

Ενημερωτικό δελτίο HIT-CF Europe

Φεβρουάριος 2022



Το πρόγραμμα HIT-CF Europe έχει ως σκοπό να παρέχει νέες θεραπευτικές επιλογές σε άτομα με Κυστική Ίνωση (ΚΙ) με ιδιαίτερα σπάνια γενετικά προφίλ. Το πρόγραμμα θα αξιολογήσει την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια των υποψηφίων φαρμάκων που παρέχονται από τις συνεργαζόμενες φαρμακευτικές εταιρείες σε ασθενείς που επιλέχθηκαν μέσω προκαταρκτικών εξετάσεων στο εργαστήριο για τη δημιουργία μίνι-εντέρων, τα οποία ονομάζονται επίσης οργανοειδή.



Ελπίζουμε να είστε καλά και το 2022 να είναι μια νέα καλή αρχή για εσάς και αυτούς που αγαπάτε. Είμαστε πολύ χαρούμενοι γιατί με αυτό το πρώτο ενημερωτικό δελτίο του έτους, μπορούμε να σας δώσουμε πιο εμπειριστατωμένες πληροφορίες σχετικά με την έναρξη της κλινικής δοκιμής των φαρμάκων CHOICES, για την οποία οι ετοιμασίες βρίσκονται σε πλήρη εξέλιξη! Η εταιρεία FAIR είναι στην παρούσα φάση απασχολημένη με τη διαδικασία της μετατροπής των πρώτων υλών των φαρμάκων σε χάπια και την συσκευασία των χαπιών. **Το καλοκαίρι αναμένεται να συμπεριλάβουμε στο CHOICES τους πρώτους συμμετέχοντες ασθενείς.**

Ποιοί θα κληθούν να συμμετέχουν στην κλινική δοκιμή CHOICE; Και πότε;

Η επιλογή των ασθενών για το CHOICES έχει γίνει συνοπτικά και βασίζεται στην ανταπόκριση των οργανοειδών των ασθενών. Συνολικά 52 άτομα, των οποίων τα οργανοειδή καλλιεργήθηκαν και ελέγχθηκαν, θα συμμετέχουν στο CHOICES. Μεταξύ αυτών θα περιλαμβάνονται 26 άτομα «υψηλοί ανταποκριτές», των οποίων τα οργανοειδή έδειξαν μεγάλη ανταπόκριση στα φάρμακα. Αυτά τα άτομα επίσης αναμένεται να δείξουν καλή κλινική ανταπόκριση σε αυτά τα φάρμακα. Επίσης θα συμμετέχουν στο CHOICES 26 άτομα με τυχαία επιλογή. Τα οργανοειδή αυτών των ατόμων εμφάνισαν ποικίλες αντιδράσεις στα φάρμακα (και υψηλή και χαμηλή). Η συμπεριλήψή τους στην κλινική δοκιμή είναι σημαντική, καθώς θα επικυρώσει το μοντέλο του οργανοειδούς για την πρόγνωση των φαρμάκων που δοκιμάζονται. **Σε περίπτωση που προσκληθείτε να συμμετέχετε στη δοκιμή CHOICES, δεν θα ενημερωθείτε για το πώς ανταποκρίθηκε στα φάρμακα το οργανοειδές σας.** Αυτό ονομάζεται «τυφλή μελέτη» και είναι σημαντική στο να εξασφαλίσει ότι τα αποτελέσματα των κλινικών είναι όσο το δυνατόν πιο αντικειμενικά. Αν επιλεχθείτε για το CHOICES, τα αποτελέσματα της ανταπόκρισης του οργανοειδούς σας θα σας γνωστοποιηθούν στο τέλος της μελέτης. **Η ομάδα HIT-CF έχει ήδη επικοινωνήσει με τους φροντιστές των ασθενών που έχουν επιλεγεί. Αυτό σημαίνει ότι ο θεράπων ιατρός σας θα σας ενημερώσει τις επόμενες εβδομάδες αν έχετε επιλεχθεί ή όχι για να συμμετέχετε στο CHOICES.**

Πώς θα είναι η κλινική δοκιμή CHOICES; Τί να περιμένω;

Στο CHOICES θα δοκιμαστεί μια τριπλή θεραπεία τροποποιητών. Αποτελείται από έναν ενισχυτή (Dirocaftor), έναν διορθωτή (Posenacaftor) και έναν δεύτερο ενισχυτή (Nesolicaftor). Αυτός ο τριπλός συνδυασμός θα αυξήσει τον αριθμό των λειτουργικών CFTR καναλιών στην επιφάνεια του κυττάρου. **Το CHOICES είναι μια τυχαίοποιημένη, διπλά-τυφλή, ελεγχόμενη με εικονικό φάρμακο (placebo), διασταυρούμενη κλινική μελέτη.** Τι σημαίνει αυτό;

