

2021/ Jaarrapport



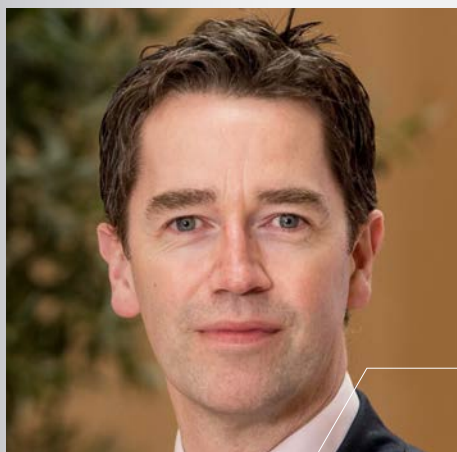
www.ecfs.eu/ctn
ecfs-ctn@uzleuven.be
Tel : +32-479 983839

Inhoud

Bericht van de CTN directeur	3
2021 ons jaar in cijfers	5
ECFS-CTN	
Organisatie	6
Onze centra	7
Uitvoeren comité	8
CTN activiteiten	
Nieuwe studies ondersteunen	9
Klinische studies in 2021	10
Onze reactie op Covid-19	16
Ons werk	20
Standardisatie	22
Werkgroepen	24
Onderzoekscapaciteit onderhouden en uitbreiden	26
Patiënt gerapporteerde resultaten	
Een gezamenlijk project met ECFS-CTN en CF Europe	28
Europese onderzoeksprojecten	
ECFS-CTN is partner van verschillende lopende EU-projecten	30
Nieuws van HIT-CF	32
Financieel rapport 2021	34
Appendix - Studies ondersteund door ECFS-CTN in 2021	36



Bericht van de CTN directeur



Damian Downey

Wij zijn erg blij om het jaarrapport 2021 van het ECFS-CTN (European Cystic Fibrosis Society - Clinical Trial Network) met u te kunnen delen. Dit rapport geeft u een overzicht van ons werk in 2021, klinische studies die we hebben ondersteund, een beschrijving van de Europese projecten waar we bij betrokken zijn, en specifieke activiteiten, waaronder het Covid-19 Antilichaamreacties bij CF (CAR-CF) onderzoek.

In 2021 hebben we 28 studies om nieuwe therapieën dichterbij mensen met cystic fibrosis (CF, taaislijmziekte) te brengen, ondersteund. Ons werk van de afgelopen jaren heeft bijgedragen aan de goedkeuring om de zogenaamde drievoudige combinatietherapie op de Europese markt te brengen, wat toch een memorabele prestatie is. Dit zou niet mogelijk zijn geweest zonder de deelname van mensen met CF aan klinische studies, gefaciliteerd door al onze onderzoeksteams in heel Europa. Onze reis stopt hier niet, want we blijven nieuwe therapieën in ontwikkeling ondersteunen

om ervoor te zorgen dat alle mensen met CF gebruik kunnen maken van doeltreffende behandelingen.

We zijn nog steeds getuige van de Covid-19 pandemie, wat een ongelooflijk uitdagende tijd is voor de CF-gemeenschap. We zetten onze fantastische samenwerking met het Europese register voort om updates van Covid-19 bij mensen met CF te publiceren. Het Investigator Trial Comité in het CTN heeft de start begeleid van de CAR-CF studie op onze Europese onderzoekscentra. Het is onze eerste door een onderzoekers opgezette studie en demonstreert de wendbaarheid van het CTN om nieuwe onderzoeken te ontwikkelen om belangrijke vragen voor de CF gemeenschap te beantwoorden. Het was een enorme onderneming, met veel uitdagingen, maar we zijn ervan overtuigd dat het waardevolle klinische gegevens zal opleveren. Wij zijn zeer dankbaar voor al uw steun.

We zijn dank verschuldigd aan de patiëntenorganisaties en mensen met CF die hun feedback en ideeën hebben gegeven. De verschillende citaten in het verslag van mensen met CF, die actief betrokken zijn bij het CTN, benadrukken het belangrijke werk dat binnen ons netwerk wordt verricht. Het patiëntgerichte project, Pro-CF (patient reported outcomes bij CF) loopt door onder begeleiding van Isabelle Sermet en Kate Hayes uit onze standaardisatiecommissie.

We zijn onze partners dankbaar voor hun voortdurende financiering van ons netwerk, waaronder de patiëntenorganisaties uit Frankrijk, het Verenigd Koninkrijk, Italië, België, Nederland, Zwitserland, Luxemburg en

Duitsland. We zijn ook erg dankbaar voor de financiering van de Cystic Fibrosis Foundation (VS) voor de ondersteuning van: extra onderzoekspersoneel in veel van onze locaties, het CTN Core Center in Leuven en de CAR-CF-studie.

Zonder een sterk en betrokken team had ons netwerk het huidige succesniveau niet kunnen bereiken. Ik wil Veerle Bulteel, Anne Verbrugge, Kate Hayes en Katia Reeber en onze leden van het Uitvoerend Comité bedanken voor hun niet-aflatende steun en inzet. Het beheer van complexe gegevens en de ontwikkeling van dit uitstekende verslag zou niet mogelijk zijn geweest zonder Fiona Dunlevy, kwaliteitsmanager van het CTN. We stellen ook de steun van onze partnernetwerken, het Therapeutics Development Network (TDN) in de VS en het CF Canadian Accelerating Clinical Trials Network (CanACT), zeer op prijs.

Tenslotte zijn wij u zeer dankbaar voor al uw steun. Geef ons uw feedback op dit verslag en neem contact met ons op als u opmerkingen hebt of zaken die u wilt opgenomen zien in toekomstige rapporten. Deel dit rapport gerust met uw teams!

Met vriendelijke groet,

Damian Downey
Directeur ECFS-CTN



2021 ONS JAAR IN GETALLEN



4

**Wetenschappelijke
ARTIKELEN**
gepubliceerd

529 MENSEN met CF
geïnccludeerd in een
nieuwe studie



Haalbaarheid
gecheckt voor
10 studies



3



EU

projecten lopend



x10 protocollen

van 6 bedrijven

gereviewd door mensen met CF, hun families,
artsen, researchcoördinatoren en statistici.

317

doen mee
aan

CAR-CF
COVID-19 antibody response in CF

om
Covid-19
antilichamen
te meten



28

 lopende studies ondersteund

Herstel CFTR-functie (18)

Anti-infectie (3)

Mucociliaire werking en slijmvlies in de luchtwegen (1)

Overige (6)

ECFS-CTN

Organisatie

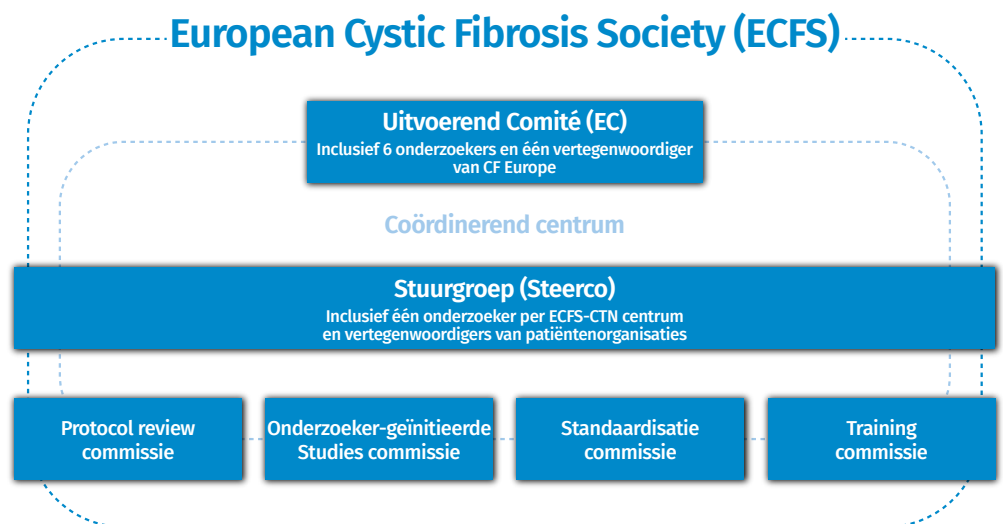
Onze missie

Ga naar www.ecfs.eu/ctn om te ontdekken hoe het ECFS-CTN klinische studies voor nieuwe therapieën voor CF versnelt

Hoe we werken

ECFS-CTN werd opgericht in 2008 en heeft als doel het klinisch onderzoek naar CF te intensiveren en mensen met CF zo snel mogelijk van nieuwe geneesmiddelen te voorzien.

ECFS-CTN bestaat uit 58 centra in 17 landen en een centraal coördinerend centrum in Leuven, België.



