

# 2019/

## Rapport annuel du réseau Européen de Recherche Clinique



[www.ecfs.eu/ctn](http://www.ecfs.eu/ctn)  
[ecfs-ctn@uzleuven.be](mailto:ecfs-ctn@uzleuven.be)  
Tel : +32-479 983839

# Sommaire

Editorial de la directrice du Réseau Européen de Recherche Clinique (acronyme anglais: CTN)	3
Essais cliniques et CTN	6
Qu'est-ce qu'un essai clinique?	
Comment le réseau européen facilite-t-il la recherche?	
Comment a été créé ce réseau européen?	
Structure et gouvernance du CTN	8
Quels sont les centres impliqués et pourquoi?	
Joindre le réseau européen de recherche Clinique	10
Gouvernance du réseau européen de recherche Clinique	11
Financement	12
Les activités du réseau	14
Révision des protocoles	14
Standardisation des procédures et des mesures dans les essais cliniques	20
Outils d'auto-évaluation destinés aux patients (PROMS « Patient Reported Outcome Measures »)	21
Etudes de faisabilité	26
Autres activités	27
Essais cliniques en cours au sein du réseau en 2019	28
Projets de recherche européens	30
Rapport financier 2019	32
Annexe – études soutenues par le réseau européen (en anglais)	34



# Editorial de la directrice du Réseau Européen de Recherche Clinique



Madame Silke van Koningsbruggen-Rietschel

Directrice du CTN

Chers Amis,

Nous sommes heureux de partager avec vous le rapport annuel 2019 du Réseau de Recherche Clinique de la Société Européenne de Mucoviscidose (European Cystic Fibrosis Society – Clinical Trial Network (ECFS-CTN)).

Ce rapport vous donne un aperçu de notre travail en 2019, y compris des informations générales sur le rôle du CTN, les activités spécifiques au sein de notre réseau, une liste de tous les essais cliniques menés via notre réseau et une description des différents projets européens pour ne citer que les sujets les plus importants.

Ce rapport annuel est le fruit d'une excellente collaboration avec les patients et les associations de patients qui ont fourni de très précieuses idées. Les différentes citations des patients soulignent le travail important qui a été

effectué au sein du réseau. Une nouvelle collaboration a été lancée avec CF Europe (fédération d'association de patients), axée sur les résultats des essais cliniques et leur diffusion. Par ailleurs, le projet sur les outils d'auto-évaluation par les patients ou PROMS (Patient Reported Outcome Measures), progresse avec succès sous la direction de Kate Hayes. Merci beaucoup à vous tous pour votre formidable engagement.

2019 a été une année très riche: 26 études ont été réalisées dans notre réseau, 15 protocoles ont été passés en revue, et 11 études de faisabilité ont été gérées. La plupart des études étaient des études de phase III montrant la progression réussie des composés en cours de développement ; cependant, de nombreuses études de phase I et II ont également été menées pour faire progresser de nouveaux composés dans leur développement clinique.

Nous avons tous travaillé très dur en 2019 et avons franchi des étapes importantes de notre mission : nous avons intensifié la recherche clinique sur la mucoviscidose et nous aurons, encore une fois, apporté un nouveau traitement à nos patients dès que la trithérapie aura une autorisation de mise sur le marché (AMM) en Europe. Bien que cette trithérapie soit une étape majeure, nous n'avons pas terminé ! L'objectif ultime est de restaurer la fonction de la protéine CFTR chez chaque patient (indépendamment de sa mutation ou de son pays d'origine), mais aussi de réduire l'infection et l'inflammation chronique restantes. Dans un avenir proche, de nombreux composés devraient passer de la phase préclinique à la phase clin-

ique précoce, ce qui nécessitera notre plein engagement : modulateurs CFTR à plus grande efficacité, oligonucléotides antisens (ASO), thérapies géniques, ARN thérapies, agents pour contrer la présence d'une mutation stop, agents bloquants de canaux épithéliaux à sodium, agents activant les canaux alternatifs du chlorure, composés anti-inflammatoires, antibiotiques, agents de rupture du biofilm, etc. Par conséquent, nous serons tous encore très occupés !

Pour faire face à ces défis futurs, notre réseau s'étendra à 58 sites dans 17 pays européens qui ensemble prennent en charge à peu près 22 000 patients atteints de la mucoviscidose. Adrien Halasz de Budapest (Hongrie), coordinateur principal d'un nouveau site, expliquera ce que signifie devenir membre du réseau.

Nous remercions chaleureusement les organisations suivantes pour le financement durable et fiable de notre réseau: les associations de patients européennes de France, du Royaume-Uni, d'Italie, de Belgique, des Pays-Bas, de Suisse, du

**“Ce rapport est à nouveau le résultat d'une excellente collaboration avec les patients et les associations de patients.”**

Luxembourg et d'Allemagne, ainsi que la Société européenne de mucoviscidose (ECFS). Nous sommes également très reconnaissants à la fondation américaine « Cystic Fibrosis Foundation » (CFF) pour son soutien financier général à la création de moyens de recherche supplémentaires au sein de plusieurs de nos sites ainsi qu'au centre coordinateur du CTN à Louvain, en Belgique. La gestion de données complexes et l'élaboration de cet excellent rapport n'aurait pas été possible sans Fiona Dunlevy – responsable qualité du réseau. Nous tenons à la remercier pour son formidable travail dans le réseau.

Notre réseau n'aurait pas pu atteindre ce niveau de réussite sans une équipe très compétente. Ainsi, je tiens également à remercier l'équipe de coordination Veerle Bulteel, Anne Verbrugge et Katia Reeber, pour leur travail remarquable, ainsi que les membres du Comité exécutif Damian Downey, Lieven Dupont, Dorota Sands, Nick Simmonds, Nadine Dufeu et Paola de Carli, pour leurs conseils et soutien infailibles. Enfin et surtout, le CTN ne serait pas aussi performante sans votre engagement loyal.

Gardons le cap et poursuivons cet excellent travail d'équipe pour développer de nouvelles thérapies pour tous nos patients!

N'hésitez pas à nous faire part de vos commentaires sur ce rapport et à nous indiquer les éléments que vous aimeriez voir apparaître dans les prochaines éditions.



Bien à vous,

Silke van Koningsbruggen-Rietschel  
Directrice du Réseau Européen de Recherche Clinique

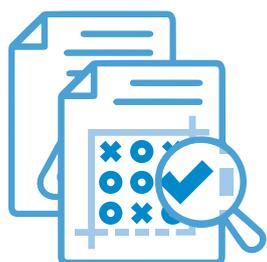
Télécharger le rapport original en anglais  
en PDF  
[www.ecfs.eu/ctn](http://www.ecfs.eu/ctn)



# 2019 NOTRE ANNÉE EN CHIFFRES



10<sup>e</sup> anniversaire du CTN



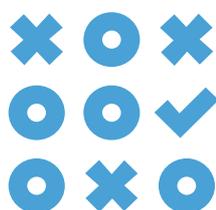
2 ARTICLES scientifiques publiés sur les évaluations dans les essais



475 nouveaux patients inclus dans les essais cliniques



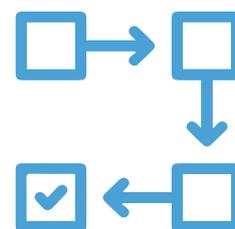
Études de faisabilité pour 11 essais cliniques



3



projets européens en cours



15 protocoles

Le CTN s'agrandit 15 nouveaux sites dans 11 pays



26 essais cliniques soutenus en cours

proposés par 9 laboratoires pharmaceutiques, révisés par des patients, des proches, des docteurs, des attachés de recherche clinique et des statisticiens

Restauration de la fonction CFTR (22)

Infection / inflammation (1)

Clairance mucociliaire (3)

# Essais cliniques et CTN

## Comment cela fonctionne-t-il?

Qu'est-ce qu'un essai clinique?

