**Newsletter HIT – CF Europe**

*Febbraio 2024*

Il progetto HIT-CF Europe mira a fornire nuove opzioni terapeutiche alle persone affette da fibrosi cistica con profili genetici ultra-rari. Il progetto valuterà l'efficacia e la sicurezza di candidati farmaci forniti dalle aziende farmaceutiche che collaborano al progetto in pazienti selezionati attraverso test preliminari in laboratorio sui loro mini-intestini (detti anche organoidi).

**Sperimentazione CHOICES in attesa di approvazione definitiva**

CHOICES è il trial clinico in cui 52 partecipanti al progetto HIT-CF verranno trattati con una nuova combinazione di modulatori. Queste persone vengono selezionate in base alla loro risposta agli organoidi. Come spiegato in precedenza, ogni sperimentazione clinica eseguita nell'Unione Europea deve essere sottoposta a valutazione attraverso una procedura centralizzata: questo processo è attualmente in corso e prevediamo di ricevere l'approvazione entro la fine di aprile. Nel frattempo, CHOICES è già stato approvato nel Regno Unito e questo ci fa sperare in un'approvazione senza intoppi anche nell'Unione Europea.

Attualmente, sono in fase di preparazione i contratti con tutti i siti di sperimentazione clinica (gli ospedali in cui verrà condotto CHOICES) e a Marzo si terranno le riunioni con i ricercatori, in modo che tutti i medici e gli infermieri delle sperimentazioni cliniche sappiano esattamente cosa aspettarsi quando si esegue il trail.

**Nuove opportunità di trattamento per coloro che non sono stati selezionati per CHOICES**

Siamo lieti di confermare che si sono presentate nuove opportunità di trattamento per i partecipanti all’HIT-CF che non sono stati selezionati per lo studio CHOICES. ReCode Therapeutics ha sviluppato infatti una terapia con mRNA per le persone con mutazioni rare della fibrosi cistica, comprese le mutazioni nonsense/stop.

mRNA significa *Acido Ribunocleico Messaggero* e contiene istruzioni per dire alle nostre cellule come produrre una proteina, come il canale CFTR. L'mRNA non è in grado di alterare o modificare la composizione genetica di una persona (DNA). Nelle persone affette da fibrosi cistica, la proteina CFTR non funziona bene o non è presente affatto. Fornendo copie corrette dell'mRNA del CFTR alle cellule polmonari (attraverso l'inalazione), questo problema può essere aggirato e le cellule possono ricominciare a creare canali CFTR funzionali.

L'innovativa terapia con mRNA sviluppata da ReCode Therapeutics sarà testata ora per la prima volta su persone affette da fibrosi cistica: l'inizio della sperimentazione è previsto prima dell'estate nei centri dei Paesi Bassi, del Regno Unito e della Francia. Se vivi in ​​uno di questi paesi o se vivi in ​​un altro paese ma sei disposto a recarti in un centro partecipante, discutine con il tuo medico curante o contatta direttamente il team HIT-CF (HITCF@umcutrecht.nl). Si prevede che le sperimentazioni verranno estese ad altri paesi nei prossimi anni e vi informeremo ulteriormente non appena riceveremo maggiori dettagli.