ECFS-CTN wordt geleid door

- het Uitvoerend Comité, dat tweemaal per maand via teleconferentie bijeenkomt. Zij ontwikkelen het netwerkbeleid, sturen de verschillende comités aan en keuren klinische studies goed die worden toegevoegd aan de CTN-portfolio na beoordeling van het protocol.
- Het *Steering Comité* (Steerco) bestaat uit 1 arts van elk lidcentrum, een vertegenwoordiger van elk van de patiëntenorganisaties, leden van het uitvoerend comité en CTN-personeel. Steercoleden komen twee keer per jaar persoonlijk bijeen om CTN-activiteiten, strategieën en gemeenschappelijke uitdagingen te bespreken.

Het centraal coördinerend centrum telt 5 personeelsleden die de dagelijkse activiteiten van het CTN organiseren en de verschillende comités ondersteunen.

Onze centra



ECFS-CTN

Uitvoerend Comité

Het Uitvoerend Comité in 2021



Damian Downey

Een arts die zorgt voor volwassenen met CF in Belfast, Noord-Ierland.



Lieven Dupont

Een arts die zorgt voor volwassenen met CF in Leuven, België.



Nicholas Simmonds

Een arts die zorgt voor volwassenen met CF in Londen, Engeland.



Hettie Janssens

Een arts die zorgt voor kinderen met CF in Rotterdam, Nederland.



Dario Prais

Een arts die zorgt voor kinderen met CF in Petah Tikva, Israël.



Philippe Reix

Een arts die zorgt voor kinderen met CF in Lyon, Frankrijk.



Jutta Bend

Coördinator van het Duitse Clinical Trials Network en patiëntvertegenwoordiger in het ECFS-CTN.



CTN activiteiten

Nieuwe studies ondersteunen

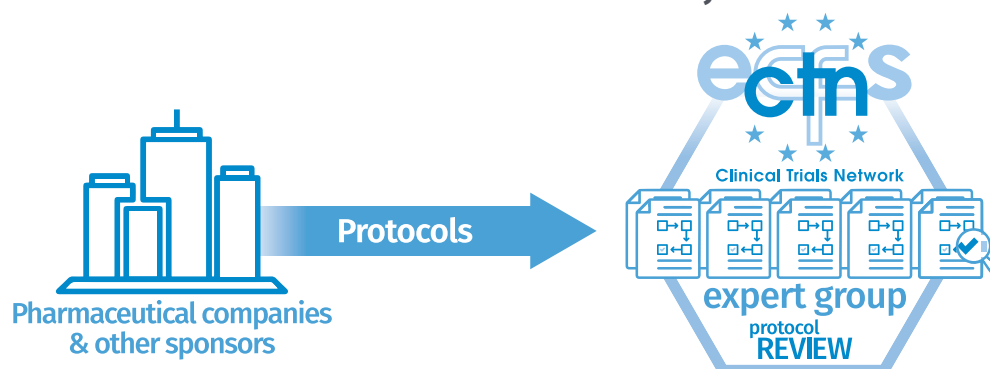
Protocol review & haalbaarheid

Ontdek meer op onze website

www.ecfs.eu/ctn

Farmaceutische bedrijven die klinische studies willen uitvoeren in ECFS-CTN centra, moeten hun protocol laten beoordelen door het protocolbeoordelingsteam van ECFS-CTN, bestaande uit expertgroepen van CF-dokters, onderzoekscoördinatoren, academische onderzoekers en mensen met CF en hun gezinnen.

In 2021 hebben we 10 commerciële protocollen beoordeeld van 4 verschillende bedrijven.



Het ECFS-CTN verzocht om verduidelijkingen of wijzigingen bij 5 protocollen vooraleer deze goed te keuren. In totaal werden 10 protocollen goedgekeurd, waarvan één met een voorwaardelijke goedkeuring. Wanneer een protocol is beoordeeld en goedgekeurd, laten wij alle ECFS-CTN centra weten dat de review van het protocol positief is en of wij het protocol als hoge, gemiddelde of lage prioriteit beschouwen.

Nadat een protocol is goedgekeurd om binnen ECFS-CTN te worden uitgevoerd, helpen wij het farmaceutische bedrijf geschikte locaties te vinden om aan de studie deel te nemen. In 2021 hebben wij haalbaarheidsstudies voor 10 studies (voor 4 sponsors) gecoördineerd.

CTN activiteiten

Klinische studies in 2021



Protocol review

Stephan, een volwassene met CF uit Duitsland, is lid van de protocolbeoordelingscommissie en legt uit wat erbij komt kijken.

Ik ben al heel lang bestuurslid van de Duitse Cystic Fibrosis Organization (Mukoviszidose e.V., www.muko.info), namelijk sinds 1991. Als CF patiënt, maar ook als natuurwetenschapper (ik ben een natuurkundige), ben ik altijd geïnteresseerd geweest in onderzoek op het gebied van CF. Dus ik stemde er graag mee in toen ik werd gevraagd om lid te worden van de ECFS Clinical Trials Netwerk-protocolbeoordelingscommissie.

Soms is het moeilijk en tijdrovend om het studieprotocol te lezen en de relevante onderdelen in het grote aantal pagina's te vinden. Als patiëntvertegenwoordigers houden we ons bezig met de vraag of het ontwerp van de studie past bij de realiteit van het leven van de patiënten, of de inspanning redelijk en gerechtvaardigd is en of er hierboven suggesties voor verbeteringen zijn. Voor elke protocolreview investeer ik ongeveer drie lange avonden om mezelf in te lezen en vertrouwd te maken met het onderwerp, en vervolgens om de vragen te beantwoorden.

Het is natuurlijk heel interessant om te zien hoe dergelijke onderzoeken worden opgezet, met hoeveel problemen rekening moet worden gehouden en welke wetenschappelijke vragen ze moeten beantwoorden. Er zijn altijd aspecten die beter kunnen worden beoordeeld met de ervaring van meer dan 5 decennia met mijn eigen CF dan door een bioloog of arts. Daarom juich ik het ten zeerste toe dat het ECFS Clinical Trials Netwerk (ECFS-CTN) familieleden en patiënten betreft bij de beoordeling.



CTN activiteiten

Klinische studies in 2021



Protocol review

Anne, een volwassene met CF uit Duitsland, is lid van de protocolbeoordelingscommissie en legt uit wat erbij komt kijken.

Wat motiveerde je om lid te worden van de protocolbeoordelingscommissie?

Ik ben blij dat ik de kans krijg om wetenschappelijk onderzoek te ondersteunen en op een kleine manier kan helpen om de behandeling van CF te verbeteren.

Is het moeilijk om een wetenschappelijk protocol te lezen?

Als je eenmaal bekend bent met de algemene structuur en terugkerende medische termen, is het oké. Het kan echter soms een uitdaging zijn.

Is het veel werk?

Per review heb ik tussen de 2 en 4 uur nodig, afhankelijk van hoe ingewikkeld het is. Dit omvat het onderzoeken van enkele medische termen, procedures, enz. Ik probeer ook te achterhalen of soortgelijke onderzoeken al ergens anders zijn gedaan.

Wat is er interessant aan deelname aan de protocolbeoordelingscommissie?

Voor mij is het meest fascinerende deel om inzicht te krijgen in de huidige wetenschappelijke ontwikkelingen. Soms zijn de protocollen behoorlijk uitdagend - ik vind het heerlijk om in de beschrijvingen en uitleg te duiken en ze uiteindelijk te begrijpen.

Waarom is het belangrijk dat het protocol wordt nagekeken door een familielid?

Hoewel een familielid/CF-patiënt misschien niet de perfecte medische expert is, zijn wij de experts als het gaat om leven met CF. Ik ben ervan overtuigd dat onze inzichten kunnen helpen om studieontwerpen praktischer en gemakkelijker te maken. Soms zijn onderzoekers zich niet bewust van andere CF-factoren - dus we kunnen dat perspectief inbrengen en ervoor zorgen dat het niet over het hoofd wordt gezien.

Heeft u nog andere opmerkingen over de toetsing van het protocol?

Ik denk dat het gaaf zou zijn om een Zoom-bijeenkomst te hebben van alle reviewers, gewoon om elkaar te leren kennen en review-ervaringen uit te wisselen.

Ik ben erg trots om deel uit te maken van deze Europese groep!

CTN activiteiten

Klinische studies in 2021



Protocol review

Milan, een volwassene met CF uit Tsjechië, is lid van de protocolbeoordelingscommissie en legt uit wat erbij komt kijken

Wat motiveerde je om lid te worden van de protocolbeoordelingscommissie?

Ik wilde iets heel unieks en enorm nuttigs helpen - de ontwikkeling van nieuwe soorten medicijnen voor CF. Het kan een ongelooflijk verschil maken in het leven en lot van mensen, niet alleen met deze ziekte, maar ook van hun familie en vrienden.

Is het moeilijk om een wetenschappelijk protocol te lezen?

