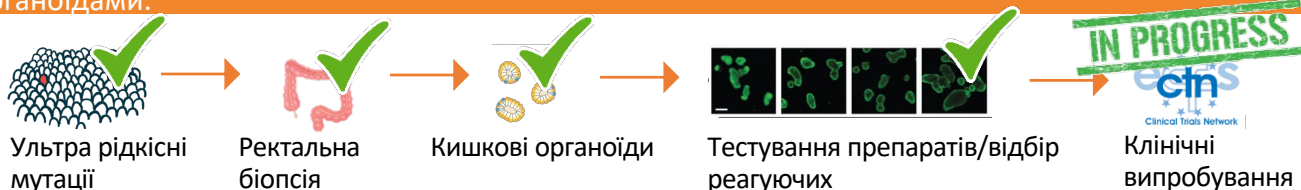


Інформ. бюлетень HIT-CF Europe

Вересень 2024

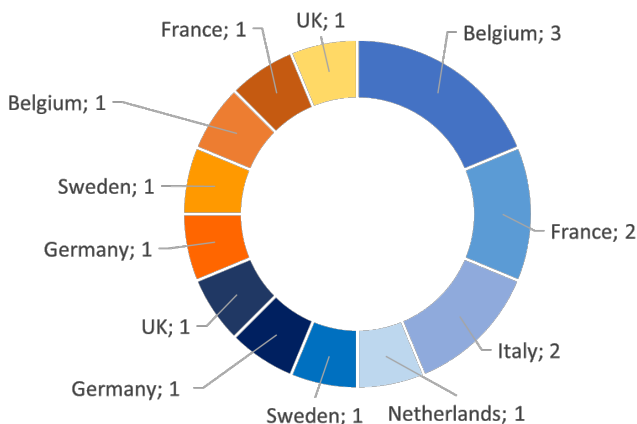
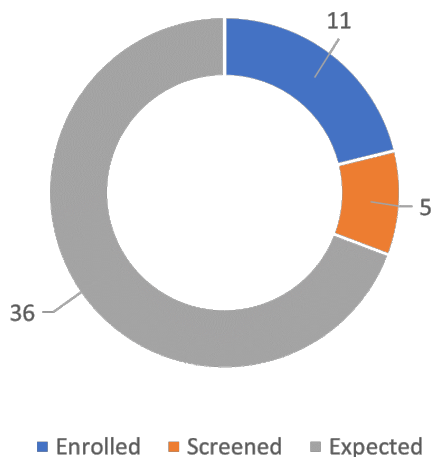


Проект HIT-CF Europe спрямований на надання нових варіантів лікування людям з муковісцидозом (МВ) і ультрарідкісними генетичними профілями. Проект оцінюватиме ефективність і безпеку препаратів-кандидатів, наданих фармацевтичними компаніями, що співпрацюють, у пацієнтів, відібраних за допомогою попередніх лабораторних тестів на їхніх міні-кишках, які також називають органоїдами.



Реєстрація на пробну версію CHOICES триває повним ходом

Сподіваємося, що ви всі насолодилися спокійним літом і змогли провести час зі своїми близькими. Протягом літніх місяців дослідницька група CHOICES та персонал місцевих дослідницьких центрів наполегливо працювали. На даний момент у CHOICES зараховано 11 осіб. Зараховані означає, що вони приймають активний препарат або плацебо. Ще 5 перевірено. Перевірено означає, що всі необхідні іспити виконано та учасники готові розпочати випробування. Ліва діаграма, або «круг», представляє 52 людини, яких потрібно зарахувати до **CHOICES**. Синім кольором ви бачите вже зареєстрованих учасників, помаранчевим кольором ті, які перевірені на реєстрацію, а сірим кольором очікуються учасники, але ще не перевірені. Зараз CHOICES працює в 10 дослідницьких центрах у 7 країнах: Бельгії, Франції, Італії, Нідерландах, Німеччині, Швеції та Великобританії. На правому «крузі» ви бачите, скільки учасників зареєстровано (відтінки синього кольору) і перевірено (відтінки помаранчевого) від країни.



До уваги всіх учасників HIT-CF: повторна згода на біобанкінг органоїдів

На початку проекту HIT-CF вам зробили біопсію прямої кишки. Ви дали свою згоду або дозвіл на культивування органоїдів із цієї біопсії, а також на використання та зберігання цих органоїдів протягом усього проекту. На цих органоїдах було протестовано кілька лікарських сполук, що дозволило нам розпочати дослідження CHOICES. У всьому світі зростає кількість людей із МВ, яких можна лікувати новими ліками. Проте значна кількість людей із муковісцидозом ще не має можливості лікуватися. Тому дослідники та фармацевтичні компанії проводять подальші дослідження по всьому світу. Ваші органоїди можуть бути дуже важливими для тестування нових методів лікування в майбутньому. Надана вами згода дійсна лише протягом проекту HIT-CF. До кінця 2024 року проект HIT-CF у нинішньому вигляді завершиться. Це означає, що нам доведеться знищити ваші органоїди, якщо не буде вжито жодних заходів.

