

# Glasiło HIT-CF Europe

oktober 2020



Namen projekta HIT-CF Europe je zagotoviti nove možnosti zdravljenja za ljudi s cistično fibrozo (CF) in izjemno redkimi genetskimi profili. S projektom bomo ocenili učinkovitost in varnost potencialnih zdravil, ki jih zagotavljata Elox Pharmaceuticals in Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI), pri bolnikih, ki so bili izbrani s pomočjo predhodnih testiranj v laboratoriju na podlagi njihovega mini-črevesja – imenovanega tudi organoidi.



## Sporočilo profesorja Korsa van der Enta, pediatričnega CF-zdravnika v UMC Utrecht na Nizozemskem, in glavnega raziskovalca pri HIT-CF

Dragi prijatelji,

zaradi novice o združitvi Proteostasis (PTI, ene od farmacevtskih podjetij, ki zagotavljajo spojine za HIT-CF) s podjetjem Yumanity in zakasnitve zaradi Covida-19 smo zaskrbljeni glede napredovanja in izvajanja HIT-CF in še zlasti glede poskusa CHOICES (= poskus s spojinami PTI-ja).

K sreči smo z delom projekta, v katerem smo zbirali organoide, zaključili tik pred pandemijo. Laboratoriji v konzorciju so lahko z manjšimi zakasnitvami nadaljevali s presejanjem. Pričakujemo, da bomo vse organoide pregledali s spojinami PTI v novembru in da bomo lahko od tu naprej nadaljevali s pregledovanjem z Eloxovimi spojinami. Prvotno so bili v okviru projekta HIT-CF predvideni s placebom kontrolirani 8-tedenski navzkrižni poskusi s spojinami PTI-ja in Eloxxa. Pred pandemijo so nas iz PTI-ja prosili, naj podaljšamo drugo obdobje navzkrižnega poskusa s 16-tedenskim obdobjem podaljšanja, da bi zbrali podatke glede varnosti v skupaj 24 tednih. S tem pristopom smo se strinjali.

Združitev je vplivala na PTI in na podporo, ki jo lahko v tem trenutku zagotovi. Iz študije smo morali ponovno umakniti 16-tedensko obdobje podaljšanja in v tem trenutku po študiji še ni popolnoma zagotovljen odprt dostop. Trenutno imamo s PTI dogovor, da **bomo izvedli HIT-CF v njegovi prvotni obliki** in naša skupna odgovornost in glavna prioriteta je, da bodo zdravila na voljo bolnikom, če bo CHOICES imel pozitivne rezultate. V kratkem bomo začeli s predložitvijo protokola pri institucionalnih odborih za pregled in glede na to, kako se bo pandemija razvijala, upamo, da bomo začeli z vključevanjem bolnikov nekaj mesecev kasneje.

Tudi Eloxov klinični program, ki je trenutno v teku, ima nekaj zamude. Podjetje mora zaključiti 2. fazo študije za določitev odmerkov, preden lahko začnemo s študijo HIT-CF. Podjetje trenutno pričakuje, da bi to lahko bilo poleti 2021.

Vsi se moramo spopasti s temi časi, kakršnih doslej še ni bilo. Konzorcij žene motivacija, da bo HIT-CF postal uspešen za bolnike z redkimi mutacijami. Če imate specifična vprašanja, vas vabimo, da stopite v stik z nami. Nanje bomo poskušali odgovoriti po svojih najboljših močeh.

Hvala vam in ostanite varni, Kors

## HIT-CF na mednarodni znanstveni sceni

- ✓ Profesor van der Ent je imel priložnost predstaviti pregled projekta HIT-CF na nedavni Severnoameriški CF konferenci. Njegov govor si lahko ogledate [tukaj](#)
- ✓ Konzorcij je pred kratkim objavil svoj [protokol](#) za prijavo, standardizacijo in spreminjanje s Forskolinom inducirane testa nabrekanja v organoidih iz kolona CF ljudi. Namen te publikacije je standardizirati postopke, s katerimi bi zagotovili močno ponovljivost in pravilno tolmačenje rezultatov med različnimi laboratoriji, kar bo omogočalo drugim znanstvenikom, da bodo tudi lahko izvajali funkcionalne eksperimente z organoidi.



STAR Protocols



Protocol  
Protocol for Application, Standardization and Validation of the Forskolin-Induced Swelling Assay in Cystic Fibrosis Human Colon Organoids