Dans un essai clinique, des personnes en bonne santé et/ou des patients prennent un candidat-médicament pour aider à évaluer s'il est sûr et efficace dans le traitement de la maladie dont sont atteints les patients.

Où trouver plus d'information sur les essais cliniques?

Consultez [cette brochure](#) conçue par Vaincre la Mucoviscidose.

Et n'hésitez pas à contacter Vaincre la Mucoviscidose: [recherche@vaincrelamuco.org](mailto:recherche@vaincrelamuco.org) ou l'Association Muco : [elise@muco.be](mailto:elise@muco.be)

Tous les médicaments, y compris ceux contre la mucoviscidose, font l'objet de plusieurs essais cliniques de la phase 1 à la phase 3. Une fois le médicament autorisé sur le marché, les essais de sécurité "en vie réelle" se poursuivent dans le cadre d'essais de phase 4. Nous travaillons avec le registre européen des patients pour les essais de phase 4.



# Le réseau de recherche clinique de la Société européenne de mucoviscidose

## Nos missions

### Comment le réseau européen facilite-t-il la recherche?

L'objectif du réseau est d'intensifier la recherche clinique dans le domaine de la mucoviscidose et d'apporter le plus rapidement possible de nouveaux médicaments aux patients.



Accroître la coopération au sein de la communauté « muco » (patients, proches, associations de patients, industrie pharmaceutique, soignants et chercheurs).



Partager l'expertise entre les pays afin d'homogénéiser les procédures et les évaluations dans la recherche.



Soutenir les sites du réseau en cas de problèmes avec les essais cliniques.



Encourager la recherche de pointe en formant le personnel et en suivant les performances du site.

### Quand le réseau européen est-il né?

Il a été créé en 2008 par la Société Européenne de Mucoviscidose et EuroCareCF et financé par l'Union Européenne. La Fondation américaine (Cystic Fibrosis Foundation) avait déjà mis en place un réseau d'essais cliniques aux Etats-Unis (CFF-Therapeutic Drug Development Network (CFF-TDN)) et a apporté une aide considérable dans la mise en place des procédures au niveau européen.

# Structure du réseau

## L'organisation

### Quels sont les sites impliqués et pourquoi?

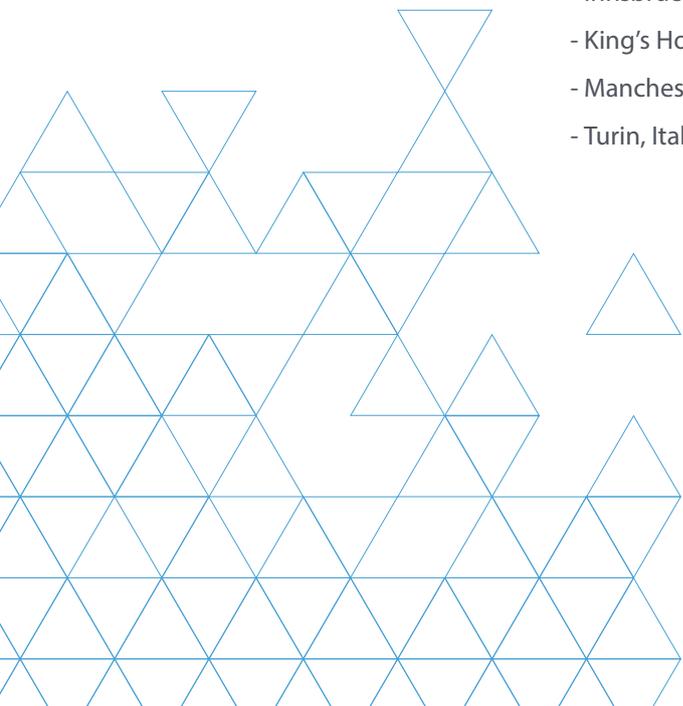
Et si ma ville n'est pas sur la carte? Puis-je quand même participer à des essais?

Renseignez-vous auprès de votre centre de soins sur les essais cliniques en cours dans votre région. Si vous habitez en France vous pouvez également consulter [le répertoire des essais cliniques en France](#).

En 2019, il y a 43 sites au sein du réseau dans 15 pays d'Europe + Israël. Les sites membres ont une solide expérience des essais cliniques, un personnel hautement qualifié et une bonne infrastructure. Consultez la carte à la page suivante pour connaître les sites concernés.

Nous avons lancé un appel à candidature pour inviter de nouveaux sites à rejoindre le réseau en 2018. Après avoir soigneusement évalué les candidatures, nous avons sélectionné 15 nouveaux sites dans 11 pays pour devenir des sites officiels membres du CTN à partir de janvier 2020. Nous sommes heureux de accueillir les sites suivants au sein de l'ECFS-CTN:

- Amsterdam, Pays-Bas
- Berne, Suisse
- Brno, République Tchèque
- Bruxelles, Belgique
- Budapest, Hongrie
- Cardiff, Royaume-Uni
- Hôpitaux pour enfants St Vincents et Notre-Dame, Dublin, Irlande
- Gand, Belgique
- Glasgow, Royaume-Uni
- Grenoble, France
- Heidelberg, Allemagne
- Innsbruck, Autriche
- King's Hospital London, Royaume-Uni
- Manchester, Royaume-Uni
- Turin, Italie



# Nos sites

-  Sites membres du CTN
-  Nouveaux sites membres du CTN
-  Pays membres du CTN
-  Nouveaux pays membres du CTN



- Amsterdam
- Barcelone
- Belfast
- Berlin
- Bern
- Birmingham
- Bordeaux/Toulouse
- Brno
- Bruxelles UZB
- Bruxelles ULB
- Budapest
- Cambridge
- Cardiff
- Cologne
- Copenhague
- Dublin
- Dublin (Vincent's & Our Lady's)
- Essen/ Bochum
- Florence
- Francfort
- Gênes
- Gand
- Glasgow
- Göteborg
- Grenoble
- Hanovre
- Heidelberg
- Iéna
- Jérusalem
- Leeds
- Louvain
- Lille
- Lisbonne
- Londres
- Londres Kings
- Lyon
- Manchester
- Milan
- Mucomed (Montpellier, Marseille, Nice)
- Munich
- Nottingham
- Paris (Hôpitaux Cochin, R. Debré et Necker)
- Petah Tikva
- Prague
- Reims
- Rome Bambino Gesù
- Rome Sapenzia
- France Nord-Ouest (Roscoff, Rennes et Nantes)
- Rotterdam
- Rouen
- Southampton
- Stockholm
- Turin
- Utrecht
- Vérone
- Varsovie
- Zurich

