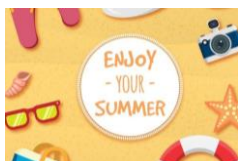


Newsletter HIT-CF Europe

Giugno 2022



Il progetto HIT-CF vuole offrire nuove opzioni di cura alle persone con fibrosi cistica con profili genetici ultra rari. Il progetto vuole valutare l'efficacia e la sicurezza di alcuni farmaci ancora privi di brevetto forniti dalle aziende farmaceutiche con cui è in atto una collaborazione, in pazienti selezionati preventivamente con test ed esami in laboratorio sui loro mini intestini – chiamati anche 'organoidi'.



Il Consorzio 'HIT-CF' vi augura una serena estate, ma prima che possiate andare in vacanza vogliamo essere sicuri che riceviate gli ultimi aggiornamenti sul progetto. Nel corso dell'estate continuate a visitare il profilo [Facebook](#) ed il sito di [CF Europe](#): pubblicheremo un nuovo video in cui diverse persone che stanno lavorando a questo progetto e a CHOICES si presenteranno e risponderanno ad alcune domande.



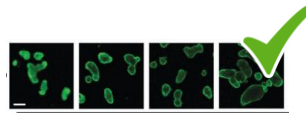
Mutazioni ultra rare



Biopsia rettale



Organoidi intestinali



Prova dei medicinali/
Selezione dei rispondenti



Clinical trial(s)

A che punto è la preparazione di CHOICES? Quando partirà?

Le prime inclusioni nel progetto dei partecipanti pre-selezionati sono previste per l'**ultimo quadrimestre del 2022** (ne avevamo parlato nella [February newsletter](#)). In questa fase il team si sta occupando di trasformare il materiale grezzo in pillole da confezionare successivamente in boccette. E' un passaggio molto delicato poiché è importante che sia fatto nella massima precisione e sicurezza per far sì che l'assunzione del farmaco da parte dei partecipanti sia sicura.

Un altro step importante prima che il progetto CHOICES possa partire è ottenere le autorizzazioni a condurre il trial da parte delle autorità nazionali competenti. Dal 31 gennaio 2022 la procedura di richiesta è stata uniformata in tutta Europa attraverso il sistema del **Clinical Trials Information System** o **CTIS**. Il grande vantaggio è che questa procedura porta ad una decisione applicabile a tutti i paesi che vogliono partecipare allo studio, invece che sottoporre le richieste ai singoli paesi. Questo processo aumenta l'efficienza e permetterà al trial di partire in tutti i paesi nello stesso momento. Nonostante la centralizzazione di questo processo è stata accolta con favore dal team HIT-CF, ha portato a qualche ritardo nella procedura, una cosa normale quando un nuovo sistema viene implementato. In questa fase potrebbero essere richiesti ulteriori documenti o in altri formati, quindi vi chiediamo di pazientare ancora finché il nostro team non avrà concluso le procedure di permesso per l'avvio del progetto CHOICES.

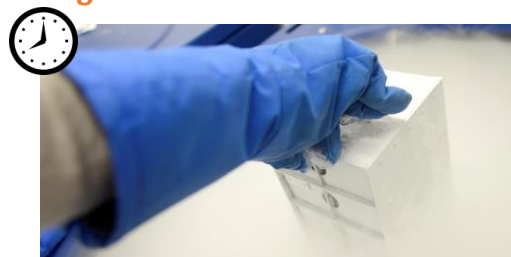
Progressi nell'ottenimento della Qualification Opinion da parte dell'EMA



Ottenere la Qualification Opinion da parte dell'EMA è uno step fondamentale per il futuro sviluppo degli organoidi come predittori di una risposta clinica. L'approvazione dell'EMA porterebbe gli organoidi ad essere utilizzati per lo sviluppo della medicina personalizzata, aprendo la strada alla possibilità di una cura e farmaci salvavita per le persone con mutazioni rare. Il team del progetto HIT CF ha sottomesso la richiesta a Marzo 2022 e lo scorso Maggio abbiamo ricevuto un primo e molto positivo riscontro da EMA, assieme alla richiesta di ulteriori informazioni che trasmetteremo a breve, prima di un ulteriore confronto a Settembre.

Le Biobanche come metodo di conservazione per la collezione di organoidi con mutazioni rare

Nella prima fase del progetto HIT-CF sono stati ottenuti 502 organoidi da persone con mutazioni FC rare. Purtroppo questi potrebbero essere distrutti alla fine del progetto stesso ma, dato l'alto potenziale di test per terapie future, il team sta lavorando insieme agli altri stakeholder per far sì che questi possano essere conservati. Se vuoi che i tuoi organoidi vengano conservati, devi firmare un nuovo consenso informato. Il tuo medico di riferimento ti fornirà tutte le informazioni necessarie al momento dovuto.



Per conoscere il progetto HIT-CF, visita www.hitcf.org or scrivi una mail a HITCF@umcutrecht.nl

