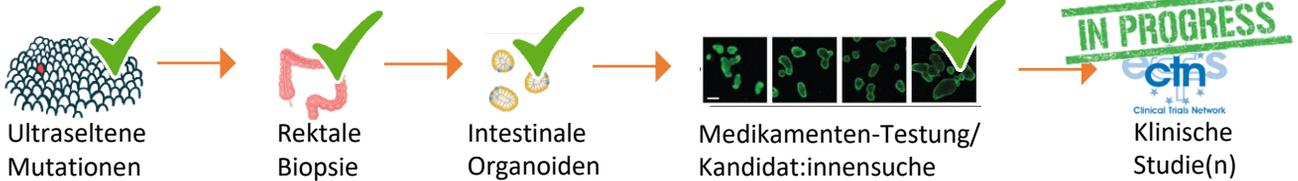


Newsletter HIT-CF Europe

September 2024

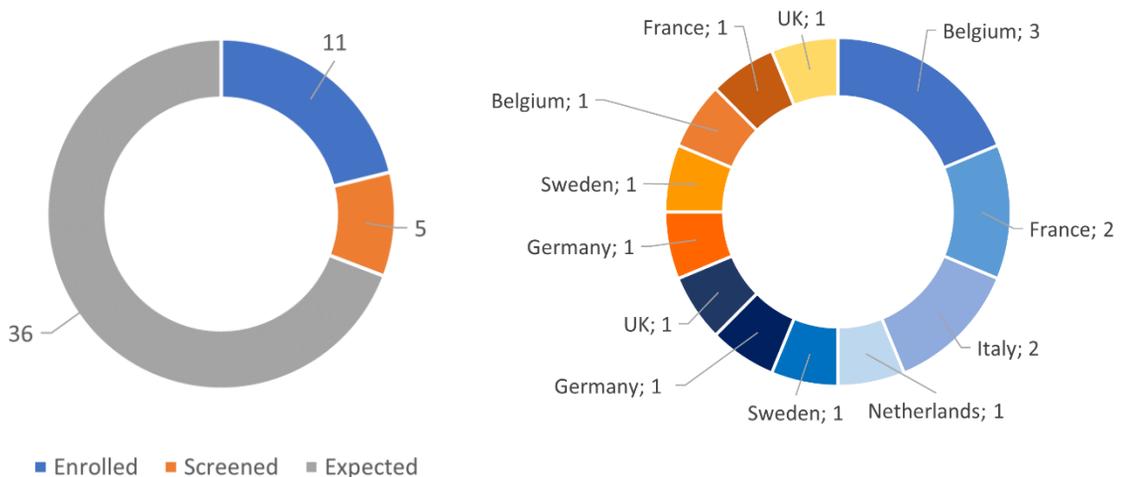


Das Projekt HIT-CF Europe möchte Menschen mit Mukoviszidose (CF) und extrem seltenen genetischen Profilen neue Behandlungsmöglichkeiten bieten. Im Rahmen des Projekts werden die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimittelkandidaten, die von pharmazeutischen Unternehmen zur Verfügung gestellt werden, bei Patient:innen untersucht, die durch Vorversuche im Labor an ihren Mini-Därmen - auch Organoiden genannt - ausgewählt wurden.



Der Aufnahmeprozess in die CHOICES-Studie ist in vollem Gange

Wir hoffen, Sie hatten alle einen erholsamen Sommer und konnten Zeit mit Ihren Lieben verbringen. Während der Sommermonate haben das CHOICES-Studienteam und die Mitarbeitenden an den jeweiligen Studienorten hart gearbeitet. Zurzeit nehmen 11 Personen an der CHOICES Studie teil, d.h. sie nehmen das aktive Medikament oder das Placebo ein. Weitere 5 Personen wurden gescreent, d.h. dass alle erforderlichen Voruntersuchungen durchgeführt wurden und die Teilnehmenden mit der Studie starten können. Das linke Diagramm zeigt, dass 52 Personen für die CHOICES Studie benötigt werden. In blau sehen Sie die bereits eingeschriebenen Personen, in orange die Personen, die noch untersucht werden müssen, und in grau jene, die erwartet werden, aber noch nicht untersucht wurden. CHOICES wird derzeit in 10 Studienzentren in 7 Ländern durchgeführt: Belgien, Frankreich, Italien, die Niederlande, Deutschland, Schweden und das Vereinigte Königreich. Im rechten Diagramm sehen Sie, wie viele Teilnehmende pro Land eingeschrieben (blaue Farbtöne) und untersucht wurden (orange Farbtöne).



