

Newsletter HIT-CF Europe

Septiembre 2021



El proyecto HIT-CF Europe tiene como objetivo proporcionar nuevas opciones de tratamiento a personas con fibrosis quística (FQ) y perfiles genéticos ultrararos. El proyecto evaluará la eficacia y seguridad de los candidatos a fármacos proporcionados por Eloxx Pharmaceuticals y Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI) en pacientes seleccionados a través de pruebas preliminares en el laboratorio en sus mini-intestinos, también llamados organoides.



¡Todo el equipo de HIT-CF espera que hayas tenido unas agradables vacaciones de verano!

Nos sentimos preparados para hacer avanzar HIT-CF y estamos ocupados preparando el inicio de los dos ensayos clínicos, CHOICES y el ensayo Eloxx. Justo antes del verano, el equipo de HIT-CF, en colaboración con la red de ensayos clínicos, organizó un webinar para los centros de ensayos clínicos que participaron en la inclusión de participantes y donde también podrían realizarse los ensayos clínicos. En la web de HIT-CF puedes encontrar varios clips de ese webinar con información interesante. Haz [clik aquí](#) para ver a Kors van der Ent explicándolo.

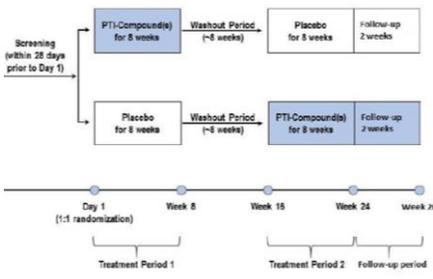


Las respuestas de organoides individuales se compartirán tras el período de inclusión en los ensayos

El equipo de HIT-CF recibe periódicamente solicitudes de los participantes del estudio o de los médicos para compartir los resultados de las pruebas de organoides individuales, un proceso llamado "desglose". En [este clip](#), Marlou Bierlaagh, coordinadora del estudio HIT-CF, explica cuándo se compartirán los resultados de las pruebas de detección y por qué este momento es tan importante. Para los pacientes con menos de dos mutaciones "sin sentido" y un FEV1 por debajo del 40%, el médico ya puede solicitar los datos de detección de Tezacaftor / Ivacaftor en este momento. Se ha enviado a todos los centros un formulario de solicitud que los médicos pueden utilizar para solicitar resultados individuales en estos casos excepcionales. Todos los demás pacientes recibirán los resultados del cribado tras el período de inclusión de los ensayos.

Proteostasis fusionada con Yumanity, Eloxx adquiere Zikani

El mundo altamente dinámico de la industria farmacéutica, con sus fusiones y adquisiciones, ya ha provocado un retraso significativo en el proyecto HIT-CF. Después de la adquisición de Proteostasis por Yumanity Therapeutics, el equipo de HIT-CF inició conversaciones con Yumanity para garantizar la continuación del ensayo CHOICES.



Click en la imagen para agrandar

Si todo va bien, se invitará a los participantes seleccionados del estudio, a través de sus médicos, a inscribirse en los ensayos clínicos a principios del próximo año. A la izquierda, puede ver el protocolo de estudio de CHOICES. Simultáneamente, Eloxx Pharmaceuticals adquirió [Zikani](#), una compañía enfocada en agentes moduladores de ribosomas para enfermedades raras causadas por mutaciones "sin sentido". Podéis ver el nuevo logotipo de Eloxx debajo y en el [comunicado de prensa](#). Además, Eloxx [recibió fondos](#) de la Cystic Fibrosis Foundation para desarrollar aún más sus agentes moduladores de ribosomas. La adquisición de la cartera de Zikani convierte a Eloxx en un socio de HIT-CF aún más seguro.

Biobancos éticos según las preferencias de los participantes: una solución para todos los organoides

[Aquí](#) puedes escuchar a Kors van der Ent explicar el principio de los biobancos éticos. Actualmente, el equipo está hablando con los centros clínicos participantes para encontrar una solución al almacenamiento de organoides de los participantes que no se sienten cómodos con el uso comercial. A principios del próximo año, debería quedar claro si existe una solución para todos los participantes que quieran preservar sus organoides, ya sea en el HUB o a nivel nacional / hospitalario.

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