# Joindre le réseau

## Un nouveau site explique pourquoi ils ont rejoint le réseau



Adrien Halász,  
Coordinateur principal du site de  
Budapest

### 1. Pourquoi avez-vous été motivé à rejoindre l'ECFS-CTN?

Avec le soutien financier du gouvernement hongrois, en 2015, un nouveau centre de mucoviscidose a été construit à l'Institut national Koranyi de pneumologie à Budapest, en Hongrie. En raison du nombre croissant d'adultes au sein de la population hongroise atteints de mucoviscidose, il y avait un grand besoin de développer les soins aux adultes « muco ». Comme nous avons créé le centre pour les patients, nous avons immédiatement reconnu que nous devons travailler en étroite collaboration avec l'association de patients atteints de mucoviscidose, si nous voulions comprendre leurs besoins et y répondre. Dès le début, nous avons toujours discuté de chaque décision importante avec nos patients, et nous avons réalisé nos projets de développement par le biais de demandes conjointes d'aides financières. Dans le but d'offrir les meilleurs soins aux patients atteints de mucoviscidose, nous avons organisé notre centre « muco » en suivant strictement les directives de l'ECFS. En même temps, nous avons reconnu qu'il ne suffisait pas d'obtenir des instruments médicaux, des équipements et des médicaments de pointe pour le traitement de la maladie, mais qu'il fallait aussi acquérir des connaissances actualisées et comprendre les nouvelles possibilités d'amélioration des traitements. Nous avons réalisé que l'augmentation des connaissances ne peut pas seulement être acquise par nos propres découvertes et expériences, mais aussi par la communauté internationale des experts. Outre l'accès aux médicaments les plus récents pour nos patients, c'est la principale raison qui nous a motivés à rejoindre l'ECFS-CTN.

Lorsque nous avons commencé notre travail dans le nouveau centre « muco », 80 patients atteints de mucoviscidose étaient traités à l'hôpital. Aujourd'hui, nous avons 140 patients, ce qui représente plus des deux tiers de la population adulte hongroise atteinte de mucoviscidose. Nous sommes devenus le plus grand centre « muco » de Hongrie.

### 2. Quels avantages espérez-vous retirer de votre adhésion à l'ECFS-CTN pour vos patients?

La qualité de vie des patients atteints de mucoviscidose dépend principalement de leur traitement. Nous nous considérons chanceux en Hongrie car nos patients atteints de mucoviscidose reçoivent leurs médicaments gratuitement. Le Pulmozyme, les antibiotiques inhalés et les médicaments quotidiens sont tous fournis. Des négociations sont également en cours sur les modulateurs de la protéine CFTR. Mais comme le nombre de nouveaux médicaments contre la mucoviscidose ne cesse d'augmenter, il est de plus en plus difficile d'accéder rapidement à ces produits. La seule façon d'y parvenir est de participer à des essais cliniques. Nos patients ont souvent l'impression de ne pas avoir de temps à perdre, et des médicaments efficaces doivent être administrés dès que possible. Comme la plupart de nos patients sont de jeunes adultes, ils se renseignent sur les nouveaux médicaments et sont impatients de les obtenir. Ils connaissent les essais cliniques, savent comment ils peuvent changer leur vie et sont prêts à y participer. En adhérant à l'ECFS-CTN, nos patients ont la possibilité de recevoir les médicaments les plus récents, ou d'y renoncer s'ils ont des doutes.. Nous pouvons donc leur donner le choix et le pouvoir de décider de leur propre traitement.

Nous sommes fiers d'avoir été choisis comme membre de l'ECFS-CTN et nous sommes convaincus que cette adhésion sera bénéfique pour nos patients atteints de mucoviscidose en leur donnant accès au meilleur traitement disponible.

# Gouvernement du réseau

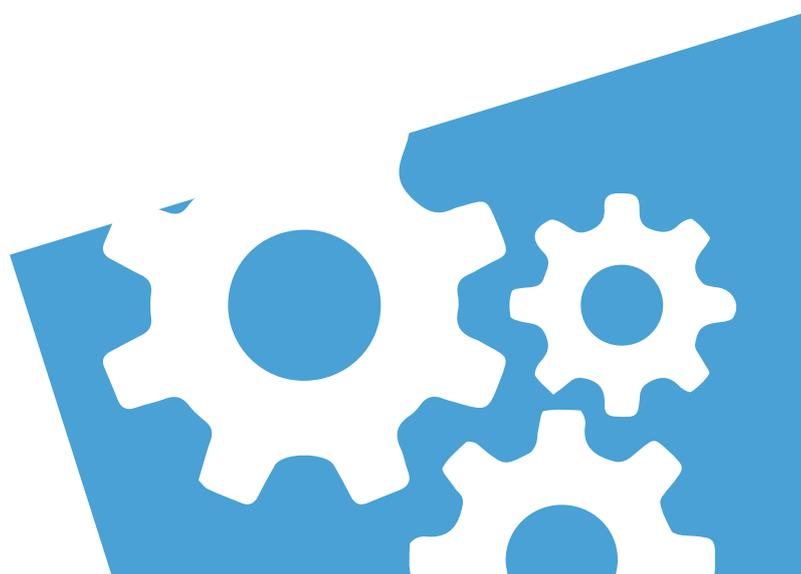
## L'organisation

### Comment est-ce que le réseau fonctionne?

ECFS-CTN est un projet de l'ECFS et est géré par:

- un Comité exécutif (6 médecins de différents pays et 1 représentant des associations de patients) qui se réunit par téléconférence deux fois par mois. Ils élaborent les politiques du réseau, dirigent les actions vers les différents comités et approuvent (ou non) les essais cliniques à réaliser au sein du réseau suite à la révision des protocoles.
- le Comité de direction (CoDir) est composé d'un médecin de chaque site membre, d'un représentant de chacune des associations de patients contributrices, de membres du Comité exécutif et du personnel du réseau. Les membres du CoDir se rencontrent en personne deux fois par an pour discuter des activités, des stratégies et des défis communs du réseau.

Le Centre de coordination compte 5 employés qui organisent les activités quotidiennes du réseau et soutiennent les différents comités dans l'accomplissement de leurs tâches.



# Financement

## Maintenir l'indépendance

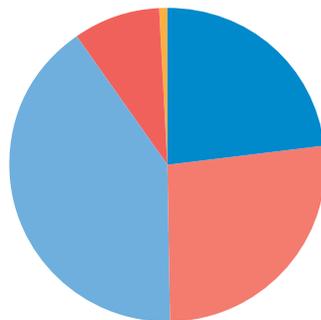
Le réseau est financé par des subventions et par la facturation d'honoraires pour les services scientifiques rendus aux laboratoires pharmaceutiques.

