

# Boletín HIT-CF Europe

Noviembre 2021



El proyecto HIT-CF Europe tiene como objetivo proporcionar nuevas opciones de tratamiento a las personas con fibrosis quística (FQ) y perfiles genéticos ultra raros. El proyecto evaluará la eficacia y seguridad de los candidatos a fármacos proporcionados por las empresas farmacéuticas colaboradoras en pacientes seleccionados mediante pruebas preliminares en el laboratorio en sus mini-intestinos, también llamados organoides.



Tras dos años de reuniones virtuales, el consorcio HIT-CF pudo verse los días 14 y 15 de octubre en Bruselas. Con este boletín queremos informar del estado actual del proyecto. A pesar de los retrasos relacionados con la COVID-19 y la industria, podemos anunciar importantes **pasos adelante**.

## FAIR Therapeutics ha asumido el papel de Proteostasis en el ensayo CHOICES

El año pasado, el ensayo CHOICES estuvo en peligro porque el socio de HIT-CF, Proteostasis, se fusionó con Yumanity, que no se dedica a la FQ.

Estamos muy contentos de que la empresa emergente holandesa **FAIR Therapeutics** haya podido **tener una licencia exclusiva sobre la cartera de medicamentos para la FQ de Yumanity**. FAIR se ha propuesto ofrecer medicamentos para las personas con mutaciones raras de FQ a precios asequibles.



HIT-CF está debatiendo actualmente **con la Comisión Europea para que acepte a FAIR therapeutics como socio del proyecto**. Mientras, FAIR está preparando el envío de las materias primas del fármaco desde EEUU y su proceso en formato pastilla. Una vez completados los controles de calidad, esperamos recibir la aprobación de las autoridades reguladoras para iniciar el ensayo CHOICES **y reclutar a los primeros participantes en la primera mitad de 2022**. FAIR espera añadir nuevas oportunidades para ampliar la cartera de tratamientos para personas con FQ y otras enfermedades pulmonares raras.

## Eloxx mantiene su compromiso de reclutar participantes de HIT-CF en sus ensayos

Además, Eloxx se fusionó con otra empresa (Zikani). La nueva dirección de Eloxx Pharmaceuticals ha decidido acelerar la comercialización de su fármaco ELX-002 mediante un procedimiento denominado "**Fast Track Designation**". Eloxx adaptará su estrategia clínica y reclutará a personas con FQ tanto del estudio HIT-CF como de EEUU. Eloxx tiene que completar primero una serie de estudios en pacientes con alelos G542X, que se retrasaron por la pandemia de COVID-19. Por tanto, los participantes de HIT-CF serán invitados al estudio aproximadamente un año más tarde de lo previsto.

## El consorcio está trabajando en la búsqueda de soluciones para los participantes de HIT-CF que no responden a ninguno de los medicamentos probados hasta ahora

Los organoides de más de la mitad de los participantes de HIT-CF no reaccionan a ninguno de los fármacos probados (moduladores CFTR y fármacos de lectura de codones). El consorcio HIT-CF está trabajando para darles la **ventaja** de participar en la investigación de fármacos que puedan mejorar su función pulmonar y calidad de vida. Se están explorando terapias alternativas, como la terapia antiinflamatoria, el ARNm y la terapia génica. HIT-CF hará los máximos esfuerzos para que los participantes que no respondan sean los primeros beneficiados de estas nuevas terapias. En este contexto, el consorcio se complace en anunciar que, a la espera de una decisión formal de la Comisión Europea, **Santhera será un nuevo socio dentro de HIT-CF**. Santhera está preparando un estudio clínico con [lonodelestat](https://www.lonodelestat.com), que es un potente supresor de las respuestas inflamatorias en los pulmones. Esperamos que en la primera mitad de 2022 se invite a participar en este ensayo a unas 60-80 personas que participan en el HIT CF.

Para saber más sobre el proyecto HIT-CF, visite [www.hitcf.org](http://www.hitcf.org) o envíe un correo electrónico a [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl)



BIGTECHSUBSIDY

