



2021/ Relazione annuale



Indice

Messaggio del direttore esecutivo CTN	3
2021 in numeri	5
ECFS-CTN	
Organizzazione	6
I nostri centri	7
Comitato esecutivo di transizione	8
Attività del CTN	
Supporto ai nuovi trial clinici	9
Clinical trials del 2021	10
Risposta al COVID-19	16
Il nostro lavoro	20
Standardizzazione	22
Core facilities	24
Incremento e mantenimento delle capacità di ricerca	26
Outcomes riportati dai pazienti	
Progetto congiunto ECFS-CTN e CF Europe	28
Progetti di ricerca europei	
ECFS-CTN è partner di parecchi progetti europei	30
Novità da HIT-CF	32
Report finanziario 2021	34
Appendice – Studi supportati da ECFS-CTN nel 2021	36

DOWNLOAD your personal version
in PDF

www.ecfs.eu/ctn



Messaggio del direttore CTN



Damian Downey

Siamo entusiasti di condividere con voi la relazione annuale del 2021 dell'ECFS-CTN (European Cystic Fibrosis Society - Clinical Trials Network). Questo report vi fornirà una panoramica del nostro lavoro effettuato nel 2021, degli studi clinici che abbiamo sostenuto, una descrizione dei progetti europei in cui siamo coinvolti e delle attività specifiche, tra cui lo studio COVID-19 Antibody Responses in CF (CAR-CF).

Nel corso del 2021 abbiamo sostenuto 28 studi per contribuire ad avvicinare le nuove terapie alle persone affette da FC. Il nostro lavoro negli ultimi anni ha sostenuto l'introduzione della "triplice combinazione" CFTR, che ha rappresentato un risultato epocale. Tutto ciò non sarebbe stato possibile senza la partecipazione delle persone affette da FC agli studi clinici facilitati da tutti i nostri team di ricerca in Europa. Il nostro viaggio non si ferma qui, perché continuiamo a sostenere le nuove terapie in fase di sviluppo per garantire che tutte le persone con FC possano usufruire di trattamenti efficaci.

Continuiamo ad assistere alla pandemia da COVID-19, che ha rappresentato un momento incredibilmente impegnativo per la comunità FC. Continuiamo la nostra fantastica collaborazione con il Registro dei pazienti ECFS per pubblicare gli aggiornamenti su COVID-19 nella FC. L'Investigator Trial Committee del CTN ha supervisionato l'avvio dello studio CAR-CF nelle nostre sedi europee. È il nostro primo studio guidato da un ricercatore e dimostra l'agilità del CTN nello sviluppare nuovi studi per rispondere a domande importanti per la comunità FC. È stata un'impresa enorme, con molte sfide, ma siamo certi che fornirà dati clinici preziosi. Siamo molto grati per il vostro sostegno.

Siamo grati alle organizzazioni di pazienti e alle persone affette da FC che hanno fornito il loro feedback e le loro idee. Le varie citazioni riportate nella relazione da parte di persone con FC, attivamente coinvolte nel CTN, evidenziano l'importante lavoro svolto all'interno della nostra rete. Il progetto incentrato sul paziente, Pro-CF (Patient reported outcomes in CF), continua a progredire sotto la guida di Isabelle Sermet e Kate Hayes del nostro Comitato di standardizzazione.

Siamo grati ai nostri partner per il loro continuo finanziamento della nostra rete, tra cui le organizzazioni di pazienti di Francia, Regno Unito, Italia, Belgio, Paesi Bassi, Svizzera, Lussemburgo e Germania. Siamo inoltre molto grati per i finanziamenti della Cystic Fibrosis Foundation (USA), che ci hanno permesso di sostenere il personale di ricerca aggiuntivo in molte delle nostre

sedi, il CTN Core Centre di Leuven e lo studio CAR-CF.

La nostra rete non avrebbe potuto raggiungere l'attuale livello di successo senza un team forte e impegnato. Vorrei ringraziare Veerle Bulteel, Anne Verbrugge, Kate Hayes e Katia Reeber e i membri del nostro Comitato Esecutivo per il loro costante sostegno e impegno. La gestione di dati complessi e lo sviluppo di questo eccellente rapporto non sarebbero stati possibili senza Fiona Dunlevy, responsabile della qualità del CTN. Apprezziamo anche il sostegno delle nostre reti partner, il Therapeutics Development Network (TDN) negli Stati Uniti e il Canadian Accelerating Clinical Trials Network (CanACT). Infine, siamo molto grati per il vostro sostegno. Vi preghiamo di darci il vostro feedback su questo rapporto e di contattarci se avete commenti o elementi che vorreste fossero inclusi nei rapporti futuri. Sentitevi liberi di condividere questo rapporto con i vostri team!

Cordialmente,

Damian Downey
Director ECFS-CTN

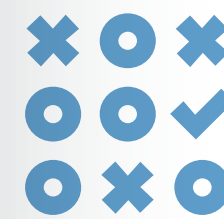


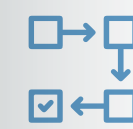
2021

IL NOSTRO ANNO IN NUMERI

 **4** PUBBLICAZIONI scientifiche

529 PAZIENTI CON FC arruolati in studi clinici 

 Controlli di fattibilità
10 studi clinici

 **x10** protocolli da 6 società

riviste da pazienti con FC, le loro famiglie, i medici, i coordinatori della ricerca e gli statistici.



3

★ ★ ★
EU
progetti in corso

317
arruolati into **CAR-CF**
COVID-19 antibody response in CF

per misurare
gli anticorpi
anti **Covid-19**

28 studi clinici attivi supportati

Ripristino della CFTR (18)

Antibiotici (3)

Clearance mucociliare (1)

Altri (6)

ECFS-CTN

Organizzazione

La nostra missione

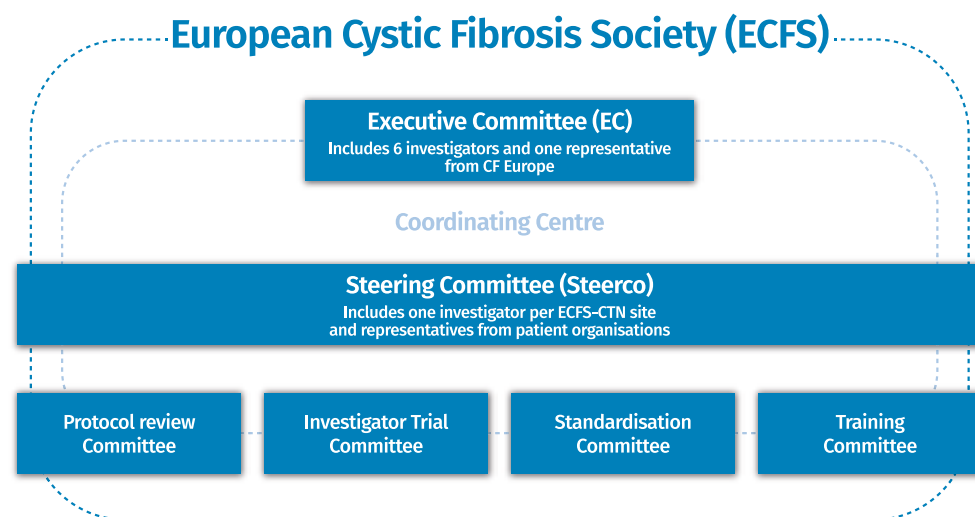
Visita il www.ecfs.eu/ctn per saperne di più sul coinvolgimento dell'ECFS-CTN

negli studi clinici sulle nuove terapie.

Come lavoriamo

EECFS-CTN è stato fondato nel 2008 con l'obiettivo di supportare la ricerca clinica in fibrosi cistica ed accelerare la disponibilità di nuovi farmaci.

EECFS-CTN è composta da 57 siti in 17 paesi e un centro di coordinamento a Leuven, in Belgio.



ECFS-CTN è gestito da:

- il Comitato Esecutivo, che si riunisce in teleconferenza due volte al mese. Sviluppano politiche di rete, indirizzano le azioni a diversi comitati e approvano studi clinici da aggiungere al portafoglio CTN dopo la revisione del protocollo.
- il Comitato Direttivo (Steerco) è composto da 1 medico per ogni sito membro, un rappresentante di ciascuna delle organizzazioni di pazienti finanziatrici, membri del comitato esecutivo e personale CTN. I membri di Steerco si incontrano di persona due volte l'anno per discutere le attività, le strategie e le sfide comuni del CTN.