Le réseau aide les compagnies pharmaceutiques à améliorer la conception de leurs essais cliniques. Il est important que nous ne dépendions pas financièrement des sociétés pharmaceutiques afin de ne pas nous trouver en situation de conflit d'intérêts lorsque nous donnons des avis scientifiques sur des essais cliniques. C'est pourquoi nous limitons nos revenus sur les services aux entreprises et comptons sur le généreux soutien de la Société européenne et des associations de patients.

Le réseau remercie les organisations suivantes pour le financement de son travail en 2019: la Société européenne, la Fondation américaine et les associations de patients européennes (France, Allemagne, Royaume-Uni, Italie, Belgique, Pays-Bas, Luxembourg et Suisse). Nous remercions également CF Europe qui assure la coordination des contributions des associations de patients..

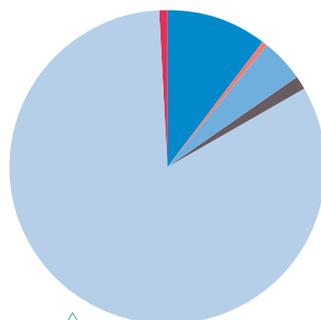
Notre rapport financier 2019 est disponible à la fin de ce document.

### Revenus



- Soutien de la Société européenne (ECFS)
- Associations de patients nationales
- Services aux entreprises
- Indice de clairance pulmonaire (Lung clearance index – LCI)
- Autres revenus

### Dépenses



- Réunions et déplacements
- Système d'information
- Logiciel de gestion des essais
- Essai initié par un investigateur: TORPEDO
- Ressources humaines
- Publications

“Si un jour le médicament arrive aux patients, je serai heureuse de leur dire que grâce à moi, vous avez ce médicament. J’ai l’impression que, depuis quelques années, les patients voient arriver de nouveaux médicaments et qu’ils se disent: “ Et moi, qu’en est-il de ma mutation? Alors ils vont chercher des essais. Il y a quelques années, ce n’était pas du tout comme ça, les patients attendaient que le nouveau médicament arrive. Maintenant, ce sont plutôt les patients qui cherchent les informations. Ils sont très enthousiastes au sujet des essais cliniques en ce moment - ils savent que les choses bougent et ils veulent participer”

Audrey, atteinte de mucoviscidose, France

# Activités du CTN

## Ce que nous faisons

### Révision des protocoles

Un essai clinique doit répondre à une question scientifique (exemple: le médicament est-il sans danger et efficace?), il doit être bien planifié afin que le personnel hospitalier puisse travailler efficacement, et ne doit pas requérir davantage que ce qui est raisonnable de la part des patients.

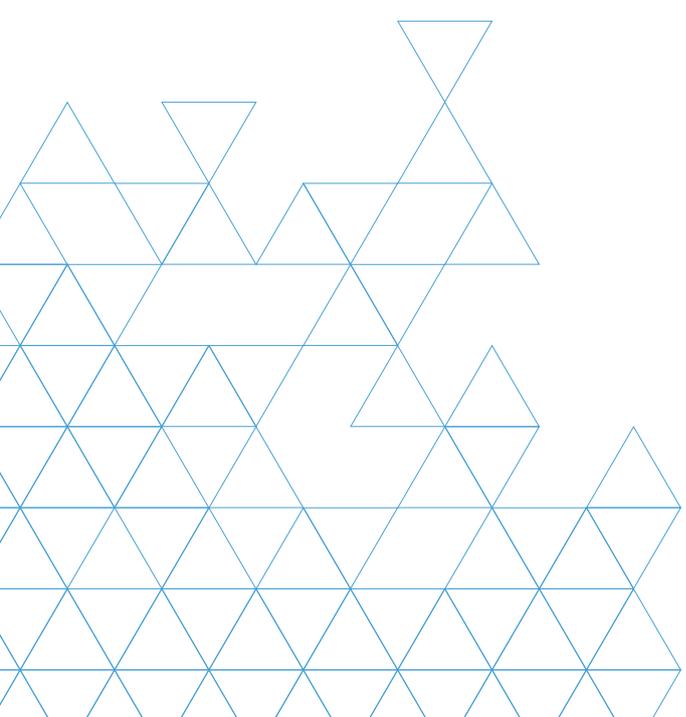
Notre système de révision des protocoles donne la parole aux patients dans l'établissement du programme de recherche et s'assure que les essais tiennent compte de l'expérience du patient.



Le protocole est le "manuel" d'un essai clinique. Il décrit en détail comment le médicament sera testé, comment les patients seront impliqués et comment les données seront analysées. L'entreprise pharmaceutique qui développe le médicament est responsable de la conception de l'essai clinique et de la rédaction du protocole.



La conception d'un bon essai clinique est un travail d'équipe et nécessite la participation de tous les principaux intervenants concernés - médecins, personnels de recherche clinique, statisticiens et, bien sûr, les patients et leurs familles.

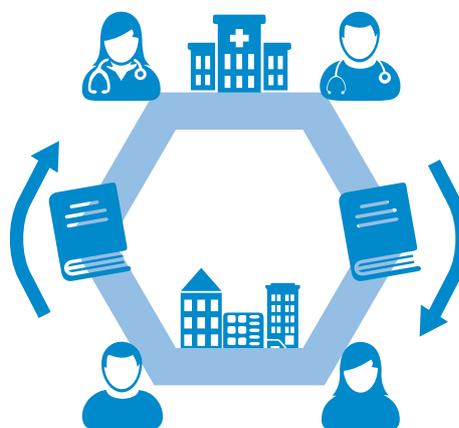


## Révision des protocoles

Au sein du réseau, nous coordonnons l'examen des nouveaux protocoles d'essais cliniques par des groupes d'experts constitués de médecins, d'attachés de recherche clinique, de chercheurs universitaires, de patients et de leurs familles

Ils vérifient que la question de recherche est valable, que le plan pratique est bien pensé et que les exigences de participation à l'essai sont raisonnables pour les patients.

Le réseau encourage fortement les promoteurs des essais à mettre à jour le protocole en fonction des conseils fournis lors de l'examen.



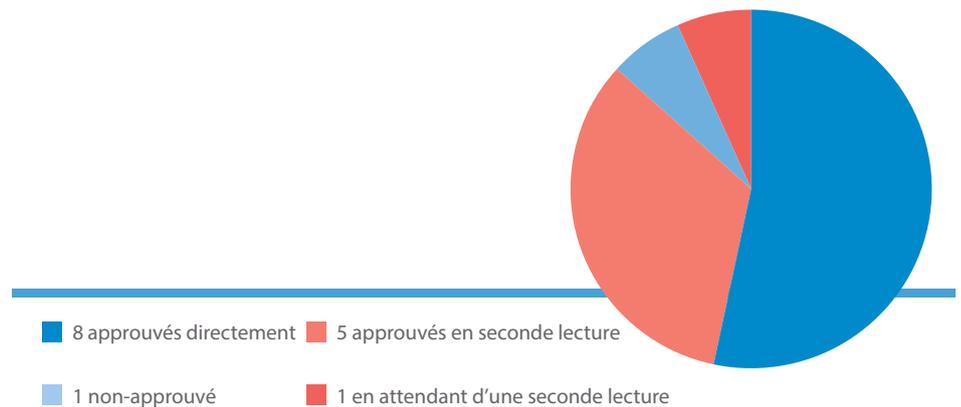
Les essais cliniques sur la mucoviscidose incluent souvent des patients de différentes villes, pays et même différents continents. Pour les essais prévus en Europe et aux États-Unis, une revue "globale" du protocole est parfois réalisée conjointement avec nos homologues américains du CFF-TDN et canadiens. En 2019, les trois réseaux ont collaboré pour améliorer et rationaliser ce processus.

