

2021/

Rapport annuel du Réseau Européen de Recherche Clinique



www.ecfs.eu/ctn
ecfs-ctn@uzleuven.be
Tel : +32-479 983839

Sommaire

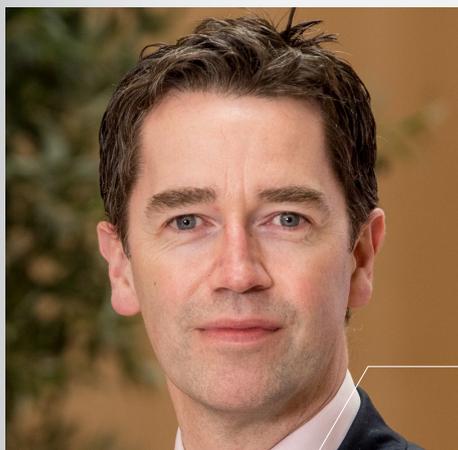
Editorial du directeur du Réseau Européen de Recherche Clinique (acronyme anglais : ECFS-CTN)	3
2021 en chiffres	5
Le réseau européen de recherche clinique	
Notre organisation	6
Nos centres	7
Le comité exécutif	8
Les activités du réseau	
Soutenir de nouvelles études	9
Les études cliniques en 2021	10
Notre réponse face à la Covid-19	16
Nos travaux	20
Standardisation	22
Centres d'aide et de formation	24
Augmenter et maintenir les capacités d'activités de recherche	26
Outils d'auto-évaluation destinés aux patients	
Un projet commun de l'ECFS-CTN et de CF Europe	28
Les projets de recherche européen	
L'ECFS-CTN est partenaire de plusieurs projets de l'UE	30
Des nouvelles du projet HIT-CF	32
Rapport financier 2021	34
Annexe – études (titre en anglais) soutenues par le réseau européen en 2021	36

Ce rapport a été traduit de l'anglais en français selon en fonction de l'état des connaissances de l'association Vaincre la Mucoviscidose. Cependant, aucune garantie ne peut être donnée quant au contenu du rapport. Vous pouvez télécharger la traduction et l'original en anglaise via le lien suivant

www.ecfs.eu/ecfs-ctn-annual-reports



Editorial du directeur du Réseau Européen de Recherche Clinique en mucoviscidose



Damian Downey, directeur de l'ECFS-CTN

Nous sommes heureux de partager avec vous le rapport de l'année 2021 du Réseau de Recherche Clinique de la Société Européenne de Mucoviscidose (European Cystic Fibrosis Society – Clinical Trial Network (ECFS-CTN)). Ce rapport vous donnera un aperçu de notre travail en 2021, les études cliniques que nous avons soutenues, une description des projets européens dans lesquels nous sommes impliqués et des activités spécifiques, notamment l'étude CAR-CF (analyse de la réponse immunitaire humorale contre la COVID-19, chez les patients atteints de mucoviscidose).

En 2021, nous avons soutenu 28 études visant à rendre accessibles les nouvelles thérapies pour les patients atteints de mucoviscidose. Notre travail au cours des dernières années, afin de permettre l'accès à la "trithérapie" Kaftrio® pour les patients, a été un succès. Cela n'aurait pas été possible sans la participation des patients aux études cliniques menées par l'ensemble de

nos équipes de recherche dans toute l'Europe. Notre voyage ne s'arrête pas là, car nous continuons à soutenir des projets autour de nouvelles thérapies en cours de développement afin que toutes les personnes atteintes de mucoviscidose puissent bénéficier de traitements efficaces.

Nous sommes toujours témoins de la pandémie de Covid-19 qui a été une période incroyablement difficile pour la communauté. Nous poursuivons notre fantastique collaboration avec le registre de la Société Européenne de Mucoviscidose (ECFS) afin de publier des mises à jour sur la Covid-19 dans la « muco ».

Le comité d'études initiées par des investigateurs du CTN a supervisé l'initiation de l'étude CAR-CF dans nos centres européens. Il s'agit de notre première étude dirigée par un investigateur et cela démontre l'agilité du CTN pour développer de nouvelles études afin de répondre aux questions importantes pour la communauté. Cela a été une entreprise énorme avec de nombreux défis à relever, mais nous sommes convaincus qu'elle fournira de précieuses données cliniques. Nous sommes très reconnaissants pour tout votre soutien.

Nous sommes redevables aux associations de patients qui luttent pour vaincre la maladie et qui nous ont fait part de leurs commentaires et leurs idées. Les diverses citations, dans le rapport, de patients atteints de mucoviscidose, activement impliqués au sein du CTN, soulignent le travail important entrepris au sein

de notre réseau. Le projet centré sur les patients intitulé « Pro-CF » (Patient reported outcomes in CF) continue à aller de l'avant sous la direction d'Isabelle Sermet et de Kate Hayes qui font partie de notre comité de standardisation.

Notre réseau n'aurait pas pu atteindre le niveau de réussite actuel sans une équipe forte et engagée. Je tiens à remercier, Veerle Bulteel, Anne Verbrugge, Kate Hayes et Katia Reeber ainsi que les membres de notre comité exécutif pour leur soutien et leur engagement sans faille. La gestion de données complexes et l'élaboration de cet excellent rapport n'auraient pas été possibles sans Fiona Dunlevy, responsable qualité du réseau. Nous sommes également reconnaissants du soutien de nos partenaires, le réseau de développement thérapeutique (TDN) aux États-Unis et le Réseau canadien pour l'accélération d'études cliniques (CanACT).

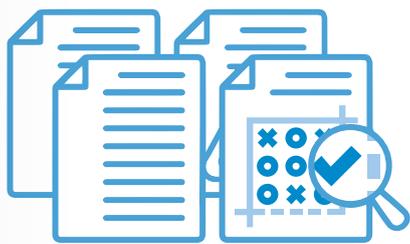
Enfin, nous vous remercions de votre soutien. Veuillez nous faire part de vos retours sur ce rapport et vous pouvez nous contacter si vous avez des commentaires ou des éléments que vous aimeriez voir figurer dans les futurs rapports. N'hésitez pas à partager ce rapport avec vos équipes!

Bien à vous,

Damian Downey
Directeur du Réseau Européen de Recherche Clinique (ECFS-CTN)



2021 NOTRE ANNEE EN CHIFFRES



4 ARTICLES
scientifiques
published

529 nouveaux patients
inclus dans les études cliniques



Études de
faisabilité pour
10 études



3



UE

projets européens
en cours

317

patients inclus
dans **CAR-CF**

COVID-19 antibody response in CF

afin
d'évaluer la
production
d'anticorps
anti-Covid-19



x10 protocoles

6 laboratoires pharmaceutiques

révisés par des patients, des proches, des
médecins, des attachés de recherche clinique
et des statisticiens

28 études cliniques en cours
soutenues par le CTN

Restauration de la fonction CFTR (18)

Anti-infection (3)

Clairance mucociliaire & liquide de surface des voies respiratoires (1)

Autres (6)

ECFS-CTN

Notre organisation

Notre mission

Visitez le site www.ecfs.eu/ctn pour en savoir plus sur la façon dont l'ECFS-CTN accélère les études cliniques de nouvelles thérapies pour la mucoviscidose.

L'ECFS-CTN a été créé en 2008 et a pour objectif d'intensifier la recherche clinique sur la mucoviscidose et de mettre de nouveaux médicaments à la disposition des patients le plus rapidement possible.

L'ECFS-CTN est composé de 57 centres dans 17 pays et d'un centre de coordination central à Louvain, en Belgique.

Comment nous travaillons

Réseau Européen de Recherche Clinique en mucoviscidose (ECFS-CTN)



L'ECFS-CTN est dirigé par:

- le comité exécutif, qui se réunit par téléconférence deux fois par mois. Il élabore les politiques du réseau, oriente les actions vers les différents comités et approuve les études cliniques à ajouter au portefeuille du CTN après examen du protocole.
- le comité de pilotage (Steerco) est composé d'un médecin de chaque centre membre, d'un représentant de chacune des organisations de patients qui financent le réseau, de membres du comité exécutif et du personnel du CTN. Il se réunit en personne deux fois par an pour discuter des activités, des stratégies et des défis communs du CTN.

Le centre de coordination du CTN compte 5 personnes qui organisent les activités quotidiennes du CTN et soutiennent les différents comités.