Il Centro di Coordinamento CTN conta 5 impiegati che organizzano le attività quotidiane del CTN e supportano i vari comitati.

I nostri centri



ECFS-CTN

Comitato esecutivo

Comitato esecutivo in 2021



Damian Downey
Medico per adulti con FC,
Belfast, Irlanda del Nord.



Lieven Dupont
Medico per adulti con FC,
Leuven, Belgio.



Nicholas Simmonds
Medico per adulti con FC,
Londra, Inghilterra.



Hettie Janssens
Medico per bambini con FC,
Rotterdam, Olanda.



Dario Prais
Medico per bambini con FC,
Petah Tikva, Israele.



Philippe Reix
Medico per bambini con FC,
Lione, Francia.



Jutta Bend
Coordinatore del CTN della
Germania e rappresentante
delle leghe dei pazienti
nell'ECFS-CTN.



Attività del CTN

Supporto ai nuovi studi clinici

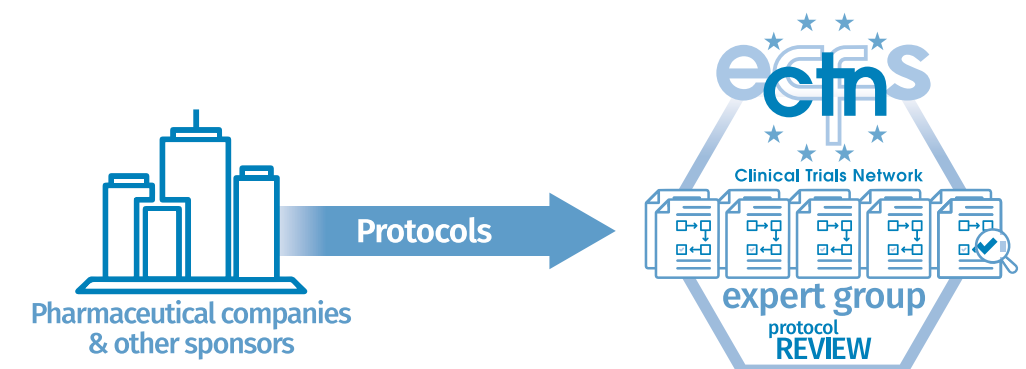
Studio di fattibilità e revisione del protocollo

Per saperne di più visita

www.ecfs.eu/ctn

Le aziende farmaceutiche che desiderano condurre studi clinici nei centri ECFS-CTN devono far visionare il loro protocollo al team ECFS-CTN che comprende medici FC, coordinatori della ricerca, ricercatori, pazienti FC e le loro famiglie.

Nel 2021, abbiamo revisionato 10 protocolli provenienti da 4 diverse società.



L'ECFS-CTN ha chiesto chiarimenti o modifiche per 5 protocolli prima dell'approvazione. In totale sono stati approvati 10 protocolli, di cui uno con approvazione condizionata. Quando un protocollo viene rivisto e approvato, comunichiamo a tutti i siti ECFS-CTN che il protocollo ha avuto una revisione positiva e se lo consideriamo a priorità alta, media o bassa.

Dopo che un protocollo è stato approvato per l'esecuzione in ECFS-CTN, aiutiamo lo sponsor a identificare i siti appropriati per partecipare allo studio. Nel 2021 abbiamo coordinato le verifiche di fattibilità per 10 studi clinici (per 4 sponsor).

Attività del CTN

Studi clinici del 2021



Revisione del protocollo

Stephan, un adulto con FC dalla Germania è un membro del comitato di revisione del protocollo e spiega in cosa è coinvolto.

Sono membro del consiglio dell'Organizzazione tedesca per la fibrosi cistica (Mukoviszidose e.V., www.muko.info) dal 1991 sia come paziente affetto da fibrosi cistica ma anche come esperto (sono un fisico) e sono sempre stato interessato alla ricerca nel campo della fibrosi cistica. Per tali motivi, ho accettato volentieri quando mi è stato chiesto di entrare a far parte del comitato di revisione del protocollo della rete di studi clinici ECFS.

A volte è difficile e dispendioso in termini di tempo leggere il protocollo di studio e trovare le parti rilevanti nel gran numero di pagine. In qualità di rappresentanti dei pazienti, ci preoccupiamo se il disegno dello studio si adatta alla realtà della vita dei pazienti, se lo sforzo è ragionevole e giustificato e se ci sono suggerimenti per miglioramenti.

Per ogni revisione del protocollo, investo circa tre lunghe serate per leggere, familiarizzare e poi per rispondere alle domande.

Naturalmente, è molto interessante vedere come sono impostati tali studi, le molte questioni che devono essere prese in considerazione e le domande scientifiche a cui dovrebbero rispondere. Ci sono sempre aspetti che possono essere valutati meglio con l'esperienza di oltre 5 decenni con la mia fibrosi cistica che da un biologo o un medico. Pertanto, accolgo con grande favore il fatto che la rete di studi clinici ECFS (ECFS-CTN) coinvolga membri della famiglia e pazienti nella revisione.

Attività del CTN

Studi clinici del 2021



Revisione del protocollo

Anne, un'adulta con FC dalla Germania è un membro del comitato di revisione del protocollo e spiega in cosa è coinvolta.

Cosa ti ha spinto ad entrare a far parte del comitato di revisione del protocollo?

Sono felice di avere la possibilità di supportare la ricerca scientifica e di poter aiutare nel mio piccolo a migliorare il trattamento per la FC.

È difficile leggere un protocollo scientifico?

Una volta che hai familiarità con la struttura generale e i termini medici, va bene. Tuttavia, a volte può essere difficile.

È molto impegnativo?

Per ogni revisione ho bisogno dalle 2 alle 4 ore, a seconda della complessità. Ciò include la ricerca di alcuni termini medici, procedure, ecc. Cerco anche di scoprire se studi simili sono già stati condotti da qualche altra parte.

Cosa c'è di interessante nel partecipare al comitato di revisione del protocollo?

Per me la parte più affascinante è avere un'idea degli attuali sviluppi scientifici. A volte i protocolli sono piuttosto impegnativi: mi piace approfondire le descrizioni e le spiegazioni e finalmente capirle.

Perché è importante che il protocollo venga rivisto da un familiare?

Anche se un familiare/paziente con FC potrebbe non essere l'esperto medico perfetto, noi siamo gli esperti quando si tratta di convivere con la FC. Sono convinto che le nostre intuizioni possano aiutare a rendere i progetti di studio più pratici e più facili da integrare. A volte i ricercatori non sono a conoscenza di altri fattori di FC, quindi possiamo portare in quella prospettiva e assicurarci che non venga trascurata.

Hai altre osservazioni sulla revisione del protocollo?

Penso che sarebbe bello avere un incontro su Zoom di tutti i revisori, solo per conoscersi e scambiare esperienze di revisione.

Sono molto orgogliosa di far parte di questo gruppo europeo!

Attività del CTN

Studi clinici del 2021



Revisione del protocollo

Milan, un adulto con FC della Repubblica Ceca è membro del comitato di revisione del protocollo e spiega in cosa è coinvolto.

Cosa ti ha motivato ad entrare a far parte del comitato di revisione del protocollo?

Volevo rendermi utile in qualcosa di completamente unico ed estremamente vantaggioso: lo sviluppo di nuovi tipi di farmaci per la FC. Tali avanzamenti scientifici possono determinare un'incredibile differenza nella vita e nel destino delle persone, non solo con questa malattia, ma anche nelle loro famiglie e amici.

È difficile leggere un protocollo scientifico?

Sì, di solito si tratta di dozzine di pagine di testo tecnico, che spesso riguarda i dettagli. D'altra parte, il Patient Reviewer non è lì per valutare i meriti medici dello studio.

È necessario molto lavoro?

Nel complesso, sono diverse ore di lavoro.

Cosa c'è di interessante nel partecipare al comitato di revisione del protocollo?

Sei uno dei primi a conoscere le future opzioni di trattamento. Inoltre, puoi avere informazioni molto dettagliate sui nuovi farmaci. Infine, hai l'opportunità di influenzare attivamente alcuni aspetti secondari dei test.

