

Newsletter HIT-CF Europe

September 2021



Das Projekt HIT-CF Europe möchte Menschen mit Mukoviszidose (CF) und extrem seltenen genetischen Profilen neue Behandlungsmöglichkeiten bieten. Untersucht wird die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimittelkandidaten der Hersteller Elox Pharmaceuticals und Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) bei Patient:innen, die durch Voruntersuchungen im Labor an ihren Minidärmen – auch Organoide genannt – ausgewählt wurden.



Das gesamte Team von HIT-CF hofft, dass Sie eine angenehme Sommerpause hatten!

Wir fühlen uns mehr als bereit, HIT-CF voranzubringen, und sind mit den Vorbereitungen für den Start der beiden klinischen Studien, CHOICES und Elox, beschäftigt. Kurz vor dem Sommer hat das HIT-CF-Team in Zusammenarbeit mit dem Netz für klinische Prüfungen ein Webinar für die klinischen Prüfstellen organisiert, die an der Aufnahme der Teilnehmer:innen beteiligt waren und in denen die klinischen Prüfungen ebenfalls stattfinden könnten. Auf der HIT-CF-Website finden Sie mehrere Ausschnitte aus diesem Webinar mit interessanten Informationen. Klicken Sie [hier](#), um zu sehen, wie Kors van der Ent den Stand der Dinge schildert.

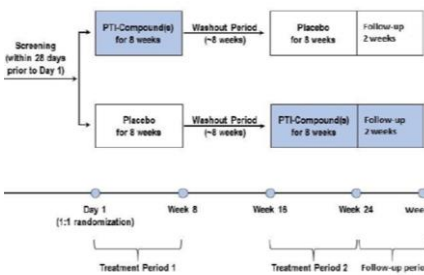


Reaktionen der einzelnen Organoide werden nach der Einschlussfrist der klinischen Studien mitgeteilt

Das HIT-CF-Team erhält regelmäßig Anfragen von Studienteilnehmer:innen oder Ärzt:innen, die Ergebnisse einzelner Organoidtests mitzuteilen, ein Prozess, der als "Entblindung" bezeichnet wird. In diesem [Clip](#) erklärt Marlou Bierlaagh, die Koordinatorin der HIT-CF-Studie, wann die Screening-Ergebnisse mitgeteilt werden und warum dieser Zeitpunkt so wichtig ist. Bei Patient:innen mit weniger als zwei Stopp-Mutationen und einem FEV1-Wert unter 40 % können die Screening-Daten von Tezacaftor/Ivacaftor bereits jetzt vom CF-Behandlungsteam angefordert werden. Ein Anforderungsformular, mit dem die Ärzt:innen in diesen Ausnahmefällen individuelle Ergebnisse anfordern können, wurde an alle Standorte verschickt. Alle anderen Patienten werden die Screening-Ergebnisse nach dem Einschlusszeitraum der klinischen Studien erhalten.

Proteostasis fusioniert mit Yumanity, Elox erwirbt Zikani

Wie in früheren Newslettern erwähnt, hat die hochdynamische Welt der Pharmaindustrie mit ihren Fusionen und Übernahmen bereits zu einer erheblichen Verzögerung des HIT-CF-Projekts geführt. Nach der Übernahme von Proteostasis durch Yumanity Therapeutics nahm das HIT-CF-Team Gespräche mit Yumanity auf, um die Fortführung der CHOICES-Studie sicherzustellen.



Wenn alles gut geht, werden ausgewählte Studienteilnehmer:innen Anfang nächsten Jahres über ihre Ärzt:innen eingeladen, sich für die klinischen Studien anzumelden. Auf der linken Seite sehen Sie das Studienprotokoll von CHOICES.

Gleichzeitig erwarb Elox Pharmaceuticals Zikani, ein Unternehmen, das sich auf Ribosomen-modulierende Wirkstoffe für seltene, durch Nonsense-Mutationen verursachte Krankheiten konzentriert. Das neue Logo von Elox finden Sie unten und die Pressemitteilung [hier](#). Darüber hinaus erhielt Elox von der Cystic Fibrosis Foundation finanzielle Unterstützung für die weitere Entwicklung seiner Ribosomen-modulierenden Wirkstoffe. Die Übernahme des Zikani-Portfolios macht Elox zu einer noch zuverlässigeren HIT-CF-Partnerin.

Ethisches Biobanking nach den Präferenzen der Teilnehmer: eine Lösung für alle Organoide

In diesem [Clip](#) erläutert Kors van der Ent das Prinzip ethischen Biobankings. Derzeit nimmt das Team Kontakt mit den teilnehmenden klinischen Einrichtungen auf, um eine Lösung für die Aufbewahrung von Organoiden von Teilnehmer:innen zu finden, die mit einer kommerziellen Nutzung nicht einverstanden sind. Bis Anfang nächsten Jahres sollte klar sein, ob es eine Lösung für alle Teilnehmer gibt, die ihre Organoide aufbewahren wollen, sei es im HUB oder auf nationaler/klinischer Ebene.

Um mehr über das HIT-CF-Projekt zu erfahren, besuche www.hitcf.org oder schicke eine E-Mail an HITCF@umcutrecht.nl

