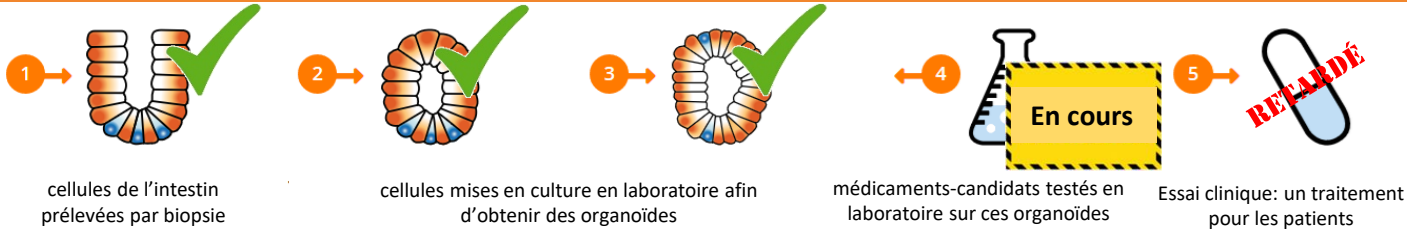


Newsletter HIT-CF Europe

Septembre 2021



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.



Toute l'équipe de HIT-CF espère que vous avez passé un bel été !

Nous nous sentons plus que prêts à faire avancer HIT-CF et nous sommes occupés à préparer le début des deux études cliniques: CHOICES et l'essai Eloxx. Juste avant l'été, l'équipe de HIT-CF, en collaboration avec le [réseau d'études cliniques](#), a organisé un webinar pour les centres qui ont participé à l'inclusion des patients et qui pourraient participer aux 2 futures études. Sur le site web de HIT-CF, vous trouverez plusieurs extraits de ce webinar contenant des informations intéressantes. Cliquez [ici](#) pour voir un extrait avec le Dr Kors van der Ent.

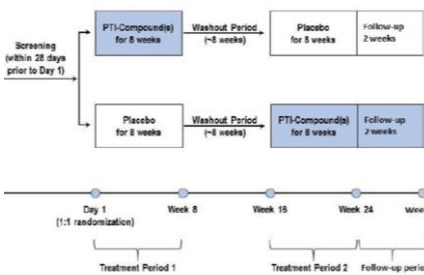


Quand les résultats des tests sur organoïdes pourront-ils être partagés ?

L'équipe HIT CF reçoit régulièrement des demandes de patients ou de médecins souhaitant connaître les résultats des tests réalisés sur les organoïdes. Dans ce [clip](#), Marlou Bierlaagh, coordinatrice de l'étude HIT CF, explique quand les résultats des tests seront partagés et pourquoi ce moment est si important. Pour les patients ayant zéro ou 1 mutation stop et un VEMS < à 40 %, les résultats avec tezacaftor/ivacaftor peuvent être demandés par leur médecin (un formulaire à compléter pour ces cas exceptionnels été envoyé à tous les médecins). En dehors des ces cas particuliers les résultats des tests seront fournis à tous les autres patients après la période d'inclusion des participants dans les 2 études cliniques.

Proteostasis fusionne avec Yumanity, Eloxx acquiert Zikani

Comme mentionné dans les newsletters précédentes, le monde très dynamique de l'industrie pharmaceutique, avec ses fusions et acquisitions, a entraîné un retard important du projet HIT-CF. Après l'acquisition de Proteostasis par Yumanity Therapeutics, l'équipe d'HIT-CF a entamé des discussions avec Yumanity pour assurer la réalisation de l'étude CHOICES.



Cliquez sur l'image pour agrandir

Si tout va bien, les patients sélectionnés seront invités, par l'intermédiaire de leur médecin, à participer aux études cliniques au début de l'année prochaine. À gauche, vous pouvez voir le schéma du protocole de l'étude CHOICES.

Simultanément, Eloxx a acquis [Zikani](#), une société qui se concentre sur des agents modulateurs de ribosomes pour les maladies rares causées par des mutations non-sens. Vous pouvez consulter le dernier communiqué de presse [ici](#). En outre, Eloxx a reçu un [financement](#) de la Fondation américaine pour la mucoviscidose afin de poursuivre le développement des agents modulateurs de ribosomes. L'acquisition du portefeuille de Zikani fait d'Eloxx un partenaire d'HIT-CF encore plus fiable.

Conservation éthique des organoïdes : une solution pour tous les patients.

Regardez ce [clip](#) pour entendre Kors van der Ent expliquer le principe des biobanques éthiques. Actuellement, l'équipe contacte les centres participants à HIT-CF afin de trouver une solution pour stocker les organoïdes des patients lorsque ceux-ci ne souhaitent pas une utilisation commerciale. Au début de l'année prochaine, une solution devrait être trouvée pour tous les patients qui souhaitent stocker leurs organoïdes, soit au HUB, soit au niveau national ou hospitalier.

Pour en savoir plus sur HIT-CF www.hitcf.org ou vous pouvez envoyer un mail à HITCF@umcutrecht.nl