Perché è importante che il protocollo venga rivisto da un familiare?

Penso che sia molto giusto che le persone che conoscono personalmente i dettagli del regime CF commentino la bozza di studio. I rappresentanti dei pazienti possono giudicare se uno studio può essere del tutto compatibile con il regime di trattamento, se lo studio è sufficientemente attraente per la partecipazione di potenziali partecipanti. Se contiene troppi obblighi e condizioni che non possono essere adempiuti.

Hai altre osservazioni sulla revisione del protocollo?

Devo apprezzare la grande professionalità dell'intero processo. Dall'approccio iniziale per verificare il mio interesse ad essere un valutatore al feedback finale sui miei commenti. Sai esattamente cosa ci si aspetta da te e puoi vedere che il tuo lavoro è significativo.

Attività del CTN

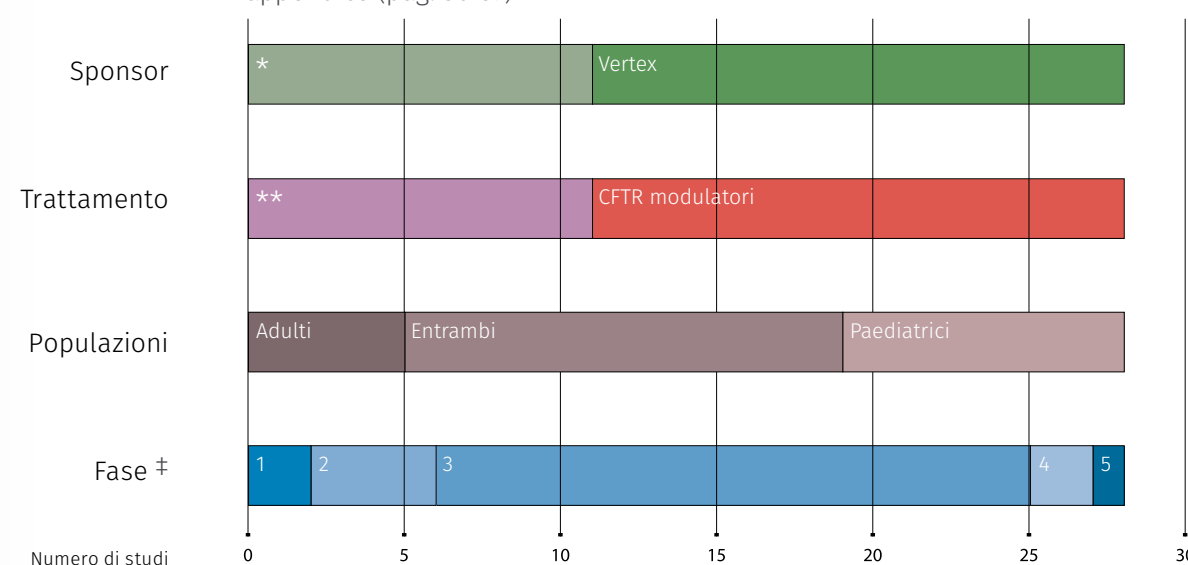
Studi clinici del 2021

Studi clinici nei centri ECFS-CTN

I 28 studi inclusi nell'analisi di quest'anno hanno valutato principalmente i modulatori CFTR. Gli studi erano per lo più di fase 3.

Tra novembre 2020 e novembre 2021, i centri ECFS-CTN hanno arruolato 529 persone con FC in studi clinici. Tre quarti delle persone arruolate erano adulti.

Puoi trovare un elenco completo degli studi che abbiamo sostenuto in appendice (pag. 36-37)



* L'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù (OPBG) ha sponsorizzato i 2 studi cASPerCF. AbbVie ha sponsorizzato 2 studi. I seguenti sponsor avevano 1 studio ciascuno: Royal College of Surgeons in Ireland (RCSI), UMC Erasmus, Synspira, Alaxia, Alder Hey NHS ed Eloxx. CAR-CF ha più sponsor nazionali.

**clearance mucociliare e liquido superficiale delle vie aeree (2 studi), inibitore dell'ENaC (1 studio), anti-infettivo (2 studi), evidenza del mondo reale (3 studi) e nessuna terapia (3 studi).

‡ CAR-CF non ha una fase.

Puoi conoscere i dettagli degli studi nel seguente sito:
www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials

Attività del CTN

Studi clinici del 2021



Nelle parole dei pazienti con FC che vi hanno preso parte



Leonoor

Marian e sua figlia Leonoor vengono dai Paesi Bassi. Descrivono la loro esperienza nella partecipazione di Leonoor ad una sperimentazione per una tripla terapia con modulatore CFTR.

“Anni fa, quando a nostra figlia Leonoor è stata diagnosticata la fibrosi cistica, uno dei nostri primi pensieri è stato che sarebbe morta troppo giovane e troppo presto.

Ci è stato detto che gli sviluppi in termini di ricerca sui farmaci erano molto promettenti e che non dovevamo disperare. Tuttavia, la maggior parte dei farmaci in fase di sviluppo erano adatti alle mutazioni più comuni.

Sfortunatamente, Leonoor ha una mutazione rara e penso di non dover spiegare che avere una mutazione rara all'interno di una malattia rara non è l'“unicità” che vuoi avere nella vita... Ovviamente avevamo sentito parlare di tutti gli sviluppi promettenti di nuovi farmaci come Orkambi e Kaftrio. Tuttavia, per proteggerci mentalmente abbiamo abbracciato il pensiero che saremmo stati bene senza alcun trattamento adatto alla sua mutazione. Nel frattempo abbiamo partecipato a quasi tutti i progetti di ricerca condotti dal nostro ospedale purché non troppo invasivi o gravosi per Leonoor. Se i risultati della ricerca non l'avessero aiutata, avrebbero comunque potuto aiutare qualcun altro.

Con nostro stupore abbiamo ricevuto una chiamata nell'autunno del 2020 che Leonoor apparteneva a un piccolo gruppo di pazienti che soddisfacevano i criteri per partecipare allo studio di Kaftrio e che da quel piccolo gruppo era stata selezionata in modo casuale. Volevamo partecipare? Anche se questa era un'opportunità che non avremmo mai nemmeno osato sognare, dovevamo comunque pensarci. Ovviamente stavamo saltando di gioia al pensiero che potesse essere una delle prime ragazzine sotto i 12 anni nei Paesi Bassi con accesso a Kaftrio. Tuttavia la qualità della vita si è rivelata altrettanto importante. Per noi stessi abbiamo deciso che avremmo potuto farlo funzionare da un punto di vista pratico. Programmare le visite in

Attività del CTN

Studi clinici del 2021



In the words of people with CF who participated

ospedale nei giorni in cui uno di noi lavorava da casa (anche il Covid-19 ha avuto dei vantaggi...) in modo che gli altri ragazzi si prendessero cura. Ma alla fine la cosa più importante è stata l'opinione di Leonoor. Abbiamo deciso che se lei avesse detto di no non l'avremmo fatto. Le abbiamo spiegato i vantaggi che avrebbe potuto avere da Kaftrio e le abbiamo detto cosa ci si sarebbe aspettati da lei in termini di visite e esami in ospedale, e poi ha detto di sì!

La prima fase del processo è stata una sfida a causa dell'elevata frequenza delle visite ospedaliere e delle lunghe giornate, che sono state stancanti per Leonoor. Fortunatamente ora siamo nella seconda fase e su uno schema di visite un po' più ampio. Con il senno di poi, dover incorporare tre nuove pillole nella nostra routine quotidiana si è rivelata la parte più difficile di questo processo. Al mattino tutto fila liscio. Abbiamo la nostra routine per la colazione e quelle due pillole ne fanno semplicemente parte. La sera tutto va bene, a meno che un appuntamento di gioco non si trasformi in una sosta a cena o in un pigiama party spontaneo. Quegli imprevisti hanno dimostrato di essere il nostro collo di bottiglia perché non fanno parte del nostro ritmo. Nel frattempo ci stiamo adattando anche a tali imprevisti.