Wichtig für HIT-CF-Teilnehmende: Wiedereinwilligung zum Organoid-Biobanking benötigt!

Zu Beginn des HIT-CF-Projekts haben Sie sich einer Rektumschleimhautbiopsie unterzogen. Sie hatten Ihr Einverständnis bzw. Ihre Erlaubnis gegeben, aus dieser Biopsie Organoiden zu züchten und diese Organoiden für die Dauer des Projekts zu verwenden und aufzubewahren. An diesen Organoiden wurden mehrere Wirkstoffe getestet, was uns den Start der CHOICES-Studie ermöglichte. Weltweit gibt es eine wachsende Zahl von Menschen mit CF, die mit neuen Medikamenten behandelt werden können. Für eine große Anzahl von Menschen mit CF gibt es jedoch noch keine Behandlungsmöglichkeiten. Daher werden weltweit weitere Studien von Forschenden und Pharmaunternehmen durchgeführt. Ihre Organoiden können für die Erprobung neuer Therapien in der Zukunft sehr wichtig sein.

Die von Ihnen erteilte Zustimmung ist nur für die Dauer des HIT-CF-Projekts gültig. Ende 2024 wird das HIT-CF-Projekt in seiner jetzigen Form abgeschlossen sein. **Das bedeutet, wir müssen Ihre Organoiden vernichten, wenn keine weiteren Maßnahmen ergriffen werden.**

Um mehr über das HIT-CF-Projekt zu erfahren, besuche www.hitcf.org oder sende eine E-Mail an HITCF@umcutrecht.nl



Newsletter HIT-CF Europe

September 2024



Das Projekt HIT-CF Europe möchte Menschen mit Mukoviszidose (CF) und extrem seltenen genetischen Profilen neue Behandlungsmöglichkeiten bieten. Im Rahmen des Projekts werden die Wirksamkeit und Sicherheit von Arzneimittelkandidaten, die von pharmazeutischen Unternehmen zur Verfügung gestellt werden, bei Patient:innen untersucht, die durch Vorversuche im Labor an ihren Mini-Därmen - auch Organoide genannt - ausgewählt wurden.

Glücklicherweise haben wir einen Weg gefunden, Ihre Organoide für künftige Studien verfügbar zu halten, indem wir sie in einer neuen Europäischen CF-Stammzellen-Biobank aufbewahren. **Sie müssten allerdings eine neue Einverständniserklärung unterschreiben, da Ihre Organoide sonst trotzdem zerstört werden.**

Wie willige ich ein? Durch eine simple E-Mail an HITCF@umcutrecht.nl mit einer der folgenden Nachrichten:

- *Ja, ich bin daran interessiert, meine Organoide verfügbar zu halten! Oder*
- *Nein, daran bin ich nicht interessiert, bitte zerstören Sie mein Organoid!*

Wenn Sie daran interessiert sind, senden wir Ihnen ein Schreiben mit allen notwendigen Informationen und die neue Einverständniserklärung zu. Nach Erhalt dieser Einverständniserklärung werden wir Ihre Organoide in der neuen Biobank aufbewahren. Andernfalls werden wir Ihre Organoide auf Ihren Wunsch hin vernichten. Wenn Sie das Gefühl haben, dass Sie zunächst mehr Informationen benötigen, um eine fundierte Entscheidung treffen zu können, schreiben Sie bitte Ihre Fragen auf und senden Sie sie an HITCF@umcutrecht.nl. *Vielleicht haben Sie diese Informationen auch von Ihrer CF-Ärztin oder Ihrem CF-Arzt erhalten. Bitte sprechen Sie auch mit ihm oder ihr darüber.*

Gute Nachrichten: Die ReCode mRNA-Studie nimmt Teilnehmende auf!

