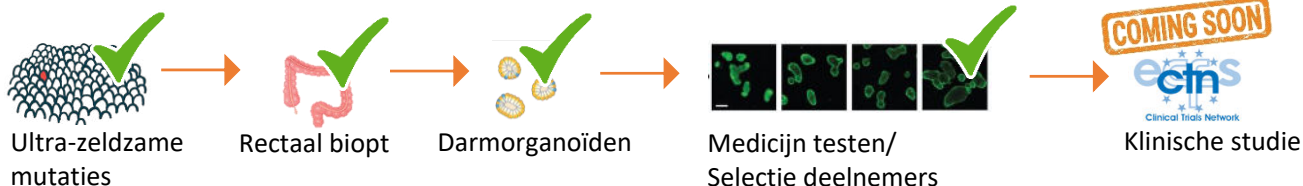


Nieuwsbrief HIT-CF Europe

Februarie 2024



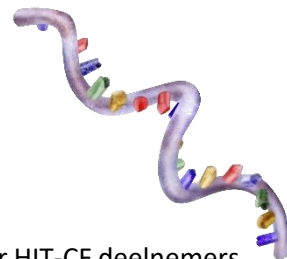
The HIT-CF Europe project aims to provide new treatment options to people with cystic fibrosis (CF) and ultra-rare genetic profiles. The project will evaluate the efficacy and safety of drug candidates provided by collaborating pharmaceutical companies in patients selected through preliminary tests in the laboratory on their mini-intestines – also called organoids.



CHOICES-studie wacht op definitieve goedkeuring

CHOICES is de klinische studie waarin 52 HIT-CF-deelnemers worden behandeld met een nieuwe modulatorcombinatie. Deze mensen worden geselecteerd op basis van de reactie van hun organoïden. Zoals eerder uitgelegd, wordt elke klinische studie die in de Europese Unie (EU) wordt uitgevoerd, geëvalueerd via een gecentraliseerde procedure. Dit proces is momenteel aan de gang en we verwachten eind april goedkeuring ("groen licht") te ontvangen. Inmiddels is CHOICES al goedgekeurd in het Verenigd Koninkrijk. Dat stemt ons ook hoopvol op een vlotte goedkeuring in de EU.

Op dit moment worden de contracten met alle onderzoekslocaties (de ziekenhuizen waar CHOICES zal worden uitgevoerd) voorbereid en worden er in maart bijeenkomsten georganiseerd, zodat alle artsen en verpleegkundigen precies weten wat ze kunnen verwachten bij het uitvoeren van de studie CHOICES.



New treatment opportunities for those not selected for CHOICES!

We zijn blij te kunnen bevestigen dat er nieuwe behandelmogelijkheden zijn gekomen voor HIT-CF deelnemers die niet zijn geselecteerd voor de CHOICES-studie. ReCode Therapeutics ontwikkelt een mRNA-therapie voor mensen met CF met zeldzame mutaties, waaronder nonsense/stop-mutaties. mRNA bevat instructies om onze cellen te vertellen hoe ze een eiwit moeten maken, zoals het CFTR-eiwit, of te wel het CFTR-kanaal. mRNA is niet in staat om de genetische samenstelling (DNA) van een persoon te veranderen of aan te passen. Bij mensen met CF functioneert het CFTR-eiwit niet goed of helemaal niet. Door correcte kopieën van CFTR-mRNA in de longcellen te brengen (via inhalatie), kunnen de cellen weer werkende CFTR-kanalen gaan maken.

Deze mRNA-therapie wordt nu voor het eerst getest bij mensen met CF. Het is de bedoeling dat de studie vóór de zomer van 2024 van start gaat in Nederland, het Verenigd Koninkrijk en Frankrijk. Als je in één van deze landen woont, of als je in een ander land woont maar bereid bent om naar een deelnemend centrum te reizen, bespreek dan de mogelijkheden met je behandelend arts. Je kunt ook rechtstreeks contact opnemen met het HIT-CF team (HITCF@umcutrecht.nl) om jouw mogelijkheden te verkennen. De verwachting is dat de studie de komende jaren zal worden uitgebreid naar andere landen. We zullen je verder informeren zodra we meer details ontvangen. Wil je meer weten over genetische therapieën en onderzoeken daarnaar? Neem dan zeker een kijkje op de (Engelstalige) [website van de CF Trust!](#)

Ga voor meer informatie over het HIT-CF-project, ga naar www.hitcf.org of stuur een e-mail naar HITCF@umcutrecht.nl