Continueremo a partecipare alla ricerca perché è così importante. Tuttavia, la partecipazione a un nuovo processo è qualcosa a cui dovremo pensare, o come dice la stessa Leonoor:

“A volte trovo fastidioso dover andare in ospedale così spesso. Poi mi manca la scuola e il venerdì sono tutte cose divertenti. Mi piace di più il film del cuore (l'ECG), gli adesivi sono belli e solleticano! Trovo che la misurazione del lung clearance index sia la più stupida. Non so se mi piacerebbe partecipare ad un altro studio, dipende da quante volte dobbiamo andare in ospedale.”

Attività del CTN

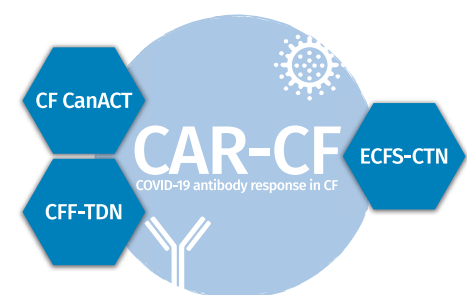
La nostra risposta al COVID-19

Impatto sui pazienti FC e sugli studi clinici

Nel 2021 abbiamo continuato a collaborare con il Registro dei pazienti ECFS per raccogliere informazioni sul numero di persone affette da FC che hanno contratto il COVID-19. Abbiamo pubblicato aggiornamenti regolari sul [sito web dell'ECFS](#) e pubblicato un articolo scientifico sui fattori di [rischio per esiti infausti](#).

Abbiamo anche pubblicato un documento scientifico su come le sedi di sperimentazione clinica possono [mitigare l'impatto](#) della pandemia sulle sperimentazioni cliniche. Questo documento si basava sulle idee raccolte dai centri ECFS-CTN tramite sondaggi regolari nel corso del 2020 e del 2021.

Risposta anticorpale anti COVID-19 in FC (CAR-CF)



CAR-CF è uno studio supportato da ECFS-CTN. Stiamo raccogliendo campioni di sangue da persone con FC di tutta Europa per rilevare se la persona ha contratto il COVID-19. Stiamo lavorando con organizzazioni di pazienti in Europa, Canada (CanAct) e USA (CFF-TDN), che svolgeranno ricerche simili nei loro paesi. Il progetto, chiamato CAR-CF, esaminerà anche come le persone con FC sviluppano l'immunità al COVID-19 dopo la vaccinazione.

Verrà eseguito in 14 paesi in Europa, oltre in Canada e negli Stati Uniti, e speriamo di raccogliere campioni di sangue da migliaia di persone con FC.

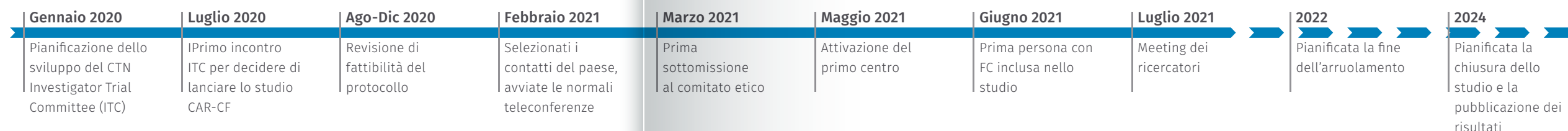
Alla fine del 2021, 19 siti in 9 paesi erano attivi per l'arruolamento e 317 persone con FC erano state arruolate. Altri 40 siti in 5 paesi erano impegnati a fare tutti i preparativi amministrativi per iniziare lo studio.

Puoi trovare il numero aggiornato di pazienti reclutati per sito su <https://www.ecfs.eu/ctn/projects/CAR-CF>

I primi risultati sono attesi nel 2024.

CAR-CF

Cronologia della sperimentazione clinica



Attività del CTN

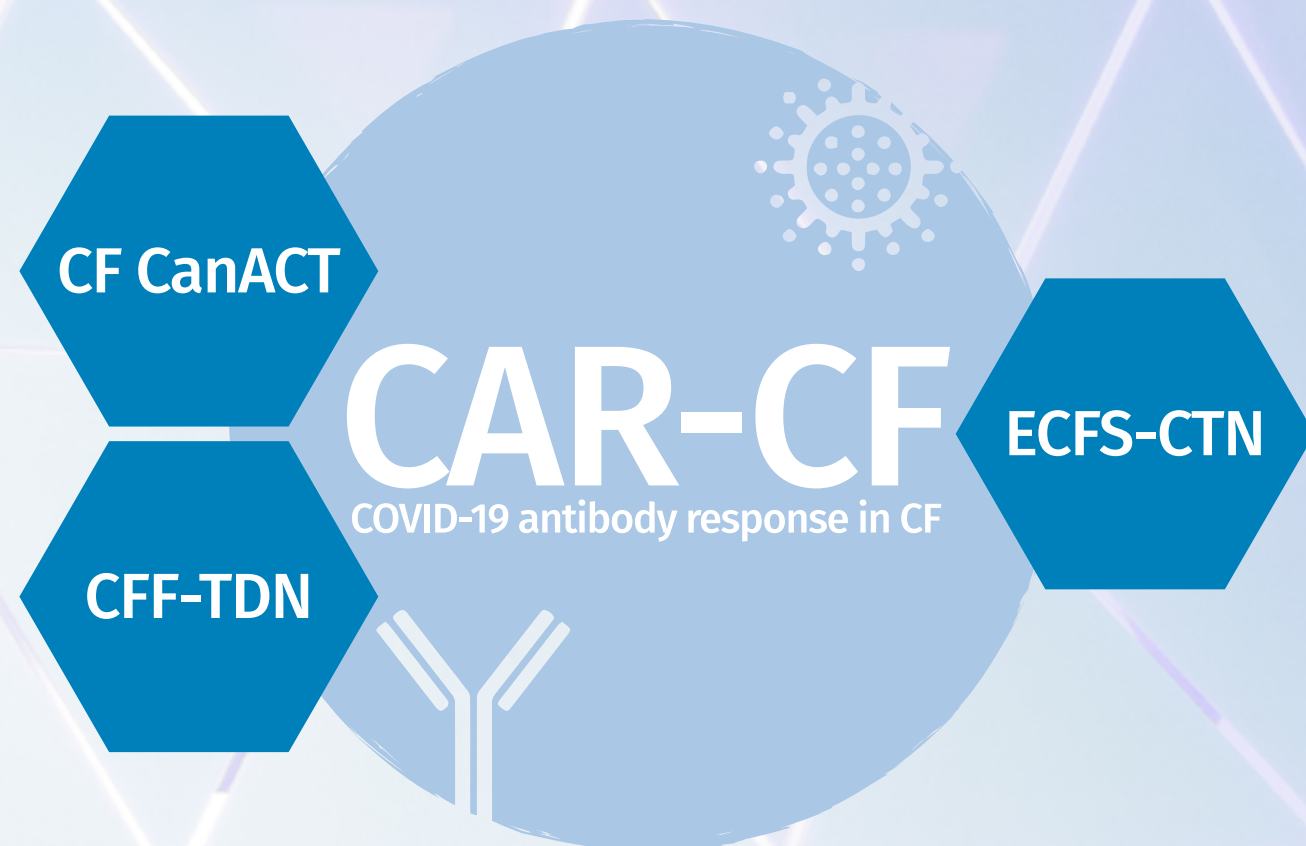
La nostra risposta al COVID-19



Jutta Bend

Jutta Bend è il coordinatore della rete tedesca del CTN, gestita dall'organizzazione tedesca dei pazienti "Mukoviszidose eV". Rappresenta la voce del paziente nell'Investigator Trial Committee (ITC).

