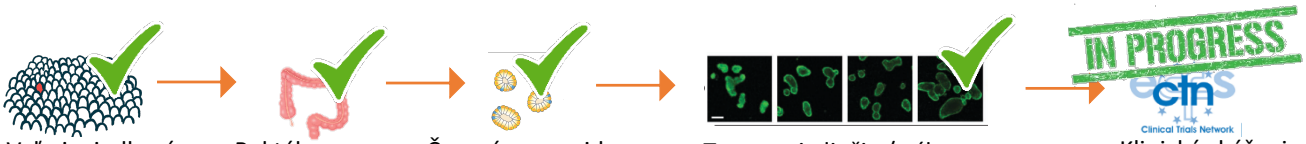
Newsletter HIT-CF Europe

september 2024

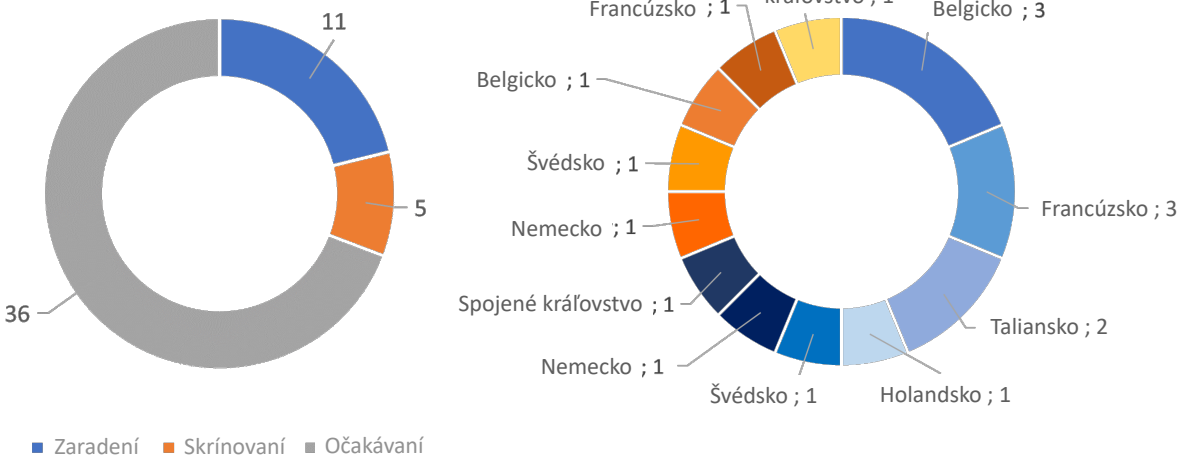
Cieľom projektu HIT-CF Europe je sprístupniť nové možnosti liečby ľuďom s cystickou fibrózou (CF) a veľmi zriedkavým genetickým profilom. Projekt zhodnotí efektívnosť a bezpečnosť potenciálnych liečiv dodávaných spolupracujúcimi farmaceutickými spoločnosťami u pacientov vybraných prostredníctvom predbežných testov v laboratóriu na ich „mini črevách“ – tzv. organoidoch.



Veľmi zriedkavé mutácie → Rektálna biopsia → Črevné organoidy → Testovanie liečiv / výber respondentov → Klinické skúšanie

Prihlasovanie do skúšania CHOICES je v plnom prúde

Dúfame, že ste si v lete všetci oddýchli v spoločnosti svojich blízkych. Tím štúdie CHOICES a pracovníci zariadení účastných na štúdii v lete ďalej neúnavne pracovali. Do tejto chvíle je do skúšania CHOICES zaradených jedenásť osôb. To znamená, že užívajú aktívny liek alebo placebo. Ďalší piati absolvovali skríning. To znamená, že absolvovali všetky potrebné vyšetrenia a účastníci sú pripravení začať skúšanie. Koláčový graf vľavo predstavuje všetkých päťdesiatdva osôb, ktoré je potrebné do skúšania CHOICES zaradiť. Modrá farba znázorňuje tých, ktorí už zaradení sú, oranžová tých, ktorí absolvovalí skríning pred začatím skúšania, a sivá znázorňuje počet účastníkov, ktorých ešte očakávame. Skúšanie CHOICES teraz prebieha v desiatich zariadeniach v siedmich krajinách: Belgicko, Francúzsko, Holandsko, Nemecko, Spojené kráľovstvo, Švédsko a Taliansko. V grafe vpravo vidíte podľa krajín, koľkí účastníci sú zaradení (odtiene modrej) a skrínovaní (odtiene oranžovej).