Wie bereits im Februar-Newsletter erwähnt, können HIT-CF-Teilnehmende, die nicht für CHOICES ausgewählt wurden, an einer anderen Studie teilnehmen. ReCode Therapeutics hat eine inhalative Prüftherapie auf mRNA-Grundlage für Menschen mit CF mit seltenen Mutationen, einschließlich Nonsense-/Stopp-Mutationen, entwickelt. mRNA steht für Boten-Ribonukleinsäure, die unseren Zellen sagt, wie sie ein Protein, z.B. den CFTR-Kanal, herstellen sollen. mRNA verändert nicht das Erbgut (die DNA) einer Person. Bei Menschen mit CF funktioniert das CFTR-Protein nicht gut oder es ist gar nicht vorhanden. Durch die Zuführung korrekter Kopien der CFTR-mRNA wird dieses Problem umgangen, sodass wieder funktionsfähige CFTR-Kanäle gebildet werden.

Die innovative **inhalative** mRNA-Therapie, die vorläufig **RCT2100** genannt wird, wird derzeit erstmals an Menschen mit CF getestet. Dieser Prozess wird auch als **Phase-1-Studie** bezeichnet. Bei einer Phase-1-Studie geht es vor allem darum, **die richtige Dosis des Medikaments zu finden und die Sicherheit zu bewerten**. Teilnehmende einer Phase-1-Studie können einen persönlichen Nutzen aus der Behandlung ziehen oder auch nicht, aber das ist zu diesem Zeitpunkt nicht das primäre Ziel. Außerdem kann nicht garantiert werden, dass sie automatisch an späteren Phasen der Studie teilnehmen können, in denen es um die Untersuchung der Wirksamkeit geht. Dennoch ist dies eine sehr wichtige, wenn nicht sogar die wichtigste Phase der klinischen Forschung. Ohne ausreichende Sicherheitsdaten kann das Versuchsmedikament nicht in die nächste Phase übergehen. Deshalb ist es sehr wichtig, genügend Teilnehmende zu finden.

In dieser Studie wollen die Forscher herausfinden, wie viel RCT2100 verabreicht werden kann, ob RCT2100 gut verträglich ist, wie der Körper RCT2100 verwendet und wie RCT2100 auf den Körper wirkt. Zu diesem Zweck wird die Sicherheit mehrerer unterschiedlicher Dosierungen von RCT2100 getestet. **Jede Person erhält garantiert die Versuchstherapie; in diesem Teil der Studie gibt es keine Kontrollgruppe, die ein Placebo (= Scheinmedikament) erhält.**

In diesem Sommer erhielt ReCode die Genehmigung zur Durchführung der Studie in Europa und sucht nun nach Teilnehmenden. Die Teilnahme an dieser Studie bedeutet, dass Sie das Studienzentrum etwa 17-mal besuchen müssen und Blutabnahmen, Lungenfunktionstests und/oder andere Messungen erforderlich sind. Die Studie wird in den **Niederlanden** (Utrecht), **Frankreich** (Paris Necker, Toulouse und Montpellier) und im **Vereinigten Königreich** (Leeds, London King's College Hospital, Nottingham, Southampton, Cambridge und Birmingham) durchgeführt. **Auch wenn Sie nicht in einem dieser Länder leben, können Sie an der Studie teilnehmen, wenn Sie bereit und in der Lage sind, zu einem der Studienorte zu reisen.** Für weitere Informationen können Sie oder Ihr CF-Behandlungsteam das HIT-CF-Team unter HIT-CF@umcutrecht.nl kontaktieren.

Um mehr über das HIT-CF-Projekt zu erfahren, besuche www.hitcf.org oder sende eine E-Mail an HITCF@umcutrecht.nl

