

Newsletter HIT-CF Europe

Februar 2024



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 Organoiden genannt - ausgewählt wurden.

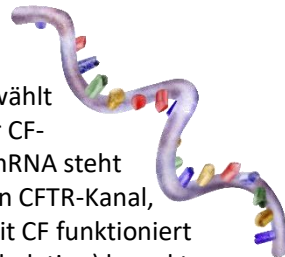


CHOICES-Studie wartet auf finale Genehmigung

CHOICES ist die klinische Studie, in der 52 HIT-CF-Teilnehmende mit einer neuen Modulatorkombination behandelt werden. Diese Personen wurden auf der Grundlage ihrer Organoidreaktion ausgewählt. Wie bereits erläutert, muss jede klinische Studie, die in der Europäischen Union durchgeführt wird, in einem zentralisierten Verfahren geprüft werden. Dieses Verfahren ist derzeit im Gange. Wir rechnen damit, bis Ende April die Genehmigung ("grünes Licht") zu erhalten. Unterdessen ist CHOICES im Vereinigten Königreich bereits zugelassen. Das lässt uns auf eine reibungslose Zulassung auch in der EU hoffen. Derzeit werden die Verträge mit allen klinischen Prüfzentren (den Krankenhäusern, in denen CHOICES durchgeführt wird) vorbereitet. Im März werden präärztliche Treffen organisiert, damit beteiligte Ärzt:innen und Krankenpflegende genau wissen, was sie bei der Durchführung von CHOICES erwartet.

Neue Therapieoptionen für abgelehnte CHOICES!-Bewerbende!

Erfreut bestätigen wir, dass sich für HIT-CF-Teilnehmende, die nicht für die CHOICES-Studie ausgewählt wurden, neue Therapiechancen ergeben haben. ReCode Therapeutics hat eine mRNA-Therapie für CF-Patient:innen mit seltenen Mutationen, einschließlich Nonsense-/Stopp-Mutationen, entwickelt. mRNA steht für Boten-Ribonukleinsäure und enthält Anweisungen an unsere Zellen, wie sie ein Protein, wie den CFTR-Kanal, herstellen sollen. mRNA kann das Erbgut (DNA) eines Menschen nicht verändern. Bei Menschen mit CF funktioniert das CFTR-Protein nicht gut oder es ist gar nicht vorhanden. Indem man den Lungenzellen (durch Inhalation) korrekte Kopien der CFTR-mRNA zuführt, kann dieses Problem umgangen werden, und die Zellen können wieder funktionsfähige CFTR-Kanäle bilden. Die von ReCode Therapeutics entwickelte innovative mRNA-Therapie wird nun erstmals an Menschen mit CF getestet. Die Studie soll noch in diesem Sommer in Zentren in den Niederlanden, im Vereinigten Königreich und in Frankreich beginnen. Wenn Sie in einem dieser Länder leben, oder wenn Sie in einem anderen Land leben, aber bereit sind, in ein teilnehmendes Zentrum zu reisen, besprechen Sie bitte die Möglichkeiten mit Ihrem CF-Team. Sie können sich auch direkt an das HIT-CF-Team wenden (HITCF@umcutrecht.nl), um Ihre Möglichkeiten zu erkunden. Es ist zu erwarten, dass die Studien in den kommenden Jahren auf andere Länder ausgeweitet werden. Wir werden Sie auf jeden Fall informieren, sobald wir weitere Einzelheiten erfahren. Möchten Sie gerne mehr über Gentherapien und Gentherapie-Studien erfahren? Besuchen Sie unbedingt die [Website des CF Trust!](#)



Besuche das HIT-CF-Event auf der CF Europe-Jahreshauptversammlung!



Am Mittwoch, 5. Juni, veranstaltet CF Europe in Glasgow (Vereinigtes Königreich), unmittelbar vor der jährlichen ECFS-Konferenz, seine Jahreshauptversammlung (AGM). Auf die Jahreshauptversammlung folgen am Nachmittag eine Podiumsdiskussion und interaktive Workshops, darunter einer zu HIT-CF, CHOICES und den ReCode-Studien. Diese Veranstaltung ist den Mitgliedsorganisationen von CF Europe vorbehalten, und Sie sollten bereits eine erste Mitteilung darüber erhalten haben. Weitere Informationen werden in Kürze folgen!

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