# Activités du réseau

## Notre travail

### Révision des protocoles

En 2019, nous avons mené à bien l'examen de 15 protocoles proposés par 9 entreprises différentes. Nous avons demandé des clarifications ou des modifications pour 7 protocoles avant leur validation. Au total, 13 protocoles ont été approuvés, 1 n'a pas été adopté, et 1 est en attente d'un retour d'information de la part du sponsor et d'une seconde révision.



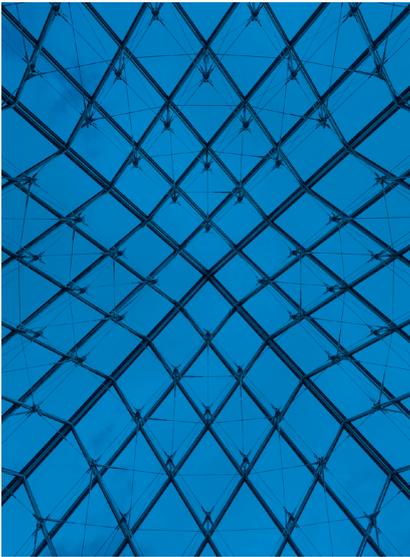
Lorsqu'un protocole est examiné et approuvé, nous informons tous les sites du réseau que le protocole a été examiné avec succès.

De plus, en 2019, 6 examinateurs atteints de mucoviscidose (ou proches de patients « muco ») de 4 pays ont rejoint le comité de révision des protocoles, portant le total à 23 examinateurs de la communauté « muco » de 11 pays. Nous sommes très reconnaissants à tous les examinateurs pour avoir partagé leur temps et leur expertise.



# Activités du réseau

**Marc**, originaire des Pays-Bas, vit avec la mucoviscidose et explique ce que c'est que d'être impliqué dans la révision d'un protocole



## Qu'est-ce qui vous a motivé à participer au comité de révision du protocole?

La science et les connaissances sur la mucoviscidose ont fait un grand pas dans la bonne direction ces dernières années. C'est une nouvelle fantastique pour tous les patients atteints de mucoviscidose. Cela pourrait nous redonner un avenir.

Quand j'étais jeune, les médecins ont dit à mes parents que je ne vivrais pas plus de 15 ans. Heureusement, ils avaient tort et ma santé s'est améliorée au cours des dernières années. Je pense que sans la science et le bon système de santé dont nous disposons en Europe, cela n'aurait pas été possible.

J'espère que ma contribution au comité de révision des protocoles aidera les experts et les médecins à résoudre l'énigme de la mucoviscidose et que les jeunes patients pourront jouir de la même santé que moi, voire d'une meilleure santé.

## Est-il difficile de lire un protocole scientifique?

Chaque protocole comporte un résumé où l'on explique en clair en quoi consiste l'étude. Ce résumé vous donne suffisamment d'informations pour lire l'intégralité du protocole et faire le lien entre les termes techniques approfondis et ce qui a été dit dans le résumé. Le premier protocole est le plus difficile. L'examen d'un protocole me prend environ 60 à 90 minutes, selon le sujet et la complexité de l'étude.

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

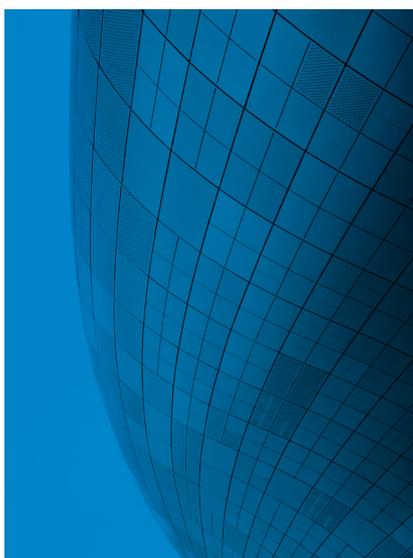
Chaque examen que je fais, j'en apprend davantage sur le monde qui se cache derrière la mucoviscidose. Cela me permet d'en savoir plus sur propre maladie et je trouve cela très fascinant

## Pourquoi est-il important qu'une personne atteinte de mucoviscidose, ou un proche d'un patient examine le protocole d'un essai clinique?

C'est très bien que les études soient examinées sous différents angles, je vois d'autres choses qu'un membre de la famille et eux aussi voit autre chose que moi. Ensemble, nous pourrions donner un avis global sur la manière d'améliorer une étude ou de la faire mieux accepter.

# Activités du réseau

## Bart, le parent d'une personne atteinte de mucoviscidose en Belgique, raconte son l'expérience de la révision des protocoles



### Ce qui vous a motivé à participer au comité de révision du protocole?

J'ai rejoint le comité de révision du protocole pour plusieurs raisons:

- la possibilité d'apporter une contribution (espérons-le) précieuse à la communauté muco (en contrepartie de l'excellence des soins que nous recevons sur une base)
- ta possibilité de représenter la voix d'un patient (ou d'un parent d'un patient)
- l'idée de former un contrepoids à l'approche purement scientifique d'un l'essai clinique (le "toucher humain")
- ta possibilité d'obtenir un aperçu unique (bien que sous la plus stricte confidentialité obligations) dans les efforts qui sont investis dans la recherche d'une traitement efficace de la mucoviscidose

### Est-il difficile de lire un protocole scientifique? Est-ce que c'est beaucoup de travail?

D'une part, il est bon de savoir que la structure d'un protocole est toujours similaire. Une fois que vous y êtes habitué, il n'est pas trop difficile de savoir quelles sont les parties les plus pertinentes à lire du point de vue du patient et celles que vous pouvez sauter. La formation que nous avons reçue avant de commencer à réviser a été très utile et pertinente à cet égard.

D'autre part, les protocoles sont généralement rédigés dans un langage scientifique, un jargon. Outre une connaissance de base des concepts et des termes les plus couramment utilisés, une bonne connaissance de l'anglais est également nécessaire pour avoir une compréhension suffisante du protocole.

Les protocoles sont souvent des documents assez longs. Bien que le modèle de formulaire contenant des questions directrices (mis à disposition par l'ECFS-CTN) aide à garder le cap, il faut rapidement quelques heures pour examiner les (parties pertinentes du) protocole et noter ses commentaires.

### Pourquoi est-il important que le protocole soit examiné par un membre de la famille?

Pour la simple raison que l'impact d'une étude sur le traitement déjà lourd d'un patient atteint de mucoviscidose ne semble pas être la première préoccupation des professionnels de la recherche scientifique. L'examen par un membre de la famille ajoute un peu d'empathie...

