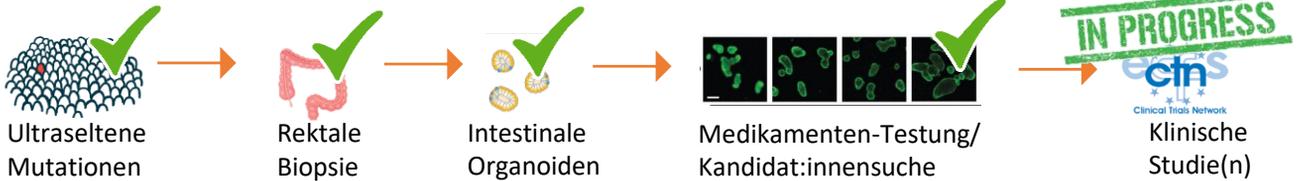


Newsletter HIT-CF Europe

Juli 2024



Das Projekt HIT-CF Europe möchte Menschen mit Mukoviszidose (CF) und extrem seltenen genetischen Profilen neue Behandlungsmöglichkeiten bieten. Im Rahmen des Projekts werden die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimittelkandidaten, die von kooperierenden pharmazeutischen Unternehmen zur Verfügung gestellt werden, bei Patient:innen untersucht, die durch Vorversuche im Labor an ihren Mini-Därmen - auch Organoiden genannt - ausgewählt wurden.



Historische CHOICES-Studie endlich angelaufen!

Denjenigen unter Ihnen, die unsere Beiträge in den sozialen Medien verpasst haben oder nicht am HIT-CF-Workshop in Glasgow teilnehmen konnten, können wir mit großer Freude mitteilen, dass die CHOICES-Studie nun endlich begonnen hat! Am 3. Juni wurde in Utrecht, Niederlande, die erste teilnehmende Person in die CHOICES-Studie aufgenommen und begann mit uns diese unglaubliche Reise. CHOICES ist eine Doppelblindstudie, d. h. weder Teilnehmende noch Prüfärzt:innen wissen, ob das aktive Medikament oder ein Placebo verabreicht wird.

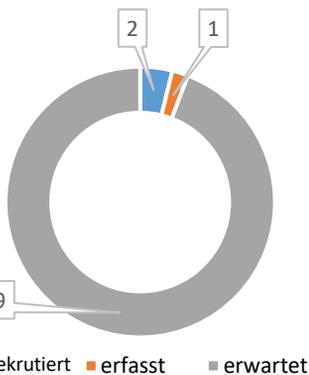
CHOICES ist außerdem eine Crossover-Studie: Teilnehmende werden nach einer anfänglichen Behandlungszeit von 8 Wochen mit dem Wirkstoff oder dem Placebo und einer anschließenden Auswaschphase von 8 Wochen (um sicherzustellen, dass etwaige längerfristige Wirkungen des Medikaments verschwunden sind) auf das Placebo bzw. den Wirkstoff umgestellt. Jede teilnehmende Person erhält also garantiert 8 Wochen lang das aktive Medikament und dient als ihre eigene Kontrolle. Zur Erinnerung: CHOICES untersucht die Sicherheit und Wirksamkeit einer dreifachen Modulatorkombination von Fair Therapeutics, genannt **Diponecaftor**, bestehend aus einem Potenziator, Diprocaftor, einem Korrektor, Posenacaftor, und einem Verstärker, Nesolicaftor.

(Haftungsausschluss: Die Teilnehmerin hat erlaubt, ihr Bild für Kommunikationszwecke zu verwenden)



CHOICES möchte in den nächsten Monaten 52 HIT-CF-Teilnehmer aufnehmen

Für genügend Informationen über die Sicherheit und Wirksamkeit von Diponecaftor benötigen wir 52 Leute, die an der CHOICES-Studie teilnehmen und diese abschließen. Sie werden auf Grundlage ihres Organoid-Screenings ausgewählt: 26 so genannte High-Responder, deren Organoiden gut auf die Dreifachkombination ansprechen, und 26 zufällig ausgewählte Personen mit einer Vielzahl von Organoid-Reaktionen. Sehr wichtig ist, dass diese Teilnehmenden nicht wissen, wie ihr Organoid reagiert hat. CHOICES wird in folgenden Ländern durchgeführt: Belgien, Frankreich, Deutschland, Italien, die Niederlande, Portugal, Spanien, Schweden und das Vereinigte Königreich. Stand der Dinge: 2 Personen wurden rekrutiert (d. h. sie nehmen den Wirkstoff oder das Placebo ein), 1 Person wurde gescreent (d. h. alle erforderlichen Untersuchungen wurden durchgeführt und die Teilnehmenden sind bereit, mit der Studie zu beginnen), und 49 Personen werden zu einem Screening-Besuch erwartet. Wenn alles gut geht, wird CHOICES im Frühjahr 2025 abgeschlossen sein.



Hinweise für an CHOICES Teilnehmende

CHOICES ist eine einzigartige Studie. Ihre Ergebnisse können für die Zukunft der Entwicklung von CF-Medikamenten von entscheidender Bedeutung sein. Deshalb möchten wir betonen: Ihre Teilnahme ist entscheidend! **Es ist von größter Wichtigkeit, dass Sie die Studie vollständig abschließen (beide Behandlungszeiträume) und alle Tabletten (wir wissen, dass es viele sind) jeden Tag einnehmen**, auch wenn die Behandlung nicht viel Wirkung zu zeigen scheint. Wenn Sie während der Teilnahme an der Studie Zweifel haben, sprechen Sie bitte mit Ihrem Arzt. Jeder Teilnehmende an CHOICES ist von grundlegender Bedeutung für den Erfolg der Studie; Sie können wirklich etwas bewirken! Wir danken Ihnen sehr.

Um mehr über das HIT-CF-Projekt zu erfahren, besuche www.hitcf.org oder sende eine E-Mail an HITCF@umcutrecht.nl