Ja, het zijn meestal tientallen pagina's technische tekst, vaak gaat het om details. Aan de andere kant is de patiëntbeoordelaar er niet om de medische waarde van het onderzoek te beoordelen.

Is het veel werk?

Al met al zijn het enkele uren werk.

Wat is er interessant aan deelname aan de protocolbeoordelingscommissie?

Je bent een van de eersten die op de hoogte is van toekomstige behandelmogelijkheden. Bovendien kan je zeer gedetailleerde informatie krijgen over nieuwe medicijnen. En tot slot heb je de mogelijkheid om actief invloed uit te oefenen op enkele deelaspecten van testen.

Waarom is het belangrijk dat het protocol wordt nagekeken door een familielid?

Ik denk dat het zeer terecht is dat mensen die de ins en outs van het CF-regime persoonlijk kennen, commentaar leveren op het concept van de studie. Patiëntvertegenwoordigers kunnen beoordelen of een onderzoek überhaupt samen kan met het behandelregime, of het onderzoek aantrekkelijk genoeg is voor potentiële deelnemers om deel te nemen. Of het te veel verplichtingen en voorwaarden bevat waaraan niet kan worden voldaan.

Heeft u nog andere opmerkingen over de toetsing van het protocol?

Ik waardeer de grote professionaliteit van het hele proces. Van de eerste benadering om na te gaan of ik interesse heb om evaluator te zijn tot de laatste feedback op mijn opmerkingen. Je weet precies wat er van je verwacht wordt en je ziet dat je werk zinvol is.

CTN activiteiten

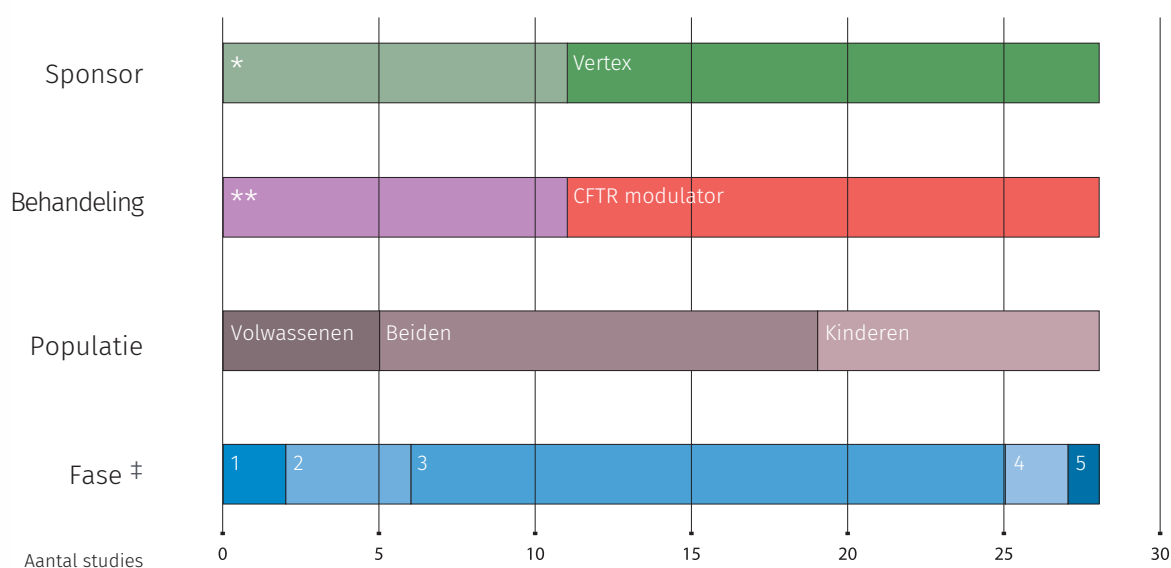
Klinische studies in 2021

Studies in ECFS-CTN centra

De 28 studies die in de analyse van dit jaar zijn opgenomen, onderzochten meestal CFTR-modulatoren. De studies waren meestal fase 3 studies.

Tussen november 2020 en november 2021 hebben de ECFS-CTN centra 529 mensen met CF geïnccludeerd in klinische studies. Driekwart van de ingeschreven mensen waren volwassenen.

Een volledige lijst van de door ons ondersteunde studies vindt u in de bijlage (p. 36-37).



* Ospedale Pediatrico Bambino Gesu (OPBG) sponsorde de 2 cASPerCF-onderzoeken. AbbVie heeft 2 onderzoeken gesponsord. De volgende sponsors hadden elk 1 studie: Royal College of Surgeons in Ireland (RCSI), UMC Erasmus, Synspira, Alaxia, Alder Hey NHS en Eloxx. CAR-CF heeft meerdere nationale sponsors.

**Mucociliaire werken en slijmvlies in de luchtwegen (2 studies), ENaC inhibitor (1 studie), anti-infectie (1 studie), real-world bewijs (3 studies) en geen therapie (3 studies).

‡ CAR-CF heeft geen fase.

Voor meer details over alle studies die we ondersteunen (en resultaten), ga naar:
www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials

CTN activiteiten

Klinische studies in 2021



In de woorden van mensen met CF die deelnamen



Leonoor

Marian en haar dochter Leonoor komen uit Nederland. Ze beschrijven hun ervaring met de deelname van Leonoor aan een onderzoek voor een triple combinatietherapie van CFTR-modulatoren.

“ Toen onze dochter Leonoor jaren geleden de diagnose CF kreeg, was een van onze eerste gedachten dat ze te jong en te vroeg zou overlijden. We kregen te horen dat de ontwikkelingen op het gebied van geneesmiddelenonderzoek veelbelovend waren en dat we niet de hoop moesten verliezen. De meeste medicijnen die in ontwikkeling waren, waren echter geschikt voor de meest voorkomende mutaties.

Helaas heeft Leonoor een zeldzame mutatie en ik denk dat ik niet hoeft uit te leggen dat het hebben van een zeldzame mutatie binnen een zeldzame ziekte niet de 'uniekheid' is die je in het leven wilt hebben... Natuurlijk hadden we gehoord van alle veelbelovende ontwikkelingen zoals Orkambi, en uiteindelijk Kaftrio. Maar om onszelf mentaal te beschermen, omarmden we de gedachte dat we het prima zouden redden zonder enige behandeling die geschikt was voor haar mutatie. Ondertussen hebben we deelgenomen aan bijna elk onderzoeksproject van ons ziekenhuis, zolang het maar niet te ingrijpend of belastend was voor Leonoor. Als de resultaten van het onderzoek haar niet zouden helpen, kan het nog steeds iemand anders helpen.

Tot onze verbazing kregen we in het najaar van 2020 een telefoontje dat Leonoor tot een kleine groep patiënten behoorde die voldeed aan de criteria om deel te nemen aan de Kaftrio-studie en dat ze uit die kleine groep willekeurig was geselecteerd. Wilden we meedoen? Ook al was dit een kans waarvan we nooit hadden durven dromen, we moesten er toch over nadenken. Natuurlijk sprongen we op van vreugde bij de gedachte dat ze een van de eerste kinderen onder de 12 jaar in Nederland zou kunnen zijn met toegang tot Kaftrio. Maar kwaliteit van leven bleek net zo belangrijk. Voor onszelf hebben we besloten dat we het praktisch konden laten werken. De ziekenhuisbezoeken plannen op dagen waarop een van ons thuis werkte (Covid-19 had ook enkele voordelen...) zodat de andere kinderen werden opgevangen. Maar uiteindelijk was de mening van Leonoor het belangrijkste. We besloten dat als ze nee zei, we het niet zouden doen. We legden de voordelen uit die ze van Kaftrio zou kunnen hebben en we vertelden haar wat er van haar zou worden verwacht in termen van ziekenhuisbezoeken en tests, en toen zei ze ja!

CTN activiteiten

Klinische studies in 2021



In de woorden van mensen met CF die deelnamen

De eerste fase van de studie was een uitdaging vanwege de hoge frequentie van de ziekenhuisbezoeken en de lange dagen, die voor Leonoor vermoeiend waren. Gelukkig zijn we nu in de tweede fase en op een wat losser bezoekschema. Achteraf bleek het moeten opnemen van drie nieuwe pillen in onze dagelijkse routine het moeilijkste onderdeel van deze proef. In de ochtend verloopt alles vlot. We hebben onze ontbijtroutine en die twee pillen horen er gewoon bij. 's Avonds gaat alles goed, tenzij een speelspraakje verandert in mee-eten bij het avondeten of een spontane logeerpartij. Die onverwachte gebeurtenissen blijken ons knelpunt te zijn omdat ze geen deel uitmaken van ons ritme. Ondertussen krijgen we het zelfs met zulke onverwachte gebeurtenissen onder de knie.

