

Boletim Informativo HIT-CF Europe

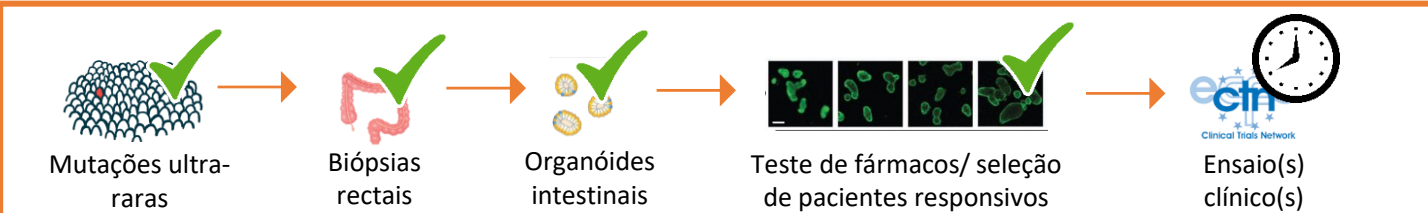
Junho 2022



O projeto HIT-CF Europe tem por objetivo providenciar novas opções terapêuticas a pessoas com Fibrose Quística (FQ) e perfis genéticos ultra-raros. Através da colaboração com empresas farmacêuticas, o projeto irá avaliar a eficácia e segurança de medicamentos candidatos em pacientes selecionados através de testes preliminares laboratoriais com recurso aos seus mini-intestinos – também denominados de organóides.



O consórcio HIT-CF deseja a todos um excelente verão. Mas, antes de partir de férias, queremos garantir que recebe as últimas novidades do projeto. Durante o verão, consulte o [Facebook](#) da CF Europe e o [HIT-CF website](#). Será lançada uma nova compilação de vídeos, nos quais diversas pessoas importantes para o decurso do HIT-CF e do CHOICES se irão apresentar e responder a perguntas. Mantenha-se atento!



Qual o ponto de situação na preparação do CHOICES? Quando começará?

A primeira inclusão dos participantes pré-selecionados (veja o [boletim informativo de Fevereiro](#)) é esperada nos **últimos quatro meses de 2022**.

De momento, a equipa está ocupada com as últimas preparações: as matérias primas dos fármacos estão a ser processadas em comprimidos e armazenadas em embalagens. É muito importante que este passo seja feito de forma cuidadosa, de forma a garantir que o fármaco administrado aos participantes é seguro.

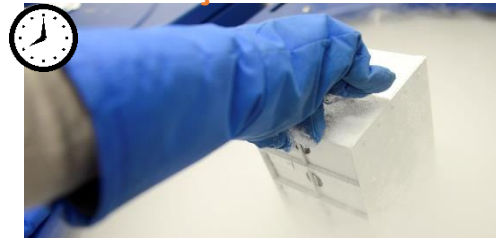
Outro passo essencial antes do lançamento final do CHOICES, é a obtenção de permissão para a realização do ensaio clínico por parte das autoridades nacionais competentes. O processo de pedido de autorização é semelhante em toda a Europa e ocorre através do Sistema de Informação de Ensaio Clínicos (**Clinical Trials Information System** ou **CTIS**). A principal vantagem desta harmonização é que cada processo leva a uma única decisão, que é aplicável em todos os países em que se pretende desenvolver o ensaio clínico. Tal facto, aumenta a eficiência e permite que o ensaio clínico se inicie ao mesmo tempo nos diferentes países. Pode obter mais informações acerca do CTIS [aqui](#). Apesar deste processo centralizado ser bem-vindo pela equipa do HIT-CF, também provoca alguns atrasos, o que costuma acontecer quando novos sistemas são implementados. Documentos adicionais poderão ser solicitados pelo que, por favor, continue connosco enquanto a equipa trabalha o mais rápido possível para a obtenção de aprovação para o início do CHOICES.

Progresso na obtenção da opinião de qualificação da EMA

Obter a opinião de qualificação por parte da EMA (*Qualification Opinion* - QO) é um passo fulcral no futuro desenvolvimento dos organóides enquanto preditores de resposta clínica. Obter o selo de aprovação da EMA irá permitir a utilização dos organóides numa perspetiva de medicina personalizada, desbravando o caminho para que pessoas com FQ e mutações ultra-raras tenham acesso a medicamentos inovadores. A equipa HIT-CF submeteu o pedido de QO em Março deste ano. Em Maio, recebemos a primeira e bastante positiva resposta da EMA, onde nos foram solicitados dados adicionais, que iremos providenciar. As próximas reuniões estão planeadas para Setembro.

Biobancos para preservar a coleção única de organóides com mutações raras

Na primeira fase do HIT-CF, um mínimo de 502 organóides de pessoas com FQ e mutações raras foram obtidos. De forma rigorosa, estes organóides teriam de ser destruídos após a conclusão do projeto HIT-CF. Mas, como esta coleção de organóides tem tanto potencial para testes de terapias inovadoras futuras, a equipa HIT-CF está a trabalhar arduamente e em colaboração com outras entidades parceiras por forma a preservar os organóides. Se pretender que o seu organóide seja preservado, terá de assinar um consentimento informado. Ser-lhe-á fornecida informação pelo seu médico em momento oportuno.



Para saber mais sobre o projeto HIT-CF, visite www.hitcf.org ou envie e-mail para HITCF@umcutrecht.nl