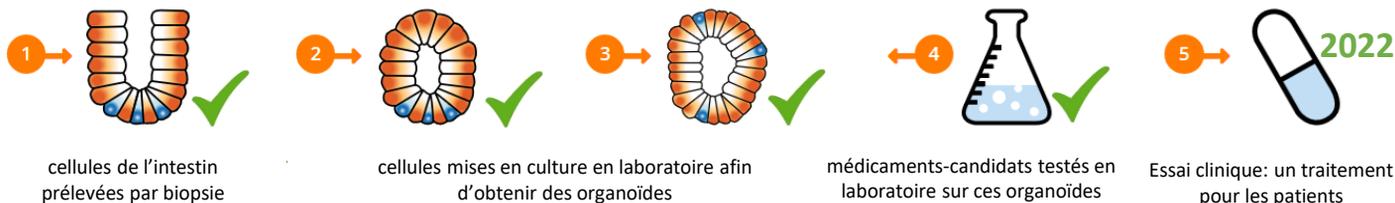


Newsletter HIT-CF Europe

Novembre 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 des laboratoires pharmaceutiques partenaires chez des patients sélectionnés grâce aux tests réalisés en laboratoire sur leurs organoïdes.



cellules de l'intestin prélevées par biopsie

cellules mises en culture en laboratoire afin d'obtenir des organoïdes

médicaments-candidats testés en laboratoire sur ces organoïdes

Essai clinique: un traitement pour les patients

Après deux années de réunions virtuelles, le consortium HIT-CF a pu se réunir physiquement les 14 et 15 octobre à Bruxelles et faire le point sur l'état actuel du projet HIT-CF. Malgré les retards liés à COVID-19 et à l'industrie, **nous pouvons faire état d'avancées importantes.**

FAIR Therapeutics a repris le rôle de Proteostasis dans l'essai CHOICES.

L'an dernier, CHOICES était menacé par la fusion de Proteostasis (impliqué dans HIT-CF) avec Yumanity, qui ne travaille pas sur la « muco ». Nous

sommes très heureux que la jeune entreprise néerlandaise **FAIR ait pu obtenir d'exploiter le portefeuille de médicaments « muco »** de Yumanity. FAIR a comme objectif de fournir aux patients avec des profils rares des traitements à des prix abordables. Le consortium discute actuellement avec **la Commission européenne afin que FAIR puisse intégrer le consortium.** Dans l'intervalle, FAIR prépare l'expédition des matières premières du médicament depuis les États-Unis et les transforme en format pilule. Nous prévoyons qu'une fois les contrôles de qualité nécessaires effectués avec succès, nous recevrons l'approbation des autorités réglementaires afin d'inclure, dans l'essai CHOICES, **les premiers patients au cours du premier semestre 2022.** FAIR est impatient de pouvoir élargir son portefeuille de traitements pour les patients atteints de « muco » et d'autres maladies pulmonaires rares.



Eloxx Pharmaceuticals reste engagé pour inclure des participants de HIT-CF dans leur essai Clinique.

Eloxx a également fusionné avec Zikani. La nouvelle direction d'Eloxx a décidé d'accélérer la commercialisation de son médicament ELX-002 par le biais d'une « **procédure accélérée** ». Eloxx adaptera sa stratégie clinique en conséquence et recrutera des patients « muco » ayant participé à HIT-CF et des patients des États-Unis. Eloxx doit d'abord mener à bien des études sur des patients porteurs de mutation G542X, qui ont été largement retardées par la pandémie de COVID-19. Par conséquent, les participants de HIT-CF seront invités à participer à l'étude environ un an plus tard que prévu.

Le consortium travaille activement à l'élaboration de solutions pour les participants de HIT-CF qui ne sont pas sensibles aux médicaments testés à ce jour.

Les organoïdes de plus de 50% des patients de HIT-CF ne réagissent à aucun des médicaments testés (modulateurs CFTR et molécules ciblant un codon stop). L'équipe HIT-CF œuvre à ce que ces patients puissent participer **en priorité** à la recherche de médicaments susceptibles d'améliorer leur état de santé et leur qualité de vie. Des thérapies alternatives, telles que les anti-inflammatoires, l'ARNm et la thérapie génique, sont en cours d'exploration. Le consortium HIT-CF fera tout son possible pour que les patients « non-répondeurs » puissent bénéficier en premier de nouveaux types de thérapies. Ainsi, sous réserve de la décision formelle de la Commission européenne, **Santhera sera partenaire de HIT-CF.** Santhera prépare une étude clinique avec le [lonodelestal](#) (puissant suppresseur des réponses inflammatoires dans les poumons). Nous prévoyons qu'au cours du 1er semestre 2022, environ 60 à 80 personnes qui participent à HIT-CF seront invitées à participer à cet essai. De plus amples informations suivront.

En savoir plus sur le projet HIT-CF: www.hitcf.org ou pour prendre contact : HITCF@umcutrecht.nl

