

O Projeto HIT-CF Europe tem como objetivo oferecer novas opções terapêuticas a pessoas com fibrose quística (FQ) e mutações ultra-raras. O projeto avaliará a eficácia e a segurança de medicamentos candidatos, fornecidos por empresas farmacêuticas colaboradoras, em pacientes selecionados por meio de testes preliminares efetuados, laboratorialmente, em mini-intestinos – também chamados de organóides.

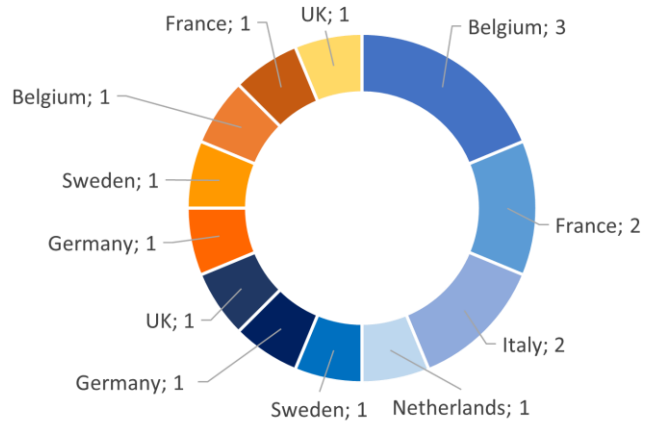
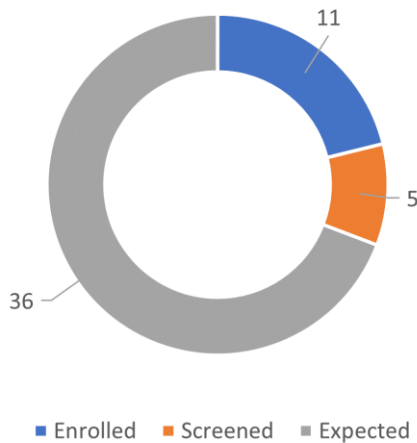


O ensaio clínico CHOICES encontra-se em pleno andamento

Esperamos que todos tenham tido um verão relaxante e a oportunidade de passar tempo em família. Durante os últimos meses, a equipa de estudo CHOICES e o pessoal dos centros clínicos têm trabalhado arduamente. Foram, até ao momento, recrutados 11 participantes para o ensaio CHOICES.

Tal significa que estes participantes já estão a tomar o medicamento ativo ou o placebo. Cinco pacientes adicionais já foram submetidos a todos os exames necessários, estando prontos para iniciar o ensaio clínico brevemente. O gráfico à esquerda representa o número total de participantes que se pretende recrutar no ensaio CHOICES (52 pessoas).

A azul vê-se o número de pessoas já recrutadas, a laranja as que já foram triadas e aguardam o início do ensaio e, a cinzento, o número de participantes que ainda é necessário recrutar. O CHOICES está, atualmente, a decorrer em 10 centros clínicos de 7 países: Bélgica, França, Itália, Países Baixos, Alemanha, Suécia e Reino Unido. No gráfico da direita é possível observar quantos participantes já iniciaram o ensaio (tons de azul) e quantos foram triados (tons de laranja) em cada país.



Atenção a todos os participantes do HIT-CF: renovação do consentimento para o biobanco de organóides

No início do projeto HIT-CF, cada participante foi submetido a uma biópsia retal e prestou o seu consentimento - ou permissão - para que organóides fossem cultivados a partir desta biópsia e que, os mesmos, fossem usados e armazenados durante a toda a duração do projeto. Vários compostos farmacológicos foram testados nestes organóides, o que nos permitiu iniciar o estudo CHOICES. Em todo o mundo, há um número crescente de pessoas com FQ que podem ser tratadas com novos medicamentos. Contudo, ainda existe um número importante de pessoas com FQ sem opções de tratamento. Portanto, cada vez mais estudos estão a ser feitos, em todo o mundo, por investigadores e empresas farmacêuticas. Todos estes organóides podem ser muito importantes para testar novas terapias no futuro! Se é participante, o consentimento que prestou só é válido durante a vigência do projeto HIT-CF. Até ao final de 2024, o projeto HIT-CF, na sua forma atual, estará concluído. Isto significa que teremos de destruir todos os organóides se o seu consentimento não for renovado.

