

Newsletter HIT-CF Europe

August 2020



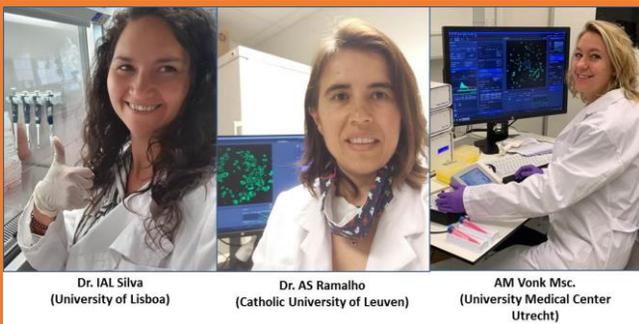
Das Projekt HIT-CF Europe zielt darauf ab, Menschen mit Mukoviszidose (CF) und extrem seltenen genetischen Profilen neue Behandlungsmöglichkeiten zu bieten. Das Projekt untersucht die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimittelkandidaten der Hersteller Eloxx Pharmaceuticals und Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) bei Patienten, die durch Voruntersuchungen im Labor an ihren Minidärmen – auch Organoide genannt – ausgewählt wurden.

Zwischen September 2018 und März 2020 wurden 502 Patienten in ganz Europa rekrutiert und ihre Organoide angezchtet!



Aufgrund der Covid-19-Pandemie und der Vorsichtsmaßnahmen zur Verhinderung der Ausbreitung des Coronavirus wurde das Arzneimittel-Screening zwischen Mitte März und Ende Mai ausgesetzt.

Wie ist die aktuelle Situation?



Ende Mai wurde das Arzneimittel-Screening allmählich wieder aufgenommen. Auf der Grundlage des Genotyps des Spenders werden PTI-Substanzen, Eloxx-Substanzen oder beides an den Organoiden getestet, um deren Reaktion darauf zu prüfen.

Das Screening der PTI-Substanzen sollte bis Ende 2020 abgeschlossen sein, woraufhin mindestens 50 Teilnehmer, die ein Spektrum organoider Reaktionen abdecken, für die PTI-Studie ausgewählt werden. Danach werden Eloxx-Substanzen getestet.

Siehe Dir die Teilnehmer-FAQ's auf der [HIT-CF-Website](#) an oder sende eine e-mail an HITCF@umcutrecht.nl

Werde ich weitere Informationen darüber erhalten, welche Studienmedikamente an meinem Organoid im Labor getestet wurden und wie es darauf reagiert hat?

Wir werden Euch Feedback zu den organoiden Testergebnissen schicken. Viele der hier getesteten Medikamente sind jedoch noch nicht für den klinischen Gebrauch verfügbar. Daher werden wir, abhängig von deren Entwicklungsstand, nicht immer in der Lage sein, Euch die Details der Reaktion Eurer Organoiden pro Medikament mitzuteilen. Bitte bedenkt, dass Ihr diese Informationen erst nach Abschluss der klinischen Tests erhalten werdet.



Frühestens Ende 2020 werden die klinischen PTI-Studien beginnen:

Doppelt-blind, Placebo-kontrolliert, Cross-Over-Protokoll, vom CTN (Clinical Trial Network) der ECFS genehmigt. Die Studien werden möglichst in der Nähe der Patienten voraussichtlich in 14 Ländern durchgeführt werden (siehe Karte).

Eloxx: Nach dem Sommer wird das Studienprotokoll der Eloxx-Studie dem CTN vorgelegt werden.

