

Розсилка новин HIT-CF Europe

Червень 2022



Проект HIT-CF Europe має на меті надати нові варіанти лікування людям з муковісцидозом і ультра-рідкими генетичними хворобами. Проект оцінюватиме ефективність та безпеку кандидатів на ліки, наданих фармацевтичними компаніями, у пацієнтів, відібраних шляхом попередніх лабораторних тестів на їх міні організмах, які називаються органоїдами.



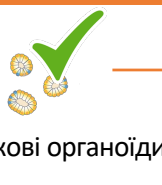
Консорціум HIT-CF бажає всім гарного літа. Але перш ніж відправити вас на канікули, ми хочемо переконатися, що ви отримуєте останні оновлення від проекту. На протязі літа слідкуйте за новинами на сторінках у Фейсбуці CF Europe та на сайті HIT-CF. Ми випустимо нову підборку відео, в яких є кілька людей, які відіграють важливу роль у подальшому курсі HIT-CF та CHOICES, вони самі представляться та будуть відповідати на деякі питання. Слідкуйте за оновленнями!



Ультра рідкісні мутації



Біопсія кишківника



Кишкові органоїди



Тестування препаратів/вибір претендентів



Клінічні випробування

Наскільки ми підготувалися до відбору? Коли почнеться відбір?

Перше включення попередньо відібраних учасників (див. наш інфо-бюлетень зв лютому) очікуються в останньому кварталі 2022р. Зараз команда зайнята процесом заповнення та завершення, тобто сировина для ліків переробляється на таблетки і розфасовується у пляшки. Дуже важливо, щоб це було зроблено обережно, щоб препарат був безпечним для дослідження учасників.

Ще одним важливим кроком, перш ніж розпочнеться відбір, є отримання дозволу від національних компетентних органів на проведення випробування. З 31 січня 2022р. процедура подання заявки на отримання дозволу об'єднана по всій Європі через інформаційну систему клінічних випробувань (**Clinical Trials Information System**) або **CTIS**. Велика перевага цього полягає в тому, що одна процедура призводить до єдиного рішення, застосованого для всіх країн, у яких ви хочете провести дослідження замість того, щоб подавати заявку на клінічне випробування в кожній країні окремо. Це підвищує ефективність і дозволяє розпочати випробування одночасно в різних країнах. Ви можете знайти більше інформації про **CTIS** [here](#). Хоча цей централізований підхід вітається командою HIT-CF він також викликає певні затримки, так це завжди буває, коли впроваджується нова система. Можуть знадобитися додаткові документи або в іншому форматі, тому, будь ласка, потерпіть ще трохи, поки наша команда працює якомога швидше, щоб отримати дозвіл на початок відбору.

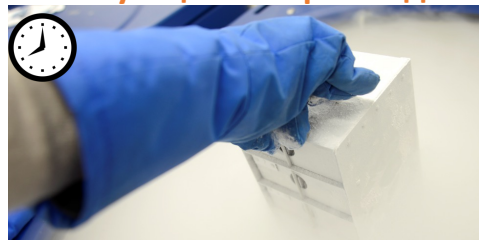
Прогрес в отриманні кваліфікаційного висновку EMA's



Отримання кваліфікаційного висновку EMA є важливим кроком у подальшому розвитку органоїдного аналізу, як придиктора клінічної відповіді. Отримання «штампу схвалення» EMA дозволить використовувати органоїди для персоналізованої медицини, прокладаючи шлях людям з МВ, викликаними рідкісними мутаціями, отримати доступ до інноваційних, можливо, рятівних препаратів. Команда HIT-CF подала заявку на отримання кваліфікаційного висновку у березні цього року. У травні ми вже отримали першу, дуже позитивну реакцію від EMA, і вони запросили додаткові дані, які ми надамо. Подальші обговорення заплановані на вересень.

Біобанкінг з метою збереження унікальної колекції рідкісних мутаційних органоїдів

У першій фазі HIT-CF було отримано не менше 502 органоїдів від людей з МВ з рідкісними мутаціями. Строго кажучи, їх доведеться знищити після завершення проекту HIT-CF. Але оскільки ця колекція має такий потенціал для тестування майбутніх інноваційних методів лікування, команда HIT-CF наполеглива і у співпраці з усіма зацікавленими сторонами працює над збереженням органоїдів. Щоб ваш органної зберігався, вам доведеться підписати нову інформовану згоду. Ваш лікар МВ своєчасно надасть вам всю необхідну інформацію.



Щоб дізнатися більше про проект HIT-CF, завітайте www.hitcf.org або надішліть лист на HITCF@umcutrecht.nl

