

Newsletter HIT-CF Europe

September 2021



Projektet HIT-CF Europe har som mål att hitta nya behandlingsalternativ för personer med cystisk fibros (CF) och mycket sällsynta mutationer. Projektet kommer att utvärdera effekten och säkerheten hos läkemedelskandidater som tillhandahålls av Eloxx Pharmaceuticals och Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) på patienter som valts ut genom preliminära tester i laboratoriet på deras minitarmar - även kallade organoider.



Hela HIT-CF-teamet hoppas att du har haft ett trevligt sommaruppehåll!

Vi känner oss mer än redo att ta HIT-CF till nästa steg och är sysselsatta med att förbereda starten av de två kliniska prövningarna, CHOICES och Eloxx-studien Strax innan sommaren anordnade HIT-CF-teamet tillsammans med det europeiska nätverket för kliniska prövningar, ett webinar för de sjukhus som var med och inkluderade patienter och där de kliniska prövningarna också kan äga rum. På HIT-CFs websida finns flera klipp med intressant information från det webinarier. Klicka [här](#) för att se Kors van der Ent ge en lägesrapport. ,



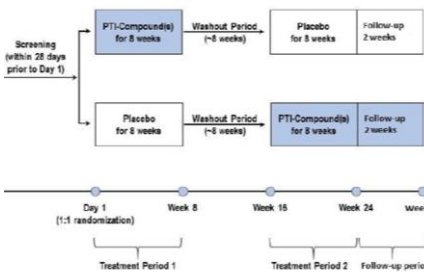
Individuella organoidsvar kommer att delges efter studiernas inkluderingsperiod

HIT-CF-teamet får regelbundet förfrågningar från studiedeltagare eller läkare om att dela enskilda organoidtestresultat, en process som kallas "avblindning". I det [här](#), klippet förklarar Marlou Bierlaagh, HIT-CF-studiekoordinator, när screeningresultat kommer att delas och varför denna tidpunkt är så viktig. För patienter med mindre än två stoppmutationer och en FEV1 under 40% kan Tezacaftor/Ivacaftor-screeningsdata redan begäras av sin behandlande läkare för närvarande. Ett förfrågningsformulär som läkare kan använda för att be om individuella resultat i dessa undantagsfall har skickats ut till alla webbplatser. Alla andra patienter kommer att få screeningsresultat efter inkluderingen av de kliniska prövningarna.

Proteostasis slogs samman med Yumanity, Eloxx förvärvar Zikani

Som nämnts i tidigare nyhetsbrev har läkemedelsindustrins dynamiska värld med sina fusioner och förvärv redan lett till en betydande fördröjning av HIT-CF-projektet. Efter att Yumanity Therapeutics förvärvat Proteostasis inledde HIT-CF-teamet diskussioner med Yumanity för att säkerställa att CHOICES-studien fortsätter.

Om allt går enligt plan kommer utvalda studiedeltagare bli inbjudna av sina läkare att anmäla sig till de kliniska prövningarna i början av nästa år. Till vänster kan du se studieprotokollet för CHOICES.



Samtidigt förvärvade Eloxx Pharmaceuticals [Zikani](#), ett företag som fokuserar på ribosomodulerande substanser för sällsynta sjukdomar orsakade av nonsensmutationer. Du hittar Eloxxs nya logotyp nedan och pressmeddelandet [här](#). Eloxx har tilldelats [finansiering](#) från Cystic Fibrosis Foundation för att vidareutveckla dess ribosomodulerande substanser. Förvärvet av Zikani-portföljen gör Eloxx till en ännu mer stabil HIT-CF-partner.

Etisk biobank enligt deltagarnas preferenser: en lösning för alla organoider

Se det här [klippet](#) för att höra Kors van der Ent förklara principen för etisk biobank. För närvarande är teamet upptagen med att nå ut till de deltagande klinikerna för att hitta en lösning för lagring av organoider från patienter som inte är bekväma med kommersiell användning. I början av nästa år bör det vara klart om det finns en lösning för alla deltagare som vill bevara sina organoider, vare sig det är i HUB (Hubrecht Organoid Technology) eller på nationell/sjukhusnivå.

To learn more about the HIT-CF project, visit www.hitcf.org or send an e-mail to HITCF@umcutrecht.nl