Do pozornosti všetkým účastníkom HIT-CF: nový súhlas s biobankou organoidov

Na začiatku projektu HIT-CF ste podstúpili rektálnu biopsiu. Zároveň ste dali súhlas alebo povolenie na kultiváciu organoidov z odobranej biopsie a na uchovanie a použitie organoidov počas trvania projektu. Na organoidoch sa vyskúšalo niekoľko liečiv, a to nám pomohlo spustiť štúdiu CHOICES study. Na celom svete pribúdajú ľudia s CF, ktorí sa môžu liečiť novými liekmi. No stále ostáva nemálo takých ľudí s CF, pre ktorých zatiaľ liečivo neexistuje. Preto výskumníci a farmaceutické spoločnosti na celom svete robia ďalšie štúdie. Vaše organoidy môžu v budúcnosti výrazne pomôcť pri testovaní nových spôsobov liečby.

Váš súhlas však platí len na dobu trvania projektu HIT-CF. Projekt HIT-CF sa však vo svojej aktuálnej forme na konci roka 2024 skončí. **To znamená, že ak nebudú podniknuté ďalšie kroky, budeme musieť vaše organoidy zničiť.**

Ak sa chcete dozvedieť o projekte HIT-CF viac, navštívte www.hitcf.org alebo pošlite e-mail na HITCF@umcutrecht.nl

Tento projekt bol finančne podporený Európskou úniou v rámci Programu výskumu a inovácií Horizont 2020 podľa zmluvy o poskytnutí grantu č. 755021.

Newsletter HIT-CF Europe

September 2024

The HIT-CF Europe project aims to provide new treatment options to people with cystic fibrosis (CF) and ultra-rare genetic profiles. The project will evaluate the efficacy and safety of drug candidates provided by collaborating pharmaceutical companies in patients selected through preliminary tests in the laboratory on their mini-intestines – also called organoids.

Fortunately, we have found a way to keep your organoids available for future studies by storing them in a new European Cystic Fibrosis Stem Cell Biobank. **This does mean that you will need to sign a new informed consent; otherwise, your organoids will still be destroyed.**

How do I reconsent? By simply sending an email to HITCF@umcutrecht.nl with either the message:

- Yes, I am interested in keeping my organoids available, or
- No, I am not interested, please destroy my organoids.

If you indicate you are interested, we will send you a letter with all necessary information, and a new consent form. After we have received your new consent form, we will store your organoids in the new biobank. Otherwise, we will destroy your organoids according to your wishes. If you feel you first need more information to be able to make an informed decision, please write down your questions and send them to HITCF@umcutrecht.nl.
You might have received this information from your CF doctor as well. Please feel free to discuss this with him or her too.

Good news: ReCode mRNA trial is recruiting!

As we mentioned in the February newsletter, HIT-CF participants that were not selected for CHOICES, will have the opportunity to participate in another study. ReCode Therapeutics has developed an investigational inhaled therapy based on mRNA for people with CF with rare mutations, including nonsense/stop mutations. mRNA stands for messenger ribonucleic acid and contains instructions to tell our cells how to make a protein, such as the CFTR channel. mRNA is not able to alter or modify a person's genetic makeup (DNA). In people with CF, the CFTR protein is not functioning well or isn't there at all. By delivering correct copies of CFTR mRNA to the lung cells, this problem can be bypassed, and the cells can once again start making functional CFTR channels.
The innovative **inhaled** mRNA therapy, which is called **RCT2100** for now, is currently being tested in people with CF for the first time. This process is also known as a **phase 1 study.** A phase 1 study focuses primarily on **finding the right dose of the drug and evaluating the safety.** Participants to a phase 1 study may or may not have personal benefits from the treatment, but it is not the primary goal at that point. Moreover, it cannot be guaranteed that participants will automatically be able to take part in later phases of the study that do focus on investigating effectiveness. Nevertheless, this is a very important, if not the most important phase of the clinical research. Without sufficient safety data, the experimental drug cannot progress to the next phase. Therefore, it is very important to find enough participants.
During this study, the researchers want to determine how much RCT2100 can be administered, to find out whether RCT2100 is well tolerated, as well as how the body uses RCT2100 and how RCT2100 affects the body. To do so, the safety of several different doses of RCT2100 will be tested. **Each participant is guaranteed to receive the experimental therapy; in this part of the study, there is no control group receiving a placebo or dummy drug.**
This summer, ReCode obtained approval to perform the study in Europe, and they are now looking for participants. Participating in this study means that you will have to visit the study centre about 17 times and requires blood draws, lung function testing and/or other measurements. The study will run in the **Netherlands** (Utrecht), **France** (Paris Necker, Toulouse and Montpellier) and the **UK** (Leeds, London King's College Hospital, Nottingham, Southampton, Cambridge and Birmingham). **If you don't live in one of these countries, you can still participate if you are able and willing to travel to one of the study sites.** For more information, you or your CF doctor can contact the HIT-CF team via HIT-CF@umcutrecht.nl.

To learn more about the HIT-CF project, visit www.hitcf.org or send an e-mail to HITCF@umcutrecht.nl

This project has received funding from the European Union's Horizon 2020 research and innovation programme under grant agreement No 755021