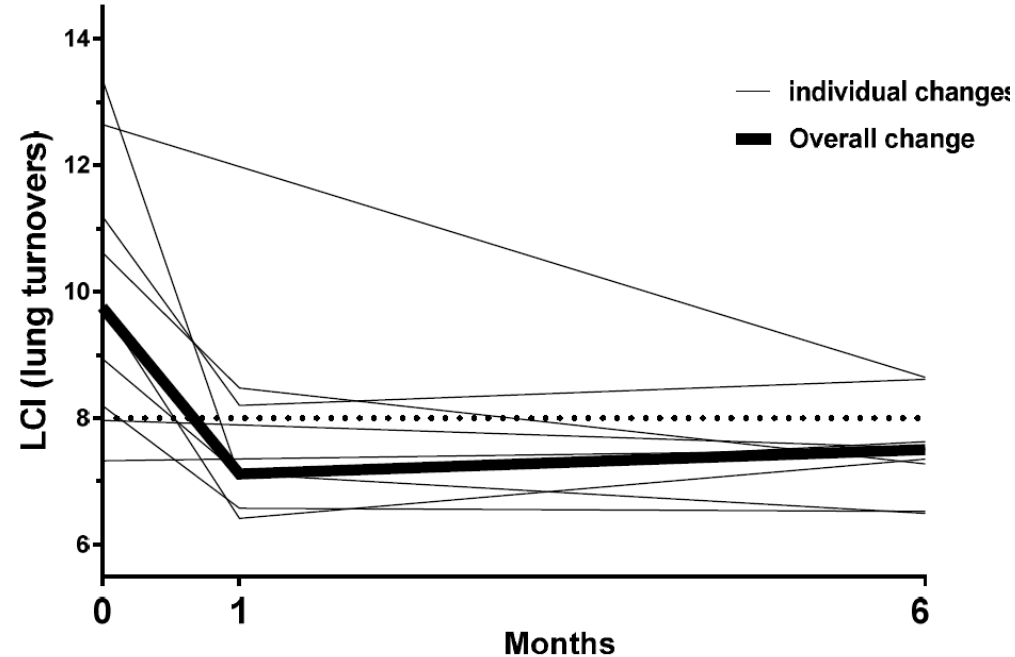
CHANGES IN LUNG CLEARANCE INDEX IN PRESCHOOL CYSTIC FIBROSIS PATIENTS TREATED WITH IVACAFTOR

Felix Ratjen¹, Michelle Klingel¹, Philip Black², Michael R. Powers³, Hartmut Grasemann¹, Melinda Solomon¹, Scott D Sagel⁴, Scott H. Donaldson⁵, Steven M. Rowe⁶, Margaret Rosenfeld⁷.

3-5 yaşları arasında 5 hasta US ve 4 hasta Kanada'dan çalışmaya dahil edilmiş

1. ve 6. ay LCI ölçümünde bazal değere göre anlamlı düşme ($p < 0.001$, $p < 0.001$)

A



Ivacaftor treatment of cystic fibrosis in children aged 12 to <24 months and with a *CFTR* gating mutation (ARRIVAL): a phase 3 single-arm study



Margaret Rosenfeld, Claire E Wainwright, Mark Higgins, Linda T Wang, Charlotte McKee, Daniel Campbell, Simon Tian, Jennifer Schneider, Steve Cunningham, Jane C Davies, ARRIVAL study group

- Tek kollu 2 bölümden oluşan çok merkezli faz 3 çalışması
- Part A: 7 hasta (5 hasta: 50mg, 2 hasta: 75 mg ivacaftor)
- Part B: 19 hasta (24 hafta)
 - 18 hastada (%95) yan etki
 - En sık YE: öksürük (n:14, %74)
 - 2 hastada yatış gerektiren 4 ciddi yan etki (konstipasyon, DIOS, egzema herpetikum, persistan öksürük)
 - 5 (%28) hasta KC enzimlerinde 3 kat artış
 - Ter testinde -73.5 (SD 17.5) mmol/L düşme
 - Fekal elastazda yükselme ve IRT de düşme

Ivacaftor treatment of cystic fibrosis in children aged
12 to <24 months and with a *CFTR* gating mutation
(ARRIVAL): a phase 3 single-arm study



Margaret Rosenfeld, Claire E Wainwright, Mark Higgins, Linda T Wang, Charlotte McKee, Daniel Campbell, Simon Tian, Jennifer Schneider,
Steve Cunningham, Jane C Davies, ARRIVAL study group

