

Newsletter HIT-CF Europe

Mars 2020



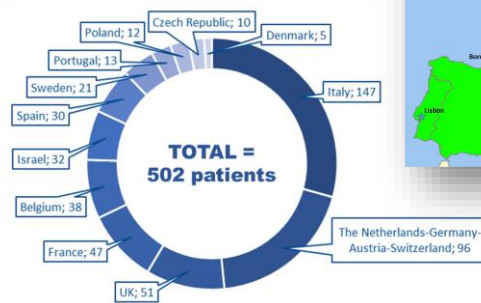
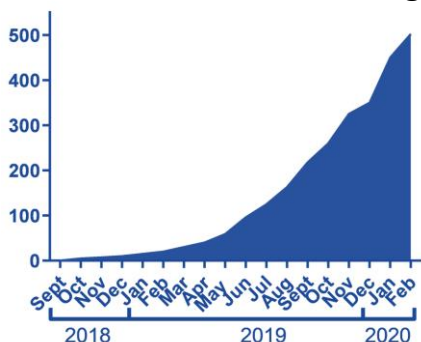
Projektet HIT-CF Europe har som mål att hitta nya behandlingsalternativ för personer med cystisk fibros (CF) och mycket sällsynta mutationer. Projektet kommer att utvärdera effekten och säkerheten hos läkemedelskandidater som tillhandahålls av Eloxx Pharmaceuticals och Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) på patienter som valts ut genom preliminära tester i laboratoriet på deras minintarmar - även kallade organoider.

Fas 1 & 2 av studien är klara och 502 patienter rekryterades från olika delar av Europa!

47 deltagande CF-center från 16 länder i samverkan med ECFS-Clinical Trial Network bidrog till den stora framgången!



Steg 1: Insamling av biopsier



Steg 2: Odling av organoider

Rektala biopsier samlades in från 502 CF-patienter och skickades till Hubrecht Organoid Technology (HUB, The Netherlands) för att bearbetas till organoider. Baserat på givarens genotyp testas substanser från PTI, Eloxx eller båda på organoiden vars respons på läkemedlet mäts.

What are the next steps?



Steg 3: Läkemedels-screening på organoider

Organoider testas i 4 laboratorier: "the HUB" och universiteten i Leuven (Belgien), Utrecht (Nederländerna) och Lissabon (Portugal). PTI-substanser testas fram till juni; screening av Eloxx substanser startar vintern 2020-2021.



Steg 4: Urval för kliniska prövningar

Minst 50 deltagare väljs ut till PTI-studien och de ska täcka ett spektrum av organoidsvar.

Varken patienter eller läkare kommer att känna till vem som svarat mycket, mittemellan eller lite på de olika substanserna eller vilket preparat varje person får, förrän studien är slut.

Steg 5: Kliniska prövningar

Ett protokoll för en dubbel-blind, placebo-kontrollerad, crossover-studie granskas nu av CTN. Planerad start för PTI-studien är andra halvan av 2020.

Tidsplanen kan behöva justeras beroende på utvecklingen och konsekvenserna av Covid-19 krisen.



This project has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 755021

To learn more about the HIT-CF project, visit www.hitcf.org or send an e-mail to HITCF@umcutrecht.nl