

Newsletter HIT-CF Europe

Augusti 2020



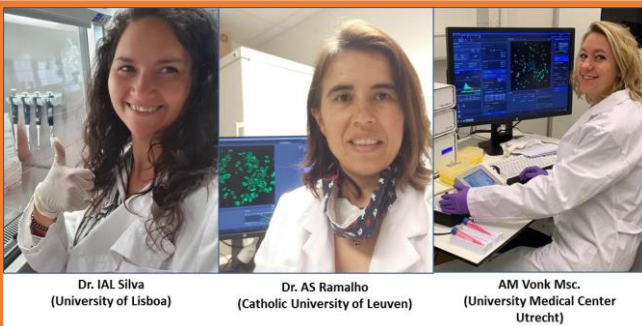
Projektet HIT-CF Europe har som mål att hitta nya behandlingsalternativ för personer med cystisk fibros (CF) och mycket sällsynta mutationer. Projektet kommer att utvärdera effekten och säkerheten hos läkemedelskandidater som tillhandahålls av Eloxx Pharmaceuticals och Proteostasis Therapeutics, Inc.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

Mellan september 2018 och mars 2020 rekryterades 502 patienter, vars organoider odlades, från hela Europa!



På grund av Covid-19 pandemin och nödvändiga försiktighetsåtgärder för att stoppa spridningen gjordes ett uppehåll i testningen av mediciner från mitten på mars till slutet av maj.

Vad är den nuvarande situationen?



Sedan slutet av maj, har testerna gradvis återupptagits. Baserat på givarens genotyp testas läkemedelssubstanter från företagen PTI, Eloxx eller båda, på organoider vars svar på läkemedlet kommer att mätas.

Screeningen av PTI-substanserna bör vara klar i slutet av 2020. Minst 50 deltagare som täcker en rad organoidresponser kommer att väljas ut för PTI-studien. Därefter testas Eloxx-substanserna.

Spana in deltagarnas [FAQ's](#) på [HIT-CF website](#), eller skicka ett e-mail till HITCF@umcutrecht.nl

Kommer jag få mer information om vilka studieläkemedel som testats på min organoid i labbet och hur den svarade?

Vi skickar feedback om organoidtestresultaten. Många av de läkemedel som testats är dock ännu inte tillgängliga för klinisk användning. Beroende på deras utvecklingsstatus kommer vi därför inte alltid att kunna dela informationen om ditt organoidrespons per läkemedel. Tänk också på att du kommer att få denna information först efter att de kliniska studierna har slutförts.

Tidigast i slutet av 2020, kommer PTI-studien att påbörjas:

dubbel-blind, placebo-kotrollerad, crossover-studie godkänd av Clinical Trial Network (CTN). Studien förväntas genomföras i 14 länder (se karta), men det beror på var studiedeltagarna finns.

Eloxx-studien: Efter sommaren skickas studieprotokollet för Eloxx-studien till CTN.