We blijven deelnemen aan onderzoek omdat het zo belangrijk is. Toch is deelname aan een nieuwe studie iets waar we even over moeten nadenken, of zoals Leonoor het zelf zegt:

“Ik vind het soms vervelend dat we zo vaak naar het ziekenhuis moeten. Dan mis ik school en op vrijdag zijn alle leuke dingen. Ik vind de hartfilm (voor het ECG) het leukst, de stickers zijn lekker kietelend! Ik vind de LCI-meting het stomst. Ik weet niet of ik nog aan een ander onderzoek wil deelnemen, het hangt ervan af hoe vaak we naar het ziekenhuis moeten.”

CTN activiteiten

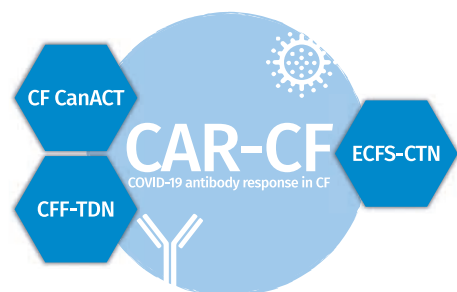
Onze reactie op Covid-19

De impact op mensen met CF en klinische onderzoeken naar CF

In 2021 bleven we samenwerken met het ECFS patiënten register om informatie te verzamelen over het aantal mensen met CF dat Covid-19 had. We publiceerden regelmatig updates [op de ECFS website](#) en publiceerden een wetenschappelijk artikel over de [risicofactoren voor een slecht ziekteverloop](#).

We hebben ook een wetenschappelijk artikel gepubliceerd over hoe centra voor klinische studies [de impact van de pandemie op klinische studies kunnen verminderen](#). Dit document was gebaseerd op ideeën die werden verzameld op ECFS-CTN centra die via regelmatige enquêtes in 2020 en 2021.

Covid-19 antibody response in CF (CAR-CF)



CAR-CF is een door de onderzoeker opgezette studie die wordt ondersteund door ECFS-CTN. We verzamelen bloedmonsters van mensen met CF in heel Europa om te detecteren of de persoon Covid-19 had of niet. We werken samen met patiëntenorganisaties in Europa, Canada (CanAct) en de VS (CFF-TDN), die soortgelijk onderzoek in hun land gaan doen. Het project, genaamd CAR-CF, zal ook kijken hoe goed mensen met CF immuniteit ontwikkelen tegen Covid-19 na vaccinatie.

Het zal worden uitgevoerd in 14 landen in Europa, plus in Canada en de VS, en we hopen bloedmonsters te verzamelen van duizenden mensen met CF.

Eind 2021 stonden 19 centra in 9 landen open voor inschrijving en waren er 317 mensen met CF ingeschreven. 40 andere centra in 5 landen waren druk bezig met alle administratieve voorbereidingen om het onderzoek te starten.

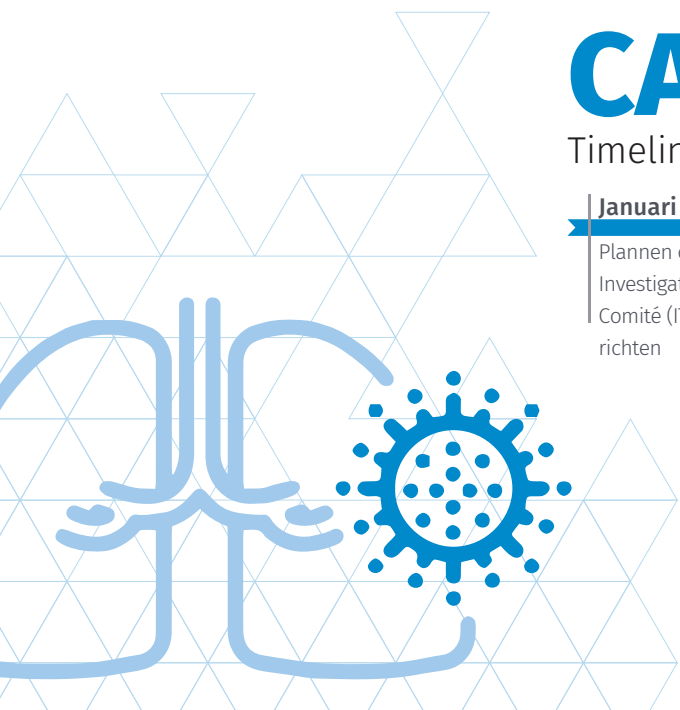
Het actuele aantal geworven patiënten per locatie vindt u op <https://www.ecfs.eu/ctn/projects/CAR-CF>

De eerste resultaten worden in 2024 verwacht.

CAR-CF

Timeline for a clinical trial

Januari 2020	Juli 2020	Aug-Dec 2020	Februari 2021
Plannen om een CTN Investigator Trial Comité (ITC) op te richten	Eerste vergadering van het ITC – beslissing om de CAR-CF studie op te starten	Protocol review en haalbaarheid	Selectie van de verantwoordelijken per land, opstart van regelmatige teleconferenties



CTN activiteiten

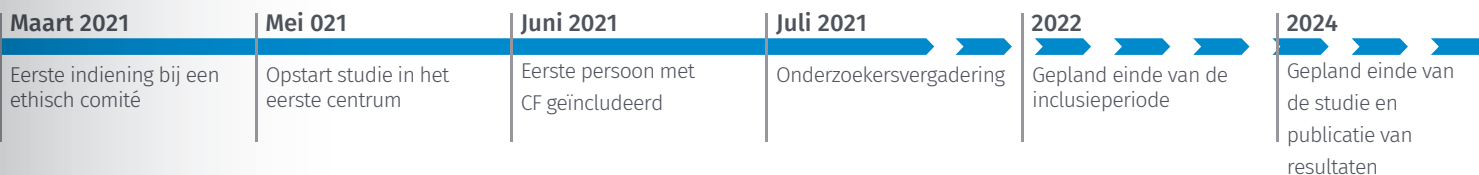
Onze reactie op Covid-19

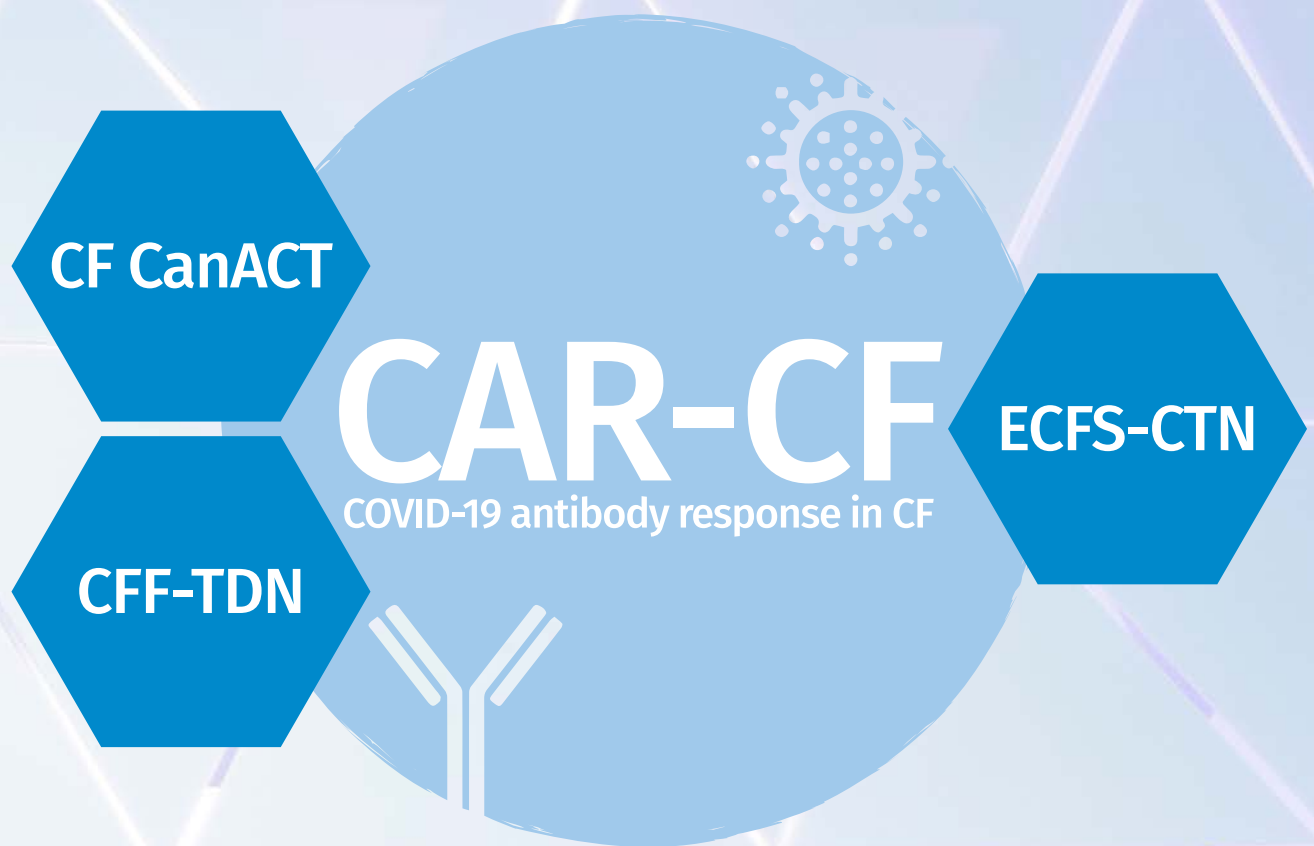


Jutta Bend

Jutta Bend is de coördinator van het Duitse Clinical Trials Network dat wordt geleid door de Duitse patiëntenorganisatie "Mukoviszidose eV". Zij vertegenwoordigt de stem van de patiënten in het Investigator Trial Comité (ITC)

