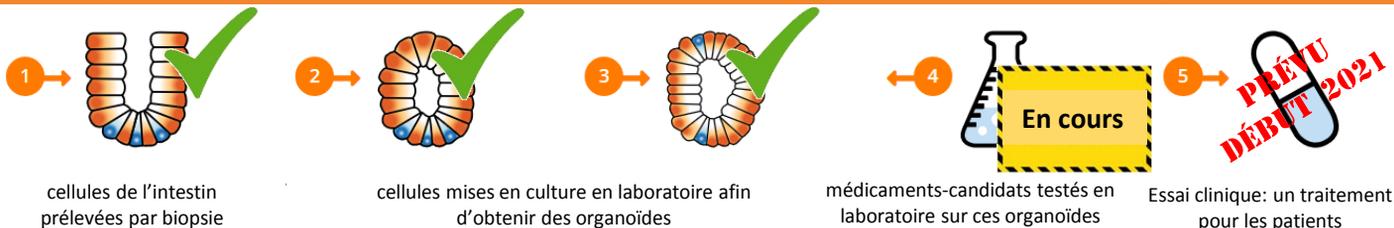


Informations HIT-CF Europe

Octobre 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'objectif du projet est d'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.



Message du Professeur Kors van der Ent, pédiatre spécialiste de la mucoviscidose à Utrecht, Pays-Bas, et coordonnateur de HIT-CF

Chers amis,

La fusion de Proteostasis (PTI, une des sociétés pharmaceutiques fournissant des composés pour le projet) avec Yumanity, et les retards causés par la Covid-19 ont suscité des inquiétudes quant à la progression de HIT-CF, et en particulier de l'essai CHOICES (= essai clinique avec des composés de PTI).

Heureusement, la partie du projet relative à la collecte d'organoïdes a été finalisée juste avant la pandémie. Avec quelques retards mineurs, les tests en laboratoire ont pu être poursuivis. Nous espérons que tous les organoïdes seront testés avec les composés PTI en novembre et que nous pourrons ensuite continuer les tests avec les composés Eloxx. Au départ, le projet HIT-CF prévoyait des essais cliniques de 8 semaines avec des composés PTI et Eloxx, versus placebo. Avant la pandémie, PTI nous a demandé de prolonger leur essai de 16 semaines, afin de recueillir au total 24 semaines de données sur la sécurité du candidat-médicament. Nous avons accepté cette approche.

La fusion a eu un impact sur PTI, ainsi nous avons dû supprimer la période de prolongation de 16 semaines de l'essai et malheureusement l'accès au traitement à l'étude après l'essai pour les patients inclus n'est pas encore totalement assuré. Nous avons actuellement l'accord de PTI pour **réaliser l'essai clinique sous sa forme originale** et nous considérons qu'il est de notre responsabilité commune et de notre priorité absolue de rendre les médicaments disponibles pour les patients au cas où CHOICES aboutirait à des résultats positifs. Nous commencerons très bientôt à soumettre les protocoles aux instances réglementaires nationales et, en fonction de l'évolution de la pandémie, nous espérons commencer à inclure les patients quelques mois plus tard.

Par ailleurs, le programme clinique d'Eloxx en cours a pris un certain retard. La société doit finaliser l'étude de dosage de phase II avant que nous puissions commencer l'étude HIT-CF d'Eloxx, prévue à ce jour pour l'été 2021.

Nous devons tous faire face à cette période sans précédent. Le consortium est très motivé pour faire d'HIT-CF un succès pour les patients ayant des mutations rares. Si vous avez des questions spécifiques, n'hésitez pas à nous contacter.

Merci et soyez prudents, Kors

HIT-CF sur la scène scientifique internationale

- ✓ Le professeur Kors van der Ent a eu l'opportunité de présenter un état des lieux de HIT-CF durant la **conférence nord-américaine de la mucoviscidose**. La vidéo est disponible [ici](#).
- ✓ Le consortium a récemment publié le **protocole pour la réalisation du test de gonflement induit par la forskoline sur les organoïdes issus de patients atteints de mucoviscidose**. Cette publication vise à normaliser les méthodes pour assurer une grande reproductibilité et une interprétation correcte des résultats entre les différents laboratoires, et permettra à d'autres scientifiques de réaliser également ces expériences fonctionnelles sur organoïdes.



STAR Protocols

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

