
Questo è un riassunto di uno studio clinico condotto su pazienti affetti da fibrosi polmonare idiopatica, un raro tipo di malattia polmonare. È scritto per essere letto da qualsiasi persona e utilizza un linguaggio che è di semplice comprensione. Include informazioni sul modo in cui i ricercatori hanno condotto questo studio e sui risultati ottenuti. Il titolo semplificato di questo studio è: 'Uno studio sul nintedanib in pazienti con fibrosi polmonare idiopatica'.

Ringraziamo tutti i pazienti che hanno preso parte a questo studio. Con la vostra partecipazione avete aiutato i ricercatori a trovare risposte a importanti domande sul nintedanib e sul trattamento della fibrosi polmonare idiopatica.

Di cosa si è occupato questo studio?

Lo scopo di questo studio era quello di capire se un farmaco chiamato nintedanib è in grado di aiutare i pazienti con fibrosi polmonare idiopatica (IPF). Durante lo studio, i ricercatori hanno raccolto anche informazioni sugli effetti collaterali del nintedanib.

Questo studio ha avuto inizio nel maggio 2011 ed è finito nell'ottobre 2013. Lo sponsor di questo studio è la società Boehringer Ingelheim.

Perché è stato necessario condurre questo studio?

Per trattare i pazienti con IPF, una rara malattia polmonare, sono necessari dei farmaci nuovi. La fibrosi polmonare idiopatica causa cicatrizzazione del tessuto all'interno dei polmoni. Il tessuto dei polmoni si ispessisce e si irrigidisce (diventa fibrotico), rendendo difficoltosa la respirazione. Il termine 'idiopatico' significa che i medici non conoscono la causa di questa cicatrizzazione polmonare. I sintomi comuni della IPF sono mancanza di fiato, tosse secca persistente e ingrossamento della punta delle dita (dita a bacchetta di tamburo). Attualmente non c'è una cura per la IPF e ci sono pochissimi trattamenti per i pazienti che soffrono di IPF. La malattia peggiora con il tempo con un esito non favorevole.

Quali farmaci sono stati studiati?

I ricercatori hanno studiato il farmaco denominato nintedanib (noto anche come BIBF 1120). I ricercatori pensano che il nintedanib blocchi i segnali biologici che hanno luogo nel processo di cicatrizzazione del polmone. Il nintedanib è già stato testato in studi clinici su pazienti affetti da IPF e su pazienti con diversi tipi di cancro. Il nintedanib è una capsula che deve essere assunta per via orale.

Alcuni pazienti che hanno preso parte allo studio sono stati trattati con nintedanib, mentre altri sono stati trattati con placebo. Le capsule del placebo erano esattamente uguali alle capsule del nintedanib, ma non contenevano alcun farmaco.

Chi ha preso parte allo studio?

A questo studio hanno potuto prendere parte i pazienti ai quali era stata fatta diagnosi di IPF nei 5 anni precedenti. Dovevano avere almeno 40 anni.

I pazienti trattati con nintedanib o placebo che hanno preso parte a questo studio sono stati in totale 513, di cui 414 uomini e 99 donne. L'età media era 68 anni. Il paziente più giovane aveva 42 anni e il più anziano 87 anni. Molti pazienti provenivano dall'Unione Europea (288 pazienti da Belgio, Repubblica Ceca, Francia, Germania, Irlanda, Italia e Regno Unito). Alcuni pazienti dall'Asia (103 pazienti da Cina, India e Giappone). Altri pazienti provenivano dall'Australia (33 pazienti), da Israele (19 pazienti) e Stati Uniti (70 pazienti).

Come è stato condotto questo studio?

Ai ricercatori interessava sapere se i pazienti in terapia con nintedanib andavano meglio nei test sulla funzionalità polmonare dei pazienti trattati con il placebo. Per provare questa ipotesi i pazienti sono stati divisi in 2 gruppi. L'assegnazione all'uno o all'altro dei due gruppi è stata decisa a caso. Un gruppo di 309 pazienti ha ricevuto il nintedanib, mentre l'altro gruppo di 204 pazienti il placebo. I pazienti non sapevano se stavano assumendo il nintedanib o il placebo. Neppure i medici lo sapevano.

I pazienti hanno preso le capsule di nintedanib o di placebo due volte al giorno. I pazienti del gruppo nintedanib hanno iniziato con una dose di 150 milligrammi (mg) due volte al giorno. Quando i pazienti hanno avuto effetti collaterali che non erano in grado di tollerare, i medici hanno potuto ridurre la dose a 100 mg due volte al giorno. I pazienti hanno anche potuto sospendere l'assunzione di nintedanib per un certo tempo. Quando i pazienti che prendevano il placebo hanno avuto effetti collaterali che non erano in grado di tollerare, anche in questo caso i medici hanno potuto 'ridurre la dose' o i pazienti hanno potuto interrompere l'assunzione delle capsule per un certo tempo.