Sonuç: Ivacaftor 12-24 aylık çocuklarda genel olarak güvenli ve 24 ay
süresince tolere edilebilir bir tedavidir

Ter testinde belirgin düşmeye neden olur

Erken başlandığında pankreas fonksiyonlarının korunmasına
yardımcı olur

← → ↺ 🏠 <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT03277196?term=%C4%B1vacaftor&cond=Cystic+Fibrosis&age=0&rank=3> 📖 ☆ ⚙️ ✍️ 🔗

NIH U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

[Find Studies](#) ▾ [About Studies](#) ▾ [Submit Studies](#) ▾ [Resources](#) ▾ [About Site](#) ▾

[Home](#) > [Search Results](#) > Study Record Detail ☐ Save this study

Trial record **3 of 74** for: [ivacaftor](#) | [Cystic Fibrosis](#) | [Child](#)

[◀ Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study ▶](#)

A Study to Evaluate the Safety of Long-term Ivacaftor Treatment in Subjects With Cystic Fibrosis Who Are Less Than 24 Months of Age at Treatment Initiation and Have an Approved Ivacaftor-Responsive Mutation

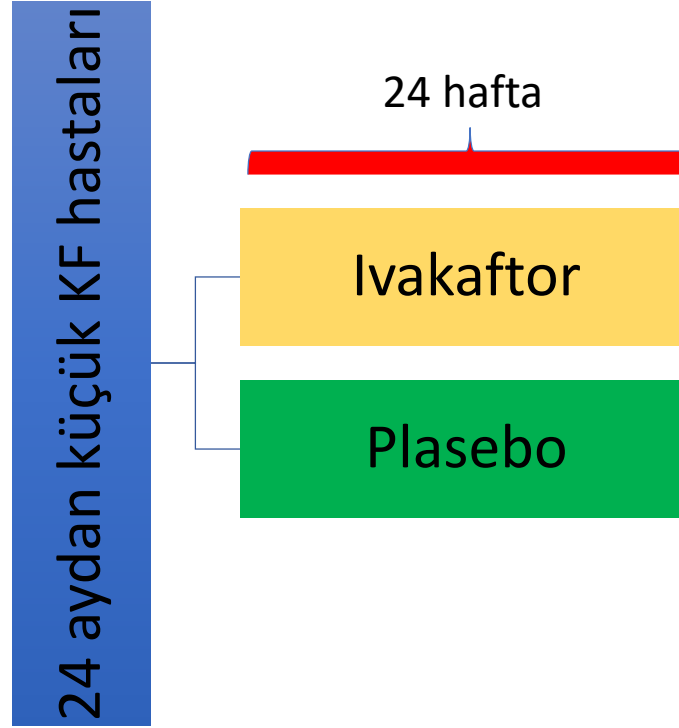
24 aydan küçük hastalarda Ivacaftor uzun dönem güvenilirliğini araştıran faz 3 çalışması

Vertex sponsor

27 merkezden 75 hasta

US, Avustralya, UK, Kanada, İrlanda, Almanya

Çalışma planı:



Ivacaftor için FDA onayı alınmış mutasyona sahip 24 aydan küçük çocuklarda çift kollu uzun dönem etkinlik ve güvenilirlik çalışması

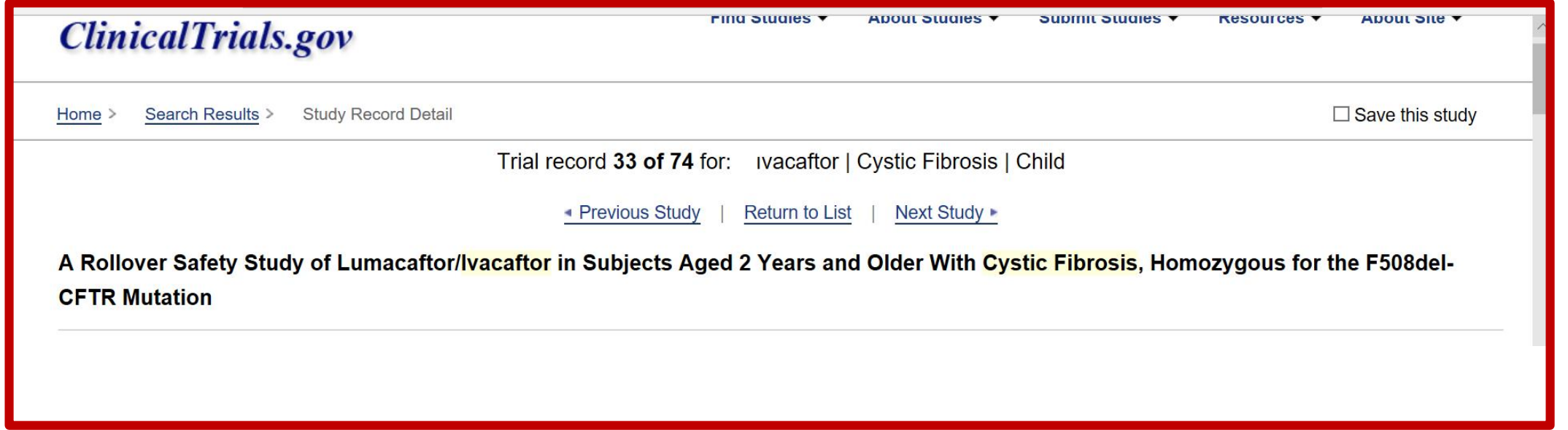
Çalışma planı:

Primer outcome: Tedavi başlangıcı ile sonlandırıldıktan sonraki 24 haftalık süre içinde yan etki ve ciddi yan etki gelişen hasta sayısı

Sekonder outcome: Ter testindeki değişiklik düzeyi

Çalışma 2017 yılında başladı, 2021 yılında bitmesi planlanıyor

1-Yeni Tedaviler-Lumacaftor/İvacaftor



ClinicalTrials.gov

Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

[Home](#) > [Search Results](#) > Study Record Detail ☐ Save this study

Trial record **33 of 74** for: ivacaftor | Cystic Fibrosis | Child

[◀ Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study ▶](#)

A Rollover Safety Study of Lumacaftor/Ivacaftor in Subjects Aged 2 Years and Older With Cystic Fibrosis, Homozygous for the F508del-CFTR Mutation

2 yaş ve üstü KF hastaları için lumacaftor/İvacaftor faz 3 gözlemsel kohort güvenilirlik çalışması

Açık uçlu, non randomize çalışma, kontrol grubu yok

Homozigot F508del mutasyonlu 57 hasta, 98 hafta

Çalışma başladı, 2019 Temmuz ayında sonlandırılması planlanıyor

Çalışma Planı:

Primer outcome: Güvenilirlik ve tolerabilite

(yan etki ve ciddi yan etki gelişen hasta sayısı)

Sekonder outcome: Ter testi

BMI, yaşa göre BMI Z skor

Tartı, tartı Z skor

Boy, boy Z skor

İlk alevlenmeye kadar geçen süre

Alevlenme sayısı

Yatış sayısı

Fekal elastaz-1 düzeyi

IRT düzeyinde değişiklik

Balgam mikrobiyoloji kültürü

LCI 2.5 düzeyinde değişiklik

LCI 5.0 düzeyinde değişiklik

NIH U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

[Find Studies](#) [About Studies](#) [Submit Studies](#) [Resources](#) [About Site](#)

[Home](#) > [Search Results](#) > Study Record Detail ☐ Save this study

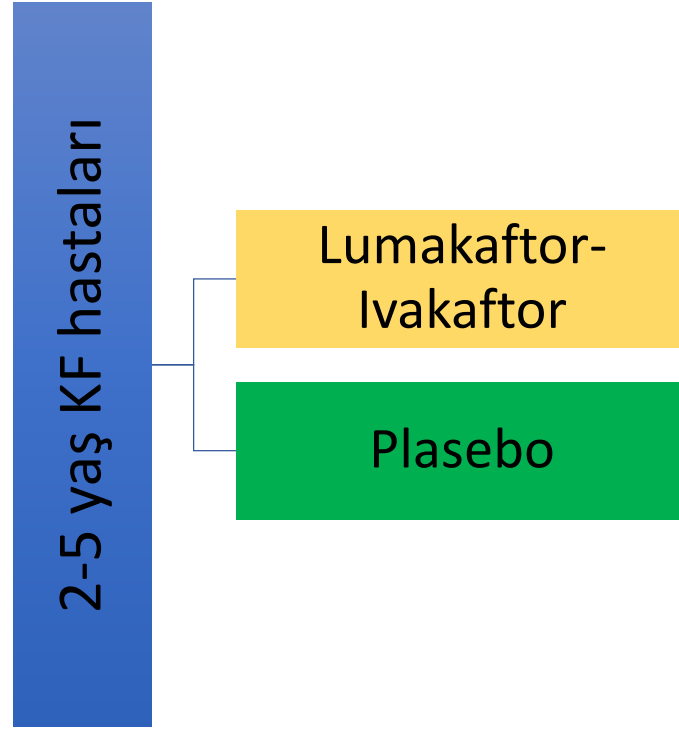
Trial record **11 of 74** for: Ivacaftor | Cystic Fibrosis | Child

[Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study](#)

A Study to Explore the Impact of Lumacaftor/Ivacaftor on Disease Progression in Subjects Aged 2 Through 5 Years With Cystic Fibrosis, Homozygous for F508del

2-5 yaş F508del homozigot mutasyonlu hastalarda lumacaftor/Ivacaftor tedavisinin hastalık progresyonu üzerine etkisini araştıran bir çalışma

Çalışma planı:



Metod: 50 hasta

Randomize plasebo kontrollü faz 2 çalışması

Part A: Çift kör

Part B: Açık uçlu uzun dönem

Ağustos 2018 de başladı, 2021 de bitirilmesi planlanıyor

Çalışma Planı:

Primer outcome: MR görüntüleme global göğüs skorundaki değişiklik düzeyi

Sekonder outcome: 1-LCI 2.5 değerindeki değişme

2-Tartı-Z skor değişikliği

3-Boy-Z skor değişikliği

4-BMI-yaşa göre Z skor değişikliği

2-Mukolitik tedaviler-Dornase Alfa

Çocuk Göğüs dornase alpha Eradication of New tab Sci-Hub: ycrp New tab CT Search of New tab

https://clinicaltrials.gov/ct2/results?term=dornase+alpha&cond=Cystic+Fibrosis&age_v=&age=0&gndr=&type=&rslt=&Search=Apply

NIH U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

Find Studies About Studies Submit Studies Resources About Site

Home > Search Results

Modify Search Start Over

16 Studies found for: **dornase alpha | Cystic Fibrosis | Child**
Also searched for **Pulmozyme** and **rhDNase**. [See Search Details](#)

Applied Filters: ☒ **Child (birth–17)**

List By Topic On Map Search Details

Hide Filters Download Subscribe to RSS Show/Hide Columns

Showing: 1-10 of 16 studies 10 studies per page

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Locations
1	☐	Terminated Has Results	A Study of Pulmozyme® (Dornase Alpha) in 3- to 5-Year-Old Patients With Cystic Fibrosis	• Cystic Fibrosis	• Drug: Dornase alfa • Drug: Placebo	
2	☐	Unknown †	Effectiveness of Pulmozyme in Infants With Cystic	• Cystic Fibrosis	• Drug: Recombinant	• Nationwide Children's Hospital

Recruitment ⓘ

Type here to search

10:12 AM 8/26/2018

Trial record **1 of 16** for: dornase alpha | Cystic Fibrosis | Child

[Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study](#) ▶

A Study of Pulmozyme® (Dornase Alpha) in 3- to 5-Year-Old Patients With Cystic Fibrosis

- Randomize çift kör plasebo kontrollü çalışma
- Son 56 gündür dornase alfa tedavisi almamış hastalar
- 16 gün süresince dornase alfa veya plasebo inhalasyonu
- Outcome: IOS ve yaşam kalitesi
- 40 hasta alınması planlanmış ancak 3 hasta alınabilmiş
- 3 hasta da efektif olarak IOS yapılamamış
- Çalışma sonlandırılmış

2-Mukolitik tedaviler-Hipertonik salin

The screenshot shows a web browser window with the ClinicalTrials.gov website. The search results page displays 33 studies found for the query "hypertonic saline | Cystic Fibrosis | Child". The applied filters are "Child (birth-17)". The results are shown in a table with columns: Row, Saved, Status, Study Title, Conditions, Interventions, and Locations. The first two rows are visible, both marked as "Completed".