L'importance de la voix du patient ne peut être surestimée. Je me demande parfois si nous avons vraiment un impact sur les protocoles d'étude. Une comparaison "avant" et "après" serait très éclairante à cet égard ;-)

# Activités du réseau

## Notre travail

Standardisation des procédures et des évaluations dans les essais cliniques

Nous avons publié 2 nouveaux articles en 2019:

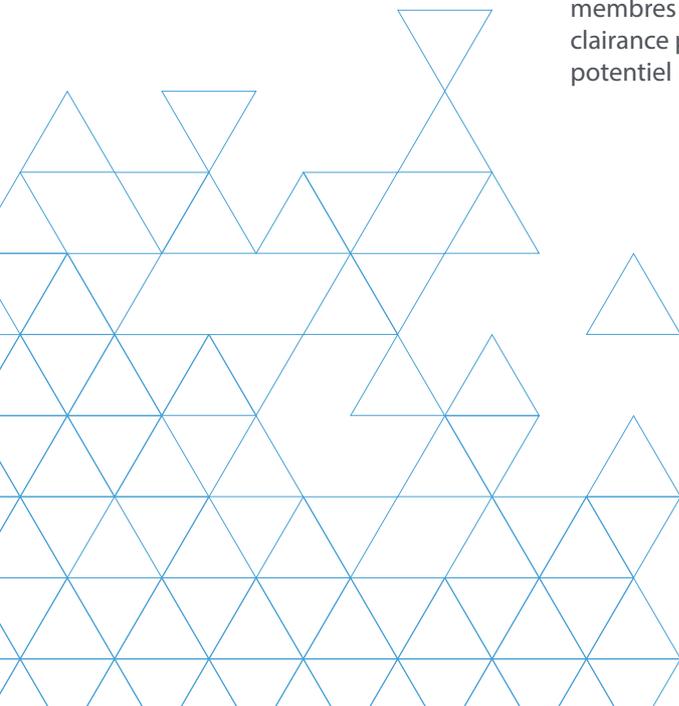
un sur *Pseudomonas aeruginosa* et  
un sur les scanners thoraciques

En recherche, il est important que tous travaillent de la même manière, afin que les résultats des essais cliniques soient fiables et comparables entre les différents essais.

Le réseau rassemble des experts de toute l'Europe pour définir la meilleure approche pour réaliser des tests et des mesures cliniques dans le cadre d'essais cliniques. Nous travaillons également en collaboration avec nos collègues américains et canadiens sur certains projets.

Le Comité de standardisation du réseau a produit 37 procédures et publié 12 articles dans des revues scientifiques. Nous avons également élaboré un dépliant d'information à l'intention des patients et des soignants sur le test de la sueur (disponible en 17 langues) et un autre avec des conseils sur l'expectoration induite chez les enfants (dans d'autres langues – désormais disponible en 14 langues depuis 2019).

Le réseau soutient également la formation et la certification du personnel des sites membres pour réaliser les mesures suivantes au cours d'essais cliniques: indice de clairance pulmonaire, scanner thoracique contrôlé par spirométrie, différence de potentiel nasal, test de la sueur et mesure du courant intestinal.





# PROMS

## Patient Reported Outcomes:

Outils d'auto-évaluation destinés aux patients

## Actualités 2019

En 2017, le réseau a lancé un projet, en collaboration avec les associations de patients, visant à élaborer des outils (PROMs) pour permettre aux patients d'évaluer eux-mêmes leur perception vis-à-vis des traitements et leur qualité de vie en général.

Les PROMs couvrent des questions qui préoccupent les patients et des données qui peuvent souvent être recueillies au moyen de questionnaires autogérés. Ils sont d'une importance particulière car ils fournissent des informations personnalisées pertinentes sur la vie quotidienne des patients qui ne peuvent pas être reflétées par les mesures cliniques habituelles. Cela peut inclure des mesures de la qualité de vie des patients comme la résilience, les stratégies d'adaptation et la perception de leur avenir et de leur maladie. Dans un essai clinique, les PROMs constituent un moyen fiable d'obtenir le point de vue des patients sur les avantages et les limites d'un traitement spécifique.

Une enquête a été menée en 2019 auprès de tous les sites du réseau afin d'évaluer quels outils de qualité de vie/déclaration de symptômes sont utilisés dans la pratique clinique actuelle. 120 entretiens ont également été menés avec des personnes atteintes de mucoviscidose et leurs soignants. Les résultats de ces deux projets vont donner lieu à une publication scientifique intitulée: « Il faut continuer à poser des questions: Patient Reported Outcome Measures in Cystic Fibrosis: A Qualitative Study of People with Cystic Fibrosis and their Caregivers ».

En 2019, l'ECFS-CTN a poursuivi le travail (commencé en 2018) avec les associations de patients à travers CF Europe pour explorer les priorités des patients et approfondir les questions identifiées par les patients. Pour ce faire, nous avons formé un groupe consultatif composé de personnes atteintes de mucoviscidose, de membres de leur famille et des représentants de l'ECFS-CTN et de CF Europe. Au cours de conférences téléphoniques mensuelles, les questionnaires de qualité de vie existants ont été évalués et des propositions d'amélioration ont été discutées. Cette approche pratique a permis de formuler des recommandations sur la manière d'évaluer les résultats rapportés par les patients, d'abord dans le cadre d'essais cliniques, puis lors de visites de routine dans les centres de soins. Un projet de questionnaire spécifique à la mucoviscidose a été élaboré et les prochaines étapes consistent à le tester à plus grande échelle.



Nous sommes toujours à la recherche de patients et de soignants enthousiastes et motivés pour nous aider à orienter nos recherches. Si vous souhaitez participer à ce projet centré sur les patients, veuillez contacter Kate Hayes ([k.hayes@qub.ac.uk](mailto:k.hayes@qub.ac.uk)) en écrivant en anglais

# Activités du réseau

Diana, une personne allemande atteinte de mucoviscidose, explique ce que c'est d'être impliqué dans le projet PROMS

## PROMS

Comment vous êtes-vous impliquée dans le groupe consultatif de patients/PROMs projet?

L'association allemande de la mucoviscidose, Mukoviszidose e.V., m'a demandé si je serais intéressée par un travail au sein d'une équipe multidisciplinaire dans le cadre d'un projet européen très important. Ils recherchaient des personnes atteintes de mucoviscidose ayant un certain niveau de compréhension, de bonnes connaissances de l'anglais et une expérience de la maladie. Je fais partie du conseil d'administration fédéral de l'association et j'étais à l'époque la plupart du temps chez moi à attendre ma retraite. Et bien sûr, le fait d'être moi-même atteint de mucoviscidose et d'avoir déjà subi deux doubles transplantations pulmonaires pouvait aider. :-)

Qu'est-ce qui vous a motivé à participer?

Les questionnaires PRO sont très importants et devraient l'être encore plus. Une bonne fonction pulmonaire et des valeurs sanguines relativement normales vous aident à vous sentir plus confiant, mais la plupart du temps, vous remarquerez une amélioration ou un déclin d'une manière plus subtile qui ne peut être mesurée avec précision lors d'un examen dans un centre de soins. De plus, les "anciens" questionnaires les plus utilisés font beaucoup de comparaisons et je déteste tout simplement ce fait. L'amélioration ou le déclin doit toujours être un sentiment personnel et ne doit en aucun cas être lié au niveau de performance des autres.

