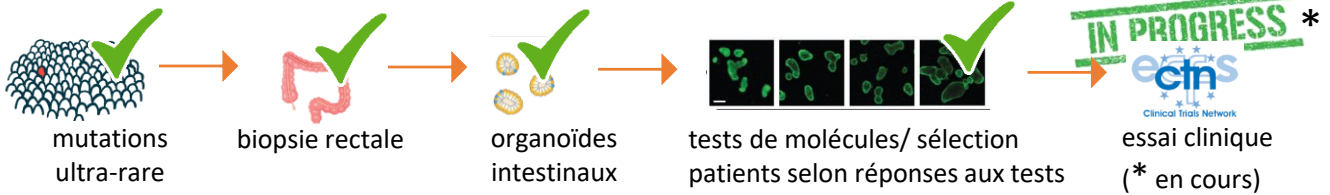


Newsletter HIT-CF Europe

Septembre 2024

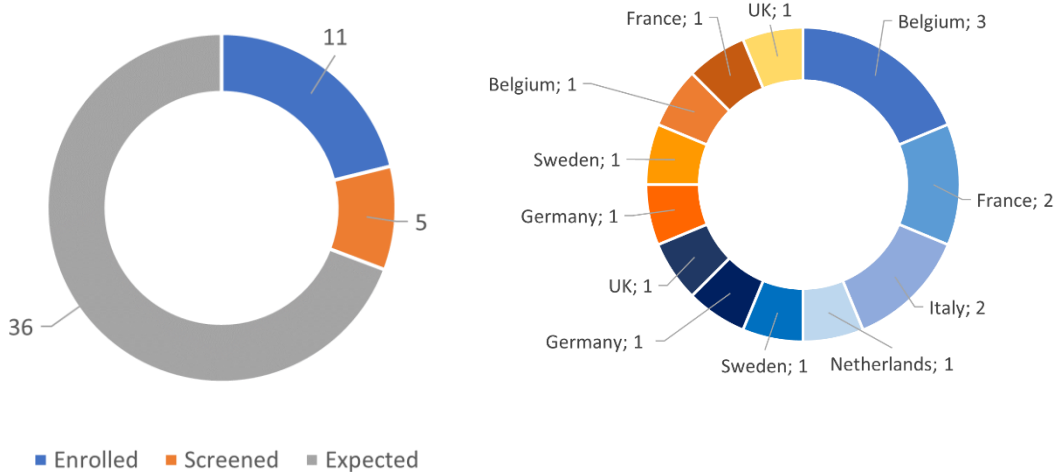


Le projet HIT-CF a pour objectif d'apporter des nouvelles options de traitements pour les personnes atteintes de mucoviscidose avec un profil génétique ultra-rare. L'objectif du projet est d'évaluer l'efficacité et la sécurité de candidats-médicaments proposés par des laboratoires pharmaceutiques partenaires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



L'inclusion des patients dans l'essai CHOICES bat son plein !

Nous espérons que vous avez passé un été reposant et que vous avez pu passer du temps avec vos proches. Pendant les mois d'été, l'équipe de l'étude CHOICES et le personnel des sites participants ont travaillé d'arrache-pied. À l'heure actuelle, 11 personnes participent à l'étude CHOICES. Cela signifie qu'elles prennent le médicament à l'étude ou le placebo. Cinq autres sont en cours de pré-sélection, cela signifie que tous les examens nécessaires ont été effectués et que les participants sont prêts à commencer l'essai. Le graphique de gauche, représente les 52 personnes qui doivent être incluses dans CHOICES. En bleu, les 11 personnes déjà incluses, en orange celles qui sont présélectionnées, et en gris les participants qui sont attendus. CHOICES se déroule actuellement dans 10 sites répartis sur 7 pays : Belgique, France, Italie, Pays-Bas, Allemagne, Suède et Royaume-Uni. Le graphique de droite indique le nombre de participants inclus (en bleu) et présélectionnés (en orange) par pays.



A tous les participants d'HIT-CF : re-consentir pour la biobanque d'organoïdes

Dans le cadre d'HIT-CF vous avez donné votre accord pour une biopsie rectale, pour la culture d'organoïdes à partir de cette biopsie, et pour l'utilisation et le stockage de ces organoïdes pendant la durée du projet. Plusieurs candidats-médicaments ont été testés sur ces organoïdes, ce qui nous a permis de lancer l'étude CHOICES. Dans le monde entier, il y a un nombre croissant de personnes atteintes de mucoviscidose qui peuvent être traitées avec de nouveaux traitements (modulateurs CFTR), cependant, pour un nombre important de ces personnes, ces traitements n'ont pas d'effet. C'est pourquoi les chercheurs et les entreprises pharmaceutiques du monde entier mènent des études. Vos organoïdes peuvent être très importants pour tester de nouvelles thérapies à l'avenir.

