

Newsletter HIT-CF Europe

Juni 2022



Das Projekt HIT-CF Europe möchte Menschen mit Mukoviszidose (CF) und extrem seltenen genetischen Profilen neue Behandlungsmöglichkeiten bieten. Im Rahmen des Projekts werden die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimittelkandidaten, die von kooperierenden pharmazeutischen Unternehmen zur Verfügung gestellt werden, bei Patient:innen untersucht, die durch Vorversuche im Labor an ihren Mini-Därmen - auch Organoide genannt - ausgewählt wurden.



Das HIT-CF-Konsortium wünscht allen einen schönen Sommer. Doch bevor wir Sie verabschieden, möchten wir Ihnen die neuesten Informationen über das Projekt geben. Behalten Sie während des Sommers die [Facebookseite](#) von CF Europe und die [HIT-CF Website](#) im Auge. Wir werden ein neues Video veröffentlichen, in dem sich mehrere Personen, die eine wichtige Rolle im weiteren Verlauf von HIT-CF und CHOICES spielen, vorstellen und einige Fragen beantworten. Bleiben Sie dran!



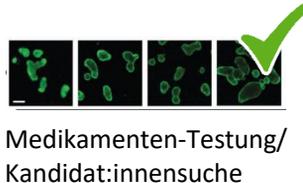
Ultraseltene Mutationen



Rektale Biopsie



Intestinale Organoiden



Medikamenten-Testung/
Kandidat:innensuche



Klinische Studie(n)

Wie weit sind wir mit den Vorbereitungen von CHOICES? Wann startet CHOICES?

Die ersten vorselektierten Teilnehmenden (siehe unseren [Februar-Newsletter](#)) werden voraussichtlich **im letzten Quartal von 2022** in die Studie aufgenommen.

Derzeit ist das Team mit dem "Fill-and-Finish"-Prozess beschäftigt, d. h. die Rohstoffe der Medikamente werden zu Pillen verarbeitet und in Flaschen verpackt. Es ist sehr wichtig, dass dies mit großer Sorgfalt geschieht, um sicherzustellen, dass das Medikament für die Studienteilnehmenden sicher ist.

Ein weiterer wichtiger Schritt, bevor CHOICES endlich anlaufen kann, ist die Genehmigung der zuständigen nationalen Behörde zur Studiendurchführung. Seit dem 31. Januar 2022 ist die Antragsprozedur europäisch harmonisiert über das **Clinical Trials Information System (CTIS)**. Der große Vorteil ist, dass ein einziges Verfahren zu einer Entscheidung führt, die für alle Länder gilt, in denen Sie die Prüfung durchführen wollen, anstatt in jedem Land einen separaten Antrag für eine klinische Prüfung stellen zu müssen. Dies erhöht die Effizienz und ermöglicht den gleichzeitigen Start einer Studie in verschiedenen Ländern. Weitere Informationen über CTIS finden Sie [hier](#). Obwohl dieser zentralisierte Ansatz vom HIT-CF-Team begrüßt wird, führt er auch zu einigen Verzögerungen, wie es immer der Fall ist, wenn ein neues System eingeführt wird. Es kann sein, dass zusätzliche Dokumente oder ein anderes Format benötigt werden. Bitte haben Sie also noch etwas Geduld mit uns, während unser Team so schnell wie möglich daran arbeitet, die Genehmigung für den Start von CHOICES zu erhalten.

Fortschritt bei der Einholung der Stellungnahme der EMA zur Qualifikation



Der Erhalt der EMA-Qualifizierungsstellungnahme („QO“) ist ein wichtiger Schritt in der weiteren Entwicklung des Organoid-Tests als Prädiktor für das klinische Ansprechen. Die Erteilung des "Gütesiegels" der EMA würde es ermöglichen, Organoide zielführend für die personalisierte Medizin zu verwenden und Menschen mit Mukoviszidose, die durch seltene Mutationen verursacht wird, den Zugang zu innovativen, möglicherweise lebensrettenden Medikamenten zu ermöglichen. Das HIT-CF-Team hat den Antrag auf Erteilung des QO im März dieses Jahres eingereicht. Im Mai erhielten wir bereits eine erste, sehr positive Reaktion der EMA, die zusätzliche Daten anforderte, die wir derzeit bereitstellen. Folgegespräche sind für September geplant.

Biobanking für eine einzigartige Organoiden-Sammlung mit seltenen Mutationen

In Phase 1 von HIT-CF wurden 502 (!) Organoide von Menschen mit Mukoviszidose mit seltenen Mutationen gewonnen. Streng genommen müssten diese nach dem Ende des HIT-CF-Projekts vernichtet werden. Da diese Sammlung jedoch ein so großes Potenzial für die Erprobung künftiger innovativer Therapien hat, bemüht sich das HIT-CF-Team in Zusammenarbeit mit allen Beteiligten intensiv um den Erhalt der Organoide. Damit Ihr Organoid erhalten werden kann, müssen Sie eine neue Einverständniserklärung unterschreiben. Ihr Mukoviszidose-Team wird Ihnen zu gegebener Zeit alle notwendigen Informationen geben.



Um mehr über das HIT-CF-Projekt zu erfahren, besuche www.hitcf.org oder schicke eine E-Mail an HITCF@umcutrecht.nl