Qu'implique votre participation à ce groupe de travail? (Que se passe-t-il?)

Le début a été un peu difficile pour moi, pour être honnête. Je suis connue pour ma nature très prévoyante et lors des premières réunions, je ne voyais pas où nous allions, quels étaient nos objectifs et comment le groupe allait fonctionner, puisque nous n'avions que des appels téléphoniques et que peu de membres du groupe étaient de langue maternelle anglaise. Cependant, je pense que nous avons pris un bon départ. Nous avons comparé de nombreux questionnaires existants et les retours suite à l'analyse du questionnaire français pour obtenir un point de départ. A partir de là, nous avons passé en revue toutes les catégories importantes telles que la fonction physique ou émotionnelle. Nous avons parlé du style de questions que nous voulions utiliser et de la connotation positive que nous voulions donner. Nous nous sommes donc réunis mois après mois par téléphone, puis par Zoom, pour discuter de ces sujets. Comme le travail devenait de plus en plus précis, nous avons décidé d'organiser des réunions prolongées le week-end.

Pourquoi le projet PROMs est-il important?

Il est facile de répondre à cette question: Les questionnaires existants ne reflètent pas la vie quotidienne des patients atteints de mucoviscidose et sont beaucoup trop peu spécifiques. En particulier, en ce qui concerne l'évaluation des nouveaux médicaments, les "anciens" questionnaires ne semblent pas adaptés à l'évaluation de l'amélioration de la situation des patients.

---

## Comment espérez-vous qu'il aidera les personnes atteintes de mucoviscidose?

Réfléchir à son propre état de santé est un élément particulièrement important de la routine quotidienne des patients atteints de mucoviscidose. Être "forcé" de répondre à un questionnaire à connotation négative ou à un questionnaire qui ne reflète pas mes peines me semble tout simplement une perte de temps et n'aidera personne. Par conséquent, la création d'un questionnaire auquel il est facile de répondre et auquel de nombreux patients peuvent s'identifier pourrait constituer une grande amélioration, tant pour les patients que pour leurs médecins. En outre, un bon questionnaire peut contribuer à améliorer et à accélérer le développement de nouveaux médicaments.

## Comment trouvez-vous le fait de travailler avec un groupe diversifié de personnes, y compris des scientifiques et des médecins?

J'ai adoré les différents membres de l'équipe. Nous avons tous des antécédents différents et pouvons apporter des points de vue totalement différents sur la vie avec la muco. Et le fait d'avoir "nos" médecins et scientifiques m'a aidé à rester concentrée sur ce que nous voulions faire. Ils ont l'expertise de la mucoviscidose et des méthodes scientifiques pour les questionnaires. Outre l'aspect professionnel, je suis toujours étonnée par le cœur et l'âme qu'ils mettent dans ce projet. Je remercie donc tout le monde, en particulier Kate, qui a tout coordonné et qui a eu le temps et l'énergie de nous faire sentir les bienvenus et appréciés.

## Appréciez-vous de travailler sur un tel projet?

Je suis surpris de constater à quel point j'ai aimé travailler sur ce projet au fil des mois. J'ai appris à connaître tant de personnes différentes et, surtout, j'ai commencé à mettre au point une version actualisée d'un questionnaire PRO pour aider les patients atteints de mucoviscidose. Alors oui, j'ai beaucoup apprécié.

## Recommanderiez-vous à d'autres personnes atteintes de mucoviscidose de participer à l'élaboration de la recherche?

Absolument, tant que vous parlez anglais, essayez simplement. Ce n'est pas aussi difficile qu'il n'y paraît au début. Vous élargissez vos horizons en aidant simplement les autres (et bien sûr vous-même) et vous adorerez ça!!

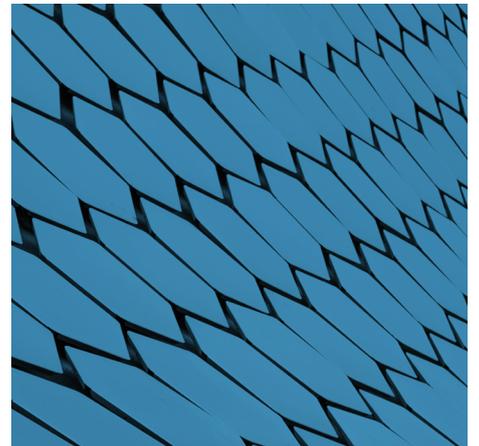
# Activités du réseau

## Notre travail

### Qualité et formation

Nous évaluons la participation des sites du réseau aux essais cliniques approuvés par le CTN pour vérifier que les essais sont mis en place et se déroulent efficacement. Un retour de ces évaluations est fait auprès des sites tout au long de l'année et nous discutons de la qualité et des performances des sites lors de notre réunion semestrielle avec les médecins.

Le comité de formation ECFS-CTN organise une journée de formation annuelle pour les attachés de recherche cliniques et les médecins.



Un projet de la Société  
Européenne de  
Mucoviscidose



# Activités du réseau

## Notre travail

### Des études de faisabilité

Une fois qu'un protocole a été approuvé par le CTN, nous aidons l'entreprise pharmaceutique à identifier les sites qui participeront à l'essai.

Le protocole d'essai clinique comprend une liste de critères qui aident à identifier les patients à inclure.

Le réseau accompagne ensuite l'entreprise pharmaceutique dans ses démarches auprès des sites identifiés pour vérifier s'ils peuvent participer aux essais. Nous encourageons les entreprises à contacter tous les sites éligibles et à donner à tous les sites une chance de participer.

En 2019, nous avons coordonné des études de faisabilité pour 11 essais (pour 9 promoteurs)

### Exemple

Un essai clinique doit permettre d'inclure des filles et des garçons atteints de mucoviscidose âgés de 11 à 17 avec la mutation G551D. Les sites doivent être formés pour effectuer une mesure appelée "multiple breath washout" (également appelée LCI)..

Nous identifions les sites qui remplissent ces critères et encourageons le promoteur à approcher tous les sites identifiés par nos soins.

Nous envoyons un questionnaire de faisabilité aux sites identifiés qui vérifient attentivement les critères et nous informent de leur souhait de participer ou non.

# Activités du réseau

## Notre travail

### Expertise et conseil aux autorités réglementaires de santé

Les membres du CTN proposent leur expertise aux organismes de réglementation qui décident l'autorisation ou non de nouveaux médicaments.

### Contrôle de la sécurité dans les essais cliniques

Dans certains essais cliniques, les données sont partagées avec un comité externe qui contrôle les données de manière indépendante pendant que l'essai est en cours. S'ils constatent des risques pour la santé des patients, ce comité peut décider l'arrêt de l'essai. Les entreprises peuvent faire appel au "conseil de surveillance" affilié au réseau, basé à Lyon, en France.

### Accroître les capacités à faire de la recherche clinique

Une enquête menée en 2016 sur les sites du réseau a révélé que le manque de personnel de recherche était un obstacle majeur à la participation aux essais cliniques. La Fondation américaine (CFF) a généreusement offert de financer partiellement du personnel supplémentaire sur certains sites. Au total, 19 sites du réseau ont reçu des fonds pour embaucher du personnel de recherche.