U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

Home > Search Results

Modify Search Start Over

33 Studies found for: **hypertonic saline | Cystic Fibrosis | Child**

Applied Filters: ☒ Child (birth-17)

List By Topic On Map Search Details

Hide Filters

Download Subscribe to RSS

Show/Hide Columns

Showing: 1-10 of 33 studies 10 studies per page

Row	Saved	Status	Study Title	Conditions	Interventions	Locations
1	☐	Completed	Tolerability of Hypertonic Saline in Infants With Cystic Fibrosis	• Cystic Fibrosis	• Drug: Hypertonic Saline	• The Hospital for Sick Children Toronto, Ontario, Canada
2	☐	Completed	Tolerability of Inhaled Hypertonic Saline in Infants With Cystic Fibrosis	• Cystic Fibrosis	• Drug: inhaled 7% hypertonic saline (HS)	• University of North Carolina Chapel Hill, North Carolina, United States • Children's Hospital and Regional Medical Center

Filters

Apply Clear

Status

Recruitment ⓘ:

- ☐ Not yet recruiting
- ☐ Recruiting
- ☐ Enrolling by invitation

Windows Taskbar: Type here to search, 10:54 AM 8/26/2018

Lung Clearance Index as an Outcome Measure for Clinical Trials in Young Children with Cystic Fibrosis

A Pilot Study Using Inhaled Hypertonic Saline

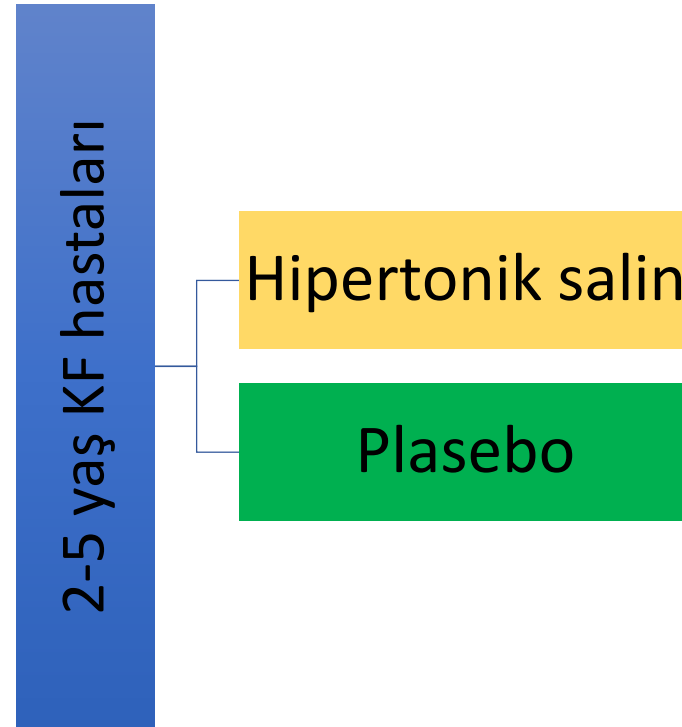
Padmaja Subbarao¹, Sanja Stanojevic², Meghan Brown¹, Renee Jensen¹, Margaret Rosenfeld³, Stephanie Davis⁴, Lyndia Brumback³, Per Gustafsson⁵, and Felix Ratjen¹

¹Division of Respiratory Medicine, Department of Pediatrics, and ²Child Health and Evaluative Science, SickKids Research Institute, The Hospital for Sick Children and University of Toronto, Toronto, Ontario, Canada; ³Division of Pulmonary Medicine, Seattle Children's Hospital, Seattle, Washington; ⁴Section of Pediatric Pulmonology and Allergy, James Whitcomb Riley Hospital for Children, Indiana University School of Medicine, Indianapolis, Indiana; and ⁵Department of Pediatrics, Central Hospital, Skövde, Sweden



- 27 CF tanılı hasta
- Ortalama yaş 2.6 yıl
- 2 hasta LCI uyumsuz
- 12 HS, 13 IS grubu
- HS tedavisi alan grupta LCI Z skor da anlamlı düşme
- Sonuç: LCI sütçocuğu ve okul öncesi çocuklarda uygulanabilir bir testtir
Interventional çalışmalarda outcome için bir değerlendirme testi olabilir

Saline Hypertonic in Preschoolers (SHIP)



Randomize kontrollü çalışma, 150 hasta alınacak
Mart 2015 de başladı, Şubat 2019 da sonlanması planlanıyor

Çalışma planı:

Primer outcome:

- 1-HS alan ve almayan grupta başlangıç ve 48 hafta sonunda LCI ölçümü

Sekonder outcome:

- 1-FEV1 deki değişiklik
- 2-Pulmoner alevlenme hızı
- 3-Yaşam kalitesi (CFQ-R)
- 4-CF respiratory sign diary (CFRSD0-6)
- 5-Respiratuvar patojen üremesi ve sıklığı

