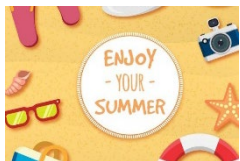


Nieuwsbrief HIT-CF Europe



Juni 2022

Het HIT-CF Europe project heeft als doel nieuwe behandelopties te bieden aan mensen met cystic fibrosis (CF) en ultrazeldzame mutaties. Het project evalueert de werkzaamheid en veiligheid van kandidaat-geneesmiddelen van samenwerkende farmaceutische bedrijven bij patiënten die zijn geselecteerd door middel van voorlopige tests in het laboratorium op hun minidarmpjes – ook wel organoïden genoemd.



Het HIT-CF consortium wenst iedereen een heel fijne zomer. Maar voordat we je laten gaan, willen we er zeker van zijn dat je de laatste updates van het project ontvangt. Houd tijdens de zomer de Facebook van CF Europe en de HIT-CF website in de gaten. We zullen een nieuwe compilatievideo plaatsen waarin verschillende mensen, die een grote rol spelen in het verdere verloop van HIT-CF en CHOICES, zich zullen voorstellen en enkele vragen zullen beantwoorden. Blijf verbonden!



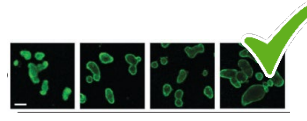
Ultrazeldzame mutaties



Rectaal biopt



Minidarmpjes



Testen medicijnen / responders selecteren



Klinische studie(s)



Hoe ver zijn we met de voorbereidingen van CHOICES? Wanneer gaat CHOICES van start?

De eerste inclusies van voorgeselecteerde deelnemers (zie onze [nieuwsbrief van februari](#)) worden verwacht in **het laatste kwartaal van 2022**. Momenteel is het team bezig met het "fill and finish" proces, wat inhoudt dat de grondstoffen van de medicijnen worden verwerkt tot pillen en verpakt in flesjes. Het is erg belangrijk dat dit zorgvuldig gebeurt, zodat de medicijnen veilig zijn voor gebruik door de deelnemers aan het onderzoek.

Een andere belangrijke stap voordat CHOICES van start kan gaan, is het verkrijgen van toestemming van de nationale bevoegde autoriteiten om de proef uit te voeren. Per 31 januari 2022 is de procedure voor het aanvragen van toestemming in heel Europa geharmoniseerd via het Clinical Trials Information System ([CTIS](#)). Het grote voordeel hiervan is dat één procedure leidt tot één besluit. Dat besluit geldt voor alle landen waar we de studie willen uitvoeren, in plaats van dat we in elk land afzonderlijk een aanvraag moeten indienen. Dit verhoogt de efficiëntie en maakt het mogelijk om in verschillende landen tegelijkertijd de studie te starten. Hoewel deze gecentraliseerde aanpak door het HIT-CF-team wordt toegejuicht, veroorzaakt het ook enige vertraging, zoals altijd het geval is bij de implementatie van een nieuw systeem. Er kunnen aanvullende documenten nodig zijn, of in een ander formaat, dus er is nog even geduld nodig terwijl ons team zo snel mogelijk werkt om toestemming te krijgen om CHOICES te starten.

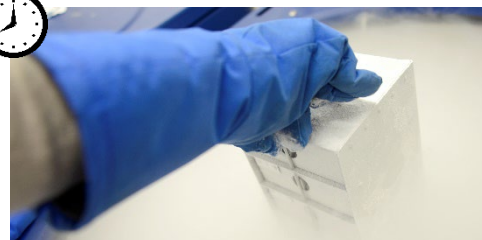
Voortgang in het verkrijgen van het kwalificatieadvies van het EMA



Het verkrijgen van het kwalificatieadvies (QO) van EMA is een belangrijke vervolgstap van de organoïdentest als voorspeller van klinische reactie. Met het "keurmerk" van EMA kunnen organoïden worden gebruikt als leidraad voor gepersonaliseerde behandeling. Het helpt mensen met CF en zeldzame mutaties om toegang te krijgen tot innovatieve, mogelijk levensreddende medicijnen. Het HIT-CF-team diende de aanvraag voor de QO in maart 2022 in. In mei ontvingen we een eerste, zeer positieve reactie van EMA. Vervolggesprekken staan gepland voor september.

Biobanking om de unieke verzameling minidarmpjes met zeldzame mutaties te behouden

We hebben inmiddels maar liefst 502 organoïden verzameld van mensen met CF met zeldzame mutaties. Deze moeten na afloop van het project vernietigd worden. Maar omdat deze verzameling de potentie heeft om toekomstige innovatieve therapieën te testen, werkt het HIT-CF-team hard en in samenwerking met alle belanghebbenden om de organoïden te behouden. Alleen met uw toestemming kunnen we uw organoïden bewaren, via een nieuw *informed consent*. Uw CF-arts zal u tegen die tijd alle benodigde informatie geven.



Ga voor meer informatie over het HIT-CF project naar www.hitcf.org of stuur een e-mail naar HITCF@umcutrecht.nl.

