

# Boletín HIT-CF Europe

Septiembre 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-.



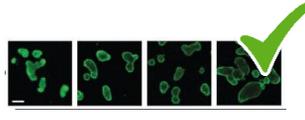
Mutaciones ultra raras



Biopsia rectal



Organoides intestinales



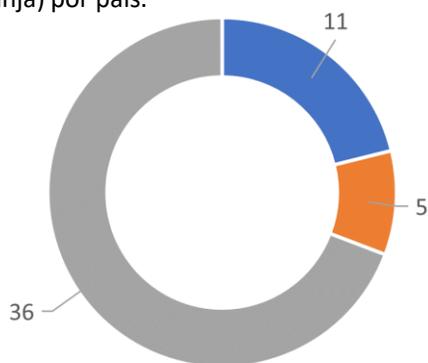
Pruebas de medicamentos/  
selección de intervenciones



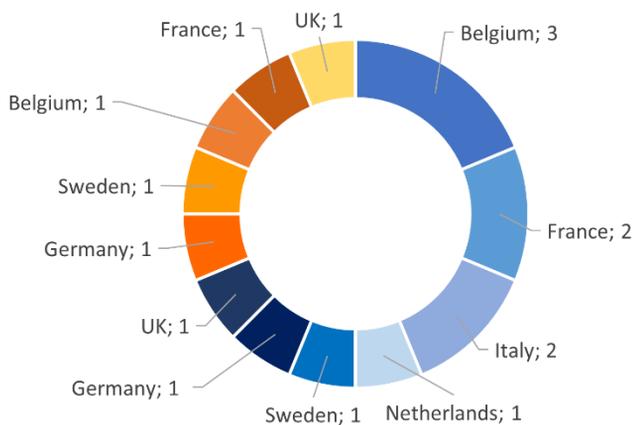
Ensayo clínico

## La inscripción al ensayo CHOICES está en pleno apogeo

Esperamos que hayáis disfrutado de un verano relajante y hayáis podido pasar tiempo con vuestros seres queridos. Durante los meses de verano, el equipo del estudio CHOICES y el personal de los sitios de estudio locales han trabajado arduamente. En este momento, 11 personas se han inscrito en CHOICES. Inscrito significa que están tomando el medicamento activo o placebo. Se han realizado pruebas de detección a otras 5. Se han realizado pruebas de detección a las que se les han realizado todos los exámenes necesarios y los participantes están listos para comenzar el ensayo. El gráfico de la izquierda representa a las 52 personas que deben inscribirse en CHOICES. En azul se ven las que ya están inscritas, en naranja las que se están evaluando para inscribirse y en gris los participantes que se espera que participen, pero que aún no se han evaluado. CHOICES se está ejecutando actualmente en 10 sitios de estudio en 7 países: Bélgica, Francia, Italia, Países Bajos, Alemania, Suecia y el Reino Unido. En el gráfico de la derecha se ve cuántos participantes están inscritos (tonos de azul) y evaluados (tonos de naranja) por país.



■ Enrolled ■ Screened ■ Expected



## Atención a todos los participantes de HIT-CF: consentimiento para el biobanco de organoides

Al comienzo del proyecto HIT-CF, se le realizó una biopsia rectal. Has dado tu consentimiento o permiso para cultivar organoides de esta biopsia y para utilizarlos y almacenarlos durante la duración del proyecto. Se han probado varios compuestos farmacológicos en estos organoides, lo que nos permitió iniciar el estudio CHOICES. En todo el mundo, hay un número cada vez mayor de personas con fibrosis quística que pueden ser tratadas con nuevos medicamentos. Sin embargo, todavía hay un número importante de personas con fibrosis quística que aún no tienen oportunidades de tratamiento. Por lo tanto, los investigadores y las empresas farmacéuticas están realizando más estudios en todo el mundo. Tus organoides pueden ser muy importantes para probar nuevas terapias en el futuro.

El consentimiento que has dado solo es válido durante la duración del proyecto HIT-CF. A finales de 2024, el proyecto HIT-CF en su forma actual finalizará. **Esto significa que tendríamos que destruir tus organoides si no se toman más medidas.**

Para más información sobre el proyecto HIT-CF, visita [www.hitcf.org](http://www.hitcf.org) o envía un correo electrónico a [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl).



# Boletín HIT-CF Europe

Septiembre 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-.

