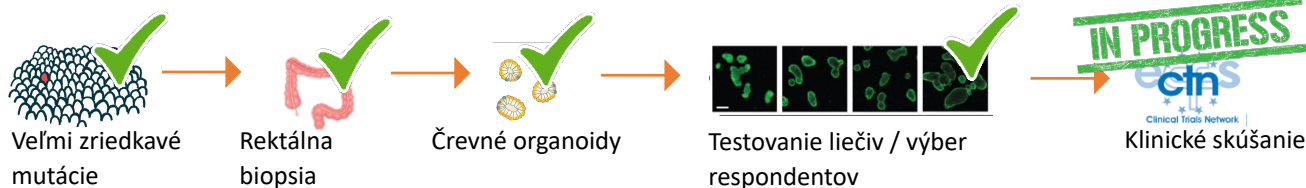


Newsletter HIT-CF Europe

júl 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.



Historicky prvé skúšanie CHOICES je konečne odštartované!

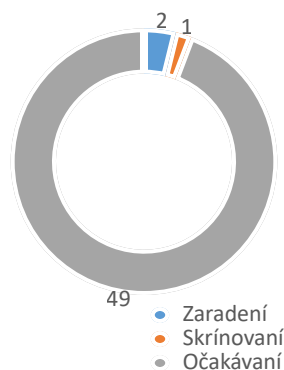
Pre tých z vás, ktorí ste nezachytili naše statusy na sociálnych sieťach, alebo ste sa nemohli zúčastniť na workshope HIT-CF v Glasgowe, s radosťou zopakujeme, že skúšanie CHOICES sa už konečne začalo! 3. júna bol v holandskom Utrechte zaradený do skúšania CHOICES prvý pacient a vydal sa s nami na svoju neuveriteľnú cestu.

je dvojito zaslepené skúšanie – to znamená, že ani účastníci ani skúšajúci nevedia, či sa podáva liek alebo placebo. CHOICES je zároveň krížovou štúdiou. To znamená, že po úvodnej 8-týždňovej liečbe aktívnym liekom alebo placebom a následnej 8-týždňovej pauze, (aby odzneli dlhodobé účinky lieku) účastníci prejdú na placebo alebo aktívny liek, teda to, čo neužívali v prvých ôsmich týždňoch. To zaručí každému účastníkovi 8 týždňov liečby aktívnym liekom a zároveň je každý účastník sám sebe kontrolnou vzorkou.

Pripomíname, že v CHOICES skúmame bezpečnosť a účinnosť trojkombinácie modulátorov výrobcu Fair Therapeutics s názvom **Diponecaftor**, ktorá pozostáva z potenciátora Dirocaftor, korektora Posenacaftor a amplifikátora Nesolicaftor. *Vyhlásenie: Účastníčka súhlasila s uverejnením tejto fotografie na komunikačné účely.*



CHOICES má za cieľ prijať v najbližších mesiacoch celkom 52 HIT-CF účastníkov



Aby sme získali dostatočné informácie o bezpečnosti a účinnosti lieku Diponecaftor, potrebujeme, aby skúšanie CHOICES absolvovalo 52 osôb. Účastníci budú vybraní na základe skrínungu ich organoidov: 26 dobre reagujúcich účastníkov, ktorých organoidy reagovali na trojkombináciu dobre, a 26 náhodne vybraných účastníkov s rôznorodými reakciami organoidov. Dôležité je, že účastníci nevedia, ako ich organoidy reagovali. Skúšanie CHOICES bude prebiehať v týchto krajinách: Belgicko, Francúzsko, Nemecko, Taliansko, Holandsko, Portugalsko, Španielsko, Švédsko a Spojené kráľovstvo. Ako sme na tom teraz? 2 osoby boli zaradené (teda už užívajú aktívny liek alebo placebo), 1 osoba bola skríňovaná (teda absolvovala všetky potrebné vyšetrenia a môže začať skúšanie) a zvyšných 49 osôb očakávame na skríning. Ak pôjde všetko dobre, skúšanie CHOICES sa skončí na jar 2025.

Informácie pre účastníkov skúšania CHOICES

Skúšanie CHOICES je prvé svojho druhu. Jeho výsledky môžu zmeniť budúcnosť liekov na CF. Preto **chceme zdôrazniť, aký veľký význam má vaša účasť. Je absolútne nevyhnutné absolvovať celé skúšanie až do konca (obidve fázy liečby) a brať všetky lieky (vieme, že ich je veľa) každý deň**, aj keď sa zdá, že liečba nemá žiadny účinok. Ak máte počas skúšania pochybnosti, obráťte sa na svojho lekára. Každý účastník skúšania CHOICES zásadným spôsobom prispeje k úspechu štúdie, teda naozaj môžete byť na počiatku veľkej zmeny a pohnúť ľady. Ďakujeme vám veľmi pekne!

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

