Boletín HIT-CF Europe

Junio 2022

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.

El consorcio HIT-CF les desea a todos un buen verano. Pero antes de despedirnos, queremos asegurarnos de que reciben las últimas actualizaciones del proyecto. Durante el verano, no pierdan de vista el Facebook de CF Europe y la página web de HIT-CF. Publicaremos un nuevo vídeo recopilatorio, en el que varias personas que desempeñan un papel importante en el desarrollo de HIT-CF y CHOICES, se presentarán y responderán algunas preguntas. Estén atentos.

¿En qué punto se encuentran los preparativos de CHOICES? ¿Cuándo comenzará?

Las primeras inclusiones de participantes preseleccionados (véase nuestro boletín de febrero) se esperan para el último trimestre de 2022. Actualmente, el equipo está ocupado con el proceso de "llenado y acabado", lo que significa que las materias primas de los medicamentos se procesan en píldoras y se envasan en frascos. Es muy importante que esto se haga de forma cuidadosa, para garantizar que el medicamento sea seguro para los participantes del estudio. Otro paso importante antes de que CHOICES pueda arrancar definitivamente es la obtención del permiso de las autoridades nacionales competentes para realizar el ensayo. Desde el 31 de enero de 2022, el procedimiento de solicitud de permiso está armonizado en toda Europa a través del Sistema de Información de Ensayos Clínicos o CTIS. La gran ventaja de esto es que un solo procedimiento conduce a una decisión aplicable para todos los países en los que se desea realizar el ensayo, en lugar de tener que presentar una solicitud de ensayo clínico en cada país por separado. Esto aumenta la eficiencia y permite que un ensayo comience al mismo tiempo en diferentes países. Pueden encontrar más información sobre el CTIS aquí. Aunque el equipo de HIT-CF acoge con satisfacción este enfoque centralizado, también provoca algunos retrasos, como siempre ocurre cuando se implanta un nuevo sistema. Es posible que se necesiten documentos adicionales, o en un formato diferente, así que les rogamos que tengan un poco de paciencia mientras nuestro equipo trabaja tan rápido como puede para obtener el permiso para poner en marcha CHOICES.

Avances en la obtención del Dictamen de Cualificación de la EMA

La obtención del dictamen de cualificación (QO) de la EMA es un paso importante en el desarrollo del ensayo de organoides como predictor de la respuesta clínica. Obtener el "sello de aprobación" de la EMA permitiría utilizar los organoides para orientar la medicina personalizada, allanando el camino para que las personas con FQ, causada por mutaciones raras, tengan acceso a fármacos innovadores que posiblemente les salven la vida. El equipo de HIT-CF presentó la solicitud para obtener la QO en marzo de este año. En mayo ya recibimos una primera reacción muy positiva de la EMA, que solicitó datos adicionales que proporcionaremos. Las conversaciones de seguimiento están previstas para septiembre.

Biobanco para preservar la colección única de organoides de mutaciones raras

En la primera fase del HIT-CF se obtuvieron nada menos que 502 organoides de personas con FQ con mutaciones raras. En sentido estricto, éstos tendrían que ser destruidos una vez finalizado el proyecto HIT-CF. Pero, como esta colección tiene tanto potencial para probar futuras terapias innovadoras, el equipo de HIT-CF está trabajando duro y en colaboración con todas las partes interesadas para preservar los organoides. Para que su organoide se conserve, tendrá que firmar un nuevo consentimiento informado. Su médico especialista en FQ le dará toda la información necesaria a su debido tiempo.

Para saber más acerca del Proyecto HIT-CF, visite www.hitcf.org o envíe un e-mail a HITCF@umcutrecht.nl

This project has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 755021