

Newsletter HIT-CF Europe

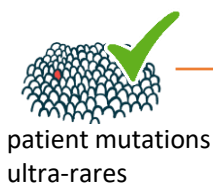
Juin 2022



Le projet HIT-CF a pour objectif d'apporter des nouvelles options de traitements pour les personnes atteintes de mucoviscidose avec un profil génétique ultra-rare. L'objectif du projet est d'évaluer l'efficacité et la sécurité de candidats-médicaments proposés par des laboratoires pharmaceutiques partenaires chez des patients sélectionnés grâce aux tests réalisés en laboratoire sur leurs organoïdes.



Le consortium HIT-CF souhaite à tous un très bel été. Mais avant de vous laisser, nous voulons nous assurer que vous recevez les dernières informations du projet. Pendant l'été, gardez un œil sur la page [Facebook](#) de CF Europe et le site web dédié à [HIT-CF](#). Nous allons diffuser une nouvelle vidéo dans laquelle plusieurs personnes jouant un rôle majeur dans l'évolution de HIT-CF et l'étude CHOICES se présenteront et répondront à quelques questions. Restez à l'écoute !



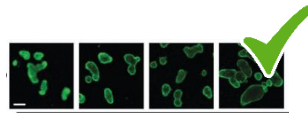
patient mutations ultra-rares



biopsie rectale



organoïdes intestinaux



tests/ sélection de patients répondeurs



essai(s) clinique(s)

Où en sommes-nous dans la préparation de CHOICES ? Quand commencera-t-elle ?

Les premières inclusions des patients présélectionnés (cf [newsletter de février](#)) sont prévus pour le **dernier trimestre 2022**. Actuellement, le processus de fabrication des médicaments est toujours en cours, ce qui signifie que les matières premières sont transformées en pilules et emballées dans des bouteilles. Il est très important que ce processus soit réalisé avec soin, afin de garantir que le médicament est sûr pour les participants à l'étude. Une autre étape importante avant que CHOICES puisse enfin démarrer est l'obtention de l'autorisation des autorités nationales compétentes pour mener l'essai. Depuis le 31 janvier 2022, la procédure de demande d'autorisation est harmonisée dans toute l'Europe par le biais du système d'information sur les essais cliniques (**Clinical Trials Information System** ou **CTIS**). L'avantage est qu'une seule procédure conduit à une seule décision applicable à tous les pays dans lesquels l'étude va être menée, au lieu de devoir soumettre une demande d'autorisation dans chaque pays. Cela permet de lancer une étude en même temps dans différents pays. Vous pouvez trouver plus d'informations sur le CTIS [ici](#). Bien que cette centralisation soit accueillie favorablement par l'équipe de HIT-CF, elle entraîne des retards, comme c'est toujours le cas lorsqu'un nouveau système est mis en œuvre. Des documents supplémentaires sont requis ou dans un format différent, alors nous vous demandons de patienter un peu pendant que notre équipe travaille aussi vite que possible pour obtenir l'autorisation de lancer CHOICES.

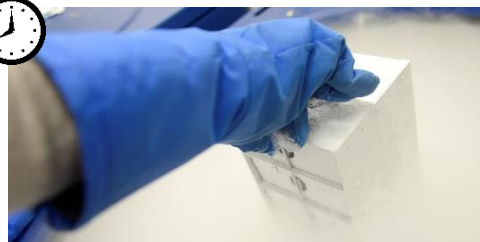
Progrès dans l'obtention de l'avis de qualification de l'EMA



L'obtention de l'avis de qualification (QO) de l'EMA constitue une étape majeure dans le développement du test sur organoïdes comme outil prédictif de la réponse clinique. L'approbation de l'EMA permettrait d'utiliser les organoïdes pour de la médecine personnalisée, ouvrant ainsi la voie à l'accès aux personnes avec des mutations rares à des médicaments innovants, susceptibles de sauver des vies. Le demande d'obtention du QO a été soumise en mars. En mai, nous avons reçu une 1^{ère} réaction très positive de l'EMA, qui a demandé des données supplémentaires que nous fournirons. Les discussions se poursuivent.

Une biobanque pour préserver la collection unique d'organoïdes de mutations rares

Au cours de la 1^{ère} phase du projet HIT-CF, 502 organoïdes provenant de personnes atteintes de mucoviscidose avec des mutations rares ont été obtenus. À proprement parler, ceux-ci devraient être détruits à la fin du projet HIT-CF. Mais comme cette collection a un tel potentiel pour tester de futures thérapies innovantes, toutes les parties prenantes travaillent à la préserver. Pour que votre organoïde soit conservé, vous devrez signer un nouveau consentement éclairé. Votre médecin, au CRCM, en discutera avec vous.



En savoir plus sur le projet HIT-CF : www.hitcf.org or pour prendre contact : HITCF@umcutrecht.nl