

Newsletter HIT-CF Europe

Enero 2021



El proyecto HIT-CF Europe tiene como objetivo proporcionar nuevas opciones de tratamiento a personas con fibrosis quística (FQ) y perfiles genéticos ultrararos. El proyecto evaluará la eficacia y seguridad de los candidatos a fármacos proporcionados por Eloxx Pharmaceuticals y Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) en pacientes seleccionados mediante pruebas preliminares en el laboratorio en sus mini-intestinos, también llamados organoides.



Todo el equipo de HIT-CF le desea un feliz año nuevo. 2020 nos sorprendió con desafíos sin precedentes que intentamos enfrentar con lo mejor de nuestras habilidades. Esperamos haberles mantenido informados y mostrarles que todavía estamos muy motivados para que HIT-CF Europe sea un éxito. Nuestro mayor deseo es que 2021 traiga amor, alegría y felicidad a todas las personas con FQ, a sus familiares y amigos, y a los equipos de FQ que los cuidan. También esperamos que los ensayos clínicos se puedan ejecutar durante el próximo año para llevar medicamentos revolucionarios a las personas con FQ causada por mutaciones (ultra) raras.

Menos de un año después de completar el reclutamiento de 502 personas con FQ causada por mutaciones raras, y a pesar de la pandemia de COVID-19 que nos obligó a cerrar (temporalmente) nuestras instalaciones de investigación, pudimos finalizar tanto la detección primaria como secundaria con compuestos de PTI en los organoides. Hubo una excelente concordancia entre la primera y la segunda selección, lo que subraya fuertemente la fiabilidad de los resultados.



Además, nos complace anunciar que varios organoides de los participantes de HIT-CF responden bastante bien a los moduladores CFTR de PTI. En las próximas semanas, se clasificarán las respuestas y se contactará a los centros de FQ de los 26 encuestados con respuestas más altas para que se preparen para el ensayo clínico con estos compuestos. Esta prueba se llama CHOISES. También nos acercaremos a los centros de FQ de 26 personas cuyos organoides mostraron una variedad de respuestas a los medicamentos. Mientras tanto, también hemos iniciado la fase de cribado del medicamento Eloxx, que avanza bien.



En nuestro boletín de octubre, ya informamos sobre los desarrollos dentro de Proteostasis, una de las compañías farmacéuticas que proporciona compuestos para HIT-CF. En diciembre de 2020, PTI se fusionó con Yumanity Therapeutics, que ahora es el propietario formal de la cartera de FQ. El equipo de HIT-CF tiene una conexión permanente con Yumanity para garantizar que el proyecto HIT-CF pueda pasar a su siguiente fase de la manera más fluida posible. Sin embargo, es inevitable cierto retraso y también la pandemia de Covid-19 sigue siendo un desafío. Os adelantamos que CHOISES se iniciará como muy tarde esta primavera.

Un objetivo importante del proyecto HIT-CF es establecer un biobanco de medicina de precisión que contenga los organoides de personas con FQ causada por mutaciones raras, que permanezca a disposición de la comunidad en general una vez finalizado el HIT-CF. Durante los últimos meses, se han realizado entrevistas con personas con FQ que han donado tejido intestinal para conocer más sobre sus opiniones y preferencias con respecto a los biobancos más permanentes.



Ahora, el equipo de HIT-CF está examinando modelos de gobernanza adecuados para los biobancos de organoides. Es opcional que el almacenamiento de su organoide en un biobanco permanezca operativo después de que finalice el HIT-CF e implica la firma de un formulario de consentimiento informado adicional. Todos los participantes de HIT-CF serán contactados personalmente con información más detallada sobre los biobancos y con la oportunidad de firmar el formulario de consentimiento informado adicional a su debido tiempo.

Para conocer más acerca del Proyecto HIT-CF, visite www.hitcf.org o envíe un e-mail a HITCF@umcutrecht.nl