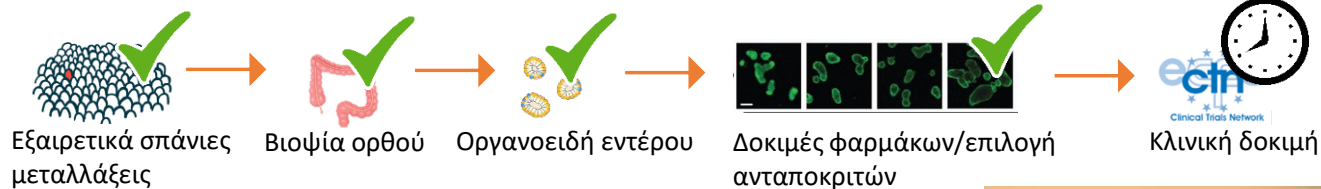


Πρόγραμμα HIT-CF Europe

Αύγουστος 2023



Το πρόγραμμα HIT-CF Europe στοχεύει στην παροχή νέων θεραπευτικών επιλογών σε άτομα με κυστική ίνωση (ΚΙ) και εξαιρετικά σπάνια γενετικά προφίλ. Το έργο θα αξιολογήσει την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια των υποψήφιων φαρμάκων που παρέχονται από συνεργαζόμενες φαρμακευτικές εταιρείες σε ασθενείς που έχουν επιλεγεί μέσω προκαταρκτικών δοκιμών στο εργαστήριο στα μίνι έντερα τους - που ονομάζονται οργανοειδή.



Χωρίς νέα εδώ και καιρό

Έχει περάσει πολύς καιρός από το τελευταίο ενημερωτικό δελτίο του προγράμματος HIT-CF. Δεν μπορέσαμε να σας ενημερώσουμε νωρίτερα, καθώς υπήρχαν κάποια ζητήματα. Πολλά συνέβησαν όμως στο παρασκήνιο και κάποια κρίσιμα ζητήματα έχουν ξεκαθαρίσει τώρα και θέλουμε να μοιραστούμε τις νέες προοπτικές με όλους εσάς.



Πολλές καθυστερήσεις

Στο προηγούμενο ενημερωτικό μας δελτίο, σας ενημερώσαμε για τις πολλές καθυστερήσεις που αντιμετώπισε το έργο. Λόγω της πανδημίας του Covid-19, πολλές εργασίες καθυστέρησαν προσωρινά ή σταμάτησαν. Ορισμένοι από τους συνεργαζόμενους φαρμακευτικούς εταίρους του προγράμματος αναγκάστηκαν να αναστείλουν την ανάπτυξη φαρμάκων ή ακόμη και να σταματήσουν εντελώς λόγω έλλειψης επενδύσεων. Οι πολλά υποσχόμενες ενώσεις τροποποίησης της ελαττωματικής CFTR πρωτεΐνης που αναπτύχθηκαν από την Proteostasis Therapeutics κινδύνευαν να χαθούν και χρειάστηκε να δημιουργηθεί μια νέα εταιρεία (Fair Therapeutics) για να τις εξασφαλίσει. Αυτή η νέα εταιρεία έπρεπε επίσης να προσελκύσει κατάλληλες επενδύσεις. Επιπλέον, τον Νοέμβριο του περασμένου έτους, η προγραμματισμένη δοκιμή CHOICES απορρίφθηκε από το CTIS (Σύστημα Πληροφοριών Κλινικών Δοκιμών - μια διαδικασία που είναι υποχρεωτική για τη λήψη άδειας διεξαγωγής μιας δοκιμής στην Ευρωπαϊκή Ένωση), επειδή η απαραίτητη τεκμηρίωση για τις χημικές ενώσεις δεν ήταν ακόμη έτοιμη.

Καλύτερες μέρες μπροστά μας



Αλλά ευτυχώς, οι εταίροι του έργου HIT-CF συνέχισαν να αναζητούν λύσεις προς όλες τις πιθανές κατευθύνσεις. Το CF Europe, το ECFS, τα συμμετέχοντα κέντρα ΚΙ από όλη την Ευρώπη και πολλοί από εσάς δεν έχασαν ποτέ την πίστη τους. Πράγματι, είμαστε πολύ χαρούμενοι που μπορούμε να πούμε ότι αρκετοί γενναίοι επενδυτές ήταν πρόθυμοι να στηρίξουν την Fair Therapeutics, εξασφαλίζοντας πλέον ότι η δοκιμή CHOICES μπορεί να διεξαχθεί με επιτυχία. Επί του παρόντος, εξακολουθούμε να διαπραγματευόμαστε με την Ευρωπαϊκή Επιτροπή, τον αρχικό χρηματοδότη του προγράμματος HIT-CF. Στην πραγματικότητα, το HIT-CF υποτίθεται ότι θα έληγε επίσημα τον Δεκέμβριο.