“ È una grande opportunità e un onore per me rappresentare le organizzazioni dei pazienti come membro dell'ITC, perché in questo modo è possibile realizzare la ricerca centrata sul paziente. CAR-CF - il primo progetto di sperimentazione avviata da sperimentatori (IIT) dell'ITC - è stato lanciato nel 2021. La pandemia ha comunque avuto un impatto su tutte le nostre vite ed ha reso la pianificazione di uno studio multicentrico e multinazionale una sfida enorme. Sono orgoglioso, tuttavia, che i primi pazienti siano stati inclusi nello studio in Germania. Ciò è stato ottenuto grazie a un'ottima collaborazione tra il sito di sperimentazione clinica di Colonia e l'organizzazione di pazienti tedesca con cui sto lavorando. Abbiamo tradotto e adattato i documenti informativi del paziente necessari per la presentazione al Comitato Etico e per informare in modo appropriato le persone con FC sul CAR-CF e sulla possibilità di partecipare. Altri paesi sono seguiti con una cooperazione simile tra medici e organizzazioni di pazienti: entro la fine del 2021 erano già attivi i centri di sperimentazione clinica in 12 paesi e sono stati inclusi circa 300 pazienti. C'erano molti problemi da risolvere e processi da sviluppare: esempi sono gli accordi per il trasferimento di dati e materiali, il Case Report Form elettronico per la documentazione dei dati e l'iscrizione dello studio nel registro degli studi www.clinicaltrials.gov. Sono stati fatti grandi progressi ed è stato sorprendente vedere persone con FC e medici lavorare insieme per trasformare questo progetto in realtà. ”



Vincent, paziente tedesco
con FC, spiega perchè ha deciso di
prendere parte al CAR-CF

“Fantastico che sia stato avviato uno studio come il CAR-CF! La pandemia da COVID-19 ha coinvolto tutti ed in modo particolare i pazienti con malattie polmonari croniche come la FC. Quindi, è essenziale acquisire conoscenze scientifiche attraverso questo studio. Inoltre, sapere che tale studio viene effettuato a livello europeo è fantastico poiché abbiamo bisogno di questa unificazione soprattutto in questi tempi difficili.

Sono orgoglioso di farne parte.”

Attività del CTN

Il nostro lavoro

Formazione



Di solito, organizziamo una giornata di formazione per ricercatori e coordinatori della ricerca a giugno, appena prima della conferenza ECFS. Purtroppo, la pandemia da COVID-19, ha fatto sì che il convegno del 2021 e tutte le nostre attività formative, si svolgessero solo online.

Gennaio 2021: incontro del comitato direttivo con 191 investigatori principali (inclusi i relatori e il panel di esperti).

Giugno 2021: incontro del comitato direttivo con 74 investigatori principali (inclusi i relatori e il panel di esperti).

Giugno 2021: formazione con 139 coordinatori di ricerca e ricercatori partecipanti (inclusi relatori e panel), incentrata sull'audit degli studi clinici. Per il workshop interattivo 57 coordinatori di ricerca si sono uniti in tempo reale.

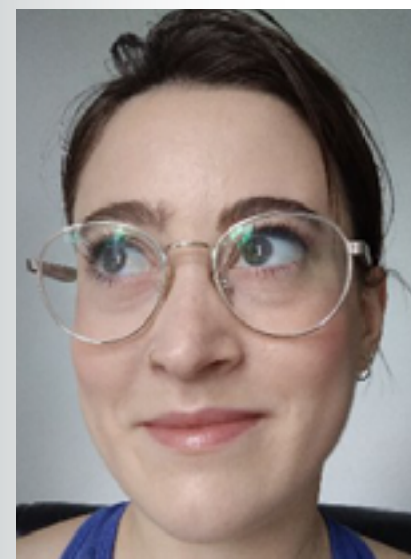
Ottobre 2021: abbiamo tenuto un webinar in 3 parti sulle evidenze del mondo reale, inclusi relatori del mondo accademico e dell'industria, nonché agenzie di regolamentazione e di rimborso. Abbiamo avuto 329 partecipanti per i 3 webinar, con alcuni team che hanno partecipato in modalità web.

Attività del CTN

Il nostro lavoro

Glossario di linguaggio semplice

ECFS-CTN sta collaborando con CF Europe e le sue organizzazioni di pazienti membri per creare un glossario di linguaggio semplice dei termini scientifici che vengono spesso utilizzati negli studi clinici. Nel 2020 abbiamo creato un glossario pilota di 11 termini. Nel 2021 abbiamo chiesto alle persone con FC e al pubblico in generale il loro feedback e consigli su come migliorare il glossario. Abbiamo ottenuto finanziamenti dalla Queen's University, Belfast, per promuovere il progetto e lanciare il [glossario](#) alla conferenza ECFS nel giugno 2022.



Jade Ashton

Jade Ashton, che vive con la FC, è una scrittrice freelance di scienze della salute.

“ Ho avuto il privilegio di far parte di questo progetto, sia come revisore che successivamente come scrittrice, da poco più di un anno. È stato meraviglioso lavorare con un team così fantastico su un progetto che avrà un impatto sulle persone nella comunità della FC. L'accessibilità delle informazioni è apprezzata dalle persone con FC e dalle loro famiglie, in particolare le informazioni sulle nuove ricerche: ascoltare le ricerche in corso fornisce una buona dose di speranza per il futuro e mostra come la raccolta di fondi e le donazioni possono avere effetti positivi sulla vita delle persone. La mia speranza è che chiunque faccia ricerca sulla FC riconosca l'importanza di coinvolgere l'utente finale e trovi il glossario utile per raggiungere questo obiettivo. Allo stesso modo, man mano che il glossario cresce e i blog associati forniscono un contesto, spero che possiamo aiutare chiunque desideri saperne di più sulla FC, proprio come l'apprendimento della mia condizione ha iniziato il mio viaggio di potenziamento. Ringrazio tutti coloro che stanno rendendo possibile questo progetto. ”

Attività del CTN

Standardizzazione

Procedure operative standard (SOP)

ECFS-CTN scrive e condivide linee guida note come Procedure operative standard (SOP), documenti dettagliati che spiegano i passaggi da seguire per misurare i risultati degli studi clinici.

Nel corso del 2021:

- Abbiamo scritto una nuova SOP su come isolare, coltivare e utilizzare le cellule epiteliali respiratorie primarie ottenute mediante spazzolatura nasale o espunti di polipo o polmone (maggio 2021)
- Abbiamo aggiornato una SOP esistente su Sweat Induction and Collection Macroduct® Advanced (questa SOP non sostituisce la SOP esistente per il test del sudore, ma è per i siti che utilizzano le apparecchiature più recenti) (dicembre 2021)
- Abbiamo anche pubblicato un articolo sulla rivista JCF sui [biomarcatori dell'espettorato](#).

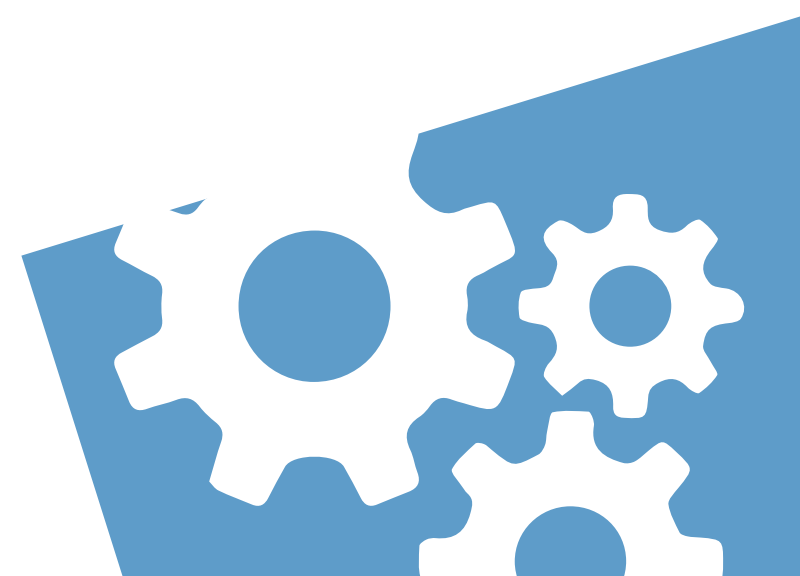
Attività del CTN

Standardizzazione

Gruppo di interesse speciale del CTN sull'imaging in FC

Nel 2021, il Gruppo di interesse speciale del CTN sull'imaging in FC, guidato dal Prof Harm Tiddens dell'Erasmus Medical Center di Rotterdam, si è riunito mensilmente in teleconferenza per coordinare la ricerca in questa importante area della FC. Il suo scopo è produrre raccomandazioni/linee guida per la TC e per i protocolli MRI che potrebbero essere potenzialmente utilizzati dai centri FC e dalle persone con FC. Il gruppo comprende radiologi, fisici medici, specialisti della FC pediatrica e per adulti, rappresentanti di CTN e CF Europe. È composto da 3 sotto-team che si incontrano anche mensilmente e stanno esplorando le seguenti aree:

1. Strategie di monitoraggio TC: sviluppare linee guida per esami TC per bambini e adulti, in collaborazione con i nostri colleghi della European Respiratory Society. Questo gruppo è guidato da Michael Fayon (Bordeaux), Barbara Messori e Luca Riberi (Torino)
2. Definizione di core set di sequenze MRI da utilizzare in un contesto clinico guidato da Jens Vogel-Claussen (Hannover) e Pierluigi Ciet (Rotterdam)
3. Strategie a basso dosaggio per CT: guidato da Michael Maher (Cork)



Attività del CTN

Core Facilities

Core facilities per il Lung Clearance Index e l'imaging polmonare

Ci assicuriamo che tutti i nostri siti della rete di sperimentazione funzionino in modo simile quando si tratta di alcune delle tecniche speciali necessarie per le sperimentazioni cliniche. Formiamo e certifichiamo i siti utilizzando alcune strutture "central core". Ad esempio, per le misure di funzionalità polmonare come il Lung Clearance Index e per le scansioni TC.