Nos centres

★ centre membre du CTN

■ pays membre du CTN



ECFS-CTN

Comité exécutif

Composition du
Comité exécutif
en 2021



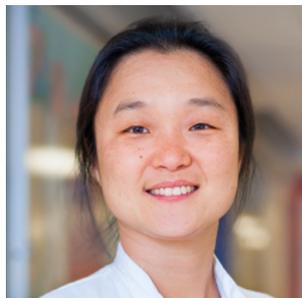
Damian Downey
Médecin spécialiste de la
mucoviscidose pour adultes
à Belfast, Irlande du Nord.



Lieven Dupont
Médecin spécialiste de la
mucoviscidose pour
adultes à Louvain, Belgique



Nicholas Simmonds
Médecin spécialiste de la
mucoviscidose pour adultes
à Londres, Angleterre.



Hettie Janssens
Pédiatre spécialiste de la
mucoviscidose à
Rotterdam, Pays-Bas



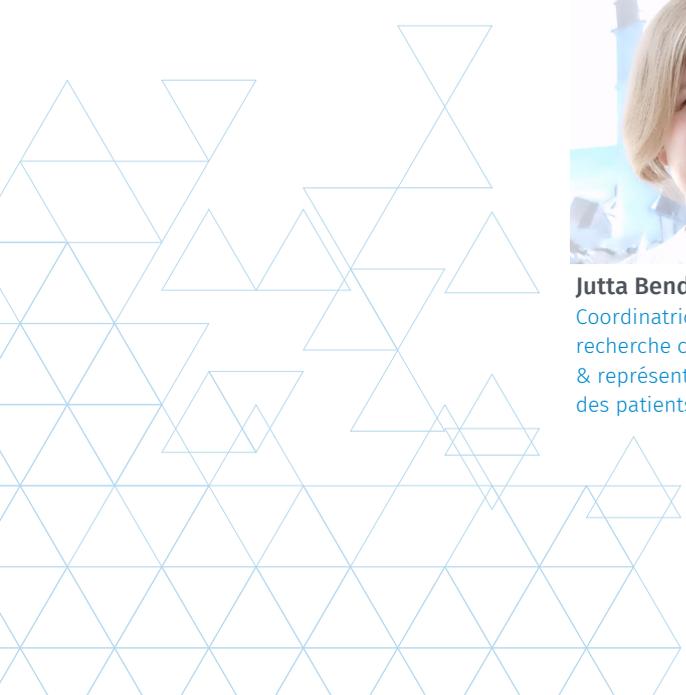
Dario Prajs
Pédiatre spécialiste de la
mucoviscidose, Petah Tikva,
Israël



Philippe Reix
Pédiatre spécialiste de la
mucoviscidose, Lyon,
France



Jutta Bend
Coordinatrice du réseau de
recherche clinique allemand
& représentante de la voix
des patients au sein du CTN



Activités du réseau

Soutenir de nouvelles études

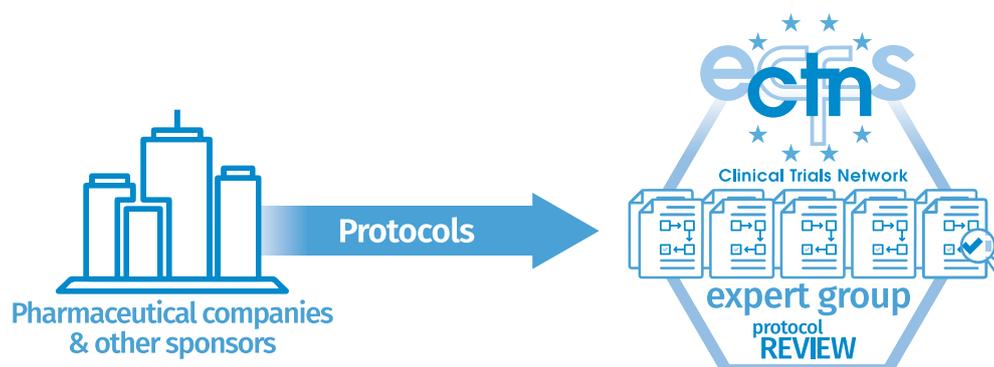
Révision des protocoles et études de faisabilité

Pour en savoir plus

www.ecfs.eu/ctn

Les laboratoires pharmaceutiques qui souhaitent mener des études cliniques dans les centres du CTN doivent faire examiner leur protocole par le comité de relecture des protocoles du CTN, qui comprend des groupes d'experts composés de médecins spécialistes de la mucoviscidose, de coordinateurs de recherche, de chercheurs universitaires et de personnes atteintes de « muco » et de leur famille.

En 2021, 10 protocoles, provenant de 4 laboratoires pharmaceutiques différents, ont été examinés.



Le CTN a demandé des clarifications ou des modifications pour 5 protocoles avant leur approbation. Au total, 10 protocoles ont été approuvés, dont un avec une approbation conditionnelle. Lorsqu'un protocole est examiné et approuvé, nous informons tous les centres du réseau européen que l'examen du protocole a été couronné de succès et que nous le considérons comme hautement, moyennement ou faiblement prioritaire.

Une fois qu'un protocole a été approuvé pour être mis en place dans les centres du CTN, nous réalisons une étude de faisabilité c'est-à-dire que nous aidons le laboratoire pharmaceutique à identifier les centres appropriés susceptibles de participer à l'étude clinique.

En 2021, nous avons coordonné les études de faisabilité pour 10 protocoles (pour 4 laboratoires pharmaceutiques).

Activités du réseau

Études cliniques en 2021



Relecture de protocoles

Stephan, patient allemand atteint de mucoviscidose, membre du comité de relecture de protocoles nous explique en quoi consiste le travail à réaliser.

Je suis membre du conseil d'administration de l'association allemande de lutte contre la mucoviscidose (Mukoviszidose e.V., www.muko.info) depuis très longtemps, à savoir depuis 1991. En tant que patient atteint de mucoviscidose, mais aussi en tant que scientifique (je suis physicien), j'ai toujours été intéressé par la recherche dans le domaine de la mucoviscidose. Ainsi, j'ai donc accepté avec plaisir lorsqu'on m'a demandé de rejoindre le comité de relecture de protocoles du réseau de recherche clinique européen.

Il est parfois difficile et long de lire le protocole d'une étude et de trouver les parties pertinentes parmi le grand nombre de pages. En tant que représentants des patients, nous nous préoccupons de savoir si la conception de l'étude correspond à la réalité de la vie des patients, si l'effort à fournir en participant à l'étude est raisonnable et justifié, et s'il y a des suggestions d'améliorations possibles. Pour chaque examen de protocole, j'investis environ trois longues soirées pour lire et me familiariser, puis pour répondre aux questions.

Bien sûr, il est très intéressant de voir comment de telles études sont mises en place, les nombreux problèmes qui doivent être pris en compte et les questions scientifiques auxquelles elles sont censées répondre. Il y a toujours des aspects qui peuvent être mieux évalués par mon expérience de plus de cinq décennies avec la mucoviscidose que par un biologiste ou un médecin. C'est pourquoi je me félicite du fait que le réseau de recherche clinique européen (ECFS-CTN) associe des patients et leurs proches à l'examen des protocoles d'études.



Activités du réseau

Études cliniques en 2021



Relecture de protocoles

Anne, patiente allemande atteinte de mucoviscidose, membre du comité de relecture de protocoles, nous explique ce que cela implique.

Qu'est-ce qui vous a motivé à rejoindre le comité de relecture de protocoles ?

Je suis heureuse d'avoir la possibilité de soutenir la recherche scientifique et de pouvoir contribuer, à ma modeste échelle, à l'amélioration du traitement de la mucoviscidose.

Est-il difficile de lire un protocole scientifique ?

Une fois que vous êtes familiarisé avec la structure générale et les termes médicaux récurrents, tout va bien. Cependant, cela peut parfois être un défi.

Est-ce que c'est beaucoup de travail ?

Par protocole, il me faut entre 2 et 4 heures, selon la complexité. Cela inclut la recherche de certains termes médicaux, de procédures, etc. J'essaie également de savoir si des études similaires ont déjà été réalisées ailleurs.

Qu'est-ce qui est intéressant dans la participation au comité de relecture de protocoles ?

Pour moi, la partie la plus fascinante est d'avoir un aperçu des développements scientifiques actuels. Parfois, les protocoles sont assez difficiles - j'aime me plonger dans les descriptions et les explications pour finalement les comprendre.

Pourquoi est-il important que le protocole soit révisé par un proche de patient ?

Bien qu'un patient atteint de mucoviscidose ou un proche ne soit peut-être pas l'expert médical idéal, nous sommes les experts lorsqu'il s'agit de vivre avec la maladie. Je suis convaincue que nos connaissances peuvent contribuer à rendre les schémas d'études plus pratiques et plus faciles à accepter. Parfois, les chercheurs ne sont pas conscients des autres facteurs liés à la mucoviscidose - nous pouvons donc apporter cette perspective et nous assurer qu'elle n'est pas négligée.

