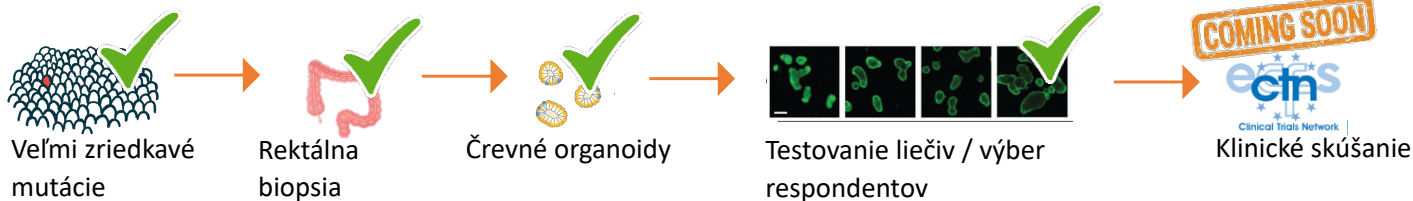


Newsletter HIT-CF Europe

február 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.

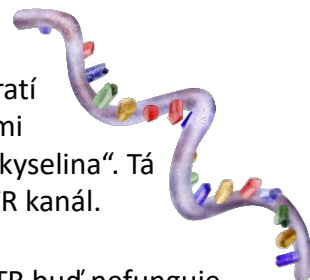


Klinické skúšanie CHOICES čaká na schválenie

CHOICES je klinické skúšanie, v ktorom sa bude 52 účastníkov HIT-CF liečiť novou kombináciou modulátorov. Účastníci budú vybratí na základe reakcie ich organoidov. Ako sme už v minulosti vysvetlili, každé klinické skúšanie vykonávané v Európskej únii, musí prejsť centralizovaným hodnotiacim postupom. Tento proces už beží a očakávame, že koncom apríla bude vydané schválenie. Medzičasom už bolo skúšanie CHOICES schválené v Spojenom kráľovstve. To nám dáva nádej v hladký priebeh schvaľovacieho procesu aj v EÚ. V súčasnosti pripravujeme zmluvy so všetkými zariadeniami zapojenými do klinického skúšania (nemocnice, v ktorých bude CHOICES prebiehať), v marci prebehnú porady skúšajúcich, aby všetci lekári a zdravotné sestry v klinickom skúšaní presne vedeli, čo pri CHOICES očakávať.

Nové možnosti liečby pre tých, ktorí neboli vybratí do CHOICES!

S radosťou potvrdzujeme, že sa objavili možnosti liečby pre účastníkov HIT-CF, ktorí neboli vybratí na skúšanie CHOICES. ReCode Therapeutics vyvinula terapiu mRNA pre osoby s CF so zriedkavými mutáciami, vrátane nonsense / stop mutácií. mRNA je skratka pre „mediátorová ribonukleová kyselina“. Tá obsahuje informácie, podľa ktorých naše bunky vedia, ako vyrobiť proteín ako je napríklad CFTR kanál.



mRNA nedokáže upraviť alebo zmeniť genetickú výbavu človeka (DNA) a u ľudí s CF proteín CFTR buď nefunguje správne alebo úplne chýba. Ale dodaním správnych kópií CFTR mRNA do pľúcnych budíkov (inhaláciou) sa dá tento problém obísť a bunky zrazu dokážu produkovať funkčné CFTR kanály.

Inovatívna liečba mRNA vyvinutá ReCode Therapeutics sa teraz bude u ľudí s CF testovať po prvýkrát. Začiatok skúšky je naplánovaný ešte pred letom v centrách v Holandsku, Spojenom kráľovstve a vo Francúzsku. Ak žijete v niektorej z uvedených krajín, alebo žijete inde, no ste ochotný cestovať do zapojených centier, obráťte sa na svojho lekára a preberte s ním možnosti. Alebo môžete kontaktovať priamo tím HIT-CF (HITCF@umcutrecht.nl). Očakáva sa, že v najbližších rokoch sa skúšanie rozšíri aj do ďalších krajín. Budeme vás o tom informovať hneď, ako bude k dispozícii viac podrobností. Chcete sa o genetickej liečbe a skúšaní genetickej liečby dozvedieť viac? Navštívte naše [webové stránky CF Trust!](#)

Zúčastnite sa informačného stretnutia HIT-CF na valnom zhromaždení CF Europe!



V stredu 5. júna v Glasgow (UK), pred každoročnou konferenciou ECFS, usporadúva CF Europe svoje výročné valné zhromaždenie (AGM). Po AGM bude nasledovať panelová diskusia a interaktívne workshopy, vrátane popoludňajšieho workshopu o skúšaní HIT-CF, CHOICES a ReCode. Toto podujatie je vyhradené pre členské organizácie CF Europe a v tejto chvíli by vám už mali byť doručené prvé informácie. Čoskoro prinesieme viac informácií.

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



BIOTECHSUBSIDY

HUB ORGANOIDS



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