- Διπλά-τυφλή: αυτό σημαίνει ότι ούτε οι συμμετέχοντες ασθενείς, ούτε η ομάδα εργασίας (ιατροί, νοσηλευτές, τεχνικοί, κλπ), γνωρίζουν αν ο συμμετέχων λαμβάνει το φάρμακο ή το placebo. Αυτό είναι σημαντικό για να εξασφαλιστούν αμερόληπτα αποτελέσματα. Μόνο ο ερευνητής, που αναλύει τα αποτελέσματα, θα γνωρίζει ποιός συμμετέχων πήρε τι και θα μπορεί να εξαγάγει συμπεράσματα.
- Ελεγχόμενη εικονικό φάρμακο (placebo): αυτό σημαίνει ότι το φάρμακο που δοκιμάζεται συγκρίνεται με το placebo. Αυτό θα επιτρέψει την εξαγωγή ολοκληρωμένων συμπερασμάτων για την αποτελεσματικότητα του υπό δοκιμή φαρμάκου.
- Διασταυρούμενη: αυτό σημαίνει ότι όλοι οι συμμετέχοντες θα λαμβάνουν και το υπό δοκιμή φάρμακο και το placebo με τυχαία σειρά. Μετά από συγκεκριμένο χρονικό διάστημα οι συμμετέχοντες που αρχικά έλαβαν το υπό δοκιμή φάρμακο θα αλλάζουν στο placebo και το αντίστροφο. (δείτε το διάγραμμα στην επόμενη σελίδα)

Αυτή η μελέτη θα διαρκέσει συνολικά 42 εβδομάδες και θα αποτελείται από 3 περιόδους. Οι πρώτες 2 περίοδοι θα διαρκέσουν 8 εβδομάδες. Μεταξύ της περιόδου 1 και 2, θα υπάρχει μια περίοδος διακοπής λήξης του φαρμάκου διάρκειας 8 εβδομάδων. Αυτή είναι η λεγόμενη διασταυρούμενη περίοδος όπου οι συμμετέχοντες αλλάζουν από το φάρμακο της μελέτης στο εικονικό φάρμακο ή αντίστροφα, και οι 8 εβδομάδες είναι απαραίτητες για να διασφαλιστεί ότι δεν θα υπάρχει καθόλου φάρμακο στο σώμα των συμμετεχόντων ασθενών. Μετά την περίοδο 2 ακολουθεί αμέσως η περίοδος 3, η οποία διαρκεί 16 εβδομάδες και θα επιτρέψει στους ερευνητές να βγάλουν μακροπρόθεσμα συμπεράσματα σχετικά με το υπό δοκιμή φάρμακο της μελέτης.

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



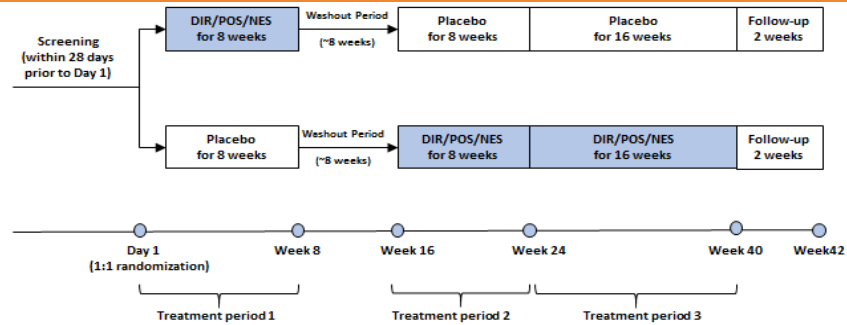
Ενημερωτικό δελτίο HIT-CF Europe

Φεβρουάριος 2022



Το πρόγραμμα HIT-CF Europe έχει ως σκοπό να παρέχει νέες θεραπευτικές επιλογές σε άτομα με Κυστική Ίνωση (ΚΙ) με ιδιαίτερα σπάνια γενετικά προφίλ. Το πρόγραμμα θα αξιολογήσει την αποτελεσματικότητα και την ασφάλεια των υποψηφίων φαρμάκων που παρέχονται από τις συνεργαζόμενες φαρμακευτικές εταιρείες σε ασθενείς που επιλέχθηκαν μέσω προκαταρκτικών εξετάσεων στο εργαστήριο για τη δημιουργία μίνι-εντέρων, τα οποία ονομάζονται επίσης οργανοειδή.

Καθώς πρόκειται για τυχαίοποιημένη μελέτη, ο υπολογιστής αποφασίζει τυχαία ποιός θα συμμετέχει στην 1^η ή 2^η φάση της κλινικής δοκιμής και θα λαμβάνει για 8 ή 24 εβδομάδες το υπό δοκιμή φάρμακο. Η ομάδα του HIT-CF υπολογίζει ότι θα χρειαστούν 12 επισκέψεις των ασθενών στο ερευνητικό κέντρο ΚΙ, που θα ολοκληρωθούν από 5 τηλεφωνικές κλήσεις από την ερευνητική ομάδα.

