

# Newsletter HIT-CF Europe

November 2021



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 kooperierenden pharmazeutischen Unternehmen zur Verfügung gestellt werden, bei Patient:innen untersucht, die durch Vorversuche im Labor an ihren Mini-Därmen - auch Organoide genannt - ausgewählt wurden.



Nach zwei Jahren virtueller Treffen fand vom 14. – 15. Oktober 2021 die Sitzung des HIT-CF-Konsortium live in Brüssel statt. Mit diesem Newsletter möchten wir Sie über den aktuellen Stand des HIT-CF-Projekts informieren. Trotz COVID-19 und industriebedingter Verzögerungen können wir **wichtige Fortschritte** vermelden.

## FAIR Therapeutics übernimmt CF-Portfolio von Proteostasis, die CHOICES-Studie kann weiterlaufen

Die Fusion des HIT-CF-Industriepartners Proteostasis mit der nicht auf CF spezialisierten Firma Yumanity gefährdete letztes Jahr die CHOICES-Studie.

Wir freuen uns sehr, dass das niederländische Start-up-Unternehmen **FAIR Therapeutics die Exklusivlizenz für das CF-Medikamentenportfolio** von Yumanity erwerben konnte. FAIR Therapeutics macht es sich zur Aufgabe, Menschen mit seltenen CF-Mutationen Medikamente zu erschwinglichen Preisen zur Verfügung zu stellen. HIT-CF führt derzeit Gespräche mit der Europäischen Kommission, um FAIR Therapeutics als Partner in das Konsortium aufzunehmen. In der Zwischenzeit bereitet FAIR Therapeutics die Verschiffung der Rohmaterialien des Medikaments aus den USA vor. Die Verarbeitung zum Medikament findet in Europa statt. Nach Abschluss der erforderlichen Qualitätskontrollen gehen wir von einer Genehmigung des Starts der CHOICES-Studie durch die Zulassungsbehörden aus und hoffen, dass dann die Rekrutierung der ersten Studienteilnehmer:innen im ersten Halbjahr 2022 stattfinden kann. FAIR Therapeutics hofft auf neue Möglichkeiten, das Behandlungsportfolio für Menschen mit Mukoviszidose und anderen seltenen Lungenerkrankungen zu erweitern.



## Eloxx Pharmaceuticals setzt sich weiterhin für die Rekrutierung von HIT-CF-Teilnehmer:innen für seine klinischen Studien ein

Auch Eloxx Pharmaceuticals fusionierte mit einem anderen Unternehmen: Zikani Therapeutics. Die neue Geschäftsführung von Eloxx Pharmaceuticals hat beschlossen, die Vermarktung des Medikaments ELX-002 durch ein Verfahren namens "Fast Track Designation" zu beschleunigen. Eloxx wird seine klinische Strategie entsprechend anpassen und Menschen mit Mukoviszidose sowohl aus der HIT-CF-Studie als auch aus den USA rekrutieren. Eloxx muss zunächst eine Reihe von Studien an Patient:innen mit G542X-Allelen abschließen, die durch die COVID-19-Pandemie erheblich verzögert worden waren. Daher werden die Teilnehmer:innen der HIT-CF-Studie etwa ein Jahr später als erwartet zur Teilnahme an der Studie eingeladen.

## HIT-CF arbeitet aktiv an Lösungen für Teilnehmer:innen, die auf keines der bisher getesteten Medikamente ansprechen

Die Organoide von mehr als der Hälfte aller HIT-CF-Teilnehmer:innen reagieren auf keines der getesteten Medikamente (CFTR-Modulatoren und Stop-Codon-Überlese-Medikamente). Das HIT-CF-Konsortium arbeitet daran, jenen "Non-Respondern" eine gute Ausgangsposition für die Teilnahme an der Arzneimittelforschung zu verschaffen, die ihre Lungenfunktion und Lebensqualität verbessern kann. Alternative Therapien wie entzündungshemmende Therapien, mRNA- und Gentherapien werden erforscht. HIT-CF arbeitet daran, dass Teilnehmer:innen, die nicht auf die Therapie ansprechen, als erste von diesen neuen Therapieformen profitieren können. In diesem Zusammenhang gibt das Konsortium erfreut bekannt, dass Santhera - vorbehaltlich formeller Entscheidung der Europäischen Kommission - ein neuer Partner innerhalb von HIT-CF sein wird. Santhera bereitet eine klinische Studie mit Lonodelestat vor, einem potenten Unterdrücker von Entzündungsreaktionen in der Lunge. Wir gehen davon aus, dass in der ersten Hälfte von 2022 etwa 60-80 Personen, die an HIT-CF teilnehmen, zur Teilnahme an dieser Studie eingeladen werden. Weitere Informationen folgen.



Um mehr über das HIT-CF-Projekt zu erfahren, besuche [www.hitcf.org](http://www.hitcf.org) oder schicke eine E-Mail an [HITCF@umcutrecht.nl](mailto:HITCF@umcutrecht.nl)