NIH U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

[Home](#) > [Search Results](#) > Study Record Detail ☐ Save this study

Trial record **9 of 33** for: hypertonic saline | Cystic Fibrosis | Child

[◀ Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study ▶](#)

Saline Hypertonic in Preschoolers + CT (SHIP-CT)

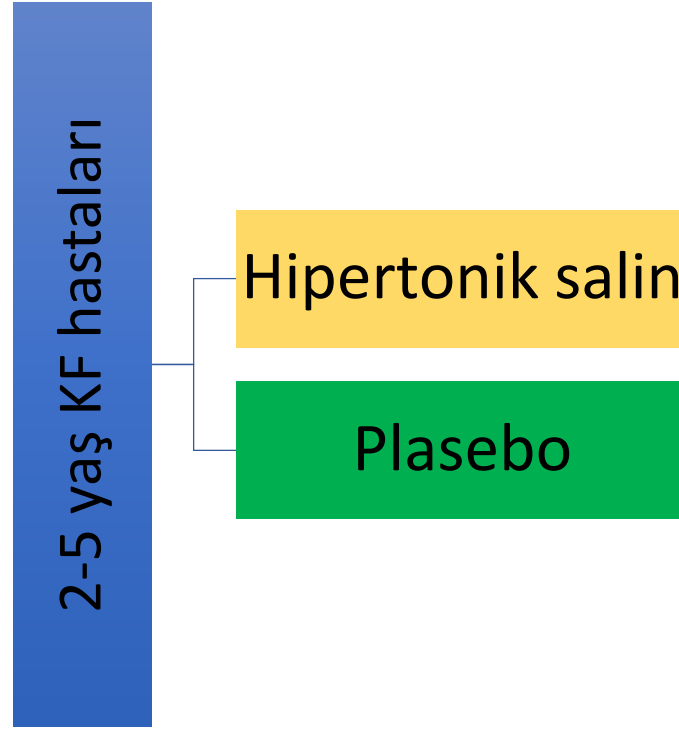
Randomize plasebo kontrollü çalışma

CF foundation destekliyor

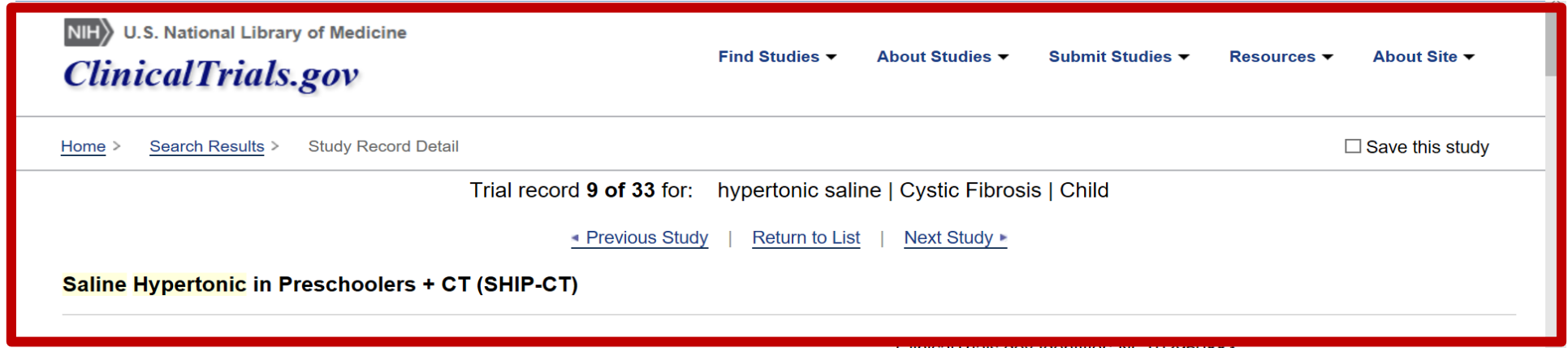
US, Kanada, Hollanda, Avustralya, Belçika, Fransa, İtalya, İspanya ve Danimarka dan toplam 24 merkez

Ağustos 2016'da başladı, Şubat 2019'da sonlanması planlanıyor

Çalışma planı:



- Randomize kontrollü çalışma, 50 hasta alınması planlanmış
- Bir grup %7 hipertonic salin diğer grup %09 NaCl tedavisi
- Tedavi günde 2 kez 48 hafta süresince



Çalışma planı:

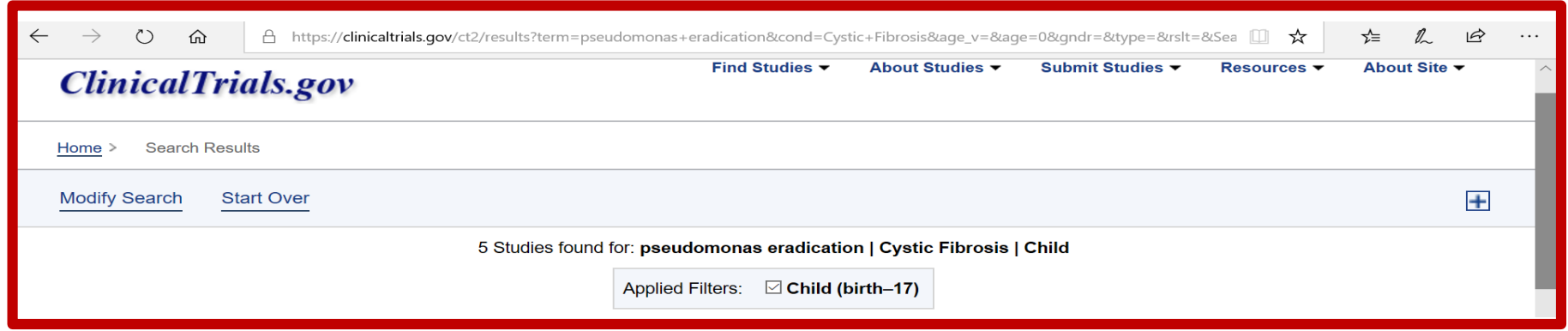
Primer outcome: İki grup arasında PRAGMA-CF skoru arasındaki fark

Sekonder outcome: 1-PRAGMA-CF alt skorları

2-LCI

3-PRAGMA-CF skorunu etkileyen faktörler

3-Pseudomonas eradikasyon



Pseudomonas eradikasyonu ile ilgili çocuklarda 5 çalışma var
Şu an sadece okul öncesi çocukları içeren bir çalışma yok!

Azithromycin for Early Pseudomonas Infection in Cystic Fibrosis: The Optimize Randomized Trial.

Mayer-Hamblett N^{1,2,3}, Retsch-Bogart G⁴, Kloster M⁵, Accurso F⁶, Rosenfeld M⁷, Albers G⁸, Black P⁹, Brown P¹⁰, Cairns A¹¹, Davis SD¹², Graff GR¹³, Kerby GS¹⁴, Orenstein D¹⁵, Buckingham R¹⁶, Ramsey BW¹⁷; OPTIMIZE Study Group.

6 ay-18 yaş pseudomonas
eradikasyon çalışması

Tobramisin nebul ve azitromisin

Tobramisin nebul ve plasebo

- Çok merkezli, çift kör, randomize plasebo kontrollü 18 aylık bir çalışma
- Çalışma anlamlı değere ulaştığı için erken sonlandırılmış
- Sonuç: Azitromisin alan grupta: pseudomonas alevlenmelerinde %44 azalma ve 1.27 kg tartı alımı
- Azitromisin ve plasebo arasında mikrobiyolojik, klinik ve güvenlik açısından fark saptanmamış

Bu çalışmayı eleştiren editöre mektup!

[**Azithromycin** for Early Pseudomonas Infection in **Cystic Fibrosis**; Do the Benefits Outweigh the Harms?](#)

Shanthikumar S, Robertson C, Ranganathan S.

Am J Respir Crit Care Med. 2018 Aug 23. doi: 10.1164/rccm.201807-1329LE. [Epub ahead of print]

[Reply to: **Azithromycin** for Early Pseudomonas Infection in **Cystic Fibrosis**; Do the Benefits Outweigh the Harms?](#)

Retsch-Bogart G, Mayer-Hamblett N, Ramsey BW.