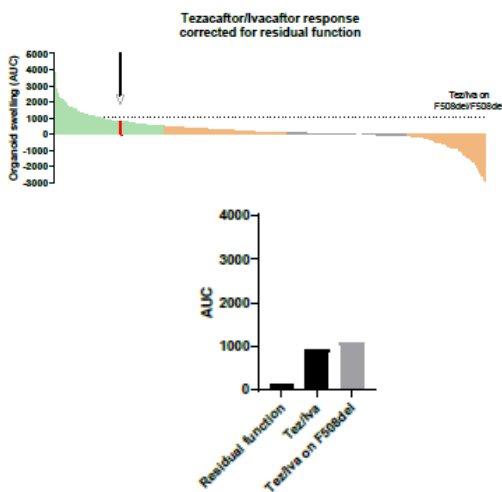


Δεν είμαι επιλέξιμος-η για το CHOICES, ποιές είναι οι επιλογές μου;

Είμαστε ευτυχείς διότι ένας νέος φαρμακευτικός συνεργάτης συμμετέχει στο πρόγραμμα HIT-CF. Όπως αναφέρθηκε στο προηγούμενο ενημερωτικό μας δελτίο, αυτήν την άνοιξη θα ξεκινήσει η κλινική μελέτη Santhera's Lonodelestat που θα συμμετέχουν άτομα, των οποίων τα οργανοειδή δεν εμφάνισαν καμία ανταπόκριση στα υπό δοκιμή φάρμακα. Στην παρούσα φάση συντάσσεται το πρωτόκολλο της μελέτης και τις επόμενες εβδομάδες πρόκειται να ενημερωθούν τα κέντρα ΚΙ. Ο θεράπων ιατρός σας θα σας ενημερώσει για τις πιθανότητες να συμμετέχετε!

Επιπρόσθετα, η ομάδα HIT-CF είναι σε επικοινωνία με άλλες εταιρείες που ενδιαφέρονται να διεξάγουν μελέτες με τους συμμετέχοντες στο πρόγραμμα HIT-CF, όπου συμπεριλαμβάνονται και έρευνες για γονιδιακές θεραπείες, ενώ προσεχώς θα υπάρξουν περισσότερες διαθέσιμες πληροφορίες. Τέλος, η μελέτη Eloxx θα ξεκινήσει στα τέλη του 2022 με αρχές του 2023.

Η εξατομικευμένη ανταπόκριση των οργανοειδών στο Tezacaftor/Ivacaftor (Symkevi) θα γνωστοποιηθεί



Ταυτόχρονα με τις δοκιμαζόμενα φάρμακα της μελέτης, δοκιμάστηκε στα οργανοειδή και το Tezacaftor/Ivacaftor (Symkevi). Η εξατομικευμένη ανταπόκριση των οργανοειδών στο Tezacaftor/Ivacaftor (Symkevi) θα γνωστοποιηθεί στους συμμετέχοντες του προγράμματος HIT-CF που δεν είναι επιλέξιμοι για το CHOICES.

Αυτό εξαρτάται από το κέντρο ΚΙ στο οποίο παρακολουθείστε: καθώς μόνο 52 άτομα μπορούν να συμμετέχουν στο CHOICES, η μελέτη δεν θα πραγματοποιηθεί ταυτόχρονα σε όλα τα κέντρα. Τα άτομα, που παρακολουθούνται από κέντρα που παίρνουν μέρος στη μελέτη CHOICES, θα ενημερωθούν το φθινόπωρο αφού οριστικοποιηθούν τα συμπεράσματα της μελέτης CHOICES. Αυτό γίνεται για να εξασφαλιστεί ότι οι εφεδρικοί υποψήφιοι από το κέντρο δεν γνωρίζουν την ανταπόκριση των οργανοειδών τους μέχρι να ξεκινήσει να διεξάγεται η μελέτη. Τα άτομα που παρακολουθούνται σε άλλα κέντρα θα πληροφορηθούν για τα ατομικά τους αποτελέσματα τις επόμενες εβδομάδες.

Η αναφορά με τα ατομικά σας αποτελέσματα θα περιέχει κι ένα διάγραμμα (βλέπε αριστερά) που θα δείχνει πώς ανταποκρίθηκαν τα οργανοειδή σας σε σύγκριση με τα οργανοειδή άλλων συμμετεχόντων στο πρόγραμμα HIT-CF. Το κάτω διάγραμμα συγκρίνει το αποτέλεσμα του οργανοειδούς σας με το αποτέλεσμα ενός ατόμου με διπλή μετάλλαξη F508del. Ο γιατρός σας θα σας δώσει περισσότερες πληροφορίες. Μη διστάσετε να ζητήσετε περισσότερες διευκρινίσεις, εάν κάτι δεν σας είναι σαφές!

Σημαντικό: άτομα που έχουν μόνο «Χ» μεταλλάξεις, δεν θα λάβουν εξατομικευμένες ανταποκρίσεις οργανοειδών, καθώς το Tezacaftor/Ivacaftor (Symkevi) δεν δοκιμάστηκε στα οργανοειδή τους (δεν αναμενόταν καμία επίδραση).

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

