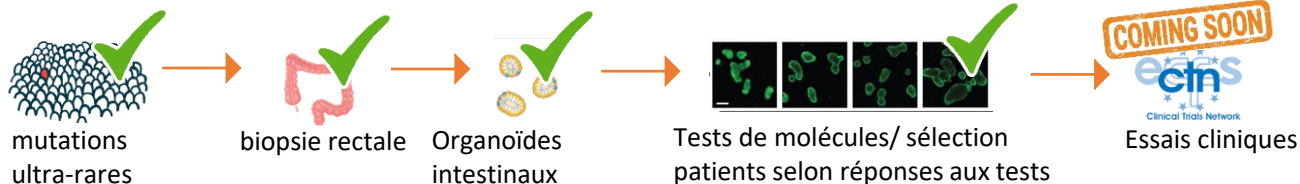


Newsletter HIT-CF Europe

Février 2024



Le projet HIT-CF a pour objectif d'apporter des nouvelles options de traitements pour les personnes atteintes de mucoviscidose avec un profil génétique ultra-rare. L'objectif du projet est d'évaluer l'efficacité et la sécurité de candidats-médicaments proposés par des laboratoires pharmaceutiques partenaires chez des patients sélectionnés grâce aux tests réalisés en laboratoire sur leurs organoïdes.



L'essai clinique CHOICES en attente d'une approbation finale

CHOICES est l'essai clinique dans lequel 52 participants HIT-CF seront traités avec une nouvelle combinaison de modulateurs. Ces personnes sont sélectionnées en fonction de leur réponse aux tests sur organoïdes. Comme expliqué précédemment, chaque essai clinique réalisé dans l'Union européenne doit faire l'objet d'une évaluation par le biais d'une procédure centralisée. Cette procédure est en cours et nous espérons recevoir l'approbation d'ici fin avril. CHOICES a déjà été approuvé au Royaume-Uni, ce qui laisse espérer une approbation dans l'UE également. Actuellement, les contrats avec les hôpitaux où CHOICES sera mené sont en cours de préparation et des réunions sont organisées en mars, afin que tous les médecins et les infirmières qui vont participer à CHOICES sachent exactement à quoi s'attendre lors de la mise en œuvre de l'essai.

Nouvelles opportunités de traitement pour ceux non-concernés par CHOICES!

Nous confirmons l'arrivée de nouvelles possibilités de traitement pour les patients non-sélectionnés pour CHOICES. ReCode Therapeutics a mis au point une thérapie par ARNm pour les patients « muco » avec mutations rares, notamment des mutations non-sens/stop. ARNm= acide ribonucléique messager, contient des instructions indiquant à nos cellules comment fabriquer une protéine, telle que le canal CFTR. L'ARNm n'est pas en mesure d'altérer ou de modifier le patrimoine génétique d'une personne (ADN). Chez les patients « muco », la protéine CFTR ne fonctionne pas bien ou n'existe pas. En délivrant des copies correctes de l'ARNm CFTR aux cellules pulmonaires (par inhalation), ce problème peut être contourné et les cellules peuvent fabriquer des canaux CFTR fonctionnels.

La thérapie innovante à base d'ARNm de ReCode Therapeutics sera testée pour la 1ère fois chez des patients « muco ». L'essai devrait commencer avant l'été aux Pays-Bas, au Royaume-Uni et en France. Si vous vivez dans l'un de ces pays, ou si vous vivez ailleurs mais que vous êtes prêt à vous rendre dans un centre participant, veuillez discuter des possibilités avec votre médecin. Vous pouvez aussi contacter l'équipe HIT-CF (HITCF@umcutrecht.nl) pour explorer les possibilités qui s'offrent à vous. Les essais devraient être étendus à d'autres pays dans les années à venir. Nous ne manquerons pas de vous informer dès que nous aurons plus de détails. Pour en savoir plus sur les thérapies génétiques et les essais de thérapie génétique, regardez ce [replay](#) mis en place par l'association Belge et vous pouvez aussi consulter le [site web de CF Trust!](#) (informations en langue anglaise).



Participez à l'événement de diffusion HIT-CF pendant l'AG de CF Europe !

Le mercredi 5 juin à Glasgow, au Royaume-Uni, juste avant la conférence annuelle de l'ECFS, CF Europe organise son assemblée générale annuelle (AG). L'AG sera suivie d'une table ronde et d'ateliers interactifs, dont un consacré à HIT-CF, CHOICES et aux essais ReCode, dans l'après-midi. Cet événement est réservé aux associations membres de CF Europe. Plus d'informations suivront bientôt !

En savoir plus sur le projet HIT-CF : www.hitcf.org ou adressez un mail à HITCF@umcutrecht.nl