“ Het is voor mij een mooie kans en eer om als lid van het ITC de patiëntenorganisaties te vertegenwoordigen, omdat op deze manier patiëntgericht onderzoek kan worden gerealiseerd. CAR-CF – het eerste door onderzoekers geïnitieerde project van het ITC – werd gelanceerd in 2021. De pandemie had nog steeds een impact op ons hele leven en maakte de planning van een multicenter, multinational onderzoek tot een enorme uitdaging. Ik ben er echter trots op dat de eerste patiënten konden worden opgenomen in de studie in Duitsland. Dit kwam tot stand door een zeer goede samenwerking tussen het klinische studiecentrum in Keulen en de Duitse patiëntenorganisatie waarmee ik samenwerk. We hebben de patiëntinformatiedocumenten vertaald en aangepast die nodig zijn voor indiening bij de Ethische commissie en om mensen met CF op een passende manier te informeren over CAR-CF en de mogelijkheid om deel te nemen. Andere landen volgden met een vergelijkbare samenwerking tussen artsen en patiëntenorganisaties: eind 2021 waren klinische proeflocaties in 12 landen gestart en ca. 300 patiënten werden geïncludeerd. Er waren veel problemen die moesten worden opgelost en processen moesten worden ontwikkeld: Voorbeelden zijn de overeenkomsten voor gegevens- en materiaaloverdracht, het elektronische Case Report Form voor de documentatie van de gegevens en de opname van het onderzoek in het onderzoeksregister www.clinicaltrials.gov. Er is grote vooruitgang geboekt en het is verbazingwekkend om te zien hoe mensen met CF en artsen samenwerken om dit project te realiseren ”





Vincent, een persoon met CF uit Duitsland. Hij legt uit waarom hij meedoet aan CAR-CF

“Fantastisch dat er een studie als de CAR-CF-studie is gestart! De Covid-19 pandemie heeft ons allemaal erg geraakt - met een speciale bedreiging voor alle patiënten met chronische longziekten zoals CF. Het verkrijgen van wetenschappelijke kennis uit deze studie is dus essentieel. En om te horen dat deze studie wordt uitgevoerd als een enorme Europese studie, is geweldig, omdat we deze eenwording nodig hebben, vooral in deze momenteel zeer moeilijke tijden. Ik ben er trots op daar deel van uit te maken.”

CTN activiteiten

Ons werk

Training



Meestal houden we in juni, vlak voor de ECFS-conferentie, een trainingsdag voor onderzoekers en onderzoekscoördinatoren. Helaas betekende de Covid-19-pandemie dat de 2021-conferentie en al onze trainingsactiviteiten online moesten plaatsvinden.

Januari 2021: stuurgroep-vergadering met 91 deelnemende onderzoekers (inclusief sprekers en panel).

Juni 2021: stuurgroep-vergadering met 74 deelnemende onderzoekers (inclusief sprekers en panel).

Juni 2021: opleiding tot onderzoekscoördinator met 139 deelnemende onderzoekscoördinator en onderzoekers (inclusief sprekers en panel), gericht op controle van klinische studies. Voor de interactieve workshop deden 57 onderzoekscoördinator en live mee.

October 2021: we hadden een driedelige webinar over bewijs uit de echte wereld, inclusief sprekers uit de academie en de industrie, evenals regelgevende en vergoedingsinstanties. We hadden 329 deelnemers voor de 3 webinars, waarbij sommige teams via één computerverbinding deelnamen.

CTN activiteiten

Ons werk

Verklarende woordenlijst in lektentaal

ECFS-CTN werkt samen met CF Europe en de aangesloten patiëntenorganisaties aan een verklarende woordenlijst van wetenschappelijke termen die vaak in klinische studies worden gebruikt. In 2020 hebben we een proefwoordenlijst van 11 termen gemaakt. In 2021 hebben we mensen met CF en mensen uit het grote publiek om feedback en advies gevraagd voor het verbeteren van de woordenlijst. We hebben financiering verkregen van Queen's University, Belfast om het project te helpen promoten en de [woordenlijst](#) te lanceren op de ECFS-conferentie in juni 2022.



Jade Ashton

Jade Ashton, die leeft met CF, is een freelance schrijver over gezondheidswetenschappen.

“

Ik heb het voorrecht gehad om nu iets meer dan een jaar deel uit te maken van dit project, zowel als recensent en vervolgens als schrijver. Het was geweldig om met zo'n fantastisch team te werken aan een project dat een impact zal hebben op mensen in de CF-gemeenschap. Toegankelijkheid van informatie wordt gewaardeerd door mensen met CF en hun families, met name informatie over nieuw onderzoek - horen over lopend onderzoek biedt veel hoop voor de toekomst en laat zien hoe fondsenwerving en donaties positieve effecten kunnen hebben op het leven van mensen. Ik hoop dat iedereen die onderzoek doet naar CF het belang inziet van het betrekken van de eindgebruiker, en de woordenlijst nuttig vindt om dit te bereiken. Evenzo, naarmate de woordenlijst groeit en de bijbehorende blogs context bieden, hoop ik dat we iedereen kunnen helpen die meer wil weten over CF, net zoals het leren over mijn aandoening mijn reis van empowerment begon. Ik bedank iedereen die dit project mogelijk maakt.”

CTN activiteiten

Standaardisatie

Standaard praktijkvoorschriften

ECFS-CTN schrijft en deelt richtsnoeren die bekend staan als standaard praktijkvoorschriften (SPVs), gedetailleerde documenten waarin de te volgen stappen worden uitgelegd voor het meten van de uitkomsten van klinische studies.

Tijdens 2021:

- Hebben we een nieuwe SPV geschreven over het isoleren, cultiveren en gebruiken van primaire respiratoire epitheelcellen die zijn verkregen door neusborstelen of poliep- of longexplantaten (mei 2021)
- Hebben we een bestaande SPV over Sweat Induction and Collection Macroduct® Advanced geüpdatet (deze SPV vervangt niet de bestaande zweet test SPV, maar is voor de centra die de nieuwere apparatuur gebruiken) (december 2021)
- Publiceerden we ook een artikel in het JCF uitgave over [sputum-biomarkers](#).



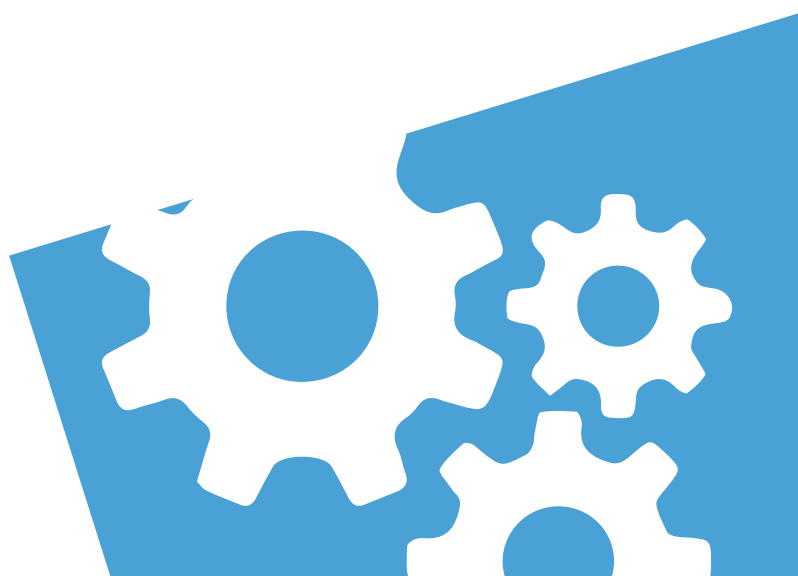
CTN activiteiten

Standaardisatie

CTN Beeldvorming bij CF Speciale Interesse Groep

In 2021 kwam de Beeldvorming bij CF Speciale Interesse Groep, geleid door prof. dr. Harm Tiddens van het Erasmus Medisch Centrum, Rotterdam, maandelijks via teleconferentie bijeen om het onderzoek op dit belangrijke gebied van CF-onderzoek te coördineren. Het doel is om aanbevelingen/richtlijnen te produceren voor CT en voor MRI-protocollen die mogelijk gebruikt kunnen worden door CF-centra en mensen met CF. De groep bestaat uit radiologen, medisch fysici, kinder- en volwassen CF-specialisten, vertegenwoordigers van CTN en CF Europe. Het bestaat uit 3 subteams die ook maandelijks bijeenkomen en de volgende gebieden verkennen:

