

# Information HIT-CF Europe

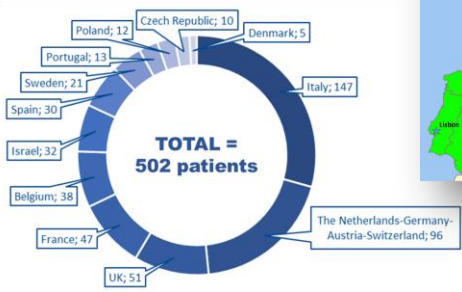
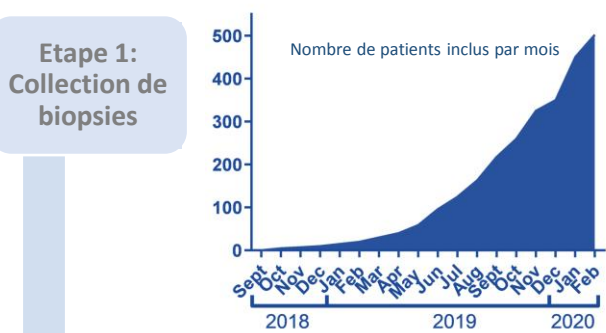
Mars 2020



Le projet HIT-CF a pour objectif d'apporter des nouvelles options de traitements pour les personnes atteintes de mucoviscidose avec un profil génétique ultra-rare. L'étape 3 du projet va évaluer l'efficacité et la sécurité de médicaments candidats proposés par Eloxx Pharmaceuticals et Proteostasis Therapeutics Inc. (PTI) chez des patients sélectionnés grâce aux tests réalisés en laboratoire sur leurs organoïdes.

## Premier objectif atteint avec l'inclusion de 502 patients à travers l'Europe!

47 centres participants de 16 pays en collaboration avec l'ECFS-CTN ont contribué à ce grand succès!



**Etape 1: Collection de biopsies**

Les biopsies rectales de 502 patients "muco" ont été collectées et envoyées à Hubrecht Organoid Technology (HUB, Pays-Bas) pour être transformées en organoïdes. Les molécules de PTI et/ou d'Eloxx vont être testées sur certains organoïdes (en fonction de leur génotype) à partir desquels la réponse à ces molécules va être évaluées.



Ni les patients, ni les médecins ne connaîtront les résultats des tests en laboratoire sur les organoïdes, ni quelle molécule est administrée aux patients, et ce jusqu'à la fin de l'essai clinique.

Le calendrier devra peut être être ajusté en fonction de l'évolution et des conséquences de la crise Covid-19



Projet financé par le programme de recherche et d'innovation Horizon 2020 de l'Union européenne via la convention de subvention n° 755021.

Pour en apprendre plus sur le projet HIT-CF, rendez-vous sur [www.hitcf.org](http://www.hitcf.org) ou envoyez un e-mail à [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl)