Secondo quanto programmato i pazienti che prendevano parte allo studio dovevano essere trattati per 1 anno. Durante il tempo di partecipazione allo studio, tutti i pazienti hanno seguito le stesse procedure:

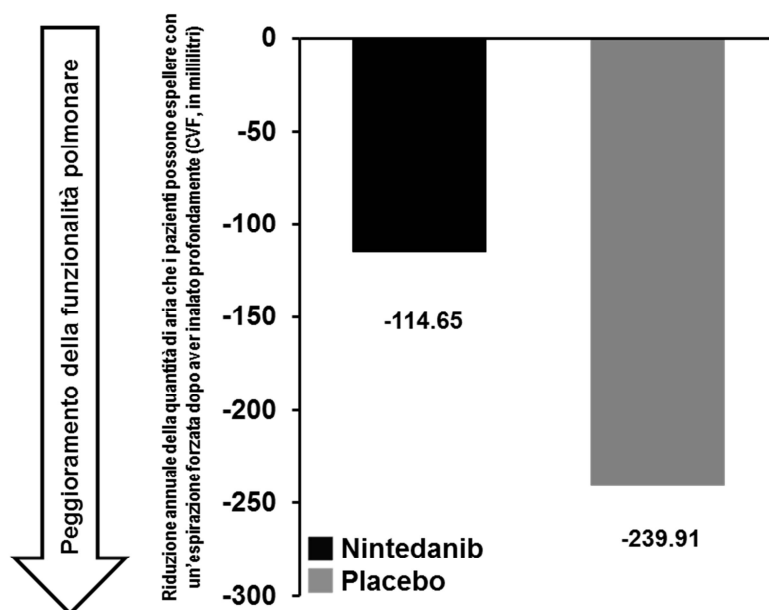
- I pazienti si sono recati dal medico ogni due settimane per le prime 6 settimane dello studio. In seguito si sono recati dal medico ogni 6 settimane.
- I pazienti si sono sottoposti a test sulla funzionalità polmonare.
- I pazienti hanno risposto a domande sulla loro salute e qualità di vita.
- I pazienti si sono sottoposti a esami del sangue per un controllo della propria salute.
- I medici hanno raccolto informazioni sugli effetti collaterali.

I medici si sono occupati di ogni singolo paziente e hanno controllato i risultati. Hanno discusso anche di eventuali problemi di salute con i pazienti richiedendo l'esecuzione di altri controlli medici quando necessario.

Per verificare se il nintedanib può rallentare il peggioramento della funzionalità polmonare, i ricercatori hanno usato uno speciale test della funzionalità polmonare. Questo test ha misurato la quantità di aria che i pazienti erano in grado di espellere con un'espirazione forzata dopo aver inalato profondamente. I ricercatori chiamano questa misurazione 'Capacità vitale forzata' o 'CVF'. I ricercatori hanno misurato il cambiamento della CVF nell'arco di 1 anno. A una maggiore riduzione della CVF nell'arco di 1 anno corrisponde un più rapido peggioramento della funzionalità polmonare.

Quali sono stati i risultati di questo studio?

In media, la funzionalità polmonare nei pazienti trattati con il nintedanib ha registrato nell'arco di 1 anno un peggioramento minore rispetto a quello dei pazienti che hanno assunto il placebo. Nel gruppo nintedanib, la riduzione annuale della CVF, o la quantità di aria che i pazienti riuscivano a espellere con un'espirazione forzata dopo aver inalato profondamente, è risultata all'incirca pari alla metà della riduzione del gruppo placebo. Il risultato è illustrato nella figura che segue. Per essere certi dell'attendibilità dei risultati, i ricercatori si sono avvalsi di test statistici ed hanno concluso che era molto improbabile che i risultati fossero frutto del caso.



Questa figura mostra la riduzione annuale media della quantità di aria che i pazienti possono espellere con un'espirazione forzata dopo aver inalato profondamente (CVF). La barra nera mostra la riduzione nel gruppo nintedanib, mentre la barra grigia mostra la riduzione nel gruppo placebo. In media, nell'arco di un anno, la funzionalità polmonare dei pazienti del gruppo nintedanib è peggiorata di meno di quella dei pazienti del gruppo placebo.

Quali sono stati gli effetti collaterali che hanno avuto i pazienti?

Gli effetti collaterali si sono manifestati su un numero di pazienti del gruppo nintedanib (74%) maggiore di quello del gruppo placebo (31%).

Gli effetti collaterali più comuni hanno interessato l'apparato digerente. Questi effetti collaterali sono stati più frequenti nei pazienti che hanno assunto il nintedanib rispetto ai pazienti che hanno assunto il placebo.