1. Strategieën voor CT-monitoring: het ontwikkelen van richtlijnen voor CT-onderzoeken voor kinderen en volwassenen, in samenwerking met onze collega's van de European Respiratory Society. Deze groep wordt geleid door Michael Fayon (Bordeaux), Barbara Messori en Luca Riberi (Torino)
2. Kernsets van MRI-sequenties definiëren voor gebruik in een klinische setting onder leiding van Jens Vogel-Claussen (Hannover) en Pierluigi Ciet (Rotterdam)
3. Lage dosis strategieën voor CT: geleid door Michael Maher (Cork)



CTN activiteiten

Werkgroepen

Centrale lees werkgroepen voor longklaringsindex en longbeeldvorming

We zorgen ervoor dat al onze onderzoeksnetwerk centra op een vergelijkbare manier werken als het gaat om sommige van de speciale technieken die nodig zijn voor de klinische onderzoeken. We trainen en certificeren locaties met behulp van enkele centrale werkgroepen. Bijvoorbeeld voor het meten van longefficiëntie met de zogenaamde longklaringsindex (lung clearance index: LCI) en voor CT-scanning.

Longklaringsindex (LCI) werkgroep

In juli 2014 werd de CTN LCI werkgroep opgericht om normen vast te stellen en verzoeken te beoordelen die zijn ingediend door CTN-lid centra, en die centra te kwalificeren en certificeren die voldoen aan vooraf vastgestelde kwaliteitscriteria.

De LCI werkgroep wordt mede geleid door Prof Jane Davies en Clare Saunders van het Royal Brompton/Imperial College London en hun onderzoeksteam. Ze hebben uitgebreide ervaring in het testen van longklaring en het interpreteren van resultaten.

Deze werkgroep biedt deskundig advies over standaardisatie van longklaringsindex-procedures en opleiding van personeel voor klinische studies. Tot op heden hebben ze 45 CTN-centra (179 medewerker) getraind en gecertificeerd en in samenwerking met werkgroepen in Noord-Amerika en Australazië 22 klinische studies ondersteund. Voor vragen over de werkgroep van Royal Brompton/Imperial College London kunt u contact opnemen met: c.saunders@imperial.ac.uk or LCICore@rbht.nhs.uk or visit <https://www.lungclearanceindex.com/>



Het LCI Team: Chris Short, Gina Rivellini, Clare Saunders, Jane Davies, Mary Abkir, Sophie Pinnell.

“Het was bemoedigend om de impact te zien die de ECFS CTN werkgroep de afgelopen jaren heeft kunnen hebben bij de invoering van de longklaringsindex in klinische studies. Tot nu toe voornamelijk gebruikt in de pediatrie, lijkt het waarschijnlijk dat gevoeliger uitkomstmaten zoals deze steeds nuttiger zullen zijn bij de volwassen populatie op CFTR-modulatoren”

Prof. Jane Davies

CTN activiteiten

Werkgroepen

Longbeeldvorming werkgroep

Om ervoor te zorgen dat al onze CTN-centra een vergelijkbare praktijk volgen en na de consultatie van 2019-2020 op alle ECFS-CTN-locaties, standaardiseert het longanalyselaboratorium van het Erasmus Medisch Centrum in Rotterdam nu borst-CT-scans op alle ECFS-CTN-locaties.

25 locaties zijn gecertificeerd door het centrale laboratorium en nog eens 16 in het proces.

Website: <https://lunganalysis.erasmusmc.nl/>

Voor vragen kunt u contact opnemen met Jorien via: j.vandeputtelaar@erasmusmc.nl

Voor algemene vragen over al onze SPVs en groep kunt u contact opnemen met Kate Hayes via: k.hayes@qub.ac.uk of het coördinatiecentrum via ecfs-ctn@uzleuven.be voor details van deze SPVs en ook van alle andere!

CTN activiteiten

Onderzoekscapaciteit onderhouden en uitbreiden

Financiële steun voor centra

Toekenning van de ARC-beurs voor extra onderzoekscapaciteit (2017-2020)

De CFF heeft 3049953 dollar toegekend voor de financiering van extra onderzoekspersoneel in ECFS-CTN centra die aan bepaalde criteria voldoen, en gaf structurele steun tussen 2017 en 2020. Deze financiering stelde centra in staat om meer studies uit te voeren, en in sommige gevallen ook gecompliceerdere studies. De financiering stelde de centra ook in staat om meer personeelstijd te besteden aan bestaande studies.

Toekenning van de CRC-beurs voor blijvende onderzoekscapaciteit (2021-2023)

Als voortzetting van de beurs voor extra onderzoekscapaciteit heeft het CFF nog eens in totaal \$ 3.063.615 voor de periode 2021-2023 toegekend om de capaciteit in de centra en in het CTN coördinerend centrum te onderhouden. We zijn het CFF allemaal bijzonder dankbaar voor deze steun!

Florian Singer, hoofdonderzoeker in Bern, Zwitserland, legt uit hoe de CRC-beurs zijn centrum heeft geholpen.

“ We zijn de ECFS-CTN en CFF erg dankbaar voor het ondersteunen van de onderzoekscapaciteit op onze locatie in Bern, Zwitserland. We hebben onze personeelscapaciteit kunnen vergroten. Onze klinisch CF-verpleegkundige Martina mocht meewerken aan onderzoek. Barbara, een andere CF-onderzoeksverpleegkundige, zou haar capaciteit kunnen vergroten en meer ondersteuning kunnen bieden voor aanstaande onderzoeken bij kinderen en volwassenen met CF. Barbara en Martina vullen elkaar aan in onderzoek en klinische aspecten. Barbara en Martina zijn ingebed in zowel het CF-centrum Bern als het kinderonderzoeksnetwork PEDNET, waardoor een vruchtbare samenwerking en kennisuitwisseling mogelijk is. ”





Patiënt gerapporteerde resultaten

Een gezamenlijk project met ECFS-CTN en CF Europe



Waarom kwaliteit van leven meten?

Er zijn veel manieren om te meten of iemands CF stabiel is, beter wordt of slechter wordt. Een bedrieglijk eenvoudige manier is om het gewoon aan de persoon te vragen - tenslotte kent niemand CF beter dan degenen die ermee leven. Echter, het omzetten van de vraag "hoe voel je je?" in iets dat artsen en onderzoekers kunnen volgen, meten en vergelijken, is een veel grotere taak.

En deze taak wordt steeds belangrijker, aangezien de instanties die verantwoordelijk zijn voor het goedkeuren en vergoeden van nieuwe geneesmiddelen rekening houden met veranderingen in de "kwaliteit van leven".

Instanties zoals het Europees Medicijn Agentschap (EMA) zullen alleen gegevens over kwaliteit van leven accepteren als deze zijn verzameld met behulp van een overeengekomen vragenlijst, ook wel een door de patiënt gerapporteerde uitkomstmaat (patient reported outcome measure: PROM) genoemd. Deze vragenlijsten worden ontwikkeld en afgestemd op de aandoening zelf en de leeftijd van de patiëntengroep die aan het onderzoek deelneemt. Onderzoekers moeten de vragenlijst 'valideren' om er zeker van te zijn dat de juiste vragen zijn opgenomen en dat iedereen de vragen op dezelfde manier begrijpt. Een andere belangrijke stap in de validatie is om te controleren of veranderingen in de resultaten van de vragenlijst veranderingen in symptomen of andere aspecten van de aandoening weerspiegelen. Het is erg belangrijk om vragenlijsten goed te valideren, zodat de resultaten ervan kunnen worden gebruikt om nieuwe medicijnen bij patiënten te brengen.

Waarom hebben we een nieuwe vragenlijst nodig bij CF?

Bij CF is de meest gebruikelijke maatstaf voor kwaliteit van leven een vragenlijst genaamd de "Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised" of kortweg de CFQ-R. Deze vragenlijst wordt al vele jaren gebruikt en is in veel klinische onderzoeken aan de orde geweest. Sommige vragen zijn tegenwoordig echter een beetje ouderwets. Door de beschikbaarheid van internetbankieren is bijvoorbeeld een vraag over je goed genoeg voelen om naar de bank te gaan nu achterhaald. Mensen met CF hebben gevraagd om een vragenlijst die meer is aangepast aan het moderne leven. In 2019 begon ECFS-CTN samen te werken met CF Europe (de Europese federatie van CF-patiëntenorganisaties) en een groep mensen met CF om een nieuwe vragenlijst over kwaliteit van leven op te stellen, ook wel een door de patiënt gerapporteerde uitkomstmaat (PROM) genoemd.

