

Ενημερωτικό Δελτίο HIT-CF Europe

Ιανουάριος 2021



Το πρόγραμμα HIT-CF Europe στοχεύει στην παροχή νέων θεραπευτικών επιλογών σε άτομα με κυστική ίνωση (ΚΙ) και εξαιρετικά σπάνια γενετικά προφίλ. Το πρόγραμμα θα αξιολογήσει την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια των υποψηφίων φαρμάκων που παρέχονται από την Eloxx Pharmaceuticals και την Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) σε ασθενείς που επιλέχθηκαν μέσω προκαταρκτικών εξετάσεων στο εργαστήριο για τη δημιουργία μίνι-εντέρων, τα οποία ονομάζονται επίσης οργανοειδή.



Όλη η ομάδα του HIT-CF θα ήθελε να σας ευχηθεί καλή χρονιά. Το 2020 μας εξέπληξε με πρωτοφανείς προκλήσεις, τις οποίες προσπαθήσαμε να αντιμετωπίσουμε με τις καλύτερες δυνατότητες. Ελπίζουμε ότι καταφέραμε να σας κρατήσουμε ενημερωμένους και να σας δείξουμε ότι εξακολουθούμε να έχουμε υψηλά κίνητρα για να κάνουμε το HIT-CF Europe επιτυχημένο. Η μεγαλύτερη επιθυμία μας είναι το 2021 να φέρει αγάπη, χαρά και ευτυχία σε όλα τα άτομα με ΚΙ, την οικογένεια και τους φίλους τους, και τις ομάδες ΚΙ που τα φροντίζουν. Ελπίζουμε επίσης οι κλινικές δοκιμές να μπορούν να εκτελεστούν κατά το προσεχές έτος, προκειμένου να φέρουν επαναστατικά φάρμακα σε άτομα με ΚΙ με (εξαιρετικά) σπάνιες μεταλλάξεις.

Σε λιγότερο από ένα χρόνο μετά την ολοκλήρωση της συμμετοχής 502 ατόμων με ΚΙ με σπάνιες μεταλλάξεις και παρά την πανδημία COVID-19 που μας ανάγκασε (προσωρινά) να κλείσουμε τις ερευνητικές εγκαταστάσεις μας, καταφέραμε να ολοκληρώσουμε τόσο τον πρωτογενή όσο και τον δευτερογενή έλεγχο των ενώσεων ΡΤΙ στα οργανοειδή. Υπήρξε εξαιρετική συμφωνία μεταξύ του πρώτου και του δεύτερου ελέγχου, η οποία υπογραμμίζει έντονα την αξιοπιστία των αποτελεσμάτων. Επιπλέον, με χαρά σας ανακοινώνουμε ότι ένας αριθμός οργανοειδών από συμμετέχοντες στο HIT-CF ανταποκρίνεται αρκετά καλά στους ΡΤΙ CFTR διαμορφωτές. Τις επόμενες εβδομάδες, θα ταξινομηθούν οι ανταποκρίσεις στα φάρμακα και θα προσεγγιστούν τα κέντρα ΚΙ με τις 26 υψηλότερες ανταποκρίσεις στα φάρμακα, ώστε να προετοιμαστούν για την κλινική δοκιμή. Αυτή η δοκιμή ονομάζεται CHOICES. Θα προσεγγίσουμε επίσης τα κέντρα ΚΙ των 26 ατόμων, των οποίων τα οργανοειδή έδειξαν μια ποικιλία ανταποκρίσεων στα φάρμακα. Ταυτόχρονα, ξεκινήσαμε επίσης τη φάση διαλογής του φαρμάκου Eloxx, η οποία εξελίσσεται καλά.



Στο ενημερωτικό δελτίο του Οκτωβρίου, σας έχουμε ήδη ενημερώσει για τις εξελίξεις στην Proteostasis, μία από τις φαρμακευτικές εταιρείες που παρέχουν φάρμακα για το HIT-CF. Τον Δεκέμβριο του 2020, η ΡΤΙ συγχωνεύτηκε με την Yumanity Therapeutics, που είναι πλέον ο επίσημος ιδιοκτήτης του χαρτοφυλακίου ΚΙ. Η ομάδα HIT-CF έχει μόνιμη σύνδεση με την Yumanity για να διασφαλίσει ότι το HIT-CF μπορεί να περάσει στην επόμενη φάση όσο το δυνατόν πιο ομαλά. Ωστόσο, κάποια καθυστέρηση είναι αναπόφευκτη καθώς η πανδημία Covid-19 παραμένει ως μεγάλη πρόκληση. Αναμένουμε την έναρξη του CHOICES στο τέλος της άνοιξης.

Ένας σημαντικός στόχος του προγράμματος HIT-CF είναι η δημιουργία βιολογικής τράπεζας για φάρμακα ακριβείας (εξατομικευμένη θεραπεία), που θα περιέχει τα οργανοειδή από άτομα με ΚΙ με σπάνιες μεταλλάξεις και θα παραμείνει στη διάθεση της ευρύτερης κοινότητας μετά τη λήξη του HIT-CF. Κατά τη διάρκεια των τελευταίων μηνών πραγματοποιήθηκαν συνεντεύξεις με άτομα με ΚΙ που έχουν δωρίσει εντερικό ιστό, για να μάθουμε περισσότερα σχετικά με τις απόψεις και τις προτιμήσεις τους σχετικά με τη δημιουργία μιας μόνιμης βιολογικής τράπεζας. Τώρα η ομάδα του HIT-CF εξετάζει τα επαρκή θεσμικά πλαίσια για τις βιολογικές τράπεζες.



Η αποθήκευση του οργανοειδούς σας σε μια βιολογική τράπεζα που παραμένει ενεργή μετά τη λήξη του HIT-CF είναι προαιρετική και προϋποθέτει την υπογραφή μιας επιπρόσθετης ενημερωμένης φόρμας συγκατάθεσης. Όλοι οι συμμετέχοντες στο HIT-CF θα ενημερωθούν προσωπικά για αναλυτικές πληροφορίες σχετικά με τη βιολογική τράπεζα και θα έχουν την ευκαιρία να υπογράψουν την επιπρόσθετη ενημερωμένη φόρμα συγκατάθεσης όταν έρθει η ώρα.

Για περισσότερες πληροφορίες για το πρόγραμμα HIT-CF επισκεφτείτε www.hitcf.org ή στείλτε e-mail HITCF@umcutrecht.nl