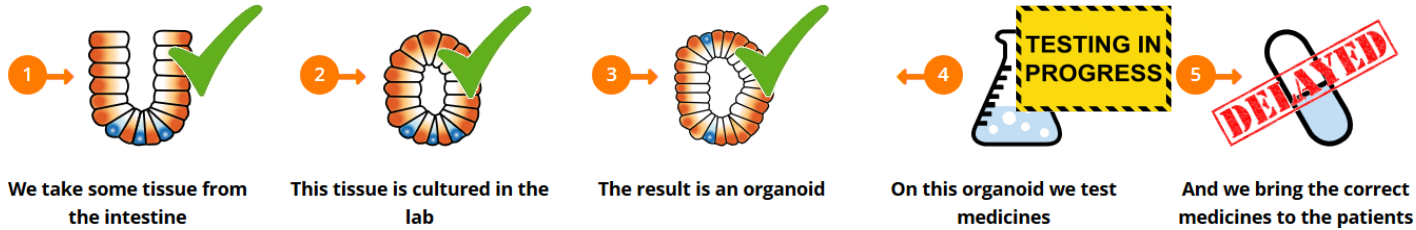


# Nieuwsbrief HIT-CF Europe

April 2021



Het HIT-CF Europe-project heeft tot doel nieuwe behandelingsopties te bieden aan mensen met cystic fibrosis (CF) en ultra zeldzame mutaties. Het project zal de werkzaamheid en veiligheid evalueren van kandidaat-geneesmiddelen die worden geleverd door Eloxx Pharmaceuticals en Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) bij mensen die zijn geselecteerd via tests met minidarmpjes in het laboratorium.



## Eerste screening van Eloxx middelen op minidarmpjes gereed!

We zijn heel blij om aan te kondigen dat onze medewerkers in de laboratoria de eerste screening van de minidarmpjes (organoiden) met de Eloxx-verbinding hebben afgerond. Zelfs in dit vroege stadium is het duidelijk dat er mensen zijn met CF veroorzaakt door zeldzame stopmutaties die reageren op het medicijn Eloxx, wat geweldig nieuws is. Deze resultaten worden nu bevestigd via een tweede screening, waarna 26 mensen worden geselecteerd om deel te nemen aan een klinische studie met het Eloxx-medicijn. We verwachten deze proef begin 2022 te starten.



## CHOICES vertraagd tot eind van dit jaar

Zoals we in eerdere nieuwsbrieven hebben gecommuniceerd, veroorzaakt de fusie van PTI met Yumanity Therapeutics ernstige vertragingen bij de start van CHOICES, de klinische proef waarin PTI-verbindingen zullen worden gegeven aan 52 mensen met CF op basis van hun reactie in de minidarmpjes. Het HIT-CF-team onderzoekt momenteel de beste manier om de PTI-medicijnen bij de geselecteerde patiënten te krijgen, maar het is zeker dat dit niet voor het einde van dit jaar zal zijn. Het HIT-CF-team blijft zich volledig inzetten om CHOICES uit te voeren en van HIT-CF een succes te maken voor patiënten met een zeldzame mutaties.

## Dossier om EMA goedkeuring te krijgen voor testen minidarmpjes bij CF is gereed

Een van de belangrijkste doelen van HIT-CF is dat de minidarmpjes-test wordt geaccepteerd als een geldige meting om off-label gebruik van goedgekeurde CF-medicijnen te ondersteunen, zodat mensen met CF veroorzaakt door zeldzame mutaties ook kunnen profiteren van innovatieve medicijnen op basis van hun reactie in minidarmpjes. Een belangrijke stap op weg naar die brede acceptatie, is het verkrijgen van het European Medicine's Agency (EMA) Qualification Opinion (QO) dat de test een functionele biomarker is voor de CFTR-functie. De QO is een wetenschappelijk advies en 'keurmerk' dat de waarde (validiteit) van de minidarmpjes-test ondersteunt bij het voorspellen van de werkzaamheid van geneesmiddelen bij CF. Het HIT-CF-team heeft hard gewerkt om het dossier bij ons verzoek voor te bereiden en het zal binnenkort worden ingediend. We verwachten begin 2022 een beslissing van de EMA..

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>, Karin R. Jongasma<sup>4</sup> & Annellen L. Bredenoord<sup>5</sup>

<sup>1</sup>Julius Center for Health Sciences & Primary Care, Department of Medical Humanities, University Medical Center Utrecht, Utrecht University, 6511, KJ, PO. Box 80100, CA Utrecht 3508, The Netherlands

<sup>2</sup>Dutch Cystic Fibrosis Foundation (DCFF), Dr. A. Schweitzerweg 3A, MG Baarn 374A, The Netherlands

<sup>3</sup>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, 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.

## Interview studie naar het perspectief van mensen met CF op organoiden biobanken gepubliceerd

Zoals vermeld in de vorige nieuwsbrief, is een ander doel van HIT-CF om een permanente biobank te installeren met daarin de organoiden die voor het project zijn gekweekt. Om meer te weten te komen over hoe mensen met CF denken dat hun weefsel wordt opgeslagen en gebruikt voor onderzoek en geneesmiddelenontwikkeling door verschillende partijen, hoe zij eigendom zien en wat hun wensen zijn met betrekking tot feedback, heeft onze ethische medewerker Mike Lensink 17 semi-gestructureerde interviews met mensen met CF gehouden. Zijn bevindingen zullen worden gebruikt om het ethische kader en het bestuur van de HIT-CF biobank te informeren. U kunt het volledige artikel lezen door op de afbeelding aan de linkerkant te klikken.

Voor meer informatie over het HIT-CF project, bezoek [www.hitcf.org](http://www.hitcf.org) of stuur een email naar [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl)