De groep kwam in de loop van 2 jaar maandelijks bijeen via teleconferenties, waarbij de bestaande door patiënten gerapporteerde uitkomstmaten die bij CF werden gebruikt, werden beoordeeld. De groep koppelde hun bevindingen aan de resultaten van een ander PROMS-project, een op interviews gebaseerde studie van 125 mensen met CF en hun families om te zien welke onderwerpen ze zouden willen opnemen in een nieuwe vragenlijst. We hebben ook klinische CF-centra in heel Europa onderzocht om te zien welke hulpmiddelen en vragenlijsten ze gebruiken bij kliniekbezoeken.



2019:

Patiëntenadviesraad opgericht.

Verzamelen informatie over PROM's die in heel Europa worden gebruikt

2020:

Concept vragenlijst ontwikkeld, genaamd PRO-CF
Proeftesten

Patiënt gerapporteerde resultaten



Een gezamenlijk project met ECFS-CTN en CF Europe

Een team achter de enquête

De groep ontwikkelde vervolgens een nieuwe, door patiënten gemaakte vragenlijst en noemde deze de PRO-CF (Patiënt-reported outcomes bij CF). Deze vragenlijst is bedoeld om mensen met CF's kwaliteit van leven nauwkeuriger te beoordelen en hen in staat te stellen hun symptomen te melden, inclusief onderwerpen die voorheen niet in bestaande tools waren vastgelegd. In 2020 hebben we een grote enquête gehouden om te controleren of de vragenlijst juist en gemakkelijk te begrijpen was. We hebben de deskundige feedback van patiënten gebruikt om de vragenlijst te verbeteren en te verfijnen. We hebben ook een onderzoeksartikel gepubliceerd in de Journal of Cystic Fibrosis, waarin het belang en het proces van de door de patiënt gemaakte vragenlijst wordt geschetst (zie het [artikel](#) in de Journal of CF en de begrijpelijke [samenvatting](#)). "Er is echt behoefte aan een meer aangepast meetinstrument voor door de patiënt gerapporteerde resultaten bij CF. En wie kan er beter over levenskwaliteit praten dan de patiënten zelf?" zegt Audrey Chansard, Frankrijk, die leeft met CF en auteur was van het wetenschappelijke artikel.

In 2021 bereikten we het stadium waarin we de vragenlijst moesten valideren. Deze validatiestap zorgt ervoor dat de PRO-CF-vragenlijst kan worden gebruikt ter ondersteuning van de ontwikkeling, vergunningverlening en terugbetaling van nieuwe geneesmiddelen. Dit is een zeer technische taak en we besloten dat we deskundige hulp nodig hadden. We hebben met succes financiering aangevraagd bij een patiëntenorganisatie in Frankrijk, de Association Gregory Lemarchal. De financiering werd gebruikt om experts in te huren voor het valideren van PROM-vragenlijsten.

Simona Caldani, Emmanuel Devouche en Emilie Cappe, verbonden aan de Université Paris Descartes, zijn de experts die werken aan de validatie van de nieuwe vragenlijst.



Kate Hayes

"Het is zo belangrijk om mensen met CF de nieuwe vragenlijst te laten maken, om de ervaringen van het leven met CF echt weer te geven en om te begrijpen wat goed werkt en wat moet worden verbeterd bij het beoordelen van de kwaliteit van leven", zegt Kate Hayes ECFS-Clinical Trial Network Projectcoördinator PROMs. "De patiëntenbetrokkenheid bij dit project stelt ons in staat dit onderzoek te plannen en uit te voeren op een manier die zinvol is voor mensen met CF."

2021:

Subsidie ontvangen om de validatiefase van PRO-CF te financieren.

Experts ingehuurd om enquête te valideren

Hierna:

Validatiestudies worden gepland, uitgevoerd en gepubliceerd

Einddoel:

Een gevalideerde, gebruiksvriendelijke vragenlijst die kan worden gebruikt bij de ontwikkeling van geneesmiddelen en in de dagelijkse zorg

Europese onderzoeksprojecten

ECFS-CTN is partner van verschillende lopende EU-projecten



Dit project heeft financiering ontvangen van het Horizon 2020-programma voor onderzoek en innovatie van de Europese Unie "Gezondheid, demografische veranderingen en welzijn" (subsidieovereenkomst nr. 755234).

De Europese Commissie financiert (via H2020) een klinische studie van het weesgeneesmiddel OligoG CF-5/20 bij mensen met CF

Dit is een klinische studie van het weesgeneesmiddel OligoG CF-5/20 om de luchtwegklaring bij CF te bevorderen. De voorbereidingen in 2020, toen de Covid-19-pandemie begon, waren goed gevorderd voor deze klinische studie in landen in heel Europa. De beschikbaarheid van nieuwe CFTR-modulatoren voor mensen met CF in sommige Europese landen veranderde echter het landschap in de behandeling van de luchtwegen bij CF. Daarom hebben AlgiPharma en de klinische onderzoekers in het onderzoeksconsortium besloten de verdere voorbereidingen te onderbreken en het HORIZON 2020-project stop te zetten. Uitgebreide herwerking van een nieuw proefontwerp met OligoG is nodig om in het nieuwe CF-behandelingslandschap te passen buiten het bereik en de tijd van de huidige EU-subsidie.

<https://oligogpivotalcf.eu/>



Dit project is gefinancierd door het Innovative Medicines Initiative 2 Joint Undertaking (subsidieovereenkomst nr. 777389). De Joint Undertaking ontvangt steun van het Horizon 2020-programma voor onderzoek en innovatie programma van de Europese Unie en EFPIA.

Netwerk voor Europese klinische studies bij kinderen (c4c)

c4c bevordert nieuwe en veiligere geneesmiddelen voor kinderen door het opzetten van een Europees netwerk voor klinische studies bij kinderen (bij alle ziekten, niet alleen CF).

Onze rol binnen dit omvangrijke project situeert zich in het werkpakket onderwijs. In 2020 hebben we geholpen bij het samenstellen van een aantal algemene opleidingen inzake pediatrie klinische studies. Bij het opstellen van het jaarverslag (maart 2022) kregen we het nieuws dat de [cASPerCF](#) studie voortijdig is beëindigd

<https://www.imi.europa.eu/>

<https://conect4children.org/>



Europese onderzoeksprojecten

ECFS-CTN is partner van verschillende lopende EU-projecten



Dit project heeft financiering ontvangen van het Horizon 2020-programma voor onderzoek en innovatie van de Europese Unie (subsidieovereenkomst nr. 755021).



Het HIT-CF Europe project

HIT-CF Europe streeft naar een betere behandeling voor mensen met CF veroorzaakt door zeldzame mutaties. Kandidaat-geneesmiddelen van verschillende bedrijven worden in het laboratorium getest op mini-darmpjes (organoïden genoemd) bekomen van patiënten. Vervolgens zal, op basis van de resultaten in de organoïden, een kleinere groep patiënten toegewezen worden aan klinische studies met de kandidaat-geneesmiddelen. Alle deelnemende centra zijn ECFS-CTN-leden.

In 2020 werden, ondanks Covid-19, organoïden gescreend met het CFTR-modulerende kandidaat-geneesmiddel van Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI). Plannen voor de klinische studie (genaamd "CHOICES") vorderen en 52 deelnemers van wie de organoïden een verscheidenheid aan reacties vertonen, zullen worden uitgenodigd om deel te nemen.

De HIT-CF-gemeenschap heeft te maken gehad met de kenmerkende hoge volatiliteit van de biotech- en farmaceutische industrie. In december 2020 fuseerde PTI met Yumanity Therapeutics, dat nu de formele eigenaar is van de CF-portefeuille en is Eloxx gefuseerd met Zikani. Het HIT-CF-consortium heeft er alle vertrouwen in dat deze nieuwe partners volledige steun zullen geven aan de inspanningen van de gemeenschap om nieuwe geneesmiddelen te kunnen aanbieden aan mensen met CF veroorzaakt door ultrazeldzame mutaties.

<https://www.hitcf.org>



Europees Referentienetwerk "LUNG" (ERN-LUNG)

ECFS-CTN is een kernnetwerk binnen ERN-LUNG en geeft advies aan groepen die nieuwe clinical trial netwerken voor klinische studies voor andere longziekten willen opzetten.

<https://www.ern-lung.eu/>

Europese onderzoeksprojecten

Nieuws van HIT-CF



Elise Lammertyn,
Head of research at CF Europe

Elise Lammertyn is hoofd onderzoek bij CF Europe, de Europese overkoepelende organisatie van nationale patiëntenorganisaties. Ze geeft een update over HIT-CF vanuit het perspectief van CF Europe.