Afortunadamente, hemos encontrado una manera de mantener tus organoides disponibles para estudios futuros almacenándolos en un nuevo Biobanco Europeo de Células Madre de Fibrosis Quística. **Esto significa que deberás firmar un nuevo consentimiento informado; de lo contrario, tus organoides serán destruidos igualmente.**

¿Cómo puedo volver a dar mi consentimiento? Simplemente enviando un correo electrónico a [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl) con el mensaje:

- Sí, me interesa mantener mis organoides disponibles, o
- No, no me interesa, por favor destruyan mis organoides.

Si nos indicas que estás interesado, te enviaremos una carta con toda la información necesaria y un nuevo formulario de consentimiento. Una vez que hayamos recibido tu nuevo formulario de consentimiento, almacenaremos tus organoides en el nuevo biobanco. De lo contrario, destruiremos tus organoides según tus deseos. Si crees que primero necesita más información para poder tomar una decisión informada, escribe tus preguntas y envíalas a [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl).

*Es posible que también hayas recibido esta información de tu médico de fibrosis quística. No dudes en hablar de ello con él o ella también.*

## Buenas noticias: ¡El ensayo de ARNm ReCode está reclutando participantes!

Como mencionamos en el boletín de febrero, los participantes de HIT-CF que no fueron seleccionados para CHOICES tendrán la oportunidad de participar en otro estudio. ReCode Therapeutics ha desarrollado una terapia inhalatoria en investigación basada en ARNm para personas con fibrosis quística con mutaciones raras, incluidas las mutaciones sin sentido o de parada. El ARNm significa ácido ribonucleico mensajero y contiene instrucciones para indicar a nuestras células cómo producir una proteína, como el canal CFTR. El ARNm no puede alterar ni modificar la composición genética (ADN) de una persona. En las personas con fibrosis quística, la proteína CFTR no funciona bien o no está presente en absoluto. Al entregar copias correctas del ARNm de CFTR a las células pulmonares, se puede evitar este problema y las células pueden comenzar a producir nuevamente canales CFTR funcionales.

La innovadora terapia de ARNm **inhalado**, que por ahora se llama **RCT2100**, se está probando actualmente en personas con fibrosis quística por primera vez. Este proceso también se conoce como **estudio de fase 1**. Un estudio de fase 1 se centra principalmente en **encontrar la dosis correcta del fármaco y evaluar su seguridad**. Los participantes de un estudio de fase 1 pueden o no obtener beneficios personales del tratamiento, pero no es el objetivo principal en ese momento. Además, no se puede garantizar que los participantes puedan participar automáticamente en fases posteriores del estudio que se centran en investigar la eficacia. Sin embargo, esta es una fase muy importante, si no la más importante, de la investigación clínica. Sin suficientes datos de seguridad, el fármaco experimental no puede avanzar a la siguiente fase. Por lo tanto, es muy importante encontrar suficientes participantes.

En este estudio, los investigadores quieren determinar qué cantidad de RCT2100 se puede administrar, averiguar si se tolera bien, cómo lo utiliza el cuerpo y cómo afecta al organismo. Para ello, se comprobará la seguridad de varias dosis diferentes de RCT2100. **Se garantiza que cada participante recibirá la terapia experimental; en esta parte del estudio, no hay un grupo de control que reciba un placebo o un fármaco ficticio.**

Este verano, ReCode obtuvo la aprobación para realizar el estudio en Europa y ahora están buscando participantes. Participar en este estudio significa que tendrás que visitar el centro de estudio unas 17 veces y requiere extracciones de sangre, pruebas de función pulmonar y/u otras mediciones. El estudio se llevará a cabo en los **Países Bajos** (Utrecht), **Francia** (París Necker, Toulouse y Montpellier) y el **Reino Unido** (Leeds, London King's College Hospital, Nottingham, Southampton, Cambridge y Birmingham). **Si no vives en uno de estos países, puedes participar si puedes y deseas viajar a uno de los sitios del estudio.** Para obtener más información, tú o tu médico especialista en fibrosis quística pueden comunicarse con el equipo HIT-CF a través de [HIT-CF@umcutrecht.nl](mailto:HIT-CF@umcutrecht.nl).

Para más información sobre el proyecto HIT-CF, visita [www.hitcf.org](http://www.hitcf.org) o envía un correo electrónico a [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl).