Το HIT-CF αποτελεί ένα πραγματικά ιστορικό επίτευγμα, καθώς δημιουργεί νέους δρόμους ανάπτυξης φαρμάκων για ασθενείς με εξαιρετικά σπάνιες ασθένειες. Η στενή συνεργασία της κοινότητας των ασθενών, των φροντιστών, της ακαδημαϊκής κοινότητας και των ρυθμιστικών αρχών για την ανάπτυξη φαρμάκων με οικονομικά προσιτό τρόπο είναι πρωτοφανής. Ελπίζουμε ότι η Επιτροπή θα χορηγήσει σύντομα παράταση, έως τον Δεκέμβριο του 2024. Η ομάδα του HIT-CF προετοιμάζει τώρα τα πάντα για την εκ νέου υποβολή του CHOICES στο CTIS και, αν όλα πάνε καλά, το CHOICES θα πρέπει να ξεκινήσει στις αρχές του 2024. Αυτό σημαίνει ότι στις αρχές του επόμενου έτους, οι πρώτοι από τους 52 επιλεγμένους συμμετέχοντες του HIT-CF (με βάση την οργανική ανταπόκριση) θα λάβουν θεραπεία με τα νέα φάρμακα. Τα άτομα που έχουν επιλεγεί έχουν ήδη ενημερωθεί σχετικά. Διαπραγματευόμαστε με άλλους εταίρους για τη δημιουργία δοκιμών για όσους δεν μπορούν να συμμετάσχουν στο CHOICES. Ελπίζουμε να σας ενημερώσουμε σχετικά στο επόμενο ενημερωτικό δελτίο.

Για να μάθετε περισσότερα σχετικά με το HIT-CF, επισκεφθείτε το www.hitcf.org ή στείλτε e-mail στο HITCF@umcutrecht.nl

Πρόγραμμα HIT-CF Europe

Αύγουστος 2023



Το πρόγραμμα HIT-CF Europe στοχεύει στην παροχή νέων θεραπευτικών επιλογών σε άτομα με κυστική ίνωση (ΚΙ) και εξαιρετικά σπάνια γενετικά προφίλ. Το έργο θα αξιολογήσει την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια των υποψήφιων φαρμάκων που παρέχονται από συνεργαζόμενες φαρμακευτικές εταιρείες σε ασθενείς που έχουν επιλεγεί μέσω προκαταρκτικών δοκιμών στο εργαστήριο στα μίνι έντερά τους - που ονομάζονται οργανοειδή.

Τα προσωπικά σας αποτελέσματα

Αντιλαμβανόμαστε ότι ενδιαφέρεστε πολύ να μάθετε πώς τα οργανοειδή σας έχουν ανταποκριθεί στα δοκιμασμένα φάρμακα, ιδίως στον τροποποιητή της Vertex, Tezacaftor/Ivacaftor (Symkevi), και έχουμε λάβει πολλές ερωτήσεις σχετικά με αυτό. Αυτή τη στιγμή που διαβάσετε αυτό το ενημερωτικό δελτίο, **όσοι συμμετέχοντες στο HIT-CF δεν προσκλήθηκαν για το CHOICES θα πρέπει να έχουν λάβει επιστολή μέσω του θεράποντος γιατρού τους που θα περιέχει το ατομικό τους αποτέλεσμα για το Symkevi.** Εάν δεν έχετε λάβει ακόμη αυτή την έκθεση, παρακαλείστε να ρωτήσετε τον γιατρό σας σχετικά. Για να μην θέσουμε σε κίνδυνο τη συνέχιση της μελέτης, δεν μπορούμε να σας δώσουμε ακριβείς αριθμούς ακόμη, αλλά **η αντίδραση διόγκωσης οργανοειδούς σας θα συγκριθεί με την αντίδραση διόγκωσης οργανοειδούς ενός ασθενή με μεταλλάξεις F508del/F508del,** για να σας δώσουμε μια γενική ιδέα. Η επιστολή θα έχει την εξής μορφή:

Μετά από τη χορήγηση tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) τα οργανοειδή του HIT-CF ID παρουσιάζουν υψηλότερη/χαμηλότερη απόκριση διόγκωσης από την συνακόλουθη απόκριση διόγκωσης σε ένα υποκείμενο ελέγχου F508del/F508del.