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



Newsletter HIT-CF Europe

Septembre 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.

Le consentement que vous avez donné n'est valable que pour la durée du projet HIT-CF. Ce dernier dans sa forme actuelle se terminera fin 2024. **Cela signifie que nous devons détruire vos organoïdes si aucune autre action n'est entreprise.**

Heureusement, nous avons trouvé un moyen de garder vos organoïdes pour de futures études en les stockant dans une nouvelle biobanque européenne de cellules souches « muco ». **Cela signifie que vous devrez signer un nouveau consentement éclairé, faute de quoi vos organoïdes seront toujours détruits.**

Le nouveau consentement est en cours de validation par les instances éthiques. Il vous sera proposé par votre médecin dès que possible.

Une fois le consentement reçu signé de votre part, nous conserverons vos organoïdes dans la nouvelle biobanque. Dans le cas contraire, ils seront détruits conformément à vos souhaits.

Il se peut que vous ayez également reçu ces informations de la part de votre médecin, n'hésitez pas à en discuter avec lui/elle.

Bonne nouvelle : L'essai ReCode mRNA a besoin de patients!

Comme mentionné dans la newsletter de février, les participants non sélectionnés pour CHOICES auront la possibilité de participer à une autre étude. ReCode Therapeutics a mis au point une thérapie inhalée basée sur l'ARNm (acide ribonucléique messenger) pour les personnes « muco » présentant des mutations rares, notamment celles non-sens/stop. L'ARNm contient des instructions indiquant à nos cellules comment fabriquer une protéine, telle que le canal CFTR. L'ARNm n'est pas en mesure d'altérer ou de modifier le patrimoine génétique d'une personne (ADN). Chez les personnes atteintes de « muco » la protéine CFTR fonctionne mal ou n'existe pas. En délivrant de l'ARNm correct de CFTR aux cellules pulmonaires, elles peuvent fabriquer des canaux CFTR fonctionnels. La thérapie **inhalée** à base d'ARNm, appelée **RCT2100**, est actuellement testée pour la 1ère fois chez des personnes « muco ». Cette phase test est une **étude de phase 1**. Cette dernière se concentre principalement sur la **recherche de la bonne dose du médicament et sur l'évaluation de sa sécurité**. Les participants à une phase 1 peuvent ou non tirer des avantages personnels du traitement, mais ce n'est pas l'objectif principal à ce stade. De plus, on ne peut pas garantir que les participants seront automatiquement en mesure de prendre part aux phases ultérieures de l'évaluation de la thérapie qui évaluent l'efficacité. Néanmoins, il s'agit d'une phase très importante, sinon la plus importante, de la recherche clinique. Sans données de sécurité suffisantes, le médicament expérimental ne peut pas passer à la phase suivante. Il est donc très important de trouver suffisamment de participants.

Au cours de cette étude, les chercheurs veulent déterminer les informations suivantes sur le RCT2100 : la quantité de qui peut être administrée, s'il est bien toléré, comment le corps l'utilise et comment il affecte le corps. Pour ce faire, la sécurité de plusieurs doses différentes de RCT2100 sera évaluée. **Chaque participant va recevoir le RCT2100, dans la phase 1, il n'y a pas de groupe de contrôle recevant un placebo.** Cet été, ReCode a obtenu l'autorisation de mener l'étude en Europe et recherche actuellement des participants. Pour participer à cette étude, les patients vont au centre de soins environ 17 fois et se soumettent à des prises de sang, des tests de la fonction pulmonaire et/ou d'autres mesures. L'étude se déroulera aux **Pays-Bas** (Utrecht), en **France** (Paris Necker, Toulouse et Montpellier) et au **Royaume-Uni** (Leeds, London, Nottingham, Southampton, Cambridge et Birmingham). **Si vous ne vivez pas dans l'un de ces pays, vous pouvez tout de même participer à l'étude si vous avez la possibilité et la volonté de vous rendre sur l'un des centres participants.** Pour plus d'informations, vous ou votre médecin pouvez contacter l'équipe HIT-CF à l'adresse suivante HIT-CF@umcutrecht.nl.

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

