

Tlačová správa

Fair Therapeutics B.V. oznámila plný počet účastníkov zaradených do fázy IIb klinického skúšania CHOICES hodnotiaceho novú terapiu modulátorom CFTR pre ľudí s ultra zriedkavými variantmi cystickej fibrózy.

Utrecht, Holandsko, 8. január 2024 – Fair Therapeutics B.V. (Fair TX), biofarmaceutická spoločnosť zameraná na výskum venujúca sa personalizovanej liečbe cystickej fibrózy (CF), dnes oznámila plný počet účastníkov zaradených do fázy IIb klinického skúšania CHOICES (NCT06468527). Cieľom skúšania je posúdiť efektívnosť a bezpečnosť novej trojkombinačnej liečby regulátora transmembránovej vodivosti (CFTR) liekom diponecaftor (kombinácia liečiv dirokaftor, posenaftor, nesolikaftor) firmy Fair TX u dospelých s ultra zriedkavými variantmi CF, ktorí v súčasnosti nemôžu užívať žiadnu modulátorovú liečbu. Skúšanie CHOICES je rozhodujúcim krokom firmy v snahe vyriešiť nenaplnené potreby ľudí s CF. Výsledky skúšania sa očakávajú v polovici roku 2025.

Dvojito zaslepené krížové klinické skúšanie sa začalo v júni 2024 a bolo doňho zaradených 40 dospelých pacientov (18+) z 9 európskych krajín. Všetci účastníci prešli prvým výberom založeným na inovatívnom teste s organoidmi využívajúcom laboratórne vytvorené organoidy z buniek pacientov, ktorý umožňuje predpovedať v laboratóriu klinickú reakciu na liečbu.

Kľúčovými cieľmi klinického skúšania CHOICES sú:

- **Hodnotenie efektívnosti:** Klinické skúšanie posúdi predpovedané klinické dôsledky CFTR modulátorov firmy Fair TX u ľudí s CF identifikované na základe reakcie ich organoidov.
- **Zameranie na ultra zriedkavé varianty:** Cieľom klinického skúšania je preukázať, že diponecaftor dokáže efektívne liečiť ultra zriedkavé varianty CF, teda populáciu pacientov s obmedzenými možnosťami liečby.
- **Validácia modelu s organoidmi:** Údaje z klinického skúšania sa porovnávajú s výsledkami z predošlej individualizovanej terapie CF u ľudí (HIT-CF) v štúdií s organoidmi (NTR7520), v ktorej sa testovali CFTR modulátory na organoidoch vytvorených z buniek vyše 500 Európanov so zriedkavými variantmi CF. Také porovnanie ďalej potvrdí použitie organoidov ako spoľahlivých predikčných nástrojov na výber pacientov s CF na liečbu.

Klinické skúšanie CHOICES realizuje konzorcium HIT-CF Europe, ktorého spoluprácu podporuje iniciatíva EÚ Horizon 2020. Partnermi konzorcia sú výskumno-akademické inštitúcie, neziskové organizácie, zmluvné výskumné organizácie, biofarmaceutické spoločnosti vyvíjajúce spôsoby liečby CF a poskytovatelia podporných služieb ([kliknutím sem](#) sa zobrazí úplný zoznam partnerov konzorcia). Spoluzakladateľ Fair TX, Dr. Kors van der Ent, predsedá konzorciu HIT-CF Europe a zohráva rozhodujúcu úlohu pri vedení klinického skúšania.

Dr. Kors van der Ent, spoluzakladateľ Fair TX, povedal:

„Nesmierne nás teší, že sme naplnili počet účastníkov klinického skúšania CHOICES, ktoré je pre Fair TX a komunitu okolo cystickej fibrózy významným míľnikom. Zamieravajúc sa na ultra zriedkavé varianty CF a využívajúc diagnostiku založenú na organoidoch posúvame vpred personalizovanú medicínu a prinášame toľko potrebnú nádej pre ľudí s CF, ktorí majú obmedzené alebo žiadne možnosti liečby. Tešíme sa na chvíľu, keď sa budeme môcť podeliť o výsledky tohto prelomového klinického skúšania.“

Anne van Loon, výkonná riaditeľka Fair TX dodala:

„Uzavretie prihlasovania do klinického skúšania CHOICES podčiarkuje náš záväzok vyriešiť nenaplnené

potreby ľudí s ultra zriedkavými variantmi CF. Pre Fair TX je to úžasná chvíľa, pretože naďalej preukazujeme potenciál nášho personalizovaného prístupu k liečbe. Sme nesmierne vďační pacientom, ich rodinám aj klinickým tímom, vďaka ktorým sa tento mílnik stal skutočnosťou.“

Fáza IIb klinického skúšania CHOICES sa realizuje v 15 klinických centrách po celej Európe. Teraz bol zaradený posledného pacient a všetci 40 účastníci už započali liečbu.

Viac informácií o projekte HIT-CF na stránkach <https://www.hitcf.org>.

O Fair Therapeutics

Fair Therapeutics (Fair TX) je súkromná biofarmaceutická spoločnosť zameraná na výskum vyvíjajúca personalizovanú liečbu cystickej fibrozy (CF). S cieľom vyriešiť nenaplnené potreby ľudí s ultra zriedkavými variantmi CF spoločnosť vytvorila diponecaftor, inovatívny trojkombinovaný modulátor CFTR, v kombinácii s diagnostikou založenou na laboratórne vytvorených organoidoch. Fair TX sa zaviazala dodržiavať zásady spravodlivej medicíny, snaží sa zabezpečiť reálnu hodnotu a rovnaký prístup k liečbe. Spoločnosť bola založená v roku 2021 a v záujme napredovania vo svojej misii spolupracuje so subjektami v priemysle, akademicko-výskumnými inštitúciami, zdravotníkmi a patientskými organizáciami.

Viac informácií na stránkach www.fairtherapeutics.com alebo kontaktujte:

Media Contact:

Anne van Loon

Acting CEO

+31 683 087 289

info@fairtherapeutics.com