Avez-vous d'autres remarques à faire sur la relecture des protocoles ?

Je pense qu'il serait intéressant de réunir tous les examinateurs dans le cadre d'une visioconférence, afin d'apprendre à se connaître et d'échanger sur nos expériences concernant la relecture de protocoles.

Je suis très fière de faire partie de ce groupe européen !

Activités du réseau

Études cliniques en 2021



Relecture de protocoles

Milan, patient tchèque atteint de mucoviscidose, membre du comité de relecture de protocoles, nous explique ce que cela implique.

Qu'est-ce qui vous a motivé à rejoindre le comité de relecture de protocoles ?

Je voulais contribuer à quelque chose de totalement unique et d'extrêmement bénéfique : le développement de nouveaux types de médicaments pour la mucoviscidose. Cela peut faire une différence incroyable dans la vie et le destin des personnes atteintes de cette maladie, mais aussi de leurs familles et amis.

Est-il difficile de lire un protocole scientifique ?

Oui, il s'agit généralement de dizaines de pages de texte technique, qui portent souvent sur des détails. D'un autre côté, l'« évaluateur » patient n'est pas là pour évaluer les mérites médicaux de l'étude.

Est-ce que c'est beaucoup de travail ?

Globalement, il s'agit de plusieurs heures de travail.

Qu'est-ce qui est intéressant dans la participation au comité de relecture de protocoles ?

Vous êtes l'un des premiers à connaître les futures options de traitement. En outre, vous êtes en mesure de disposer d'informations très détaillées sur les nouveaux médicaments. Et enfin, vous avez la possibilité d'influencer activement certains sous-aspects des études.

Pourquoi est-il important que le protocole soit révisé par un proche de patient ?

Je pense qu'il est très juste que des personnes qui connaissent personnellement les tenants et aboutissants de ce que c'est que de vivre avec la mucoviscidose puissent donner un avis sur un projet d'étude clinique. Les représentants des patients peuvent juger si une étude peut être compatible avec le régime de traitement, si l'étude est suffisamment attrayante pour que les participants potentiels y prennent part. Ou si elle contient trop d'obligations et de conditions qui ne peuvent être remplies.

Avez-vous d'autres remarques à faire sur la relecture des protocoles ?

J'apprécie le grand professionnalisme de l'ensemble du processus. Depuis l'approche initiale pour vérifier mon intérêt à être évaluateur jusqu'au retour final sur mes commentaires. Vous savez exactement ce que l'on attend de vous et vous pouvez constater que votre travail a du sens.



Activités du réseau

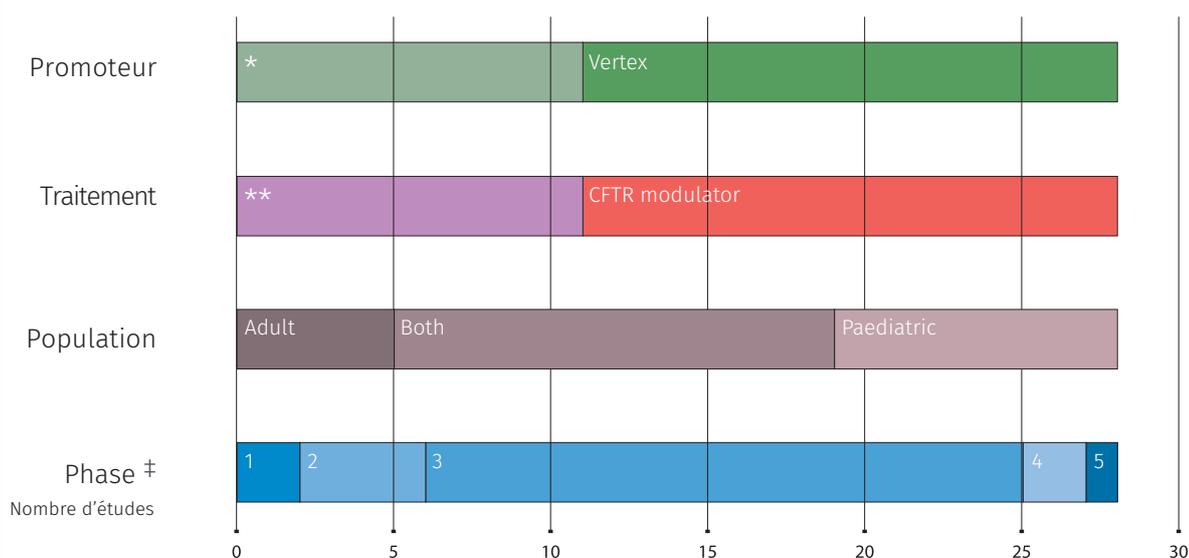
Études cliniques en 2021

Études au sein des centres du CTN

Les 28 études comprises dans l'analyse de cette année portaient principalement sur les modulateurs de CFTR. Les études étaient principalement de phase 3.

Entre novembre 2020 et novembre 2021, les centres du CTN ont inclus 529 patients dans des études cliniques. Les trois quarts des personnes recrutées étaient des adultes.

Vous trouverez une liste (en anglais) complète des études soutenues par le CTN dans l'annexe (p. 36-37).



* L'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù (OPBG) a sponsorisé les 2 études cASPerCF. AbbVie a sponsorisé 2 études. Les promoteurs suivants ont sponsorisé 1 étude chacun : Royal College of Surgeons in Ireland (RCSI), UMC Erasmus, Synspira, Alaxia, Alder Hey NHS et Eloxx. L'étude CAR-CF a plusieurs sponsors nationaux.

**clairance mucociliaire et liquide de surface des voies aériennes (2 études), inhibiteur ENaC (1 étude), anti-infectieux (2 études), études en vie réelle (3 études) et absence de thérapie (3 études).

† CAR-CF n'a pas de phase.

Vous trouverez les détails de toutes les études soutenues par le CTN (et leurs résultats) sur le site suivant :

www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials

Activités du CTN

Les études cliniques en 2021



Paroles de personnes atteintes de mucoviscidose qui ont participé



Leonoor

Marian et sa fille Leonoor sont originaires des Pays-Bas. Elles décrivent leur expérience de la participation de Leonoor à une étude concernant la trithérapie de modulateurs de CFTR.

“ Il y a plusieurs années, lorsque notre fille Leonoor a reçu le diagnostic de mucoviscidose, l'une de nos premières pensées a été qu'elle allait mourir trop jeune, trop tôt. On nous a dit que les développements en termes de médicaments étaient très prometteurs et que nous ne devons pas désespérer. Cependant, la plupart des médicaments en cours de développement étaient adaptés aux mutations les plus fréquentes. Malheureusement, Leonoor a une mutation rare et je pense que je n'ai pas besoin d'expliquer qu'avoir une mutation rare dans le cadre d'une maladie rare n'est pas la "singularité" que l'on souhaite avoir dans la vie... Bien sûr, nous avons entendu parler de tous les développements prometteurs comme Orkambi, et finalement Kaftrio. Cependant, pour nous protéger mentalement, nous avons accepté l'idée que nous serions très bien sans traitement adapté à sa mutation. Entre-temps, nous avons participé à presque tous les projets de recherche menés par notre hôpital, tant qu'ils n'étaient pas trop invasifs ou contraignants pour Leonoor. Si les résultats de la recherche ne l'aidaient pas, ils pouvaient néanmoins aider quelqu'un d'autre.

À notre grand étonnement, nous avons reçu un appel à l'automne 2020 nous informant que Leonoor faisait partie d'un petit groupe de patients répondant aux critères de participation à l'étude Kaftrio et que, dans ce petit groupe, elle avait été sélectionnée au hasard. Voulions-nous participer ? Même si c'était une chance dont nous n'avions jamais osé rêver, nous devons quand même y réfléchir. Bien sûr, nous avons sauté de joie à l'idée qu'elle pourrait être l'un des premiers enfants de moins de 12 ans aux Pays-Bas à avoir accès à Kaftrio. Mais la qualité de vie s'est avérée tout aussi importante. Nous avons décidé que nous pouvions faire en sorte que cela fonctionne d'un point de vue pratique. Nous allions programmer les visites à l'hôpital les jours où l'un d'entre nous travaillait à la maison (la Covid-19 avait aussi quelques avantages...) afin que les autres enfants soient pris en charge. Mais en fin de compte, la chose la plus importante était l'opinion de Leonoor. Nous avons décidé que si elle disait non, nous ne le ferions pas. Nous lui



CTN activities

Clinical trials in 2021



Paroles de personnes atteintes de mucoviscidose qui ont participé

avons expliqué les avantages qu'elle pouvait tirer de Kaftrio et nous lui avons expliqué ce que nous attendions d'elle en termes de visites à l'hôpital et de tests, et elle a dit oui !

