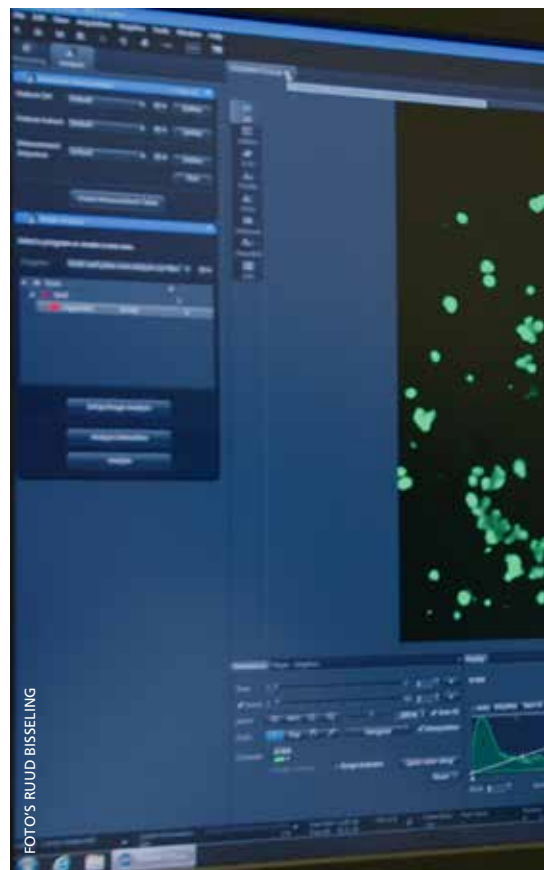


# HIT CF Europe van start

*'Farmaceutische bedrijven zijn eigenlijk concurrenten van elkaar, maar voor dit project hebben ze de handen ineen geslagen.'*



FOTO'S RUUD BISSELING

## Zoektocht naar medicijnen voor 'de vergeten patiënt'

Het internationale onderzoeksprogramma HIT CF Europe is, met een EU-subsidie van 6,7 miljoen euro op zak, daverend van start gegaan. Onderzoekers, artsen, CF-centra en farmaceuten uit heel Europa bundelen de komende jaren hun krachten met maar één doel: nieuwe medicijnen vinden voor CF-patiënten met een zeldzame mutatie.

De dagelijkse leiding van HIT CF Europe is in handen van het UMC Utrecht. Kinderlongarts Kors van der Ent: 'Wat vooral bijzonder is aan het programma, is dat het zich richt op de vergeten patiënten met CF. Bij ontwikkeling van medicijnen kijken farmaceuten het liefst naar grote groepen; de kleine groep patiënten met een zeldzame mutatie is commercieel niet interessant. In Nederland hebben we voor deze groep het Regenboog-project, waar ongeveer 150 mensen met CF met een zeldzame mutatie aan deelnemen. Maar we dachten: waarom

zou je zo iets alleen in Nederland en voor Nederlandse patiënten doen?'

### Handen ineengeslagen

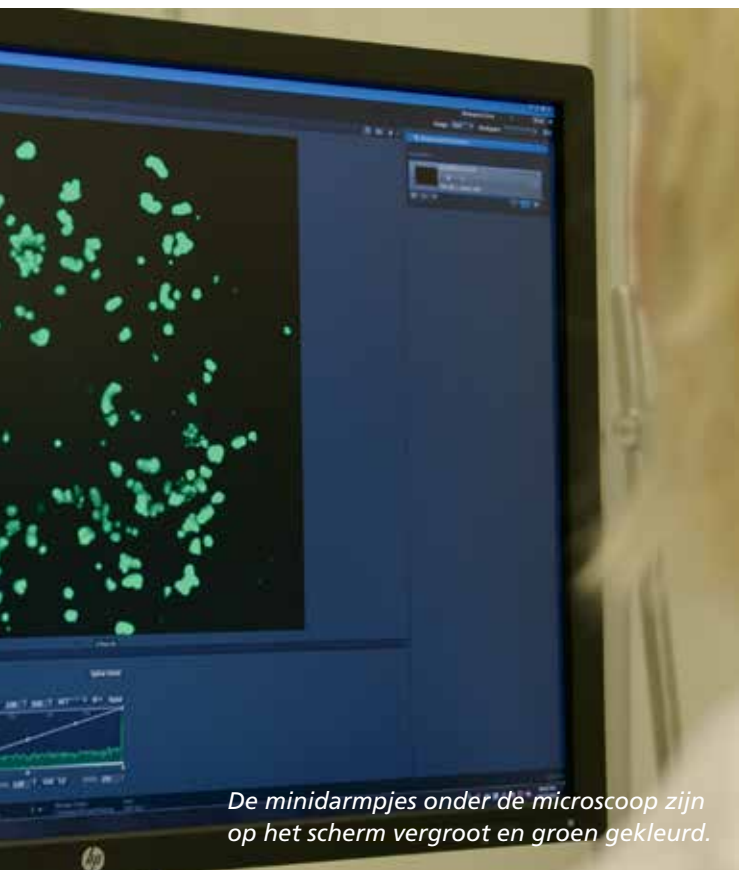
Ook de Europese Commissie zag het belang in van grootschalig onderzoek naar nieuwe medicijnen voor mensen met een zeldzame mutatie en kende begin dit jaar een subsidie van 6,7 miljoen euro toe aan HIT CF Europe. HIT CF Europe is een samenwerkingsverband van artsen, onderzoekers, Europese CF-centra, patiëntenverenigingen en farmaceutische bedrijven. Kors: 'Het feit dat er meerdere farmaceuten meedoen, is bijzonder. Farmaceutische bedrijven zijn eigenlijk concurrenten van elkaar, maar voor dit project hebben ze de handen ineengeslagen. Het kan best dat een combinatie van medicijnen van firma A met firma B blijkt te werken.'

