

Ενημερωτικό Δελτίο HIT-CF Europe

Απρίλιος 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.



Ο πρώτος έλεγχος των χημικών ενώσεων της Eloxx τελειώνει!

Είμαστε στην ευχάριστη θέση να ανακοινώσουμε ότι οι συνεργάτες μας στα εργαστήρια ολοκλήρωσαν την πρώτη εξέταση των οργανοειδών με τις χημικές ενώσεις της Eloxx. Ακόμα και σε αυτό το πρώιμο στάδιο είναι σαφές ότι υπάρχουν άτομα με Κ.Ι. με σπάνιες μεταλλάξεις που ανταποκρίνονται στις χημικές ενώσεις της Eloxx, κάτι που είναι υπέροχο. Αυτά τα αποτελέσματα θα επικυρωθούν μέσω της δευτερεύουσας εξέτασης μετά από την οποία θα επιλεγούν 26 άτομα για συμμετοχή σε κλινική δοκιμή με τις χημικές ενώσεις της Eloxx. Αναμένουμε να ξεκινήσει αυτή η δοκιμή στις αρχές του 2022.



Η δοκιμή CHOICES θα καθυστερήσει μέχρι το τέλος του τρέχοντος έτους

Όπως έχει αναφερθεί σε προηγούμενα ενημερωτικά δελτία, η συγχώνευση της Proteostasis (PTI) με τη Yumanity Therapeutics προκαλεί σοβαρές καθυστερήσεις στην έναρξη της δοκιμής CHOICES, η οποία αποτελεί την κλινική δοκιμή στην οποία οι ενώσεις PTI θα δοθούν σε 52 άτομα με Κ.Ι. με βάση την απόκριση των οργανοειδών τους. Η ομάδα του HIT-CF εξετάζει επί του παρόντος τον καλύτερο τρόπο για να διατεθούν οι ενώσεις PTI στους επιλεγμένους ασθενείς, αλλά είναι βέβαιο ότι αυτό δεν θα γίνει πριν το τέλος του τρέχοντος έτους. Η ομάδα HIT-CF παραμένει πλήρως δεσμευμένη να πραγματοποιήσει τη δοκιμή CHOICES και να φέρει εις πέρας το πρόγραμμα HIT-CF για τους ασθενείς με σπάνιες μεταλλάξεις.

Έτοιμοι για γνωμοδότηση από τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων (EMA)

Ένας από τους κύριους στόχους του HIT-CF είναι να γίνει αποδεκτή η μέθοδος των οργανοειδών ως έγκυρη διαδικασία για την έγκριση χρήσης εγκεκριμένων φαρμάκων για την Κ.Ι. εκτός ενδείξεων, έτσι ώστε τα άτομα με Κ.Ι. που φέρουν σπάνιες μεταλλάξεις να μπορούν επίσης να επωφεληθούν από καινοτόμα φάρμακα με βάση την απόκριση του οργανοειδούς τους. Ένα σημαντικό βήμα προς αυτήν την κατεύθυνση της ευρείας αποδοχής είναι η γνωμοδότηση του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA), που θα πιστοποιεί ότι η μέθοδος είναι ένας λειτουργικός βιοδείκτης για τη λειτουργία της CFTR πρωτεΐνης. Η πιστοποίηση είναι μια επιστημονική γνωμοδότηση ποιότητας που υποστηρίζει την εγκυρότητα της μεθόδου στην αποτελεσματικότητα των φαρμάκων για την Κ.Ι. Η ομάδα του HIT-CF έχει εργαστεί σκληρά για την προετοιμασία του φακέλου που συνοδεύει το αίτημά μας και θα υποβληθεί σύντομα. Αναμένουμε την απόφαση του EMA στις αρχές του 2022.

Mini-gut feelings: perspectives of people with cystic fibrosis on the ethics and governance of organoid biobanking

Michael A. Lensink^{1,2}, Sarah N. Boers¹, Vincent A. M. Gulmans¹, Karin R. Jongema¹ & Annelienke E. Bredius^{1,2}
¹Julius Clinical Health Sciences & Primary Care, Department of Medical Humanities, University Medical Center Utrecht, Utrecht
²Utrecht Cystic Fibrosis Foundation (UCFF), Dr. A. Schuyterweg 5A, NL-3504 SM, The Netherlands
^{*}Author for correspondence: M.a.lensink@umcutrecht.nl

Aim: Organoid technology has enormous potential for precision medicine, such as has recently been demonstrated in the field of cystic fibrosis. However, storage and use of organoids has been associated with ethical challenges and there is currently a lack of harmony in regulation and guidelines to govern the rapid emergence of 'organoid medicine'. Developing sound governance demands incorporation of the perspectives of patients as key stakeholders. **Materials & methods:** We conducted 17 semi-structured interviews with people with cystic fibrosis to explore their perspectives on the ethics and governance of organoid biobanking. **Results:** We identified three themes: prioritization of research and trust, ambivalent views on commercial involvement and transparency and control. **Conclusion:** Our study offers important insights for ethically robust governance of 'organoid medicine'.

Key abstract: Organoids are living tissues that can be grown in a lab out of stem cells, which can replicate some features of actual organs in the body. They can be used to study diseases or develop drugs, but also to test the effectiveness of therapy for a specific patient (which is called precision medicine). Organoid technology is promising for the treatment of cystic fibrosis. At the same time, storing and using organoids raises ethical and practical challenges. In order to ensure that the interests of those who provide the cells are respected, we interviewed people with cystic fibrosis. Their motivation to participate in organoid research was high, but at the same time they wanted to know how their organoids are used. In addition, while they did not feel the need to be directly involved in decisions about how their tissue is used, they valued ongoing communication from biobanks about its activities.

Δημοσίευση μελέτης με συνεντεύξεις ασθενών για τις προοπτικές της βιοτράπεζας

Όπως αναφέρθηκε στο προηγούμενο ενημερωτικό δελτίο, ένας άλλος στόχος του HIT-CF είναι να εγκαταστήσει μια μόνιμη βιοτράπεζα που θα περιέχει τα οργανοειδή που καλλιεργήθηκαν για το τριμηνό έργο. Για να μάθουμε περισσότερα σχετικά με το πώς αισθάνονται οι ασθενείς με την αποθήκευση και χρήση των ιστών τους για έρευνα και ανάπτυξη φαρμάκων, πώς αντιλαμβάνονται τις συνθήκες ιδιοκτησίας των ιστών τους και ποιες είναι οι επιθυμίες τους, ο συνεργάτης μας Mike Lensink πραγματοποίησε 17 συνεντεύξεις σε ασθενείς με Κ.Ι. Τα ευρήματά θα χρησιμοποιηθούν για την ενημέρωση του ηθικού πλαισίου της βιοτράπεζας. Μπορείτε να διαβάσετε ολόκληρο το άρθρο κάνοντας κλικ στην εικόνα αριστερά.

Για να μάθετε περισσότερα για το πρόγραμμα HIT-CF επισκεφθείτε τη σελίδα www.hitcf.org ή στείλτε email στη διεύθυνση HITCF@umcutrecht.nl

