



Notatka prasowa, sierpień 2019

Projekt HIT-CF - opracowanie spersonalizowanej terapii dla chorych na mukowiscydozę (CF) mających rzadkie typy mutacji w genie *CFTR*.

Słowa kluczowe: mukowiscydoza, medycyna spersonalizowana, gen *CFTR*, organoidy



Fotografia 1 Zespół Kliniki Mukowiscydozy biorący udział w badaniu.

W dniach 5-7 sierpnia 2019r. w Zakładzie i Klinice Mukowiscydozy IMiD w Dziekanowie Leśnym gościliśmy dr Danya Muilwijk z Uniwersyteckiego Szpitala Dziecięcego w Utrechcie (Holandia).

Wizyta była związana z obecnie prowadzonym dużym europejskim badaniem HIT-CF. Celem projektu HIT-CF jest opracowanie spersonalizowanej terapii dla chorych na mukowiscydozę (CF) mających rzadkie typy mutacji w genie *CFTR*.

Obecnie medycyna dysponuje nowoczesnymi lekami zwanymi korektorami i wzmacniaczami, ale tylko w przypadku ściśle okresowych mutacji takich jak G551D czy F508del. Nadal pewna część chorych nie ma szans na dostęp do zaawansowanej, ale i bardzo kosztownej technologii bez wsparcia instytucjonalnego.



Badanie składa się z 2 części, które będą przeprowadzane jedna po drugiej. W pierwszej części od pacjentów są pobierane próbki jelita grubego, które są następnie hodowane i poddawane badaniom w laboratorium. W przypadku wynalezienia leku w konkretnej mutacji, pacjent będzie kwalifikowany do drugiej części badania, którego celem będzie ocena kliniczna na lek.

Testowanie leków prowadzi się na organoidach, czyli uproszczonych modelach tkankowych (w przypadku badania HIT-CF są to mini-jelita). Ta nowa technologia pozwala przebadać setki leków u konkretnego pacjenta bez ponoszenia jakiegokolwiek ryzyka dla chorego. Dopiero wybrane i skuteczne „leki-kandydaci” będą poddawane dalszym testom.

Klinika Mukowiscydozy jest jedynym ośrodkiem w Polsce biorącym udział w badaniu, które jest prowadzone w ramach sieci *Clinical Trial Network* (ECFS-CTN). Ostatecznie do badania zostanie zakwalifikowanych 500 pacjentów, a badania nad nowymi lekami są planowane na połowę 2020r.