Lung Clearance Index Core Facility

Nel luglio 2014, è stato istituito il core facility per il Lung Clearance Index con lo scopo di identificare degli standard di esecuzione e valutare gli esami eseguiti nei siti CTN, qualificando e certificando quei centri che soddisfano criteri di qualità prestabiliti.

La LCI Core Facility è co-diretta dalla prof.ssa Jane Davies e Clare Saunders presso il Royal Brompton/Imperial College London e dal loro team di ricerca. Hanno una vasta esperienza nel Multiple Breath Washout test e nell'interpretazione dei risultati.

Questa struttura centrale offre la consulenza di esperti in merito alla standardizzazione delle procedure LCI e alla formazione del personale per le sperimentazioni cliniche. Ad oggi hanno formato e certificato 45 siti CTN (179 operatori) e in collaborazione con strutture core in Nord America e Australasia hanno supportato 22 studi clinici.

Per qualsiasi domanda riguardante la Core Facility del Royal Brompton/Imperial College London, si prega di contattare: c.saunders@imperial.ac.uk o LCICore@rbht.nhs.uk o <https://www.lungclearanceindex.com/>



Il Team: Chris Short, Gina Rivellini, Clare Saunders, Jane Davies, Mary Abkir, Sophie Pinnell.

“È stato incoraggiante vedere l'impatto che l'ECFS CTN Core Facility è stata in grado di avere nell'adozione di LCI negli studi clinici negli ultimi anni. Fino ad ora utilizzato principalmente in pediatria, sembra probabile che misure di esito più sensibili come questa saranno sempre più utili nella popolazione adulta sui modulatori CFTR.”

Prof Jane Davies

Attività del CTN

Core Facilities

Lung Imaging Core Facility

Per garantire che tutti i nostri siti CTN seguano pratiche simili e dopo la consultazione 2019-2020 in tutti i siti ECFS-CTN, il laboratorio di analisi polmonare dell'Erasmus Medical Center di Rotterdam sta ora standardizzando le scansioni TC del torace in tutti i siti ECFS-CTN.

25 siti sono stati certificati dal laboratorio centrale e altri 16 nel sono in corso di certificazione.

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

Per qualsiasi domanda, contattare Jorien all'indirizzo: j.vandeputtelaar@erasmusmc.nl

Per richieste generali relative a tutte le nostre SOP e gruppi, contattare Kate Hayes all'indirizzo: k.hayes@qub.ac.uk oppure il centro di coordinamento all'indirizzo ecfs-ctn@uzleuven.be per i dettagli di queste SOP e anche di tutte le altre!

Attività del CTN

Aumentare e mantenere la capacità di ricerca

Supporto finanziario
ai centri

Premio per la capacità di ricerca aggiuntiva (ARC) (2017-2020)

Il CFF ha stanziato \$ 3.049.953 per finanziare ulteriore personale di ricerca nei siti ECFS-CTN che soddisfano determinati criteri, nonché un supporto strutturale tra il 2017 e il 2020. Questo finanziamento ha consentito ai siti di intraprendere un maggior numero di sperimentazioni e, in alcuni casi, sperimentazioni più complesse. Il finanziamento ha anche consentito ai siti di dedicare più tempo del personale alle prove esistenti.

Premio per la capacità di ricerca continua (CRC) (2021-2023)

Come continuazione del premio ARC, il CFF ha gentilmente concesso altri 3 anni di finanziamento per un totale di \$ 3.063.615 per il periodo 2021-2023 per mantenere la capacità dei siti e del centro di coordinamento CTN. Siamo tutti estremamente grati al CFF per aver fornito questo supporto!

Florian Singer, il ricercatore principale a Berna, in Svizzera, spiega come il premio CRC ha aiutato il suo sito.

“ Siamo molto grati all'ECFS-CTN e al CFF per aver supportato la ricerca nel nostro sito a Berna, in Svizzera. Siamo stati in grado di aumentare il nostro personale. La nostra infermiera clinica per la FC Martina ha potuto essere coinvolta nella ricerca. Barbara, un'altra infermiera dello studio sulla FC, potrebbe aumentare le sue capacità e fornire un maggiore supporto per gli studi imminenti su bambini e adulti con FC. Barbara e Martina si completano a vicenda nella ricerca e negli aspetti clinici. Barbara e Martina sono integrate sia nel centro FC di Berna che nella rete di ricerca pediatrica PEDNET, consentendo una proficua collaborazione e scambio di conoscenze. ”



Outcomes riportati dai pazienti

Un Progetto congiunto tra ECFS-CTN e CF Europe



Perché misurare la qualità della vita?

Esistono molti modi per misurare se la FC di una persona è stabile, in miglioramento o in peggioramento. Un modo ingannevolmente semplice è quello di chiedere alla persona – dopotutto nessuno conosce la FC meglio di coloro che convivono con essa.

Tuttavia, convertire la domanda “come ti senti?” in qualcosa che medici e ricercatori possono oggettivare è un compito più complesso.

Tuttavia, questo compito sta diventando sempre più importante, dal momento che le agenzie preposte all'approvazione delle licenze e al rimborso dei nuovi farmaci tengono conto dei cambiamenti nella “qualità della vita”.

Agenzie come l'Agenzia europea per i farmaci accetteranno i dati sulla qualità della vita solo se sono stati raccolti utilizzando un questionario concordato, chiamato anche misura di esito riportato dal paziente (PROM). Questi questionari sono sviluppati e adattati alla condizione stessa e all'età del gruppo di pazienti che partecipano allo studio. I ricercatori devono “validare” il questionario per assicurarsi che siano incluse le domande giuste e che tutti comprendano le domande allo stesso modo. Un altro passo importante nella validazione è verificare se i cambiamenti nei risultati del questionario rispecchiano i cambiamenti nei sintomi o altri aspetti della condizione clinica. È molto importante validare correttamente i questionari, in modo che i loro risultati possano essere utilizzati per aiutare a portare nuovi farmaci ai pazienti.

Perché abbiamo bisogno di questionnaire in FC?

Nella FC, la misura più comune della qualità della vita è un questionario chiamato “Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised” o CFQ-R in breve. Questo questionario è stato utilizzato per molti anni ed è stato utilizzato in molti studi clinici. Tuttavia, alcune delle domande sono un po' fuori moda al giorno d'oggi. Ad esempio, data la disponibilità dell'online banking, la domanda sul sentirsi abbastanza bene da andare in banca è ormai obsoleta.

Le persone con FC hanno chiesto un questionario più adatto alla vita moderna. Nel 2019, ECFS-CTN ha iniziato a lavorare con CF Europe (la federazione europea delle organizzazioni di pazienti affetti da fibrosi cistica) e un gruppo di persone con fibrosi cistica per creare un nuovo questionario sulla qualità della vita, chiamato anche misura di esito riportato dal paziente.