### Standaard voor minidarmpjes

Zo'n 500 mensen uit heel Europa zullen deelnemen aan het onderzoeksproject. Van hen wordt, als dat nog niet is gedaan, een darmbiopt afgenomen, waarvan in het laboratorium in Lissabon, Leuven of Utrecht een minidarmpje wordt gemaakt.

*'Utrecht kan niet de hele wereld bedienen. We kunnen het andere laboratoria in Europa wél leren.'*

Door in zo'n minidarmpje verschillende medicijnen en medicijncombinaties te testen, kan bekeken worden welke behandeling voor die persoon het beste werkt. Minidarmpjes zijn in Nederland, en dan met name in het UMC Utrecht en



De minidarmpjes onder de microscoop zijn op het scherm vergroot en groen gekleurd.



Een testplaat met minidarmpjes wordt bekeken onder een microscoop.



De minidarmpjes worden bewaard in buisjes in vaten met vloeibaar stikstof van -180 graden.

*'We praten vanaf het begin van het project al met een zorgverzekeraar en de EMA om ook de vergoeding te regelen.'*

het Hubrecht Instituut, al behoorlijk ingeburgerd in het onderzoek naar nieuwe CF-medicatie. Hoe zit dat in andere landen? Kors: 'Veel Europese CF-centra hebben er wel van gehoord, maar hebben zelf nog nooit iets met minidarmpjes gedaan. Utrecht kan niet de hele wereld bedienen, dus een belangrijk onderdeel van het project is de standaardisatie van de techniek. Laboranten zullen geregeld bij elkaar komen om te leren over de techniek. Kwalitatief moeten alle minidarmpjes hetzelfde zijn.'

#### Opgeslagen in biobank

In de drie laboratoria worden in de deelnemende minidarmpjes 10-20 medicijnen getest. Vervolgens worden, op basis van de resultaten in de minidarmpjes, 75 mensen geselecteerd die mee zullen doen aan klinisch onderzoek. Hierbij krijgen zij twee maanden het best werkende medicijn en twee maanden een placebo. Deze trials gaan in 2020 van start. De minidarmpjes van de deelnemers die niet geselecteerd worden voor de klinische studie blijven opgeslagen in een biobank. 'Er komen meer medicijnen aan', legt Kors uit. 'Mensen die nu niet reageren, doen dat later misschien wel.'

#### Praten over vergoeding

En hoe lang duurt het vervolgens voordat de medicijnen met goede resultaten beschikbaar zijn voor mensen met CF? Dat is nog onduidelijk, maar Kors is in ieder geval niet van plan om af te wachten. 'We kunnen niet garanderen dat het lukt, maar we praten vanaf het begin al met een zorgverzekeraar en de European Medicines Agency om ook de vergoeding te regelen. Dat loopt parallel aan de rest van het project. Het ultieme doel is dat voor iedere patiënt het juiste medicijn zo snel mogelijk beschikbaar is.' ●

#### Tijdslijn HIT CF Europe

##### Maart 2018

Mensen kunnen zich aanmelden voor deelname bij een van de deelnemende CF-centra.

##### Vanaf april 2018

Van 500 deelnemers in heel Europa worden biopten afgenomen.

##### Juni 2020

Labtesten met medicijnen in minidarmpjes afgerond. 75 patiënten worden geselecteerd voor klinische studies.

##### Tweede helft 2020

Start klinische studies.



Prof. dr. Kors van der Ent is kinderlongarts in het CF-centrum Utrecht en projectleider van HIT CF Europe.