

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 minitarmar - även kallade organoider.



Meddelande från professor Kors van der Ent, barn- och CF-läkare på UMC Utrecht, Nederländerna, och ansvarig prövare för HIT-CF

Kära vänner,

Nyheten om att Proteostasis (PTI, ett av de läkemedelsföretag som tillhandahåller en substans för HIT-CF) går samman med Yumanity och förseningar som orsakats av Covid-19 har lett till oro över utvecklingen och genomförandet av HIT-CF, särskilt CHOICES-studien (= studien med PT-substanter).

Som tur var avslutades den del av studien då organoider samlades in, precis innan pandemin bröt ut. Med några mindre förseningar, kunde laboratorier fortsätta med screeningen. Vi räknar med att alla organoider kommer att screenas med PTI-substanter i november och att vi kan fortsätta screening med Eloxx-substanter efter det. Från början var planen att göra en placebo-kontrollerad 8-veckor cross-over studie med både PTI- och Eloxx-substanter. Innan pandemins utbrott önskade PTI att den andra delen av cross-over studien skulle utökas med en 16-veckors förlängningsperiod för att samla in data kring säkerheten i totalt 24 veckor. Vi tyckte det var ett bra upplägg och kom överens om det.

Sammanslagningen har påverkat PTI och deras möjlighet att bidra till studien just nu. Vi var tvungna att ta bort förlängningsperioden på 16 veckor igen och den del som kallas "open label access" efter studien är osäker i nuläget. För närvarande har vi en överenskommelse med PTI som gör att **HIT-CF genomförs enligt den ursprungliga planen** och vi ser det som vårt gemensamma ansvar och högsta prioritet att göra läkemedlen tillgängliga för patienter om CHOICES-studien uppvisar positiva resultat. Vi kommer inom kort att lämna in ansökan till lokala etikprövningsnämnder och beroende på hur pandemin utvecklas, hoppas vi att vi kan inkludera patienter att par månader efter det.

Även det kliniska program som pågår för Eloxx har fördröjts. Företaget behöver göra klart en fas II-studie för att komma fram till vilken dos som ska användas, innan vi kan starta Eloxx HIT-CF. Företaget förväntar sig för närvarande att det kommer att bli sommaren 2021.

Vi har alla tvingats hantera dessa extrema tider. Konsortiet är mycket motiverat att göra HIT-CF till en framgång för patienter med ovanliga mutationer. Om du har specifika frågor, tveka inte att kontakta oss så försöker vi besvara dem så bra vi kan.

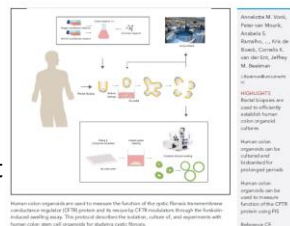
Tack och var rädd om dig, Kors



STAR Protocols



Protocol for Application, Standardization and Validation of the Forskolin-Induced Swelling Assay in Cystic Fibrosis Human Colon Organoids



HIT-CF på den internationella forskar-scenen

- ✓ Professor van der Ent hade möjligheten att presentera en översikt av HIT-CF projektet på **North American CF Conference**. Du kan se föreläsningen [här](#).
- ✓ Konsortiet publicerade nyligen sitt [protokoll](#) för tillämpning, standardisering och validering av den metod de använt för att få fram organoider, framtagna med hjälp av biopsier från kolon hos personer med CF, och få dem att svälla med hjälp av forskolin. Publikationen syftar till att standardisera metoderna för att säkerställa hög reproducerbarhet och korrekt tolkning av resultat hos olika laboratorier och göra det möjligt för andra forskare att också genomföra funktionella experiment med organoider.