Gli effetti collaterali che sono stati osservati in almeno un 5% dei pazienti di entrambi i gruppi in trattamento sono illustrati nella tabella riportata di seguito.

I medici tengono traccia di tutti i problemi di salute che i pazienti hanno durante uno studio. Alcuni di questi problemi potrebbero essere causati dai farmaci dello studio ed alcuni da altri farmaci assunti dal paziente. Altri potrebbero essere causati dalla malattia ed altri ancora hanno una causa diversa. Qui descriviamo i problemi di salute che secondo i medici erano causati dai farmaci dello studio. Questi problemi di salute sono detti effetti collaterali.

	Gruppo nintedanib (309 pazienti)	Gruppo placebo (204 pazienti)
Pazienti che hanno manifestato effetti collaterali correlati ai farmaci dello studio	228 pazienti (74%)	64 pazienti (31%)
Movimenti intestinali accentuati, frequenti (diarrea)	165 pazienti (53%)	25 pazienti (12%)
Sensazione di malessere (nausea)	55 pazienti (18%)	9 pazienti (4%)
Perdita di appetito	25 pazienti (8%)	7 pazienti (3%)
Vomito	21 pazienti (7%)	2 pazienti (1%)
Mal di stomaco (dolori addominali)	17 pazienti (6%)	0 pazienti

Alcuni pazienti hanno interrotto l'assunzione dei farmaci dello studio ed altri hanno ridotto la loro dose a causa degli effetti collaterali. Un numero di pazienti del gruppo nintedanib (42 pazienti, 14%) maggiore di quello del gruppo placebo (6 pazienti, 3%) ha interrotto l'assunzione dei farmaci dello studio a causa degli effetti collaterali. Inoltre, un numero di pazienti del gruppo nintedanib (52 pazienti, 17%) maggiore di quello del gruppo placebo (2 pazienti, 1%) ha ridotto la dose del farmaco dello studio a causa degli effetti collaterali.

Nel complesso 14 pazienti (5%) del gruppo nintedanib e 6 pazienti (3%) del gruppo placebo hanno avuto almeno 1 effetto collaterale grave durante lo studio.

Nel complesso 12 pazienti (4%) del gruppo nintedanib e 10 pazienti (5%) del gruppo placebo sono deceduti durante lo studio. La maggior parte è deceduta a causa della propria malattia polmonare. I medici ritengono che nessuno dei decessi del gruppo nintedanib sia stato causato dal farmaco dello studio. Un paziente del gruppo placebo è deceduto a causa di un effetto collaterale che secondo il medico era attribuibile al farmaco dello studio (placebo).

Alcuni pazienti che hanno partecipato allo studio hanno avuto effetti collaterali gravi. Un effetto collaterale è stato considerato grave quando ha causato il ricovero in ospedale del paziente o una permanenza prolungata. Oppure se ha richiesto l'attenzione immediata del medico, ha costituito un pericolo per la vita o ha causato il decesso.

Ci sono studi integrativi?

I pazienti che hanno completato questo studio hanno potuto partecipare a uno studio integrativo 1199.33. Tale studio è ancora in corso.

Dove si possono reperire maggiori informazioni?

Riassunti scientifici dei risultati dello studio sono reperibili sui seguenti siti web:

www.trials.boehringer-ingelheim.com ricerca in base al numero dello studio: 1199.32

www.clinicaltrialsregister.eu ricerca in base al numero EudraCT:
2010-024251-87

www.clinicaltrials.gov ricerca in base al numero NCT: NCT01335464

Il titolo completo dello studio è:

'A 52 weeks, double blind, randomized, placebo-controlled trial evaluating the effect of oral BIBF 1120, 150 mg twice daily, on annual Forced Vital Capacity decline, in patients with Idiopathic Pulmonary Fibrosis (IPF)'

Nota importante

Questo riassunto presenta solo i risultati di uno studio e potrebbe non essere rappresentativo di tutti i dati a disposizione sul medicinale studiato. Solitamente, vengono condotti più studi per capire il meccanismo di funzionamento e gli effetti collaterali di un medicinale. Altri studi potrebbero avere risultati differenti.

Si raccomanda di richiedere informazioni sul medicinale al proprio medico. Si raccomanda di non modificare la terapia sulla base dei risultati di questo studio senza aver prima consultato il proprio medico. Consultare sempre il proprio medico in merito alla propria specifica terapia.

Boehringer Ingelheim ha redatto il presente riassunto per il pubblico conformemente agli obblighi di trasparenza. Questo riassunto per il pubblico è rivolto a destinatari residenti nell'Unione Europea.

©Boehringer Ingelheim International GmbH.