La première phase de l'étude a été un défi en raison de la fréquence élevée des visites à l'hôpital et des longues journées, qui étaient fatigantes pour Leonoor. Heureusement, nous en sommes maintenant à la deuxième phase avec un programme de visites un peu plus souple. Avec le recul, le fait d'avoir à incorporer trois nouveaux comprimés dans notre routine quotidienne s'est avéré être la partie la plus difficile de cette étude. Le matin, tout se passe sans problème. Nous avons notre routine du petit-déjeuner et ces deux comprimés en font simplement partie. Le soir, tout va bien, à moins qu'une invitation à jouer chez des amis ne se transforme en dîner ou en soirée pyjama improvisée. Ces événements inattendus se sont avérés être problématiques car ils ne font pas partie de notre routine. En attendant, nous nous habituons à cela, même avec de tels imprévus.

Nous continuerons à participer à la recherche car c'est très important. Néanmoins, la participation à une nouvelle étude est une chose à laquelle nous devons réfléchir, ou comme le dit Leonoor elle-même :

« Je trouve parfois ennuyeux que nous devons aller à l'hôpital si souvent. En plus, je manque l'école et le vendredi, il y a toutes les choses amusantes. C'est le film sur le cœur (l'ECG) qui me plaît le plus, les autocollants sont sympas et chatouillent ! Je trouve que la mesure du LCI est la plus ennuyeuse. Je ne sais pas si je voudrais participer à une autre étude, cela dépend de la fréquence à laquelle nous devons aller à l'hôpital. » ”

Activités du CTN

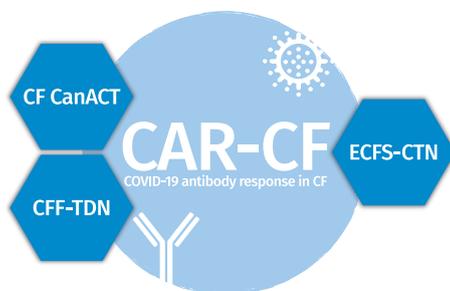
Notre réponse face à la Covid-19

L'impact sur les patients atteints de mucoviscidose et les études cliniques

En 2021, nous avons continué à travailler avec le registre des patients de l'ECFS afin de recueillir des informations sur le nombre de personnes atteintes de mucoviscidose qui ont eu Covid-19. Nous avons publié des mises à jour régulières sur le site web de l'ECFS et publié un article scientifique sur les facteurs de risque donnant lieu à un mauvais pronostic.

Nous avons également publié un article scientifique sur la manière dont les centres réalisant des études cliniques pouvaient limiter l'impact de la pandémie sur les études cliniques. Ce document est basé sur les idées recueillies auprès des centres ECFS-CTN par le biais d'enquêtes régulières tout au long des années 2020 et 2021.

Production d'anticorps en réponse à la COVID-19 chez les patients atteints de mucoviscidose (CAR-CF)



CAR-CF est une étude à l'initiative de l'investigateur et soutenu par l'ECFS-CTN. Nous recueillons des échantillons de sang de personnes atteintes de mucoviscidose dans toute l'Europe afin de détecter si la personne est atteinte ou non de la Covid-19. Nous travaillons avec des associations de patients en Europe, au Canada (CanAct) et aux États-Unis (CFF-TDN), qui mèneront des recherches similaires dans leur pays. Le projet, appelé CAR-CF, examinera également dans quelle mesure les personnes atteintes de mucoviscidose développent une immunité contre la Covid-19 après vaccination.

Il sera mené dans 14 pays d'Europe, ainsi qu'au Canada et aux États-Unis, et nous espérons recueillir des échantillons de sang de milliers de personnes atteintes de mucoviscidose.

À la fin de l'année 2021, 19 centres dans 9 pays étaient ouverts au recrutement et 317 personnes atteintes de mucoviscidose étaient recrutées. 40 autres centres dans 5 pays étaient occupés à faire tous les préparatifs administratifs pour démarrer l'étude.

Vous pouvez trouver le nombre actualisé de patients recrutés par centre sur <https://www.ecfs.eu/ctn/projects/CAR-CF>

Les premiers résultats sont attendus en 2024.

CAR-CF

Calendrier de l'étude clinique

Janvier 2020	Juillet 2020	Août-décembre 2020	Février 2021
Mise en place d'un comité d'études initiées (ITC) par des investigateurs du CTN	Première réunion de l'ITC - décision de lancer l'étude CAR-CF	Relecture du protocole et faisabilité	Sélection des responsables nationaux, lancement de téléconférences régulières

Activités du CTN

Notre réponse face à la Covid-19

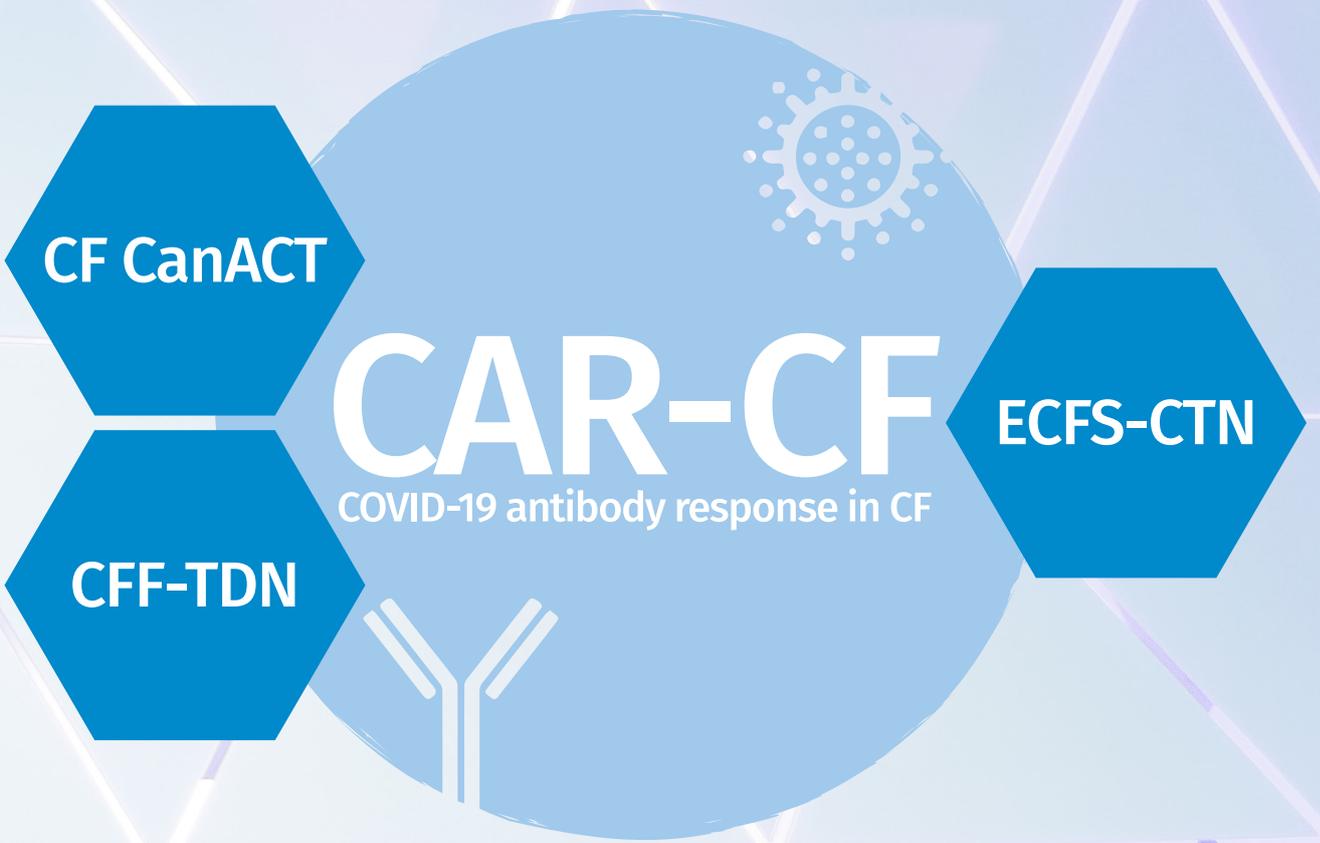


Jutta Bend

Jutta Bend est la coordinatrice du réseau allemand d'études cliniques, géré par l'association allemande de patients "Mukoviszidose eV". Elle représente la voix des patients au sein du comité d'études initiées par des investigateurs ITC (Investigator Trial Committee).