“ 2021 was een veeleisend jaar voor zowel het HIT-CF-team als de hele CF-gemeenschap, dat veel flexibiliteit en creativiteit vergde. Covid-19 bleef ons geduld op de proef stellen, zowel in ons persoonlijke als professionele leven. Het feit dat we elkaar niet konden ontmoeten was frustrerend en betekende dat we langzamer vooruit gingen dan gehoopt. Maar we gingen vooruit! Eind 2020 kwam de CHOICES-studie in gevaar omdat HIT-CF-industriepartner Proteostasis fuseerde met Yumanity, dat geen focus op CF had. In 2021 waren we echter enorm blij om de Nederlandse start-up FAIR Therapeutics te verwelkomen. Ze konden een exclusieve licentie verkrijgen op de CF-geneesmiddelenportfolio van Yumanity. Daarom heeft FAIR Therapeutics het tot haar missie gemaakt om medicijnen tegen betaalbare prijzen aan mensen met zeldzame vormen van CF te brengen. Goed nieuws bereikte ons ook van onze teams in de laboratoria: ze behaalden uitstekende resultaten met de eerste en tweede organoïden testronden. Niet alleen was er een uitstekende overeenkomst tussen de eerste en de tweede testronde, wat de betrouwbaarheid van de resultaten sterk onderstreept, ook de organoïden van een aantal HIT-CF-deelnemers reageerden vrij goed op de geteste CFTR-modulatoren. Dit betekent dat we allemaal klaar zijn om aan het volgende HIT-CF-hoofdstuk te beginnen: de CHOICES-studie, waarvoor de voorbereidingen in volle gang zijn. Bij CF Europe zijn we ook erg blij met de toetreding van Santhera tot het consortium. Dit geeft opties en alternatieven voor HIT-CF-deelnemers van wie de organoïden niet goed reageerden op de testmodulatoren, en voor de CF-gemeenschap als geheel. We wachten reikhalzend uit naar de eerste resultaten van hun klinische proef met neutrofiel-elastaseremmer lonodelestat. We kijken met veel vertrouwen uit naar 2022 en we hopen dat u ons enthousiasme deelt.”





Financieel rapport 2021

Inkomsten en uitgaven

ECFS-CTN wordt gefinancierd door subsidies en door kosten aan te rekenen aan farmaceutische bedrijven voor wetenschappelijke diensten.

ECFS-CTN helpt farmaceutische bedrijven hun ontwerpen van klinische studie te verbeteren. Het is belangrijk dat wij niet financieel afhankelijk zijn van farmaceutische bedrijven, zodat wij geen belangenconflict hebben bij het geven van wetenschappelijk advies over klinische studies. Daarom beperken wij onze inkomsten uit diensten aan farmaceutische bedrijven en vertrouwen wij op de genereuze steun van andere belanghebbenden om het tekort aan te vullen. ECFS-CTN is de volgende organisaties dankbaar voor de financiering van ons werk in 2021: CFF en verschillende Europese patiëntenorganisaties (uit Frankrijk, Duitsland, Verenigd Koninkrijk, Italië, België, Nederland, Luxemburg en Zwitserland). We bedanken ook CF Europe voor het coördineren van de bijdragen van de nationale patiëntenorganisaties



Financieel rapport 2021

Inkomsten en uitgaven

Reflectie van boekhoudkundig jaar 1 jan – 31 dec 2021

CTN – inkomsten en uitgaven 2021	Euro €
Steun ECFS	100.000,00
Nationale patiëntenorganisaties	113.750,00
Diensten aan bedrijven	233.432,81
EU projecten	37.769,60
Longklaringsindex werkgroep	59.407,28
Licentie studiebeheersysteem	3.516,72
<i>Totaal inkomsten</i>	547.876,41
Human resources	355.483,04
Ondersteuning van de borstkas-CT-coördinator	25.912,70
Reizen/vergaderingen/bijscholingen	720,60
Ontwikkeling en onderhoud van software	1.089,00
Manuscript	1.331,25
Server	12.522,29
Bureaumateriaal	1.452,67
Vormgever jaarverslag	2.550,00
Betalende online accounts	820,72
Overige	168,22
<i>Totaal uitgaven</i>	402.050,49
Resultaat CTN 2021	
<i>Jaartotaal</i>	145.825.92

Appendix

Studies ondersteund door ECFS-CTN in 2021



HERSTELLEN VAN CFTR FUNCTIE

New

Phase 2 study of Galicafator/Navocafator/ABBV-119 Combination Therapy in people with CF with 1 or 2 F508del mutations. (Abbvie M19-771)

New

Phase 3b open-label testing extension testing of Kaftrio in people with CF (Vertex, VX19-445-115; parent study =VX18-445-109)

New

Phase 3b open-label testing of the effects of Kaftrio on glucose tolerance in people with CF and abnormal glucose metabolism (Vertex, VX19-445-117)

New

Phase 3 safety and efficacy testing of Kaftrio in children with CF aged 2-5 years. (Vertex VX19-445-111)

New

Phase 3b open-label safety and efficacy testing of the effects of long-term treatment with Kaftrio in people with CF aged 6 years and older with 1 F508del mutation and 1 minimal function mutation (Vertex VX18-445-119)

Phase 3 safety and efficacy testing of Kaftrio in children with CF aged 6-11 years with 1 F508del mutation and 1 minimal function mutation. (Vertex VX19-445-116)

Phase 2 testing of ABBV-3067 alone or in combination with ABBV-2222 in people with CF aged 18 and older with 2 F508del mutations. (Abbvie M19-530)

Phase 2 safety and drug behaviour testing of ELX-02 in people with CF aged 16 years and older, with 1 or 2 G542X mutations. (Eloxx EL-004)

Phase 3 testing of ivacaftor in children with CF aged under 2 years with a gating mutation (Vertex VX15-770-126)

Phase 2 open-label long-term observation of Orkambi's effect on CF progression in children aged 2-5 years with 2 F508del mutations (Vertex VX16-809-121)

Phase 3 testing of ivacaftor in children with CF aged under 2 years with a gating mutation (Vertex VX15-770-124)

Phase 3 open-label extension testing of Kaftrio in people aged 12 years and older with 1 or 2 F508del mutations (Vertex VX17-445-105; parent studies: VX17-445-102 and VX17-445-103)

Long term rollover testing of VX-661 in combination with ivacaftor in people aged 12 years and older with 1 or 2 F508del mutations (Vertex VX14-661-110)

Phase 3 open-label extension observation of long-term treatment with Symkevi in children aged 6 years and older with 1 or 2 F508del mutations (Vertex VX16-661-116; parent studies: VX16-661-113 and VX16-661-115)

Phase 3 open-label extension observation of long-term treatment with Kaftrio in people with CF with 1 F508del mutation and 1 gating or residual function mutation (Vertex VX18-445-110; parent study: VX18-445-104)

Phase 3 open-label extension observation of long-term treatment with Kaftrio in people with CF aged 6 years and older (Vertex VX19-445-107; parent study: VX18-445-106 Part B)

Long term safety testing of VX-445 combination therapy in unblinded phase 3 testing of in people with CF aged 12 years and older. (Vertex VX18-445-113)



ANTI-ONSTEKINGS



ANTI-INFECTIEF



A study to assess how many children in Europe have signs of Aspergillus infection in their sputum (cASPerCF, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù)



A clinical trial to assess a new dosing regime of an anti-fungal medicine called posaconazole (cASPerCF, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù)

Phase 1 study to evaluate safety and tolerability and to find the right dose of hypothiocyanite (OSCN-), bovine lactoferrin (bLF) and their combination (ALX-009) in males without CF and then in adults with CF and non-CF bronchiectasis. (ALX-009-CL-038)



MUCOCILIARY KLARING / SLIJM OPLOSMIDDELEN

Inhaled hypertonic saline in preschoolers (UMC Erasmus SHIP-002)

Phase 2 testing of safety and efficacy of inhaled SNSP113 in adults with CF. (Synspira SNSP113-19-201)

OVERIGE



A trial to see if people with cystic fibrosis taking Kaftrio have changed respiratory function after reducing nebulised mucoactive therapies (the CF STORM trial)



Covid-19 Antibody Responses in Cystic Fibrosis (CAR-CF): a study to measure antibodies to SARS-CoV-2 in blood samples from people with CF.



Real World Clinical Outcomes with Novel Modulator Therapy Combinations in People with CF (Recover, Royal College of Surgeons in Ireland)



Phase 4 remote evaluation of a wearable cough monitor in adults with CF taking Kaftrio (Vertex VX20-445-118)



Quality of life in people with CF taking Orkambi or Symkevi and in their primary caregivers (Vertex VX20-CFD-004)



Phase 3b open-label testing of the effects of Kaftrio on cough and physical activity in people with CF aged 12 years and older with 1 F508del mutation and 1 minimal function mutation (Vertex VX18-445-126)



www.ecfs.eu/ctn
ecfs-ctn@uzleuven.be
Tel : +32-479 983839