To learn more about the HIT-CF project, visit www.hitcf.org or send an e-mail to HITCF@umcutrecht.nl



Інформ бюлетень HIT-CF Europe



Вересень 2024

Проект HIT-CF Europe спрямований на надання нових варіантів лікування людям з муковісцидозом (МВ) і ультрарідкісними генетичними профілями. Проект оцінюватиме ефективність і безпеку препаратів-кандидатів, які надають співробітницькі фармацевтичні компанії, у пацієнтів, відібраних за допомогою попередніх випробувань у лабораторії на їхніх міні-кишках, які також називають органοїдами..

На щастя, ми знайшли спосіб зберегти ваші органοїди доступними для майбутніх досліджень, зберігаючи їх у новому Європейському біобанку стовбурових клітин кістозного фіброзу. Це означає, що вам потрібно буде підписати нову інформовану згоду; інакше ваші органοїди все одно будуть знищені.

Як мені повторно дати згоду? Просто надіславши електронний лист на адресу HITCF@umcutrecht.nl З наступним посланням : - Так, я зацікавлений у тому, щоб мої органοїди залишалися доступними, або

- Ні, я не зацікавлений, будь ласка, знищіть мої органοїди.

Якщо ви вкажете, що зацікавлені, ми надішлемо вам лист з усією необхідною інформацією та новою формою згоди. Після того як ми отримаємо вашу нову форму згоди, ми будемо зберігати ваші органοїди в новому біобанку. В іншому випадку ми знищимо ваші органοїди згідно з вашим бажанням. Якщо ви вважаєте, що вам спочатку потрібна додаткова інформація, щоб мати можливість прийняти обґрунтоване рішення, запишіть свої запитання та надішліть їх на адресу HITCF@umcutrecht.nl.

Можливо, ви також отримали цю інформацію від свого лікаря з МВ. Будь ласка, не соромтеся обговорити це з ним або нею.

Гарні новини: випробування мРНК ReCode набирає!

Як ми згадували в лютневому інформ бюлетені, учасники HIT-CF, які не були відібрані для CHOICES, матимуть можливість взяти участь в іншому дослідженні. Компанія ReCode Therapeutics розробила досліджувану інгаляційну терапію на основі мРНК для людей із муковісцидозом із рідкісними мутаціями, включаючи нонсенс/стоп мутації. мРНК означає месенджер рибонуклеїнової кислоти та містить інструкції, які повідомляють нашим клітинам, як виробляти білок, наприклад канал CFTR. мРНК не здатна змінити або модифікувати генетичний склад (ДНК) людини. У людей з CF білок CFTR функціонує погано або його взагалі немає.

Доставляючи правильні копії мРНК CFTR до легеневих клітин, цю проблему можна обійти, і клітини можуть знову почати створювати функціональні канали CFTR.

Інноваційна інгаляційна терапія мРНК, яка поки що називається RCT2100, наразі вперше тестується на людях із МВ. Цей процес також відомий як дослідження фази 1. Дослідження фази 1 зосереджено в основному на пошуку правильної дози препарату та оцінці безпеки. Учасники дослідження фази 1 можуть мати або не мати особистих переваг від лікування, але на даний момент це не є основною метою. Крім того, неможливо гарантувати, що учасники автоматично зможуть взяти участь у наступних етапах дослідження, які зосереджуються на дослідженні ефективності. Тим не менш, це дуже важливий, якщо не найважливіший етап клінічного дослідження. Без достатніх даних про безпеку експериментальний препарат не може перейти до наступної фази. Тому дуже важливо знайти достатню кількість учасників.

Під час цього дослідження дослідники хочуть визначити, скільки RCT2100 можна вводити, щоб дізнатися, чи добре переноситься RCT2100, а також як організм використовує RCT2100 і як RCT2100 впливає на організм. Для цього буде перевірено безпечність кількох різних доз RCT2100. **Кожен учасник гарантовано отримує експериментальну терапію; у цій частині дослідження немає контрольної групи, яка отримувала плацебо або фіктивний препарат.**

Цього літа ReCode отримав дозвіл на проведення дослідження в Європі, і зараз вони шукають учасників. Участь у цьому дослідженні означає, що вам доведеться відвідати навчальний центр приблизно 17 разів і вимагає взяття крові, перевірки функції легень та/або інших вимірювань. Дослідження проводитиметься в Нідерландах (Утрехт), Франції (Парі Неккер, Тулуза та Монпельє) та Великобританії (Лідс, Лікарня Лондонського королівського коледжу, Ноттінгем, Саутгемптон, Кембридж і Бірмінгем). Якщо ви не живете в одній із цих країн, ви все одно можете взяти участь, якщо маєте змогу та бажаєте поїхати на одне з місць навчання. Щоб отримати додаткову інформацію, ви або ваш лікар з МВ можете зв'язатися з командою HIT-CF за адресою HIT-CF@umcutrecht.nl.

