

# Bülleten HIT-CF Europe

Aprel 2021



HIT-CF Europe layihəsi, kistik fibroz (CF) və nadir mutasiyadan əziyyət çəkən insanlar üçün daha yaxşı müalicəni təmin etməyi hədəfləyir. Layihə çərçivəsində, Eloxx Pharmaceuticals and Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) tərəfindən laboratoriyada mini bağırsaqlarda (orqanoidlər) laboratoriyalarda ilkin testlər yolu ilə seçilmiş xəstələrdə təqdim olunan dərman namizədlərinin effektivliyini və təhlükəsizliyini qiymətləndirəcəkdir.



## Organoidlər üzərində Eloxx dərmanının əsas skriningi bitdi!!

Laboratoriyadakı əməkdaşlarımızın Eloxx ilə orqanoidlərin ilkin müayinəsini başa çatdırdıqlarını elan etməkdən çox məmnunluq. Bu erkən mərhələdə belə, Eloxx dərmanına nadir mutasiyalardan əziyyət çəkən CF xəstələrinin reaksiya verməsi gözəl göstəricidir. Bu nəticələrin əsasında Eloxx dərmanı ilə klinik bir sınaqda iştirak etmək üçün 26 nəfər seçiləcək. Bu sınaqlara 2022-ci ilin əvvəlinə qədər başlamağı gözləyirik.



## SEÇİMLƏR bu ilin sonuna qədər təxirə salındı

Daha əvvəlki bülletenlərdə xəbər verdikimiz kimi, PTI-nin Yumanity Therapeutics ilə birləşməsi PTI dərmanlarının orqanoid reaksiyasına əsasən CF olan 52 nəfərin iştirak edəcəyi klinik sınaq üçün olan SEÇİMLƏRİN-in başlanğıcında ciddi gecikmələrə səbəb olur. HIT-CF qrupu hazırda PTI dərmanlarını seçilmiş xəstələrə çatdırmaq üçün ən yaxşı yolu axtarır, ancaq bunun bu ilin sonuna qədər olmayacağı dəqiqdir. HIT-CF komandası SEÇMƏLƏRİ həyata keçirmək və HIT-CF-ni nadir mutasiyadan əziyyət çəkən xəstələr üçün uğurlu etməyə həmişə hazırdır.

## Organoid modelinin EMA Kvalifikasiya Rəyini almaq üçün brifinq paketi hazırdır

HIT-CF-nin ən böyük hədəflərindən biri, təsdiqlənmiş CF dərmanlarının təyinatından asılı olmadan istifadəsini dəstəkləmək üçün orqanoid analizinin etibarlı bir üsul olaraq qəbul edilməsidir, beləliklə nadir mutasiyalardan əziyyət çəkən və CF olan insanların orqanoidlərinə əsaslanan yeni dərmanlardan da faydalana bilərlər. Daha Geniş qəbul edilən ən mühüm addım, analiz CFTR funksiyasının funksional bir biomarkeri olduğu barədə Avropa Tibb Agentliyindən (EMA) bir Kvalifikasiya Rəyinin (QO) almasıdır. QO - CF üçün dərman effektivliyini proqnozlaşdırmaqda orqanoid analizini təsdiqləyən elmi tövsiyə və keyfiyyət möhürüdür. HIT-CF komandası, istəklərimizi müşayiət edəcək bir konsepsiya məlumat paketi hazırlamaq üçün çox çalışdı və qısa müddət ərzində təqdim ediləcəyi düşünülür. EMA-nın qərarını 2022-ci ilin əvvəlində gözləyirik.

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>1</sup>, Vincent A.M. Gulmans<sup>2</sup>, Karin R. Jongstra<sup>3</sup> & Annelien L. Bredenoord<sup>4</sup>

<sup>1</sup>Julius Center for Health Sciences & Primary Care, Department of Medical Humanities, University Medical Center Utrecht, Utrecht, 3512 CX, The Netherlands; <sup>2</sup>GA, Utrecht 3508, The Netherlands

<sup>3</sup>Dutch Cystic Fibrosis Foundation (NCFS), Dr. A. Scheelelaanweg 3A, MS, Baarn 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.

**Key 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.

## CF olan insanların orqanoid biobankinglə bağlı perspektivlərinə dair məqalələr dərc olundu

Əvvəlki bülletendə qeyd edildiyi kimi, HIT-CF-nin bir başqa hədəfi də proyekti üçün becərilən orqanoidlərin toplanması üçün daimi bir biobankı yaratmaqdır. CF xəstələri öz toxumalarının başqa yerdə saxlanması və dərman preparatlarının araşdırılması və inkişafı üçün istifadə edilməsini necə qəbul etdiklərini və rəy istəklərin nə olduğunun düşündükləri barədə daha çox məlumat əldə etmək üçün bizim etik həmmüəllif Mike Lensink CF insanlarla 17 yarı -strukturlaşdırılmış müsahibə aparıb. Onun araşdırmaları HIT-CF biobankının etik çərçivəsinin və idarəçiliyinin formalaşdırması üçün istifadə ediləcəkdir.

Məqalənin tam hissəsini sol tərəfdəki şəkilə basaraq oxuya bilərsiniz.

HIT-CF layihəsi haqqında daha çox məlumat üçün [www.hitcf.org](http://www.hitcf.org) saytını ziyarət edin və ya [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl) elektron poçt ünvanına yazın.