Ερμηνεία αποτελεσμάτων

Υψηλότερα από το υποκείμενο ελέγχου: Τα οργανοειδή παρουσίασαν υψηλότερη ανταπόκριση στο tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) από το μέσο όρο των οργανοειδών F508del/F508del. Με βάση τα αποτελέσματα αυτής της εξέτασης είναι πιθανό ότι το άτομο αυτό θα ωφεληθεί κλινικά από τις τρέχουσες συνδυαστικές θεραπείες διαμορφωτών CFTR (tezacaftor/ivacaftor - Symkevi- ή elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor -Kaftrio-) συγκρίσιμες ή καλύτερες από την κλινική ανταπόκριση στο tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) σε άτομα με F508del/F508del.

Χαμηλότερα από το υποκείμενο ελέγχου: Τα οργανοειδή παρουσίασαν χαμηλότερη ανταπόκριση στο tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) από τον μέσο όρο των οργανοειδών F508del/F508del. Παρ' όλο που αναμένεται ότι το άτομο αυτό δεν θα ωφεληθεί κλινικά από τη θεραπεία με tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) σε βαθμό συγκρίσιμο με τον μέσο όρο των ατόμων με F508del/F508del, αυτό δεν αποκλείει την κλινική αποτελεσματικότητα της εν λόγω θεραπείας. Η ατομική ανταπόκριση σε άτομα με F508del/F508del μπορεί να διαφέρει σημαντικά και η μη ανταπόκριση στο tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) δεν αποκλείει την ανταπόκριση στο elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio). Έτσι, το αποτέλεσμα αυτής της εξέτασης δεν θα πρέπει να αποκλείει τους ασθενείς από την πειραματική θεραπεία με διαμορφωτές του CFTR στο μέλλον.

Ο θεράπων ιατρός σας θα σας καθοδηγήσει σχετικά με τα αποτελέσματα. Μη διστάσετε να του/της ζητήσετε περισσότερες πληροφορίες εάν κάτι δεν είναι σαφές.

Σημαντικό: Υπάρχουν 3 ομάδες συμμετεχόντων στο HIT-CF που δεν θα λάβουν (ακόμη) αυτά τα προσωπικά αποτελέσματα:

1. Αυτοί που θα συμμετάσχουν στο CHOICES: Για να διασφαλιστεί η πλήρης αντικειμενικότητα της μελέτης, είναι σημαντικό ούτε εσείς ούτε οι ερευνητές να γνωρίζετε πώς ανταποκρίθηκαν τα οργανοειδή σας στα υπό δοκιμή φάρμακα. Αυτό ονομάζεται «τυφλοποίηση» της κλινικής δοκιμής. Στο τέλος της CHOICES, θα λάβετε τα προσωπικά σας αποτελέσματα.
2. Για μια πολύ μικρή μειοψηφία των συμμετεχόντων στο HIT-CF, τα οργανοειδή τους δεν μπόρεσαν να αναπτυχθούν καλά στο εργαστήριο, οπότε δεν μπορέσαμε να πραγματοποιήσουμε δοκιμές φαρμάκων σε αυτά. Αυτό δυστυχώς συμβαίνει συχνά. Ο θεράπων ιατρός σας θα σας ενημερώσει εάν συμβαίνει αυτό.
3. Άτομα που έχουν μόνο stop ("X") μεταλλάξεις: Το Symkevi δεν δοκιμάστηκε στα οργανοειδή τους, καθώς δεν αναμενόταν καμία επίδραση. Θα επανέλθουμε το συντομότερο δυνατό με περισσότερες πληροφορίες σχετικά με το τι μπορούν ακόμα να περιμένουν αυτά τα άτομα από το HIT-CF.

Για να μάθετε περισσότερα σχετικά με το HIT-CF, επισκεφθείτε το www.hitcf.org ή στείλτε e-mail στο HITCF@umcutrecht.nl