“ C'est une grande chance et un honneur pour moi de représenter les associations de patients en tant que membre de l'ITC, car c'est ainsi que la recherche centrée sur le patient peut être réalisée. CAR-CF - le premier projet à l'initiative d'un investigateur de l'ITC - a été lancé en 2021. La pandémie a tout de même eu un impact sur nos vies et a fait de la planification d'une étude multicentrique et multinationale un défi de taille. Je suis cependant fière que les premiers patients aient pu être inclus dans l'étude en Allemagne. Cela a été possible grâce à une très bonne coopération entre le centre d'études cliniques de Cologne et l'association allemande de patients avec lesquels je travaille. Nous avons traduit et adapté les documents d'informations aux patients nécessaires à la soumission au comité d'éthique et à l'information des personnes atteintes de mucoviscidose sur CAR-CF et la possibilité d'y participer. D'autres pays ont suivi, avec une coopération similaire entre les médecins et les associations de patients : à la fin de l'année 2021, l'étude clinique avait débuté dans 12 pays et environ 300 patients avaient été inclus. Il y eu beaucoup de problèmes à résoudre et de processus à développer : par exemple les accords pour le transfert de données et de matériel, le formulaire électronique de collecte de données et l'enregistrement de l'étude dans le registre des études www.clinicaltrials.gov. De grands progrès ont été réalisés et il est incroyable de voir des personnes atteintes de mucoviscidose et des médecins travailler ensemble pour faire de ce projet une réalité. ”





Vincent, une personne atteinte de mucoviscidose originaire d'Allemagne. Il explique pourquoi il participe à l'étude CAR-CF.

« C'est fantastique qu'une étude comme celle de CAR-CF ait été lancée ! La pandémie de Covid-19 nous a tous beaucoup touchés - avec une menace particulière pour tous les patients atteints de maladies pulmonaires chroniques comme la mucoviscidose. Il est donc essentiel d'acquérir des connaissances scientifiques grâce à cet essai. Et le fait d'apprendre que cette étude est réalisée dans le cadre d'une vaste étude européenne est une excellente chose, car nous avons besoin de cette unification, surtout en ces temps très difficiles. Je suis fier d'y participer. »

Activités du CTN

Nos travaux

Formation



Habituellement, nous organisons une journée de formation pour les investigateurs et les coordinateurs de recherche en juin, juste avant la conférence de l'ECFS. Malheureusement, en raison de la pandémie de Covid-19, la conférence de 2021, ainsi que toutes nos activités de formation, ont dû se dérouler en ligne.

Janvier 2021:
réunion du comité de pilotage avec la participation de 91 investigateurs (incluant les orateurs et le panel)

Juin 2021:
réunion du comité de pilotage avec la participation 74 investigateurs (incluant les orateurs et le panel)

Juin 2021:
formation des coordinateurs de recherche avec la participation de 139 coordinateurs et investigateurs (incluant les orateurs et le panel), axée sur l'audit des études cliniques. Pour l'atelier interactif, 57 coordinateurs de recherche ont participé.

Octobre 2021:
nous avons organisé un webinaire en 3 parties sur les preuves du monde réel, avec des intervenants du monde universitaire et de l'industrie, ainsi que d'organismes de réglementation et de remboursement. Nous avons eu 329 participants pour les 3 webinaires, avec certaines équipes participant par l'intermédiaire d'une seule connexion informatique.

Activités du CTN

Nos travaux

Glossaire en langage simple

L'ECFS-CTN travaille avec CF Europe et ses associations de patients membres pour créer un glossaire en langage simple des termes scientifiques souvent utilisés dans les études cliniques. En 2020, nous avons créé un glossaire pilote de 11 termes. En 2021, nous avons demandé à des personnes atteintes de mucoviscidose et à des personnes du grand public de nous faire part de leurs avis et de leurs conseils pour améliorer le glossaire. Nous avons obtenu un financement de la Queen's University, Belfast pour aider à promouvoir le projet et inaugurer le glossaire lors de la conférence de l'ECFS en juin 2022.



Jade Ashton

Jade Ashton, qui vit avec la mucoviscidose, est une rédactrice indépendante spécialisée dans les sciences de la santé.

“ J'ai eu le privilège de participer à ce projet, à la fois en tant que critique et ensuite en tant que rédactrice, depuis un peu plus d'un an maintenant. C'est merveilleux de travailler avec une équipe aussi fantastique sur un projet qui aura un impact sur les personnes de la communauté « muco ». Les personnes atteintes de mucoviscidose et leurs familles apprécient l'accessibilité de l'information, en particulier l'information sur les nouvelles recherches – entendre parler des recherches en cours donne de l'espoir pour l'avenir et montre comment les collectes de fonds et les dons peuvent avoir des effets positifs sur la vie des gens. J'espère que toute personne effectuant des recherches sur la mucoviscidose reconnaîtra l'importance d'impliquer les personnes concernées et trouvera le glossaire utile à cette fin. De même, à mesure que le glossaire s'enrichit et que les blogs associés fournissent le contexte, j'espère que nous pourrons aider toute personne souhaitant en savoir plus sur la mucoviscidose, tout comme le fait d'apprendre à connaître ma maladie a marqué le début de mon parcours d'autonomisation. Je remercie tous ceux qui rendent ce projet possible. ”

Activités du CTN

Standardisation

Procédures opérationnelles standard

L'ECFS-CTN rédige et partage des orientations connues sous le nom de procédures opérationnelles standard (POS), des documents détaillés expliquant les étapes à suivre pour mesurer les résultats des études cliniques.

En 2021 :

- Nous avons rédigé une nouvelle POS sur la façon d'isoler, de cultiver et d'utiliser les cellules épithéliales respiratoires primaires obtenues par brossage nasal ou par explants de polype ou de poumon (mai 2021).
- Nous avons mis à jour une POS existante sur l'induction et la collecte de la sueur avec le système Macroduct® Advanced (cette POS ne remplace pas la POS existante sur le test de la sueur, mais elle est destinée aux centres qui utilisent un équipement plus récent) (décembre 2021).
- Nous avons également publié un article dans le JCF sur les [biomarqueurs d'expectorations](#).



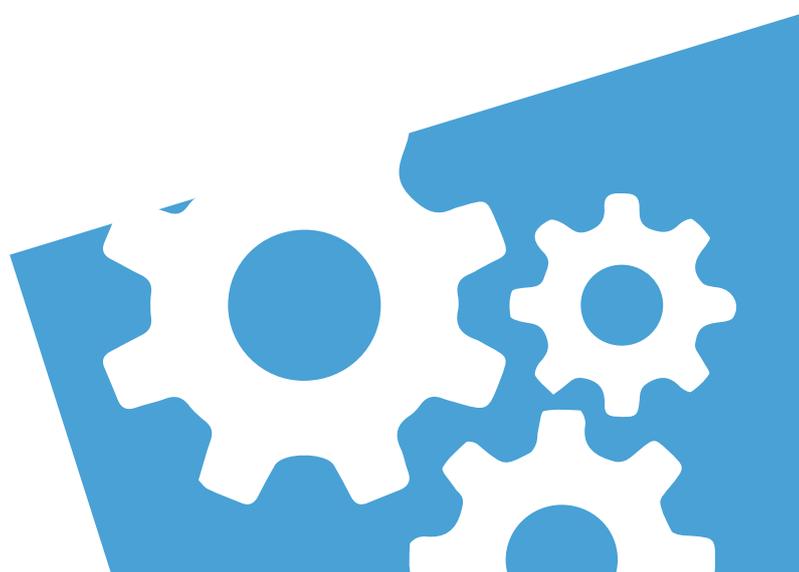
Activités du CTN

Standardisation

Groupe d'intérêt spécifique du CTN sur l'imagerie dans la mucoviscidose

En 2021, le groupe d'intérêt spécifique sur l'imagerie dans la mucoviscidose, dirigé par le professeur Harm Tiddens du centre médical Erasmus de Rotterdam, s'est réuni chaque mois par téléconférence afin de coordonner la recherche dans ce domaine important de la recherche sur la mucoviscidose. Son objectif est de produire des recommandations/lignes directrices pour les protocoles de scanner et d'IRM qui pourraient être utilisées par les centres et les personnes atteintes de mucoviscidose. Le groupe comprend des radiologues, des médecins, des spécialistes de la mucoviscidose chez l'enfant et l'adulte, des représentants du CTN et de CF Europe. Il est composé de 3 sous-équipes qui se réunissent également tous les mois et explorent les domaines suivants :

1. Stratégies de surveillance par scanner : élaborer des directives pour les examens chez les enfants et les adultes, en partenariat avec nos collègues de l'European Respiratory Society. Ce groupe est dirigé par Michael Fayon (Bordeaux), Barbara Messori et Luca Riberi (Turin)
2. Définition des ensembles de séquences d'IRM de base à utiliser dans un cadre clinique, sous la direction de Jens Vogel-Claussen (Hanovre) et Pierluigi Ciet (Rotterdam)
3. Stratégies à faible dose pour le scanner : dirigé par Michael Maher (Cork)



Activités du CTN

Centres d'aide et de formation

Centres de lecture pour l'indice de clairance pulmonaire et d'imagerie pulmonaire

Nous veillons à ce que tous les centres de notre réseau fonctionnent de manière similaire en ce qui concerne certaines techniques particulières nécessaires aux études cliniques. Nous formons et certifions les centres utilisant certaines techniques essentielles dans le suivi de la maladie. Par exemple, pour une mesure de l'efficacité pulmonaire appelée indice de clairance pulmonaire et pour le scanner.

