

Newsletter HIT-CF Europe

März 2020



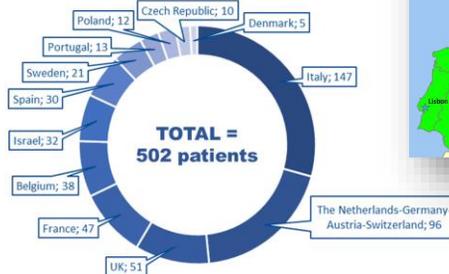
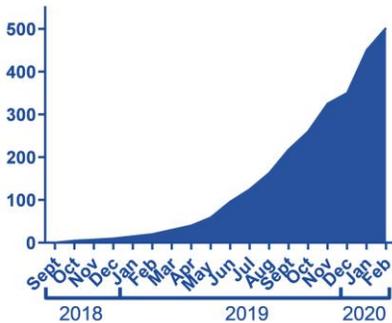
Das Projekt HIT-CF Europe zielt darauf ab, Menschen mit Mukoviszidose (CF) und extrem seltenen genetischen Profilen neue Behandlungsmöglichkeiten zu bieten. Das Projekt untersucht die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimittelkandidaten der Hersteller Eloxx Pharmaceuticals und Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) bei Patienten, die durch Voruntersuchungen im Labor an ihren Minidärmen - auch Organoiden genannt - ausgewählt wurden.

Phase 1 & 2 abgeschlossen mit der Rekrutierung von 502 Patienten aus ganz Europa!

47 teilnehmende CF-Zentren aus 16 Ländern haben in Zusammenarbeit mit dem ECFS-CTN zu diesem großen Erfolg beigetragen!



Schritt 1:
Sammlung
von Biopsien



Schritt 2:
Anzucht der
Organoide

Rektalbiopsien von 502 CF-Patienten wurden gesammelt und zur Verarbeitung zu Organoiden an die Hubrecht Organoid Technology (HUB, Niederlande) geschickt. Auf der Grundlage des Genotyps des Spenders werden PTI-Substanzen, Eloxx-Substanzen oder beides an den Organoiden getestet, deren Reaktion auf das Medikament gemessen werden soll.

Was sind die nächsten Schritte?

Schritt 3:
Medikamententest an
Organoiden

Organoiden werden in vier Labors getestet: an den Universitäten HUB, Leuven (Belgien), Utrecht (Niederlande) und Lissabon (Portugal). PTI-Verbindungen werden bis Juni getestet; das Screening von Eloxx-Verbindungen soll Winter 2020/21 starten.

Schritt 4:
Auswahl für
klinische
Studien

Auswahl von mindestens 50 Teilnehmern für die PTI-Studie, die eine Palette von organoiden Reaktionen abdeckt.

Schritt 5:
Klinische
Studien

Doppelblindes, placebokontrolliertes Crossover-Protokoll, das derzeit vom CTN überprüft wird. Der Beginn der PTI-Studie ist für die zweite Hälfte des Jahres 2020 geplant.

Weder Patienten noch Ärzte werden bis zum Ende der Studie wissen, wer hoch-, mittel- oder niedriggradig anspricht und welches Präparat jede Person einnimmt.

Je nach der Entwicklung und den Folgen der Covid-19-Krise muss der Zeitplan möglicherweise angepasst werden.

Januar
2020

März
2020

Fort-
laufend

Herbst
2020

Winter
2020



Dieses Projekt wird im Rahmen der Fördervereinbarung Nr. 755021 vom EU-Forschungs- und Innovationsprogramm **Horizont 2020** gefördert.

Mehr Informationen über das HIT-CF-Projekt unter www.hitcf.org oder sende eine E-Mail an HITCF@umcutrecht.nl