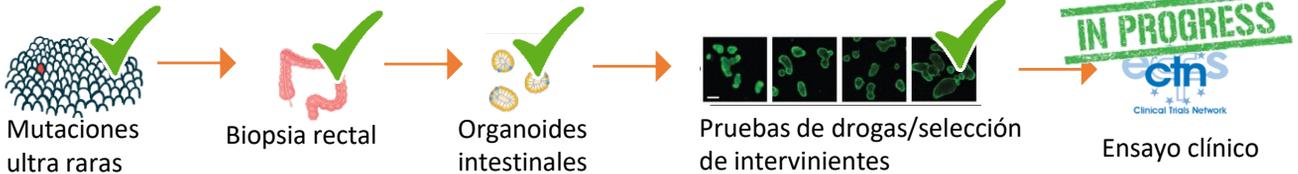


Boletín HIT-CF Europe

Julio 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-.

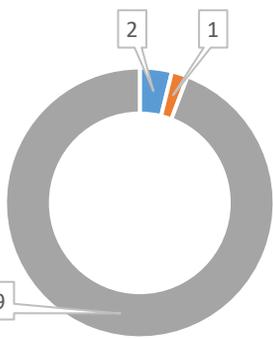


¡Por fin comenzó el histórico ensayo CHOICES!

Para aquellos de vosotros que os perdisteis nuestras publicaciones en las redes sociales, o que no pudisteis acompañarnos en el taller de HIT-CF en Glasgow, ¡estamos más que felices de repetir que el ensayo CHOICES finalmente ha comenzado! El 3 de junio, en Utrecht, Países Bajos, el primer participante se inscribió en CHOICES y comenzó este increíble viaje con nosotros. CHOICES es un ensayo doble ciego, lo que significa que ni los participantes ni los investigadores saben si se está administrando el fármaco activo o un placebo. CHOICES también es un estudio cruzado. Esto implica que después de un período de tratamiento inicial de 8 semanas con el fármaco activo o placebo y un período de lavado consecutivo de 8 semanas (para garantizar que cualquier efecto a largo plazo del medicamento haya desaparecido), los participantes pasan al placebo o al fármaco activo, respectivamente. Esto significa que a cada participante se le garantizan 8 semanas de fármaco activo y que cada participante puede actuar como su propio control. Como recordatorio, en CHOICES estamos investigando la seguridad y eficacia de una combinación triple moduladora de Fair Therapeutics, llamada Diponecaftor, compuesta por un potenciador, Dirocaftor, un corrector, Posenacaftor, y un amplificador, Nesolicaftor. *Descargo de responsabilidad: obtuvimos permiso de esta participante para utilizar su imagen con fines de comunicación.*



El objetivo de CHOICES es inscribir a 52 participantes de HIT-CF en los próximos meses



Para obtener suficiente información sobre la seguridad y eficacia de Diponecaftor, necesitamos que 52 personas participen y completen CHOICES. Estas personas se seleccionan en función de su análisis de organoides: 26 de los llamados respondedores altos, cuyos organoides respondieron bien a la combinación triple, y 26 personas seleccionadas al azar con una variedad de respuestas de organoides. Muy importante, estos participantes no saben cómo respondió su organoide. CHOICES se llevará a cabo en los siguientes países: Bélgica, Francia, Alemania, Italia, Países Bajos, Portugal, España, Suecia y el Reino Unido. Entonces, ¿dónde estamos ahora? Se han inscrito 2 personas (lo que significa que están tomando el fármaco activo o el placebo), se ha evaluado a 1 persona (lo que significa que se han realizado todos los exámenes necesarios y los participantes están listos para comenzar el ensayo) y se espera que 49 personas asistan a una visita de selección. Si todo va bien, CHOICES finalizará en la primavera de 2025.

Puntos de atención para las personas participantes en CHOICES

CHOICES es el primer ensayo clínico de su tipo. Sus resultados pueden cambiar las reglas del juego para el futuro de los medicamentos para la FQ. Por eso, **queremos resaltar lo crucial que es su participación. Es de suma importancia completar del todo la prueba (ambos períodos de tratamiento) y tomar todas las pastillas (sabemos que hay muchas) todos los días**, incluso cuando el tratamiento no parece tener mucho efecto. Si tienes alguna duda mientras participas en el ensayo, habla con tu médico. Cada participante en CHOICES es fundamental para el éxito del estudio; puedes marcar la diferencia y mover una piedra en el río. Muchas gracias.

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