Centre d'indice de clairance pulmonaire

En juillet 2014, le centre d'indice de clairance pulmonaire du CTN a été créé pour fixer des normes et évaluer les données soumises par les centres membres du CTN, qualifiant et certifiant les centres qui répondent à des critères de qualité prédéfinis.

Le centre est codirigé par les professeurs Jane Davies et Clare Saunders du Royal Brompton/Imperial College London et leur équipe de recherche. Elles ont une grande expérience du LCI et de l'interprétation des résultats.

Ce centre offre une consultation d'experts concernant la standardisation des procédures de l'indice de clairance pulmonaire et la formation du personnel pour les études cliniques. À ce jour, il a formé et certifié 45 centres du CTN (179 opérateurs) et en collaboration avec des plateformes d'Amérique du Nord et d'Australasie, ils ont soutenu 22 études cliniques.

Pour toute question concernant la plateforme du Royal Brompton/Imperial College London, veuillez contacter : c.saunders@imperial.ac.uk ou LCICore@rbht.nhs.uk ou visitez <https://www.lungclearanceindex.com/>



L'équipe du centre d'indice de clairance pulmonaire: Chris Short, Gina Rivellini, Clare Saunders, Jane Davies, Mary Abkir, Sophie Pinnell

« Il est encourageant de constater l'impact que les centres d'aide et de formation de l'ECFS CTN a pu avoir sur l'adoption de l'indice de clairance pulmonaire dans les études cliniques au cours des dernières années. Jusqu'à présent principalement utilisée en pédiatrie, il semble probable que des mesures plus sensibles comme celle-ci seront de plus en plus utiles dans la population adulte sous modulateurs de CFTR. »

Prof Jane Davies

Activités du CTN

Centres d'aide et de formation

Centre d'imagerie pulmonaire

Pour s'assurer que tous nos centres CTN suivent des pratiques similaires et pour faire suite à la consultation de tous les centres ECFS-CTN en 2019-2020, le laboratoire d'analyse pulmonaire du centre médical Erasmus de Rotterdam standardise désormais les scanners thoraciques de tous les centres ECFS-CTN.

25 centres ont été certifiés par le centre et 16 autres sont en cours de certification.

Site web : <https://lunganalysis.erasmusmc.nl/>

Pour toute question, veuillez contacter Jorien à j.vandeputtelaar@erasmusmc.nl

Pour les demandes générales concernant tous nos POS et notre groupe, veuillez contacter Kate Hayes à l'adresse suivante : k.hayes@qub.ac.uk ou le centre de coordination à ecfs-ctn@uzleuven.be pour plus de détails concernant ces POS et toutes autres questions!

Activités du CTN

Augmenter et maintenir les capacités d'activité de recherche

Soutien financier aux centres

Une subvention pour accroître les capacités de recherche (2017-2020)

La Fondation américaine (CFF) a octroyé 3 049 953 \$ pour financer du personnel de recherche supplémentaire dans les centres de l'ECFS-CTN répondant à certains critères, ainsi qu'un certain soutien structurel entre 2017 et 2020. Ce financement a permis aux centres d'entreprendre davantage d'études, et dans certains cas, des études plus complexes. Le financement a également permis aux centres de consacrer plus de temps du personnel aux études existantes.

Renouveau de la subvention pour le maintien des capacités de recherche (2021-2023)

Dans le prolongement de la 1^{ère} subvention, la CFF a eu l'amabilité d'accorder trois années supplémentaires de financement pour un total de 3 063 615 \$ pour 2021-2023 afin de maintenir les capacités des centres du réseau et du centre de coordination de l'ECFS-CTN. Nous sommes tous extrêmement reconnaissants à la CFF de nous avoir accordé ce soutien !

Florian Singer, chercheur à Bern en Suisse, explique comment la subvention pour le maintien des capacités de recherche a aidé son centre.

“ Nous sommes très reconnaissants à l'ECFS-CTN et au CFF d'avoir soutenu la capacité de recherche de notre centre à Bern en Suisse. Nous avons pu accroître nos ressources en personnel. Notre infirmière clinicienne pour la mucoviscidose, Martina, a pu s'impliquer dans la recherche. Barbara, une autre infirmière, a pu augmenter son temps de travail et fournir plus de soutien pour les études à venir chez les enfants et les adultes ayant la mucoviscidose. Barbara et Martina se complètent sur le plan de la recherche et des aspects cliniques et elles sont intégrées à la fois dans le centre dédié à la « muco » de Bern et dans le réseau de recherche pédiatrique PEDNET, ce qui permet une collaboration fructueuse et un échange de connaissances. ”





Outils d'auto-évaluation destinés aux patients

Un projet commun de l'ECFS-CTN et de CF Europe



PROMS

Pourquoi mesurer la qualité de vie ?

Il existe de nombreuses façons de déterminer si les symptômes d'une personne malade sont stables, si la maladie s'améliore ou si elle s'aggrave. Un moyen faussement simple consiste à poser la question à la personne concernée - après tout, personne ne connaît mieux la mucoviscidose que les personnes qui en sont atteintes. Cependant, transformer la question "comment vous sentez-vous ?" en quelque chose que les médecins et les chercheurs peuvent suivre, mesurer et comparer est une tâche bien plus importante. Et cette tâche devient de plus en plus importante, car les agences chargées de délivrer l'autorisation de mise sur le marché et l'accord de remboursement des nouveaux médicaments prennent en compte l'évolution de la "qualité de vie".

Les agences telles que l'Agence européenne des médicaments n'acceptent les données relatives à la qualité de vie que si elles ont été recueillies à l'aide d'un questionnaire agréé, également appelé "Outils d'auto-évaluation destinés aux patients" (PROM : patient-reported outcome measure). Ces questionnaires sont élaborés et adaptés à la maladie elle-même et à l'âge du groupe de patients participant à l'étude. Les chercheurs, qui développent ces questionnaires, doivent "valider" le questionnaire pour s'assurer que les bonnes questions sont incluses et que tout le monde comprend les questions de la même manière. Une autre étape importante de la validation consiste à vérifier si les changements dans les résultats du questionnaire reflètent les changements dans les symptômes ou d'autres aspects de la maladie. Il est très important de valider correctement les questionnaires, afin que leurs résultats puissent être utilisés pour mettre de nouveaux médicaments à la disposition des patients.

Pourquoi avons-nous besoin d'un nouveau questionnaire pour la mucoviscidose ?

Dans la mucoviscidose, la mesure la plus courante de la qualité de vie est un questionnaire appelé "Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised" ou CFQ-R en abrégé. Ce questionnaire est utilisé depuis de nombreuses années et a fait l'objet de nombreuses études cliniques. Cependant, certaines questions sont un peu démodées de nos jours. Par exemple, la disponibilité des services bancaires en ligne signifie qu'une question sur le fait de se sentir suffisamment bien pour aller à la banque est désormais obsolète.

Les personnes atteintes de mucoviscidose ont demandé un questionnaire plus adapté à la vie moderne. En 2019, l'ECFS-CTN a commencé à travailler avec CF Europe (la fédération européenne des associations de patients atteints de mucoviscidose) et un groupe de personnes atteintes de mucoviscidose pour créer un nouveau questionnaire sur la qualité de vie, également appelé outils d'auto-évaluation destinés aux patients.

