

Newsletter HIT-CF Europe

Januar 2021



Das Projekt HIT-CF Europe möchte Menschen mit Mukoviszidose (CF) und extrem seltenen genetischen Profilen neue Behandlungsmöglichkeiten bieten. Untersucht wird die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimittelkandidaten der Hersteller Eloxx Pharmaceuticals und Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) bei Patient*innen, die durch Voruntersuchungen im Labor an ihren Minidärmen – auch Organoiden genannt – ausgewählt wurden.



Das gesamte HIT-CF-Team möchte Ihnen ein frohes neues Jahr wünschen. 2020 überraschte uns mit noch nie dagewesenen Herausforderungen, denen wir uns nach besten Kräften zu stellen versuchten. Wir hoffen, dass es uns gelungen ist, Sie auf dem Laufenden zu halten und Ihnen zu zeigen, dass wir immer noch hoch motiviert sind, HIT-CF Europe zu einem Erfolg zu machen. Unser größter Wunsch ist, dass das Jahr 2021 allen Menschen mit Mukoviszidose, ihren Familien und Freunden sowie den CF-Teams, die sich um sie kümmern, Liebe, Freude und Glück bringt. Wir hoffen auch, dass die klinischen Studien im laufenden Jahr durchgeführt werden können, um Menschen mit Mukoviszidose und (ultra-)seltene Mutationen, revolutionäre Medikamente zur Verfügung zu stellen.

Weniger als ein Jahr nach Abschluss der Rekrutierung von 502 Menschen deren Mukoviszidose durch seltene Mutationen verursacht wird, und trotz der COVID-19-Pandemie, die uns zur (vorübergehenden) Schließung unserer Forschungseinrichtungen zwang, konnten wir sowohl das primäre als auch das sekundäre Screening mit PTI-Verbindungen an den Organoiden abschließen. Es gab eine hervorragende Übereinstimmung zwischen dem ersten und dem zweiten Screening, was die Zuverlässigkeit der Ergebnisse stark unterstreicht. Ferner erfreut uns sehr, dass eine Reihe von Organoiden von HIT-CF-Teilnehmer*innen gut auf die PTI-CFTR-Modulatoren ansprechen. In den kommenden Wochen werden die Ergebnisse sortiert und die CF-Zentren der 26 Teilnehmer*innen mit dem besten Ansprechen werden kontaktiert, um die klinische Studie mit diesen Substanzen vorzubereiten. Diese Studie wird CHOICES genannt. Wir werden auch die Mukoviszidose-Zentren von 26 Personen ansprechen, deren Organoide eine unterschiedliche Reaktion auf die Medikamente zeigten. Inzwischen haben wir auch die Screening-Phase des Medikaments Eloxx begonnen, die gut voranschreitet.



In unserem Oktober-Newsletter haben wir Sie bereits über die Entwicklungen bei Proteostasis informiert, einem der Pharmaunternehmen, die Wirkstoffe für HIT-CF bereitstellen. Im Dezember 2020 fusionierte PTI mit Yumanity Therapeutics, das nun der formale Eigentümer des CF-Portfolios ist. Das HIT-CF-Team hat eine ständige Verbindung zu Yumanity, um sicherzustellen, dass das HIT-CF-Projekt so reibungslos wie möglich in die nächste Phase übergehen kann. Dennoch ist eine gewisse Verzögerung unvermeidlich und auch die Covid-19-Pandemie bleibt eine Herausforderung. Wir gehen davon aus, dass der Start von CHOICES trotzdem noch in diesem Frühjahr erfolgen wird.

Ein wichtiges Ziel des HIT-CF-Projekts ist es, eine Biobank für die Präzisionsmedizin zu etablieren, die die Organoide von Menschen mit Mukoviszidose aufgrund seltener Mutationen enthält und auch nach dem Ende von HIT-CF der breiten Öffentlichkeit zur Verfügung steht. In den vergangenen Monaten wurden Interviews mit Menschen mit Mukoviszidose durchgeführt, die Darmgewebe gespendet haben, um mehr über ihre Meinungen und Präferenzen bezüglich eines dauerhafteren Biobankings zu erfahren.



Das HIT-CF-Team prüft nun adäquate Verwaltungsmodelle für Organoid-Biobanken. Die Aufbewahrung Ihres Organoids in einer Biobank, die nach dem Ende von HIT-CF in Betrieb bleibt, ist **optional** und erfordert die Unterzeichnung einer zusätzlichen Einverständniserklärung. Für nähere Informationen über das Biobanking werden alle HIT-CF-Teilnehmer*innen zu gegebener Zeit persönlich kontaktiert. Sie haben dann die Möglichkeit, eine zusätzliche Einverständniserklärung zu unterzeichnen.

Um mehr über das HIT-CF-Projekt zu erfahren, besuche www.hitcf.org oder schicke eine E-Mail an HITCF@umcutrecht.nl