

Newsletter HIT-CF Europe



Januari 2021

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.



Hela HIT-CF teamet önskar dig ett Gott Nytt År. 2020 överraskade oss med exceptionella utmaningar som vi försökte hantera på bästa möjliga sätt. Vi hoppas att vi lyckades hålla dig informerad och visa att vi är högst motiverade att se till så att HIT-CF Europe blir en framgång. Vår högsta önskan är att 2021 ger kärlek, glädje och lycka till alla med CF, deras familjer och vänner samt deras CF-team. Vi hopas också att de kliniska prövningarna kan genomföras under året för att få fram revolutionerande mediciner till personer med CF och mycket sällsynta mutationer.

Mindre än ett år efter att ha slutfört rekryteringen av 502 personer med CF orsakad av sällsynta mutationer, och trots COVID-19-pandemin som tvingade oss att (tillfälligt) stänga våra forskningsanläggningar, kunde vi avsluta både den primära och sekundära screeningen med PTI-substanser på organoiderna. Den första och den andra screeningen stämde mycket väl överens vilket understryker tillförlitligheten av resultaten.

Vi är också mycket glada över att kunna meddela att flera organoider från deltagarna i HIT-CF har svarat bra på PTI CFTR-modulatorerna. Under de kommande veckorna kommer svaren att rankas för att se vilka 26 organoider som svarat starkast. De CF-center, dit någon av dessa 26 personer hör, kommer att kontaktas för att förbereda den kliniska prövningen med dessa substanserna. Den studien kallas CHOICES. Vi kommer också titta på 26 personers vars svar visade olika svar på läkemedlen och deras CF-center kommer också att kontaktas. Under tiden har vi påbörjat screeningfasen av Eloxx-medicinen, som går framåt.



I nyhetsbrevet från oktober informerade vi om vad som sker med Proteostasis, ett av läkemedelsföretagen som tillhandahåller substanser i HIT-CF. I december 2020, slogs PTI samman med Yumanity Therapeutics, som nu är den formella ägaren av deras CF-portfölj. HIT-CF teamet har en kontinuerlig kontakt med Yumanity för att säkerställa att HIT-CF projektet kan gå vidare till nästa fas så smidigt som möjligt. Trots det är en viss fördröjning oundviklig och Covid-19 pademin är fortfarande en utmaning. Vi räknar med att kunna starta CHOICES senare i vår.

Ett viktigt mål för HIT-CF projektet är att upprätta en biobank för precisionsmedicin som innehåller organoiderna från personer med CF orsakade av sällsynta mutationer. Biobanken ska finnas kvar till förfogande även efter det att HIT-CF har avslutats. Under de senaste månaderna ha intervjuer genomförts med de personer som donerat sin tarmvävnad för att ta reda på deras åsikter och tankar kring en mer permanent biobank.



HIT-CF teamet undersöker nu adekvata modeller som uppfyller alla lagar och regler för en sådan biobank av organoider. Att lagra din organoid i en biobank, som kan användas efter det att HIT-CF är avslutat, är frivilligt och innebär att du behöver signera ytterligare ett informerat samtycke. Alla deltagare i HIT-CF kommer så småningom att kontaktas personligen för att få mer information om biobanken och möjlighet att underteckna samtycket.

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