Le groupe s'est réuni tous les mois par téléconférence pendant deux ans et a passé en revue les indicateurs de résultats rapportés par les patients utilisés dans la mucoviscidose. Le groupe a associé ses conclusions aux résultats d'un autre projet sur les PROMs, il s'agit d'une étude basée sur des entretiens avec 125 personnes atteintes de mucoviscidose et leurs familles, afin de déterminer les sujets qu'elles souhaiteraient voir figurer dans un nouveau questionnaire. Le groupe a également mené une enquête auprès des centres cliniques de mucoviscidose en Europe pour connaître les outils et les questionnaires qu'ils utilisent lors des visites cliniques.



2019:

Création d'un groupe consultatif de patients

Collecte d'informations sur les PROM utilisés en Europe

2020:

Élaboration d'un projet de questionnaire, appelé PRO-CF

Etude pilote

Outils d'auto-évaluation destinés aux patients



Un projet commun de l'ECFS-CTN et de CF Europe

Une équipe à l'origine de l'enquête

Le groupe a ensuite élaboré un nouveau questionnaire créé par les patients et l'a appelé PRO-CF (Patient-reported outcomes in CF). Ce questionnaire vise à évaluer plus précisément la qualité de vie des personnes atteintes de mucoviscidose et à leur permettre de faire état de leurs symptômes, y compris dans des domaines qui n'étaient pas pris en compte dans les outils existants.

En 2020, une vaste enquête a été menée pour vérifier que le questionnaire était précis et facile à comprendre. Nous avons utilisé les commentaires des patients experts pour améliorer et affiner le questionnaire. Nous avons également publié un article de recherche dans la revue du Journal of Cystic Fibrosis, soulignant l'importance et le processus du questionnaire créé par les patients (voir l'article du Journal of Cystic Fibrosis et le résumé vulgarisé). "Il existe un réel besoin d'un outil plus adapté pour les PROMs dans la mucoviscidose. Et qui pourrait mieux parler de la qualité de vie que les patients eux-mêmes ?", déclare Audrey Chansard, française, qui vit avec la mucoviscidose et a participé à la rédaction de l'article scientifique.

En 2021, nous avons atteint le stade de la validation du questionnaire. Cette étape de validation permettra de s'assurer que le questionnaire PRO-CF peut être utilisé pour soutenir le développement, l'autorisation et le remboursement de nouveaux médicaments. Il s'agit d'une tâche très technique et nous avons décidé que nous avions besoin de l'aide d'un expert. Nous avons réussi à obtenir un financement de la part d'une association de patients en France, l'Association Gregory Lemarchal. Ce financement a permis d'engager des experts en validation des questionnaires PROM.

Simona Caldani, Emmanuel Devouche et Emilie Cappe, basés à l'Université Paris Descartes, sont les experts qui travaillent à la validation du nouveau questionnaire.

« Il est très important que des personnes atteintes de mucoviscidose créent le nouveau questionnaire, afin de représenter véritablement les expériences vécues par les personnes atteintes de mucoviscidose et de comprendre ce qui fonctionne bien et ce qui doit être amélioré dans l'évaluation de la qualité de vie », explique Kate Hayes, coordinatrice du projet PROMs au sein de l'ECFS-CTN. "L'implication des patients dans ce projet nous permet de planifier et de mener à bien cette recherche d'une manière significative pour les personnes atteintes de mucoviscidose ».



Kate Hayes

2021:

Subvention reçue pour financer la phase de validation de PRO-CF

Recrutement d'experts pour valider l'enquête

Prochainement

Des études de validation seront planifiées, réalisées et publiées

Objectif final

Un questionnaire validé et facile à utiliser qui peut être utilisé dans le développement de médicaments et dans les soins quotidiens

Les projets de recherche européens

L'ECFS-CTN est partenaire de plusieurs projets de l'UE



Ce projet a reçu un financement du programme de recherche et d'innovation Horizon 2020 de l'Union européenne "Santé, changement démographique et bien-être" sous la convention de subvention n° 755234.

La Commission européenne (via H2020) finance une étude clinique du médicament orphelin OligoG CF-5/20 dans la mucoviscidose.

Il s'agit d'une étude clinique du médicament orphelin OligoG CF-5/20 destiné à faciliter le dégagement des voies respiratoires dans la mucoviscidose. En 2020, lorsque la pandémie de Covid-19 a commencé, les préparatifs pour cette étude clinique étaient bien avancés dans les pays d'Europe. Cependant, la disponibilité de nouveaux médicaments modulateurs du CFTR pour les personnes atteintes de mucoviscidose dans certains pays européens a changé le paysage de la prise en charge de la mucoviscidose. AlgiPharma et les chercheurs cliniques du consortium de l'étude ont donc décidé d'interrompre les préparatifs et de mettre fin au projet HORIZON 2020. Un remaniement approfondi de la conception d'une nouvelle étude avec OligoG est nécessaire pour s'adapter au nouveau paysage thérapeutique de la mucoviscidose, au-delà de la portée et de la durée de la subvention actuelle de l'UE.

<https://oligogpivotalcf.eu/>



Ce projet a reçu un financement de l'entreprise commune Innovative Medicines Initiative 2 dans le cadre de la convention de subvention n° 777389. L'entreprise commune bénéficie du soutien du programme de recherche et d'innovation Horizon 2020 de l'Union européenne et de l'EFPIA.

Réseau de collaboration pour les études cliniques européennes chez les enfants (c4c)

Le c4c facilite la mise au point de nouveaux médicaments plus sûrs pour les enfants en créant un réseau européen d'études cliniques pédiatriques (pour toutes les maladies, et pas seulement pour la mucoviscidose).

Notre rôle dans ce vaste projet se situe au niveau de l'éducation. En 2020, nous avons contribué à la révision et à l'adaptation de certaines formations générales aux études cliniques pédiatriques. Lors de la préparation du rapport annuel (mars 2022), nous avons appris que l'étude cASPerCF avait été interrompue prématurément.

<https://www.imi.europa.eu/>

<https://conect4children.org/>



Projets de recherche européens

L'ECFS-CTN est partenaire de plusieurs projets de l'UE



Ce projet a reçu un financement du programme de recherche et d'innovation Horizon 2020 de l'Union européenne dans le cadre de la convention de subvention n° 755021.

Le projet HIT-CF-Europe

HIT-CF Europe est un projet de recherche qui vise à améliorer les traitements et la qualité de vie des personnes atteintes de mucoviscidose et porteuses de mutations rares. Pour ce faire, les médicaments candidats de plusieurs entreprises sont testés en laboratoire sur des mini-intestins dérivés de patients (appelés organoïdes). Ensuite, en fonction de la réaction des organoïdes, un petit groupe de patients pourra participer à des études cliniques pour l'évaluation de ces médicaments candidats. Tous les centres participants font partie de l'ECFS-CTN.

En 2020, malgré le Covid-19, des organoïdes mis en culture avec le médicament candidat modulateur du CFTR de Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI). Le format de l'étude clinique (appelée "CHOICES") a évalué et 52 participants dont les organoïdes présentent une variété de réponses seront invités à y prendre part.

La communauté HIT-CF a dû faire face à la forte volatilité caractéristique des industries biotechnologiques et pharmaceutiques. En décembre 2020, PTI a fusionné avec Yumanity Therapeutics, qui est désormais le propriétaire officiel de molécules en développement liées à la mucoviscidose, et Eloxx a fusionné avec Zikani. Le consortium HIT-CF est convaincu que ces nouveaux partenaires soutiendront pleinement les efforts de la communauté pour apporter de nouveaux médicaments aux personnes atteintes de mucoviscidose porteuses de mutations ultrarares.

<https://www.hitcf.org>



Réseau européen de référence-LUNG

L'ECFS-CTN est un réseau central au sein de l'ERN-LUNG et fournit des conseils aux groupes qui mettent en place des réseaux d'études cliniques pour d'autres maladies pulmonaires.

<https://www.ern-lung.eu/>

Projets de recherche européens

Des nouvelles de HIT-CF



Elise Lammertyn,
Responsable de la recherche
à CF Europe

Elise Lammertyn est responsable de la recherche à CF Europe, l'organisation européenne qui regroupe les associations nationales de patients. Elle fait le point sur HIT-CF du point de vue de CF Europe.

