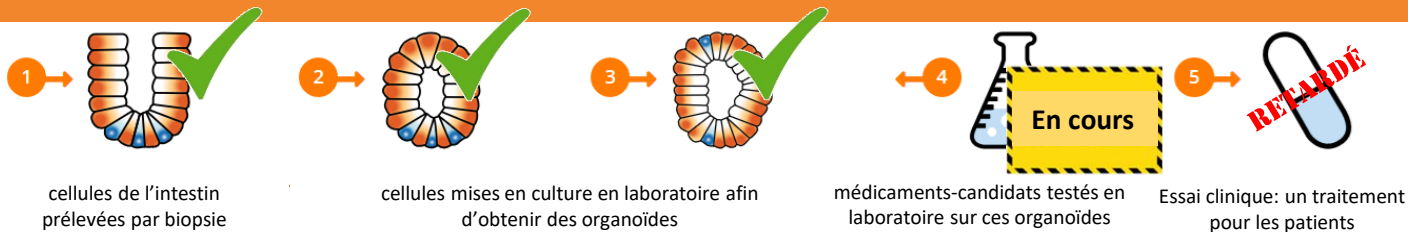


Le projet HIT-CF a pour objectif d'apporter des nouvelles options de traitements pour les personnes atteintes de mucoviscidose avec un profil génétique ultra-rare. L'objectif du projet est d'évaluer l'efficacité et la sécurité de médicaments candidats proposés par Eloxx Pharmaceuticals et Proteostasis Therapeutics Inc. (PTI) chez des patients sélectionnés grâce aux tests réalisés en laboratoire sur leurs organoïdes.



## La phase de tests sur les organoïdes avec les composés Eloxx est terminée!

Nous sommes très heureux d'annoncer que les tests en laboratoire sur les organoïdes avec un composé du laboratoire Eloxx sont finis. Même à ce stade précoce, il est clair que certains patients « muco » avec des mutations stop rares répondent au composé Eloxx, ce qui est une excellente nouvelle. Ces résultats vont être validés par d'autres tests, après quoi 26 patients seront sélectionnés pour participer à un essai clinique, avec le candidat-médicament Eloxx, qui est prévu de débuter d'ici le début de 2022.



## L'essai clinique CHOICES reporté à la fin de cette année

Comme nous l'avons communiqué précédemment, la fusion du laboratoire PTI avec Yumanity Therapeutics entraîne des retards importants dans le lancement de CHOICES, l'essai clinique dans lequel des composés PTI seront administrés à 52 patients « muco ». L'équipe HIT-CF étudie actuellement la meilleure façon d'évaluer l'effet de ces candidats-médicaments PTI chez les patients sélectionnés, mais il est certain que cela ne se fera pas avant la fin de cette année. Nous restons pleinement engagés à mener à bien CHOICES et à faire de HIT-CF un succès pour les patients atteints de mutations rares.

## Obtention de l'avis de qualification de l'EMA du modèle de tests sur organoïde

L'un des principaux objectifs de HIT-CF est de faire accepter le test sur organoïde comme un modèle de mesure valide pour l'utilisation de traitements chez des patients non concernés par l'indication. Ainsi des patients « muco » avec des mutations rares pourraient bénéficier de médicaments en fonction de la réponse aux tests de leur organoïde. Une étape importante sur la voie de cette large acceptation est l'obtention de l'avis de qualification (AQ) de l'Agence européenne des médicaments (EMA) selon lequel le test sur organoïde est un marqueur qui traduit le fonctionnement de CFTR. Le dossier pour l'obtention de cet AQ, qui est un avis scientifique et un "label de qualité" qui confirmera la validité du test sur organoïde pour prédire l'efficacité des traitements, sera bientôt soumis. La réponse de l'EMA est attendu début 2022.

Mini-gut feelings: perspectives of people with cystic fibrosis on the ethics and governance of organoid biobanking

Michael A. Lensink<sup>1</sup>, Sarah N. Boers<sup>2</sup>, Vincent A. M. Gulmans<sup>3</sup>, Karim R. Jongasma<sup>4</sup> & Annelien L. Bredenoord<sup>1</sup>

<sup>1</sup>Julius Clinical Center for Health Sciences & Primary Care, Department of Medical Humanities, University Medical Center Utrecht, Utrecht, the Netherlands; <sup>2</sup>Utrecht University, Department of Health, Behavior & Society, The Netherlands; <sup>3</sup>Utrecht University, Department of Health, Behavior & Society, The Netherlands; <sup>4</sup>Utrecht University, Department of Health, Behavior & Society, The Netherlands

\*Author for correspondence: m.a.lensink@umcutrecht.nl

**Aim:** Organoid technology has enormous potential for precision medicine, such as has recently been demonstrated in the field of cystic fibrosis. However, storage and use of organoids has been associated with ethical challenges and there is currently a lack of harmony in regulation and guidelines to govern the rapid emergence of 'organoid medicine'. Developing sound governance demands incorporation of the perspectives of patients as key stakeholders. **Materials & methods:** We conducted 17 semi-structured interviews with people with cystic fibrosis to explore their perspectives on the ethics and governance of organoid biobanking. **Results:** We identified three themes: prioritization of research and trust, ambivalent views on commercial involvement and transparency and control. **Conclusion:** Our study offers important insights for ethically robust governance of 'organoid medicine'.

**Lay abstract:** Organoids are living tissues that can be grown in a lab out of stem cells, which can replicate some features of actual organs in the body. They can be used to study diseases or develop drugs, but also to test the effectiveness of therapy for a specific patient (which is called precision medicine). Organoid technology is promising for the treatment of cystic fibrosis. At the same time, storing and using organoids raises ethical and practical challenges. In order to ensure that the interests of those who provide the cells are respected, we interviewed people with cystic fibrosis. Their motivation to participate in organoid research was high, but at the same time they wanted to know how their organoids are used. In addition, while they did not feel the need to be directly involved in decisions about how their tissue is used, they valued ongoing communication from biobanks about its activities.

## Publication d'une étude sur les perspectives des patients « muco » en matière de biobanque d'organoïdes

Un autre objectif de HIT-CF est de mettre en place une biobanque permanente contenant les organoïdes générés dans le cadre d'HIT-CF. Pour recueillir les avis des patients « muco » sur 1) la conservation et de l'utilisation de leurs organoïdes à des fins de recherche et de développement de médicaments, 2) leur perception de la propriété et 3) leurs souhaits en matière de retour d'information, Mr Mike Lensink (chargé de l'éthique sur HIT-CF) a réalisé 17 entretiens avec des patients. Ses conclusions seront utilisées pour définir le cadre éthique et la gouvernance de la biobanque HIT-CF. Pour lire l'article (en anglais) cliquez sur l'image à gauche.

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)