

Beste deelnemer,

In het Regenboogproject willen wij medicijnen vinden voor mensen met CF met zeldzame CFTR mutaties. Via deze nieuwsbrief willen wij u op de hoogte houden van alle vorderingen met betrekking tot het Regenboogproject.

Deelnemers

In totaal zijn er van 180 patiënten bipten afgenomen voor het maken van mini-darmpjes.

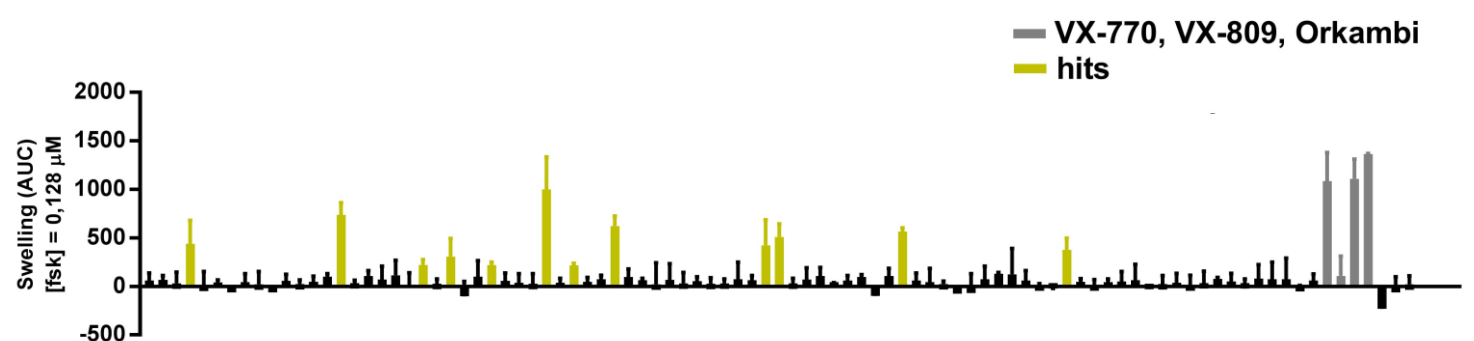
Testen van medicijnen op mini-darmpjes

We hebben nu ~1400 medicijnen voor de eerste keer getest op de mini-darmpjes van de eerste 85 deelnemers. Vervolgens is een tweede screening gedaan om duidelijk te krijgen welke medicijnen een herhaald positief effect geven op de CFTR functie. Deze screening leverde een lijst van medicijnen op.

Momenteel zijn we bezig om na te gaan welke van deze medicijnen veilig zijn voor langdurig gebruik, beschikbaar zijn in Nederland en op een makkelijke manier zijn in te nemen. Dit alles gaat in nauw overleg met de apothekers van ons ziekenhuis.

Daarna gaan we ook in de mini-darmpjes kijken of deze medicijnen met Orkambi een toegevoegd effect geven.

Voorbeeld van een uitslag van een medicatiescreening in een mini-darmpje. De groene balkjes laten een mogelijk effect van medicatie zien (=zwellung van mini-darmpje).



Planning

Wij hopen in het laatste kwartaal van 2018 de mini-darmpjes van alle deelnemers te hebben getest. We zijn in overleg met de artsen uit alle CF centra hoe de vervolgstappen het beste genomen kunnen worden en hoe de uitslag het best naar u kan worden gecommuniceerd.

Deze uitslag betreft dan allereerst het effect van Kalydeco of Orkambi en op een later tijdstip een eventueel effect van een medicijn in combinatie met Orkambi.

Vragen?

Als u vragen heeft, kunt u die stellen via cf-research@umcutrecht.nl