“ 2021 a été une année exigeante pour l'équipe HIT-CF et l'ensemble de la communauté « muco », qui a dû faire preuve d'une grande flexibilité et d'une grande créativité. Le Covid-19 a continué à mettre notre patience à l'épreuve, tant dans nos vies personnelles que professionnelles. Le fait que nous n'ayons pas pu nous réunir a été frustrant et nous a fait avancer plus lentement que prévu. Mais nous sommes allés de l'avant ! À la fin de 2020, l'étude CHOICES était menacée parce que Proteostasis a fusionné avec Yumanity, qui ne s'intéressait pas à la mucoviscidose. Cependant, en 2021, nous avons été extrêmement heureux d'accueillir la jeune entreprise néerlandaise FAIR Therapeutics. Elle a pu obtenir une licence exclusive sur le portefeuille de médicaments pour la mucoviscidose de Yumanity. FAIR Therapeutics s'est donc donné pour mission de mettre des médicaments à la disposition des personnes atteintes de mucoviscidose, et porteuses de mutations rares, à des prix abordables. De bonnes nouvelles nous sont également parvenues de nos équipes dans les laboratoires : elles ont obtenu d'excellents résultats avec les tests fait à partir des organoïdes primaires et secondaires. Non seulement il y a eu une superbe concordance entre le premier et le second test, ce qui souligne fortement la fiabilité des résultats, mais aussi un certain nombre d'organoïdes de participants d'HIT-CF réagissent assez bien aux modulateurs CFTR testés. Cela signifie que nous sommes prêts à entamer le prochain chapitre de l'étude HIT-CF : l'étude CHOICES, dont les préparatifs battent leur plein.

Chez CF Europe, nous sommes également très heureux que Santhera rejoigne le consortium. Cela offre des options et des alternatives aux participants à l'étude HIT-CF dont l'organoïde n'a pas bien répondu aux modulateurs testés jusqu'à présent, ainsi qu'à l'ensemble de la communauté de la « muco ». Nous attendons avec impatience les premiers résultats de leur étude clinique avec l'inhibiteur de l'élastase des neutrophiles, le lonodelestat. Nous attendons 2022 avec une grande confiance et nous espérons que vous partagez notre enthousiasme. ”





Rapport financier 2021

Recettes et dépenses

L'ECFS-CTN est financé par des subventions et par la facturation de services scientifiques aux entreprises pharmaceutiques.

L'ECFS-CTN aide les entreprises pharmaceutiques à améliorer la conception des études cliniques. Il est important que nous ne soyons pas financièrement dépendants des entreprises pharmaceutiques afin d'éviter tout conflit d'intérêts lorsque nous donnons des conseils scientifiques sur les études. C'est pourquoi nous limitons nos revenus provenant des services rendus aux entreprises pharmaceutiques et nous comptons sur le soutien généreux des autres parties prenantes pour combler le manque à gagner. L'ECFS-CTN est reconnaissant aux organisations suivantes pour le financement de notre travail en 2021 : ECFS, CFF, les associations de patients (France, Allemagne, Royaume-Uni, Italie, Belgique, Pays-Bas, Luxembourg et Suisse). Nous remercions également CF Europe pour avoir coordonné les contributions des associations de patients.



Rapport financier 2021

Recettes et dépenses

Reflète l'année comptable du 1er janvier au 31 décembre 2021 :

Recettes et dépenses du CTN en 2021	Euro €
Soutien de la société européenne (ECFS)	100.000,00
Associations de patients nationales	113.750,00
Services aux entreprises	233.432,81
Projets européens	37.769,60
Centres de lecture pour l'indice de clairance pulmonaire	59.407,28
License de l'outil de gestion des études clinique	3.516,72
<i>Total des revenus</i>	547.876,41
Ressources humaines	355.483,04
Centre d'imagerie pulmonaire	25.912,70
Déplacements/réunions/formations	720,60
Développement de logiciels / maintenance	1.089,00
Manuscrits (article)	1.331,25
Serveurs dédiés	12.522,29
Equipement de bureau	1.452,67
Conception du rapport annuel	2.550,00
Abonnements aux outils en ligne	820,72
Autre	168,22
<i>Total des dépenses</i>	402.050,49
Résultat 2021 du CTN	
<i>Résultat de l'année</i>	145.825,92

Annexe

Etudes soutenues par le réseau en 2021



RESTORE CFTR FUNCTION

New

Phase 2 study of Galicafator/Navocafator/ABBV-119 Combination Therapy in people with CF with 1 or 2 F508del mutations. (Abbvie M19-771)

New

Phase 3b open-label testing extension testing of Kaftrio in people with CF (Vertex, VX19-445-115; parent study =VX18-445-109)

New

Phase 3b open-label testing of the effects of Kaftrio on glucose tolerance in people with CF and abnormal glucose metabolism (Vertex, VX19-445-117)

New

Phase 3 safety and efficacy testing of Kaftrio in children with CF aged 2-5 years. (Vertex VX19-445-111)

New

Phase 3b open-label safety and efficacy testing of the effects of long-term treatment with Kaftrio in people with CF aged 6 years and older with 1 F508del mutation and 1 minimal function mutation (Vertex VX18-445-119)

Phase 3 safety and efficacy testing of Kaftrio in children with CF aged 6-11 years with 1 F508del mutation and 1 minimal function mutation. (Vertex VX19-445-116)

Phase 2 testing of ABBV-3067 alone or in combination with ABBV-2222 in people with CF aged 18 and older with 2 F508del mutations. (Abbvie M19-530)

Phase 2 safety and drug behaviour testing of ELX-02 in people with CF aged 16 years and older, with 1 or 2 G542X mutations. (Eloxx EL-004)

Phase 3 testing of ivacaftor in children with CF aged under 2 years with a gating mutation (Vertex VX15-770-126)

Phase 2 open-label long-term observation of Orkambi's effect on CF progression in children aged 2-5 years with 2 F508del mutations (Vertex VX16-809-121)

Phase 3 testing of ivacaftor in children with CF aged under 2 years with a gating mutation (Vertex VX15-770-124)

Phase 3 open-label extension testing of Kaftrio in people aged 12 years and older with 1 or 2 F508del mutations (Vertex VX17-445-105; parent studies: VX17-445-102 and VX17-445-103)

Long term rollover testing of VX-661 in combination with ivacaftor in people aged 12 years and older with 1 or 2 F508del mutations (Vertex VX14-661-110)

Phase 3 open-label extension observation of long-term treatment with Symkevi in children aged 6 years and older with 1 or 2 F508del mutations (Vertex VX16-661-116; parent studies: VX16-661-113 and VX16-661-115)

Phase 3 open-label extension observation of long-term treatment with Kaftrio in people with CF with 1 F508del mutation and 1 gating or residual function mutation (Vertex VX18-445-110; parent study: VX18-445-104)

Phase 3 open-label extension observation of long-term treatment with Kaftrio in people with CF aged 6 years and older (Vertex VX19-445-107; parent study: VX18-445-106 Part B)

Long term safety testing of VX-445 combination therapy in unblinded phase 3 testing of in people with CF aged 12 years and older. (Vertex VX18-445-113)



ANTI-INFLAMMATORY



ANTI-INFECTIVE



A study to assess how many children in Europe have signs of Aspergillus infection in their sputum (cASPerCF, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù)



A clinical trial to assess a new dosing regime of an anti-fungal medicine called posaconazole (cASPerCF, Ospedale Pediatrico Bambino Gesù)

Phase 1 study to evaluate safety and tolerability and to find the right dose of hypothiocyanite (OSCN-), bovine lactoferrin (bLF) and their combination (ALX-009) in males without CF and then in adults with CF and non-CF bronchiectasis. (ALX-009-CL-038)



MUCOCILIARY CLEARANCE

Inhaled hypertonic saline in preschoolers (UMC Erasmus SHIP-002)

Phase 2 testing of safety and efficacy of inhaled SNSP113 in adults with CF. (Synspira SNSP113-19-201)

OTHER



A trial to see if people with cystic fibrosis taking Kaftrio have changed respiratory function after reducing nebulised mucoactive therapies (the CF STORM trial)



Covid-19 Antibody Responses in Cystic Fibrosis (CAR-CF): a study to measure antibodies to SARS-CoV-2 in blood samples from people with CF.



Real World Clinical Outcomes with Novel Modulator Therapy Combinations in People with CF (Recover, Royal College of Surgeons in Ireland)



Phase 4 remote evaluation of a wearable cough monitor in adults with CF taking Kaftrio (Vertex VX20-445-118)



Quality of life in people with CF taking Orkambi or Symkevi and in their primary caregivers (Vertex VX20-CFD-004)



Phase 3b open-label testing of the effects of Kaftrio on cough and physical activity in people with CF aged 12 years and older with 1 F508del mutation and 1 minimal function mutation (Vertex VX18-445-126)



www.ecfs.eu/ctn
ecfs-ctn@uzleuven.be
Tel : +32-479 983839