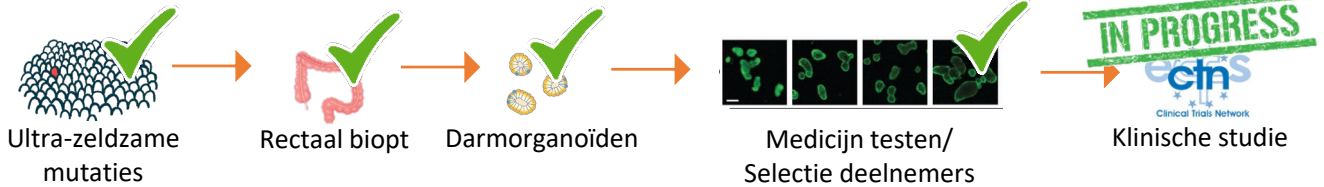


Nieuwsbrief HIT-CF Europe

Juli 2024



Het HIT-CF Europe project heeft als doel nieuwe behandelingsopties te bieden aan mensen met cystic fibrosis (CF) en ultra-zeldzame mutaties. Het project zal de effectiviteit en veiligheid van geneesmiddelen evalueren die door farmaceutische bedrijven worden verstrekt aan mensen met CF op basis van tests in het laboratorium op hun minidarmpjes - ook wel darmorganoïden genoemd.



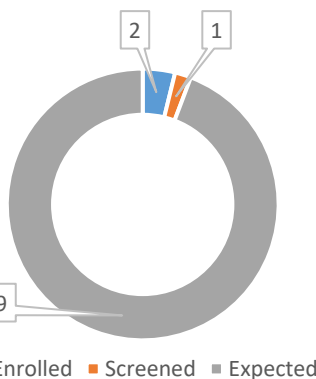
Unieke CHOICES-studie eindelijk van start gegaan!

Voor degenen onder jullie die onze posts op sociale media hebben gemist, zijn we meer dan blij om te herhalen dat de CHOICES-studie nu eindelijk is begonnen! Op 3 juni is in Utrecht de eerste deelnemer gestart met CHOICES en begon deze ongelooflijke reis. CHOICES is een dubbelblinde studie, wat betekent dat de deelnemers en de onderzoekers niet weten of iemand start met de werkzame stof of met een placebo. CHOICES is ook een cross-over studie. Dit houdt in dat iemand eerst 8 weken het werkzame geneesmiddel of placebo krijgt, daarna 8 weken geen behandeling, en vervolgens nog 8 weken het andere middel, placebo of de werkzame stof. Dit betekent dat elke deelnemer gegarandeerd 8 weken de werkzame stof krijgt. Wat is die werkzame stof? In CHOICES onderzoeken we de veiligheid en werkzaamheid van **Diponecaftor** van het bedrijf Fair Therapeutics. Dit middel bestaat uit drie componenten: een potentiator (Dirocaftor), een corrector (Posenacaftor), en een amplifier (Nesolicaftor). *Disclaimer: wij hebben van deze deelnemster toestemming gekregen om haar foto te gebruiken voor communicatiedoeleinden.*



CHOICES streeft komende maanden naar start van 52 deelnemers

Om voldoende informatie te verkrijgen over de veiligheid en werkzaamheid van Diponecaftor, hebben we 52 CHOICES deelnemers nodig. De selectie is op basis van organoïdenscreening: 26 zogenaamde high-responders, van wie de organoïden goed reageerden op Diponecaftor, en 26 willekeurig geselecteerde mensen onafhankelijk van hun organoïderesponsen. Heel belangrijk is dat deze deelnemers niet weten hoe hun organoïde reageerde. CHOICES wordt uitgevoerd in de volgende landen: België, Frankrijk, Duitsland, Italië, Nederland, Portugal, Spanje, Zweden en het Verenigd Koninkrijk. Dus waar staan we nu? Twee mensen zijn gestart (wat betekent dat ze het actieve medicijn of placebo gebruiken), één persoon is gescreend (wat betekent dat alle noodzakelijke onderzoeken zijn gedaan en dat de deelnemers klaar zijn om met de studie te beginnen) en 49 mensen worden verwacht voor een screeningsbezoek. Als alles goed gaat, wordt CHOICES in het voorjaar van 2025 afgerond.



To learn more about the HIT-CF project, visit www.hitcf.org or send an e-mail to HITCF@umcutrecht.nl