Il gruppo si è riunito mensilmente tramite teleconferenze nel corso di 2 anni, esaminando le misure di esito riportate dai pazienti esistenti utilizzate nella FC. Il gruppo ha collegato i loro risultati con i risultati di un altro progetto PROM, uno studio basato su interviste su 125 persone con FC e le loro famiglie per vedere quali argomenti vorrebbero fossero inclusi in un nuovo questionario. Abbiamo anche intervistato i siti clinici di FC in tutta Europa per vedere quali strumenti e questionari utilizzano nelle visite cliniche.

Risultati riportati dai pazienti **PROMS**

Un Progetto congiunto tra ECFS-CTN e CF Europe

Una squadra dietro la survey

Il gruppo ha quindi sviluppato un questionario creato dal paziente e lo ha chiamato PRO-CF (Patient-reported outcomes in CF). Questo questionario mira a valutare in modo più accurato la qualità della vita delle persone con FC per consentire loro di riferire i propri sintomi, comprese le aree non precedentemente comprese negli strumenti esistenti.

Nel corso del 2020 abbiamo condotto un ampio sondaggio per verificare che il questionario fosse accurato e di facile comprensione. Abbiamo utilizzato il feedback dei “pazienti esperti” per migliorare e perfezionare il questionario. Abbiamo anche pubblicato un documento di ricerca sul Journal of Cystic Fibrosis, che delinea l'importanza e il processo del questionario creato dal paziente (vedi articolo Journal of CF e lay summary). “C'è una reale necessità di uno strumento più adatto per le PROMS nella FC. E chi potrebbe parlare di qualità della vita meglio degli stessi pazienti?” dice Audrey Chansard, paziente francese con FC, autrice dell'articolo scientifico.

Nel 2021 abbiamo raggiunto la fase in cui dovevamo validare il questionario.

Questa fase di convalida assicurerà che il questionario PRO-CF possa essere utilizzato per supportare lo sviluppo, la licenza e il rimborso di nuovi farmaci. Questo è un compito molto tecnico e abbiamo deciso che avevamo bisogno dell'aiuto di esperti. Abbiamo richiesto con successo un finanziamento da un'organizzazione di pazienti in Francia chiamata Association Gregory Lemarchal.

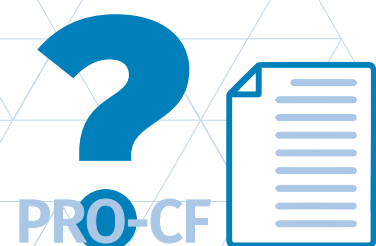
Il finanziamento è stato utilizzato per assumere esperti nella convalida dei questionari PROM.

Simona Caldani, Emmanuel Devouche ed Emilie Cappe, dell'Université Paris Descartes, sono gli esperti che stanno lavorando alla validazione del nuovo questionario.

“È così importante che le persone con FC creino il nuovo questionario per rappresentare veramente le esperienze di convivenza con la FC e per capire cosa funziona bene e cosa deve essere migliorato nella valutazione della qualità della vita”, afferma Kate Hayes ECFS-Clinical Trial Network Coordinatore del progetto PROM. “Il coinvolgimento del paziente in questo progetto ci consente di pianificare e svolgere questa ricerca in un modo che sia significativo per le persone con FC”.



Kate Hayes



2019:

Istituito un gruppo consultivo per i pazienti

Raccolta di informazioni sulle PROM utilizzate in tutta Europa

2020:

Sviluppata una bozza di questionario, denominata PRO-CF

Test pilota

2021:

Grant ricevuto per finanziare la fase di validazione di PRO-CF

Esperti assunti per convalidare il sondaggio

Dopo:

Saranno pianificati, eseguiti e pubblicati studi di validazione

Obiettivo finale:

Un questionario convalidato e di facile utilizzo che può essere utilizzato nello sviluppo di farmaci e nella cura quotidiana

Progetti di ricerca europei

ECFS-CTN è partner di parecchi progetti europei



Questo progetto ha ricevuto finanziamenti dal programma di ricerca e innovazione Orizzonte 2020 dell'Unione europea "Salute, cambiamento demografico e benessere" nell'ambito della convenzione di sovvenzione n. 755234.

La Commissione Europea (tramite H2020) sta finanziando una sperimentazione clinica del farmaco orfano OligoG CF-5/20 in FC

Questa è una sperimentazione clinica del farmaco orfano OligoG CF-5/20 per aiutare la pulizia delle vie aeree nella FC. I preparativi nel 2020, quando è iniziata la pandemia da Covid-19, erano a buon punto per questa sperimentazione clinica nei paesi di tutta Europa. Tuttavia, la disponibilità di nuovi farmaci modulatori della CFTR per le persone con fibrosi cistica in alcuni paesi europei ha cambiato il panorama terapeutico nel trattamento della fibrosi cistica. Pertanto AlgiPharma e i ricercatori clinici del consorzio di studio hanno deciso di sospendere ulteriori preparativi e di interrompere il progetto HORIZON 2020. È necessaria un'ampia rielaborazione di un nuovo disegno di prova con OligoG per adattarsi al nuovo panorama di trattamento della FC oltre l'ambito e la durata dell'attuale sovvenzione dell'UE.

<https://oligogpivotalcf.eu/>



Questo progetto ha ricevuto finanziamenti dall'Innovative Medicines Initiative 2 Joint Undertaking nell'ambito della convenzione di sovvenzione n. 777389. L'impresa comune riceve il sostegno del programma di ricerca e innovazione Orizzonte 2020 dell'Unione europea e dell'EFPIA.

Rete di collaborazione per le sperimentazioni cliniche europee per bambini (c4c)

c4c sta facilitando farmaci nuovi e più sicuri per i bambini costruendo una rete europea per le sperimentazioni cliniche pediatriche (in tutte le malattie, non solo FC).

Il nostro ruolo in questo vasto progetto è nel pacchetto di lavoro educativo. Nel 2020, abbiamo contribuito a rivedere e adattare alcuni corsi di formazione clinici generali alle sperimentazioni cliniche pediatriche. Durante la preparazione del rapporto annuale (marzo 2022), abbiamo ricevuto la notizia che il processo cASPerCF è terminato prematuramente.

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

<https://conect4children.org/>



Progetti di ricerca europei

ECFS-CTN è partner di parecchi progetti europei



Questo progetto ha ricevuto finanziamenti dal programma di ricerca e innovazione Orizzonte 2020 dell'Unione Europea nell'ambito della convenzione di sovvenzione n. 755021.

Il progetto HIT-CF-Europe

HIT-CF Europe è un progetto di ricerca che mira a fornire un trattamento e una vita migliore per le persone con FC e mutazioni rare. Per fare ciò, i farmaci candidati di diverse aziende vengono testati in laboratorio su mini-intestini derivati dai pazienti (chiamati organoidi). In secondo luogo, in base alla reazione negli organoidi, un gruppo più piccolo di pazienti sarà assegnato a studi clinici con i farmaci candidati. Tutti i siti partecipanti fanno parte dell'ECFS-CTN.

Nel 2020, nonostante Covid-19, gli organoidi sono stati sottoposti a screening con il farmaco modulatore CFTR candidato di Proteostasis Therapeutics, Inc. (PTI). I piani per la sperimentazione clinica (denominati "CHOICES") sono progrediti e saranno invitati a partecipare 52 pazienti i cui organoidi mostrano una varietà di risposte.

La comunità HIT-CF ha dovuto fare i conti con la caratteristica alta volatilità delle industrie biotecnologiche e farmaceutiche. Nel dicembre 2020, PTI si è fusa con Yumanity Therapeutics, che ora è il proprietario formale del portafoglio CF ed Eloxx si è fusa con Zikani. Il consorzio HIT-CF è fiducioso che questi nuovi partner sosterranno pienamente gli sforzi della comunità per portare nuovi farmaci alle persone con FC con mutazioni ultrarare.

<https://www.hitcf.org>



European Reference Network-LUNG

ECFS-CTN è una rete centrale all'interno di ERN-LUNG e fornisce consulenza a gruppi che stanno creando nuove reti di sperimentazioni cliniche per altre malattie polmonari.

