

# Newsletter HIT-CF Europe

Janvier 2021



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.



Toute l'équipe de l'HIT-CF tient à vous souhaiter une bonne année. L'année 2020 nous a surpris avec des défis sans précédent que nous avons essayé de relever au mieux. Nous espérons avoir réussi à vous tenir informés et à vous montrer que nous sommes toujours très motivés pour faire de HIT-CF Europe un succès. Notre plus grand souhait est que 2021 apporte amour, joie et bonheur à tous les patients et leurs proches, ainsi qu'aux équipes de soins qui s'occupent d'eux. Nous espérons également que les essais cliniques pourront être réalisés au cours de l'année à venir afin d'apporter des médicaments révolutionnaires aux patients atteints de mucoviscidose et porteurs de mutations (ultra)rars.

Moins d'un an après avoir inclus 502 patients, et malgré la pandémie de COVID-19 qui nous a obligés à fermer (temporairement) nos installations de recherche, nous avons pu terminer la 1ère et la seconde série de tests avec les composés de Proteostasis (PTI) sur les organoïdes. Nous avons constaté une excellente concordance entre ces deux séries de tests, ce qui souligne fortement la fiabilité des résultats.



De plus, nous sommes très heureux d'annoncer qu'un certain nombre d'organoïdes répondent assez bien aux modulateurs CFTR de PTI. Dans les semaines à venir, les réponses seront classées et les centres qui suivent les 26 « meilleurs répondants » seront contactés pour l'essai clinique avec ces composés. Cet essai s'appelle CHOICES. Nous contacterons également les centres qui suivent les 26 personnes dont les organoïdes ont montré une variété de réponses à ces composés. Entre-temps, nous avons également commencé la phase de tests avec les composés Eloxx, qui progresse bien.

En octobre, nous vous avons déjà informé des développements au sein de PTI, l'une des sociétés pharmaceutiques fournissant des composés pour HIT-CF. En décembre 2020, PTI a fusionné avec Yumanity Therapeutics, qui est désormais le propriétaire officiel des composés « muco » en développement. L'équipe HIT-CF a un lien permanent avec Yumanity afin de s'assurer que le projet HIT-CF puisse passer à l'étape suivante aussi facilement que possible. Néanmoins, certains retards sont inévitables et la pandémie de Covid-19 reste un défi. Nous prévoyons de donner le coup d'envoi de CHOICES dans le courant du printemps.

Un objectif important du projet HIT-CF est d'établir une biobanque, pour la médecine de précision, contenant les organoïdes de patients porteurs de mutations rares qui reste à la disposition de la communauté « muco » après la fin de HIT-CF. Au cours des derniers mois, des entretiens ont été menés avec des patients inclus dans HIT-CF afin d'en savoir plus sur leurs opinions et préférences concernant une biobanque permanente. L'équipe de HIT-CF examine actuellement des modèles de gouvernance adéquats pour la biobanque d'organoïdes. Le stockage de votre organoïde dans une biobanque qui restera opérationnelle après la fin de HIT-CF est facultatif et nécessite la signature d'un formulaire de consentement éclairé supplémentaire. Tous les participants à HIT-CF seront contactés personnellement, en temps voulu, afin que des informations plus détaillées sur la biobanque leur soient fournies et pour leur donner la possibilité de donner leur consentement pour le stockage de leur organoïde dans une biobanque.



Pour en savoir plus sur HIT-CF [www.hitcf.org](http://www.hitcf.org) ou vous pouvez envoyer un mail à [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl)

