

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 a través de pruebas preliminares en el laboratorio en sus mini-intestinos, también llamados organoides.



¡Terminado el cribado primario del compuesto de Eloxx en organoides!

Estamos muy contentos de anunciar que nuestros colaboradores en los laboratorios finalizaron el cribado primario de los organoides con el compuesto de Eloxx. Incluso en esta etapa temprana, está claro que hay personas con FQ causada por mutaciones raras que responden al medicamento Eloxx, lo cual es una gran noticia. Estos resultados ahora se validarán a través de un cribado secundario, después del cual se seleccionarán 26 personas para participar en un ensayo clínico con el medicamento de Eloxx. Prevemos comenzar esta prueba a principios de 2022.



CHOICES retrasado hasta finales de este año

Como comunicamos en boletines anteriores, la fusión de PTI con Yumanity Therapeutics está provocando graves retrasos en el lanzamiento de CHOICES, el ensayo clínico en el que se administrarán compuestos de PTI a 52 personas con FQ en función de la respuesta de sus organoides. El equipo de HIT-CF está estudiando actualmente la mejor manera de hacer llegar los medicamentos PTI a los pacientes seleccionados, pero no será antes de finales de este año. El equipo de HIT-CF sigue plenamente comprometido con llevar a cabo CHOICES y hacer de HIT-CF un éxito para los pacientes con mutaciones raras.

Información lista para obtener la opinión de la EMA sobre el modelo organoide

Uno de los principales objetivos de HIT-CF es que el ensayo organoide sea aceptado como una medida válida para respaldar el uso no autorizado de medicamentos para la FQ aprobados, de modo que las personas con FQ causada por mutaciones raras también puedan beneficiarse de fármacos innovadores basados en la respuesta de su organoide. Un paso importante en el camino hacia esa amplia aceptación es obtener la Opinión de Calificación (QO) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA) de que el ensayo es un biomarcador funcional para la función CFTR. El QO es un consejo científico y una "marca de calidad" que respalda la validez del ensayo de los organoides para predecir la eficacia de los fármacos en la FQ. El equipo de HIT-CF ha trabajado arduamente para preparar el paquete de información conceptual que acompaña a nuestra solicitud y pronto se enviará. Esperamos una decisión de la EMA a principios de 2022.

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

Michaël A. Lensink*, Sarah N. Boers¹, Vincent A. M. Gulmans², Karin R. Jongasma³

& Annelien L. Bredenoord⁴

¹Hub for Health Sciences & Primary Care, Department of Medical Humanities, University Medical Center Utrecht, internal

post 01, 6, 351, P.O. Box 80360, CA Utrecht 3508, The Netherlands

²Utrecht Cystic Fibrosis Foundation (UCFF), Dr. A. Scheideveldweg 3A, Nijmegen 3744, 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.

Publicado el estudio de entrevistas sobre la visión de las personas con FQ acerca de los biobancos de organoides

Como se mencionó en el boletín anterior, otro objetivo de HIT-CF es instalar un biobanco permanente que contenga los organoides que se cultivaron para el proyecto. Para obtener más información sobre cómo se sienten las personas con FQ sobre su tejido almacenado y utilizado para la investigación y el desarrollo de fármacos por diferentes partes, cómo perciben la propiedad y cuáles son sus deseos con respecto a la retroalimentación, nuestro colaborador de ética Mike Lensink realizó 17 entrevistas semiestructuradas con personas con FQ. Sus hallazgos se utilizarán para informar sobre el marco ético y la gobernanza del biobanco HIT-CF. Puede leer el artículo completo haciendo clic en la imagen de la izquierda.

Para obtener más información sobre el proyecto HIT-CF, visite www.hitcf.org o envíe un correo electrónico a HITCF@umcutrecht.nl