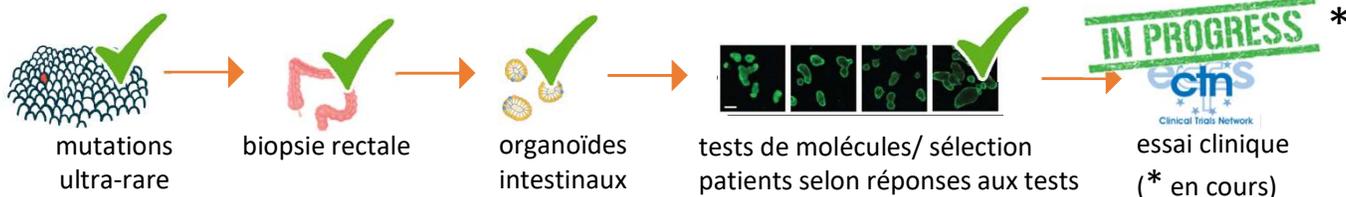


Newsletter HIT-CF Europe

Juillet 2024



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.



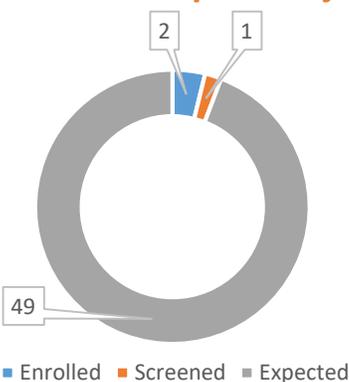
L'essai clinique CHOICES a enfin démarré!

Pour ceux d'entre vous qui ont manqué nos posts sur les médias sociaux, ou qui n'ont pas pu se joindre à nous pour l'atelier HIT-CF à Glasgow, nous sommes plus qu'heureux de répéter que l'essai CHOICES a finalement commencé ! Le 3 juin, à Utrecht (Pays-Bas), le 1^{er} participant a été inclus. Pour rappel, dans le cadre de CHOICES, nous étudions la sécurité et l'efficacité d'une combinaison de 3 modulateurs de Fair Therapeutics, appelée **Diponecaftor**, composé d'un potentiateur, le Dirocaftor, d'un correcteur, le Posenacaftor et d'un amplificateur, le Nesolicaftor. CHOICES est un essai en double aveugle, ce qui signifie que ni les participants ni les investigateurs ne savent si le Diponecaftor ou le placebo est administré. CHOICES est aussi une étude croisée. Cela signifie qu'après une période initiale de 8 semaines avec le Diponecaftor ou le placebo et une période consécutive de pause de 8 semaines (pour s'assurer que les effets à plus long terme du Diponecaftor ont disparu), les participants passent au placebo ou au Diponecaftor, respectivement. Ainsi, chaque participant va recevoir le Diponecaftor pendant 8 semaines et chaque participant peut servir de témoin.



Important: nous avons obtenu l'autorisation de cette participante d'utiliser sa photo à des fins de communication.

CHOICES a pour objectif d'inclure 52 participants de HIT-CF dans les prochains mois



Pour obtenir suffisamment d'informations sur la sécurité et l'efficacité du Diponecaftor, nous avons besoin de 52 personnes participantes à CHOICES. Ces personnes sont sélectionnées sur la base de leur test d'organoïdes : 26 personnes dites « bon-répondeur », dont les organoïdes ont bien répondu au Diponecaftor, et 26 personnes sélectionnées au hasard avec une variété de réponses de leur organoïde. Il est très important que ces participants ne sachent pas comment leur organoïde a répondu. CHOICES sera mené en Belgique, France, Allemagne, Italie, Pays-Bas, Portugal, Espagne, Suède et Royaume-Uni. A ce jour, 2 personnes ont été incluses (elles prennent le Diponecaftor ou le placebo), 1 a été sélectionnée (tous les examens nécessaires ont été effectués et elle est prête à commencer l'essai) et 49 personnes sont attendues pour une visite de sélection. Si tout se passe bien, CHOICES prendra fin au printemps 2025.

Points d'attention pour les personnes participant à CHOICES

CHOICES est un essai clinique unique en son genre. Ses résultats peuvent changer la donne pour l'avenir des traitements de la mucoviscidose. **Votre participation est cruciale. Il est de la plus haute importance de terminer complètement l'essai (les 3 périodes) et de prendre tous les comprimés (nous savons qu'il y en a beaucoup) chaque jour**, même lorsqu'ils ne semblent pas avoir beaucoup d'effet. Si vous avez des doutes pendant l'essai, parlez-en à votre médecin. **Chaque participant à CHOICES est essentiel à la réussite de l'essai**, vous pouvez vraiment faire la différence. Nous vous remercions de tout cœur.

En savoir plus sur le projet HIT-CF : www.hitcf.org ou adressez un mail à HITCF@umcutrecht.nl



BIOTECHSUBSIDY