Para saber mais sobre o Projeto HIT-CF, visite www.hitcf.org ou contacte HITCF@umcutrecht.nl

Newsletter HIT-CF Europe

Setembro 2024



O Projeto HIT-CF Europe tem como objetivo oferecer novas opções terapêuticas a pessoas com fibrose quística (FQ) e mutações ultra-raras. O projeto avaliará a eficácia e a segurança de medicamentos candidatos, fornecidos por empresas farmacêuticas colaboradoras, em pacientes selecionados por meio de testes preliminares efetuados, laboratorialmente, em mini-intestinos – também chamados de organóides.

Felizmente, encontramos uma forma de manter os seus organóides disponíveis para estudos futuros, armazenando-os num novo Biobanco Europeu de Células Estaminais da Fibrose Quística. **Isto significa que terá de assinar um novo consentimento informado; caso contrário, os seus organóides serão destruídos.**

Como posso renovar o consentimento?

É simples! Basta enviar um *e-mail* para HITCF@umcutrecht.nl com uma das seguintes mensagens:

- Sim, eu estou interessado em manter os meus organóides disponíveis, ou
- Não, eu não estou interessado. Os meus organóides podem ser destruídos.

Se indicar que está interessado, enviar-lhe-emos uma carta com todas as informações necessárias e um novo formulário de consentimento. Depois de recebermos o seu novo formulário de consentimento, os seus organóides serão armazenados no novo biobanco. Caso contrário, os organóides serão destruídos, de acordo com a sua vontade. Se necessitar de mais esclarecimentos para poder tomar uma decisão informada, envie todas as suas perguntas para HITCF@umcutrecht.nl.

Poderá ter recebido esta informação diretamente do seu médico. É importante que lhe coloque todas as dúvidas que possa ter.

Boas notícias: o ensaio ReCode mRNA está a recrutar!

Como mencionado previamente, os participantes do HIT-CF que não foram selecionados para o CHOICES terão a oportunidade de participar noutro estudo. A *ReCode Therapeutics* desenvolveu uma terapia inalatória experimental baseada em mRNA para pessoas com FQ e mutações raras, incluindo mutações *nonsense/stop*. mRNA significa ácido ribonucleico mensageiro e contém instruções para dizer às células como produzir uma proteína, tal como o canal CFTR. O mRNA não é capaz de alterar ou modificar a composição genética (DNA) de uma pessoa. Em pessoas com FQ, a proteína CFTR não funciona bem ou está ausente. Ao fornecer cópias corretas do mRNA do CFTR às células pulmonares, este problema pode ser contornado e as células poderão começar a produzir canais CFTR funcionais.

A terapia inovadora de mRNA inalado, que é chamada de **RCT2100** por enquanto, está a ser testada em pessoas com FQ pela primeira vez. Este processo também é conhecido como **estudo de fase 1**. Um estudo de fase 1 concentra-se, principalmente, em encontrar a dose certa do medicamento e avaliar a sua segurança. Os participantes de um estudo de fase 1 podem ou não ter benefícios pessoais do tratamento, mas não é o objetivo principal nesse momento. Além disso, não é possível garantir que os participantes podem participar, automaticamente, em fases posteriores do estudo, que se concentram na investigação da sua eficácia. No entanto, esta é uma fase muito importante, se não a mais importante, da investigação clínica. Sem dados de segurança suficientes, o medicamento experimental não pode progredir para a fase seguinte. Por isso, é muito importante encontrar participantes em número suficiente.

Durante este estudo, os investigadores pretendem determinar quanto RCT2100 pode ser administrado - para descobrir se o RCT2100 é bem tolerado - como o corpo usa o RCT2100 e como este afeta o corpo. Para isso, será testada a segurança de várias doses diferentes de RCT2100. **Cada participante tem a garantia de receber a terapia experimental; Nesta parte do estudo, não há nenhum grupo de controlo a receber um placebo ou um medicamento simulado.**

Este verão, a ReCode obteve aprovação para realizar o estudo na Europa, e estão à procura de participantes. A participação neste estudo significa que terá de visitar o centro clínico cerca de 17 vezes e efetuar colheitas de sangue, testes de função pulmonar e/ou outras medições. O estudo decorrerá nos **Países Baixos (Utrecht)**, em **França (Paris Necker, Toulouse e Montpellier)** e no **Reino Unido (Leeds, London King's College Hospital, Nottingham, Southampton, Cambridge e Birmingham)**.

Se não mora em nenhum destes países, pode participar se puder e quiser viajar para um dos locais de estudo. Para mais informações, você ou o seu médico de FQ podem entrar em contato com a equipe HIT-CF via HIT-CF@umcutrecht.nl.

Para saber mais sobre o Projeto HIT-CF, visite www.hitcf.org ou contacte HITCF@umcutrecht.nl