Am J Respir Crit Care Med. 2018 Aug 23. doi: 10.1164/rccm.201808-1462LE. [Epub ahead of print]

Open label study of inhaled aztreonam for *Pseudomonas* eradication in children with cystic fibrosis: The ALPINE study☆

H.A.W.M. Tiddens ^{a,*}, K. De Boeck ^b, J.P. Clancy ^c, M. Fayon ^d, H.G.M.Arets ^e, M. Bresnik ^f,
A. Derchak ^f, S.A. Lewis ^g, C.M. Oermann ^h for the ALPINE study investigators

- 105 pediatrik KF hastası (3 ay- <2 yaş, n=24; 2-<6 yaş, n=25; 6- <18 yaş, n=56)
- AZLI 75 mg, günde 3 kez, 28 gün
- % 89.1 (n=90) tedavi sonunda Pa üremesi yok ve %75.2 (n=76) tedaviden 1 ay sonra Pa üremesi yok
- Eradikasyon tedavisinde kullanılan diğer tedavi yöntemleri ile benzer etkinlik ve güvenilirlik

3 ay-18 yaş pseudomonas
eradikasyon çalışması

Aztreonam nebul 28 gün

Aztreonam nebul 14 gün

NIH U.S. National Library of Medicine
ClinicalTrials.gov

Find Studies ▾ About Studies ▾ Submit Studies ▾ Resources ▾ About Site ▾

Home > Search Results > Study Record Detail ☐ Save this study

Trial record 5 of 103 for: pseudomonas | Cystic Fibrosis | 4 years, Child

[Previous Study](#) | [Return to List](#) | [Next Study](#)

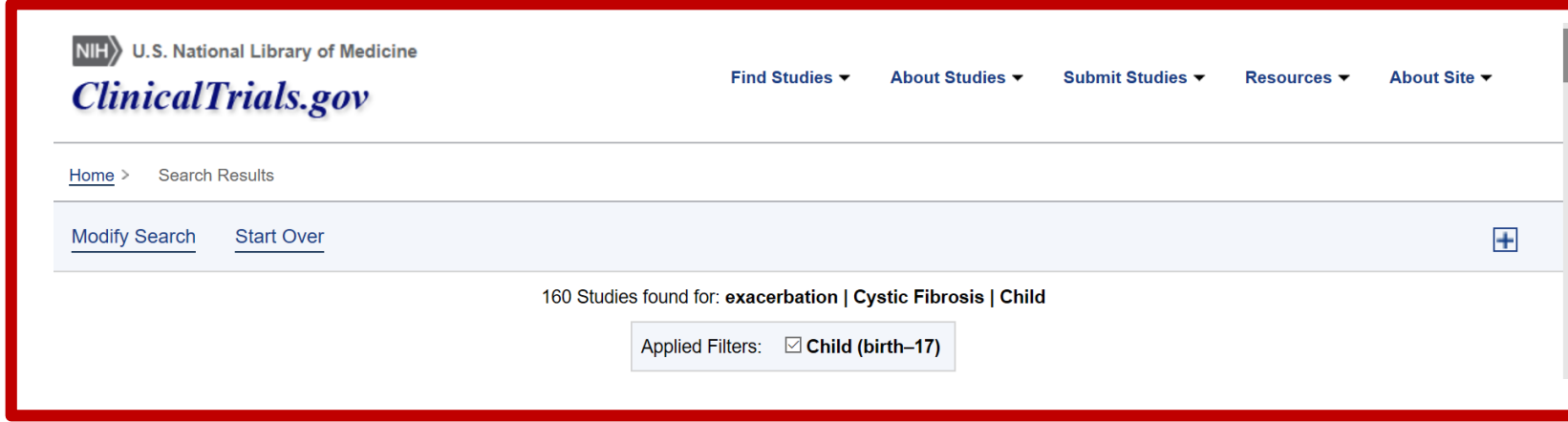
Safety and Efficacy of 2 Treatment Regimens of Aztreonam for Inhalation Solution in Children With Cystic Fibrosis and New Onset Pseudomonas Aeruginosa Infection (ALPINE2)

Randomize çift kör çalışma
140 olgu alınması planlanıyor

Primer outcome: Tedavi
sonlandıktan 28 gün sonra Pa
üreme oranı

2021 haziran ayında sonlanacak

4-Pulmoner alevlenme



Pulmoner alevlenme ile ilgili devam eden ve tamamlanmış toplam 160 çalışma var
Şu an sadece okul öncesi çocukları içeren bir çalışma yok!

Özet

- Okul öncesi çocukluk dönemi çalışmaların az olduğu, bilinmeyişi fazla olan bir dönemdir
- En sık kullanılan outcome parametresi akciğer temizleme indeksi (LCI) dir
- KF hastalarının hem takip hem de tedavisi ile ilgili yeni çalışmalara ihtiyaç vardır

ÇOCUK GÖĞÜS HASTALIKLARI

3. KONGRESİ

26 - 28 Eylül 2018
Marriott Hotel, Şişli - İSTANBUL



Dikkatiniz için teşekkür ederim....