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

Progetti di ricerca europei

Novità da HIT-CF

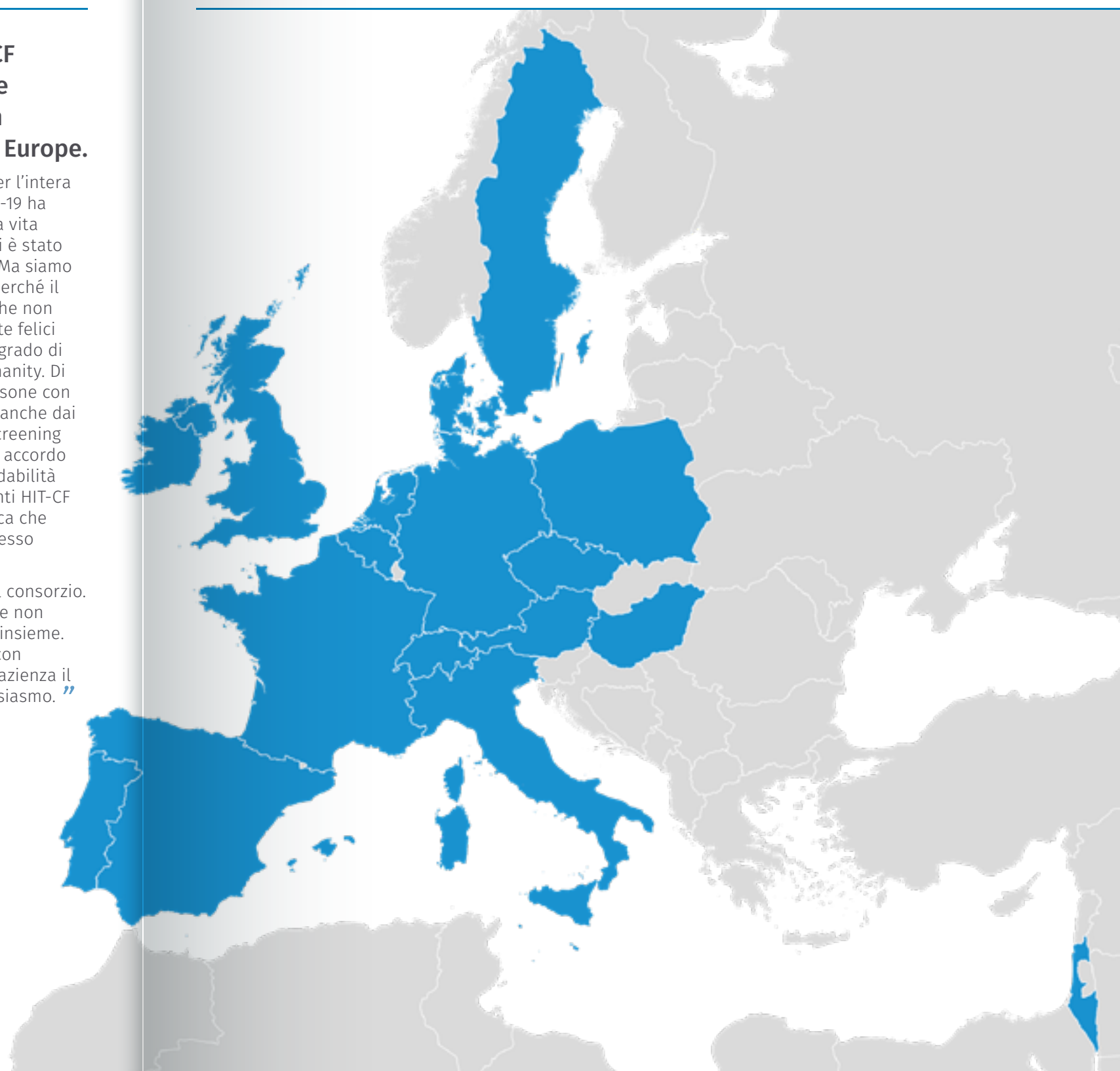


Elise Lammertyn,
Direttore della ricerca di CF Europe

Elise Lammertyn è a capo della ricerca presso CF Europe, l'organizzazione europea ombrello delle organizzazioni nazionali di pazienti. Fornisce un aggiornamento su HIT-CF dal punto di vista di CF Europe.

“ Il 2021 è stato un anno impegnativo sia per il team HIT-CF che per l'intera comunità CF, che ha richiesto molta flessibilità e creatività. Il Covid-19 ha continuato a mettere alla prova la nostra pazienza, sia nella nostra vita personale che professionale. Il fatto che non potessimo incontrarci è stato frustrante e ci ha fatto andare avanti più lentamente del previsto. Ma siamo andati avanti! Alla fine del 2020, il progetto CHOICES era a rischio perché il partner industriale di HIT-CF Proteostasis si è fuso con Yumanity, che non si concentrava sulla FC. Tuttavia, nel 2021, siamo stati estremamente felici di accogliere la start-up olandese FAIR Therapeutics. Sono stati in grado di ottenere una licenza esclusiva sul portafoglio di farmaci CF da Yumanity. Di conseguenza, FAIR Therapeutics ha deciso di portare farmaci a persone con forme rare di FC a prezzi accessibili. Buone notizie ci sono arrivate anche dai nostri team nei laboratori: hanno ottenuto ottimi risultati con lo screening primario e secondario sugli organoidi. Non solo c'era un eccellente accordo tra il primo e il secondo screening, che sottolinea fortemente l'affidabilità dei risultati, ma anche un certo numero di organoidi dei partecipanti HIT-CF rispondeva abbastanza bene ai modulatori CFTR testati. Ciò significa che siamo tutti pronti per iniziare il prossimo capitolo di HIT-CF: il processo CHOICES, per il quale i preparativi sono in pieno svolgimento.

In CF Europe, siamo anche molto contenti che Santhera si unisca al consorzio. Ciò offre opzioni e alternative ai partecipanti HIT-CF il cui organoide non ha risposto bene ai modulatori del test e alla comunità CF nel suo insieme. Attendiamo con impazienza i primi risultati del loro studio clinico con lonodelestat, inibitore dell'elastasi neutrofila. Attendiamo con impazienza il 2022 con grande fiducia e speriamo che condividiate il nostro entusiasmo. ”



Report finanziario 2021

Spese e ricavi

ECFS-CTN è finanziato da sovvenzioni e dai servizi scientifici offerti alle case farmaceutiche.

ECFS-CTN aiuta le aziende farmaceutiche a migliorare la progettazione degli studi clinici. È importante che non dipendiamo finanziariamente dalle aziende farmaceutiche in modo da non avere conflitti di interesse quando forniamo consulenza scientifica sulle sperimentazioni cliniche. Pertanto, limitiamo le nostre entrate dai servizi al settore farmaceutico e contiamo sul generoso supporto di altre parti interessate per colmare il deficit. ECFS-CTN è grato alle seguenti organizzazioni per aver finanziato il nostro lavoro nel 2020: CFF e organizzazioni europee di pazienti (da Francia, Germania, Regno Unito, Italia, Belgio, Paesi Bassi, Lussemburgo e Svizzera). Ringraziamo anche CF Europe per aver coordinato i contributi delle organizzazioni nazionali di pazienti.



Report finanziario 2021

Spese e ricavi

Riflette anno contabile 1 Gen – 31 Dic 2021:

CTN - Entrate ed uscite 2021	Euro €
Supporto a ECFS	100,000.00
Associazioni nazionali FC	113,750.00
Servizi offerti alle aziende	233,432.81
Progetti EU	37,769.60
LCI Core Centre	59,407.28
Licenza del Sistema Trial Management	3,516.72
Totale Ricavi	547,876.41
Risorse umane	355,483.04
Supporto al coordinamento Chest CT	25,912.70
Viaggi / Riunioni / Corsi	720.60
Sviluppo di software / Mantenimento	1,089.00
Manoscritti	1,331.25
Server dedicato	12,522.29
Attrezzatura da ufficio	1,452.67
Relazione annuale del designer	2,550.00
Strumenti online per gli abbonamenti	820.72
Altro	168.22
Totale Spese	402,050.49
Risultato CTN 2021	
Risultato annuale	145,825.92

Appendice

Studi supportati da ECFS-CTN nel 2021

Ripristino della funzione CFTR

New

Phase 2 study of Galicaftr/Navocaftr/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-IFIAMMATORI



ANTI-INFETTIVI

New

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

New

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)



CLEARANCE MUCOCILIARE

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)

ALTRI

New

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

New

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.

New

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

New

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

New

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

New

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