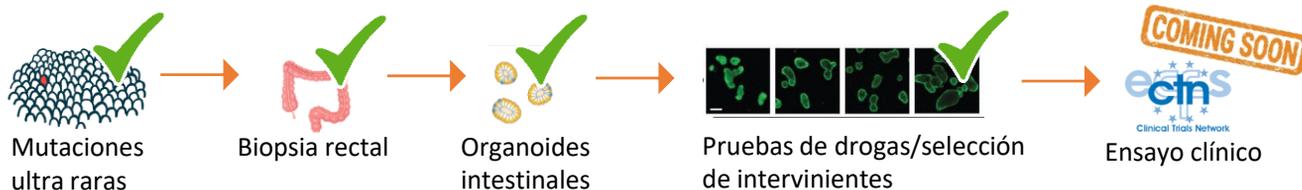


Boletín HIT-CF Europe

Febrero de 2024



El proyecto HIT-CF Europe pretende ofrecer nuevas opciones de tratamiento a personas con fibrosis quística (FQ) y perfiles genéticos ultrarraros. El proyecto evaluará la eficacia y seguridad de fármacos candidatos proporcionados por empresas farmacéuticas colaboradoras en pacientes seleccionados mediante pruebas preliminares en el laboratorio en sus miniintestinos -también llamados organoides-.



El ensayo CHOICES está pendiente de aprobación definitiva

CHOICES es el ensayo clínico en el que 52 participantes con HIT-CF serán tratados con una nueva combinación de moduladores. Estas personas se seleccionan en función de su respuesta organoide. Como se ha explicado anteriormente, cada ensayo clínico que se realiza en la Unión Europea debe someterse a una evaluación mediante un procedimiento centralizado. Este proceso está actualmente en curso, y esperamos recibir la aprobación (la "luz verde") a finales de abril. Mientras tanto, CHOICES ya ha sido aprobado en el Reino Unido. Esto nos hace albergar esperanzas de una aprobación sin contratiempos también en la UE. En la actualidad, se están preparando los contratos con todos los centros de ensayos clínicos (los hospitales en los que se llevará a cabo CHOICES) y se están organizando reuniones de investigadores en marzo, para que todos los médicos y enfermeros de ensayos clínicos sepan exactamente qué esperar cuando se lleve a cabo CHOICES.

¡Nuevas oportunidades de tratamiento para los no seleccionados para CHOICES!

Nos complace confirmar que han surgido nuevas oportunidades de tratamiento para los participantes de HIT-CF que no han sido seleccionados para el ensayo CHOICES. ReCode Therapeutics ha desarrollado una terapia de ARNm para personas con FQ con mutaciones raras, incluidas las mutaciones sin sentido/paradas. ARNm significa ácido ribonucleico mensajero y contiene instrucciones para indicar a nuestras células cómo fabricar una proteína, como el canal CFTR. El ARNm no es capaz de alterar o modificar la composición genética de una persona (ADN). En las personas con FQ, la proteína CFTR no funciona bien o no está presente en absoluto. Al suministrar copias correctas de ARNm CFTR a las células pulmonares (mediante inhalación), se puede evitar este problema y las células pueden volver a fabricar canales CFTR funcionales. La innovadora terapia de ARNm desarrollada por ReCode Therapeutics se probará ahora por primera vez en personas con FQ. Está previsto que el ensayo comience antes del verano en centros de los Países Bajos, el Reino Unido y Francia. Si vives en uno de estos países, o si vives en otro país pero estás dispuesto a viajar a un centro participante, comenta las posibilidades con tu médico. También puedes ponerte en contacto directamente con el equipo de HIT-CF (HITCF@umcutrecht.nl) para explorar tus posibilidades. Se espera que los ensayos se amplíen a otros países en los próximos años. Nos aseguraremos de informarte en cuanto recibamos más detalles. ¿Quieres saber más sobre terapias genéticas y ensayos de terapias genéticas? No dejes de visitar el [sitio web de CF Trust](#).



¡Asiste al acto de difusión de HIT-CF durante la AGM de CF Europe!



El miércoles 5 de junio en Glasgow (Reino Unido), justo antes de la conferencia anual de la ECFS, CF Europe organiza su asamblea general anual (AGM). Tras la AGM se celebrará una mesa redonda y talleres interactivos, entre ellos uno dedicado a HIT-CF, CHOICES y los ensayos ReCode, por la tarde. Este acto está reservado a las organizaciones miembros de CF Europe, y ya deberíais haber recibido una primera comunicación al respecto. Pronto recibiréis más información.

Para más información sobre el proyecto HIT-CF, visita www.hitcf.org o envía un correo electrónico a HITCF@umcutrecht.nl.