Nous sommes très reconnaissants à la CFF de soutenir nos efforts de recherche en Europe, dans l'esprit de notre vision commune qui est de mettre à la disposition des patients de nouveaux traitements contre la mucoviscidose. Le financement s'est poursuivi en 2018, et nous avons mené une enquête auprès des sites afin de déterminer l'impact de ce financement. Voici quelques-uns des résultats:

**"Grâce à cette nouvelle embauche, notre site peut désormais participer à une étude de phase précoce impliquant des hospitalisations et des examens durant la nuit"**

**"Il est plus facile de participer à de nombreuses études simultanées"**

### Des résumés simples des résultats des essais cliniques

En 2019, l'ECFS-CTN a entamé une nouvelle collaboration avec Cystic Fibrosis Europe (CFE) pour améliorer les résumés en langage vulgarisé des résultats des essais cliniques. Deux fois par an, CFE réunit des entreprises impliquées dans la recherche sur la mucoviscidose pour discuter de diverses questions auxquelles sont confrontées les personnes atteintes de mucoviscidose. À l'automne 2019, nous avons discuté de la manière dont l'ECFS-CTN, la CFE et les entreprises peuvent travailler ensemble pour améliorer les résumés en langage vulgarisé des résultats des essais cliniques. Nous avons décidé qu'une bonne première étape consistait à créer un glossaire des termes que l'on voit souvent dans les résumés des essais sur la mucoviscidose. Un poster sur ce projet a été présenté lors de la Conférence européenne sur les maladies rares et les produits orphelins (ECRD) de 2019.

# Essais cliniques en cours

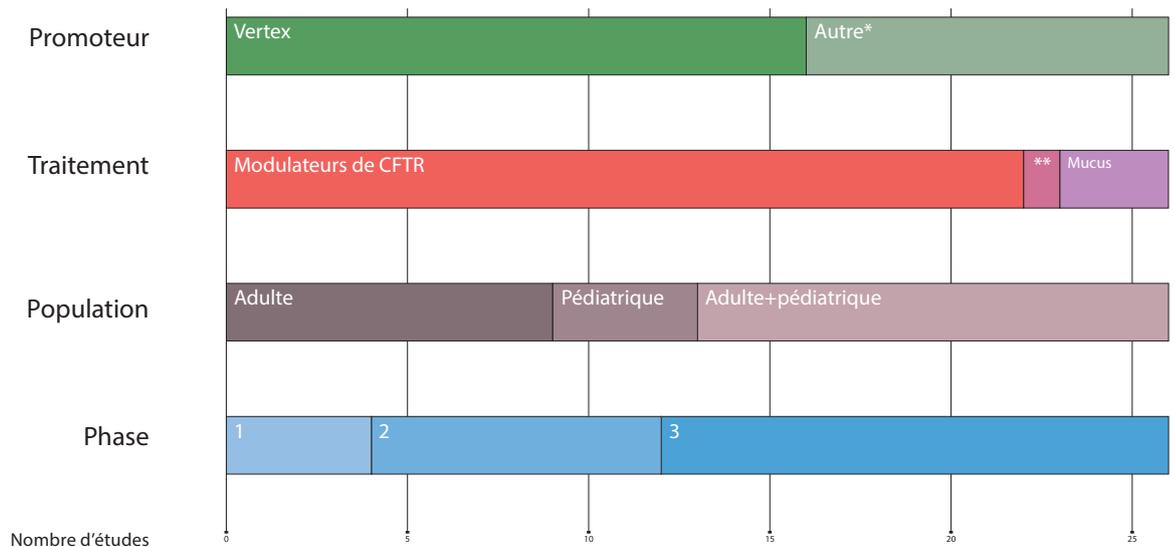
## Au sein du CTN en 2019

En 2019, il y avait 26 études actives à travers tout le réseau.

Il y avait un bon équilibre des essais ouverts aux adultes et aux enfants. La plupart des essais étaient des phase 2 ou 3.

Entre novembre 2018 et novembre 2019, les sites du réseau ont inclus 475 patients « muco » dans des essais. Les adultes représentent 69 % parmi ces nouvelles inclusions.

La liste complète, en anglais, des études que nous avons soutenues est disponible en annexe (p34).



\*: Proteostasis (2), Corbus (1), Flatley (1), UMC Erasmus (1), Eloxx (1), Boehringer Ingelheim (1), Spyryx (1), Galapagos (1), Abbvie (1) ont chacun promu des études.

(\*\*): infection

Détails des études (et leurs résultats) soutenues par le CTN:  
[www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials](http://www.ecfs.eu/ctn/clinical-trials) (en anglais)



# Projets de recherche européens

## Le réseau CTN partenaire de projets européens en cours

Plus d'informations sont disponibles sur ce lien:



En 2019, nous avons créé un nouveau processus et un nouveau formulaire de candidature pour les consortiums qui souhaitent que le CTN soit partenaire de projets européens. De cette façon, nous nous assurons que le réseau dispose de suffisamment de temps pour examiner la proposition avant de décider de sa participation, et pour apporter sa contribution au contenu avant de la soumettre à l'organisme de financement. Plus d'informations sont disponibles sur ce lien.

Nous avons aligné ce processus sur celui de CF Europe, qui a mis en place un processus similaire.



### L'essai HIT-CF-Europe

En 2019, près de 500 personnes atteintes de formes rares de mucoviscidose ont participé à la première phase du projet, en faisant don de biopsies rectales. Ces biopsies sont cultivées en laboratoire pour former des organoïdes. En 2020, les équipes évalueront quels organoïdes réagissent aux médicaments via des tests en laboratoire. Des essais cliniques seront planifiés tout au long de l'année 2020, afin de voir si les personnes atteintes de mucoviscidose réagissent aux médicaments comme le prévoyaient les tests de laboratoire sur les organoïdes.



### OligoG

La Commission européenne (via le programme européen pour la recherche et l'innovation: Horizon 2020) finance un essai clinique sur l'utilisation du médicament orphelin (1) OligoG CF-5/20 dans la mucoviscidose.

L'équipe porteuse du projet a reçu les autorisations réglementaires de l'Autriche, du Royaume-Uni, de l'Allemagne et de l'Irlande, et les autorisations déontologiques de l'Autriche et du Royaume-Uni. Les approbations éthiques de l'Allemagne et de l'Irlande devraient suivre en 2020 afin de pouvoir procéder à l'étude clinique en 2020.

(1) On appelle médicament orphelin tout médicament développé pour le traitement de « maladies orphelines ». Une maladie orpheline est une maladie rare pour laquelle on ne dispose d'aucun traitement efficace.

# Projets de recherche européens

## Le réseau CTN partenaire de projets européens en cours



### Conect4 children (C4C)

Un réseau de collaboration pour les essais cliniques européens sur les enfants. cC4C facilite la mise au point de nouveaux médicaments plus sûrs pour les enfants en créant un réseau européen d'essais cliniques pédiatriques (incluant toutes les maladies, pas seulement la mucoviscidose).

Dans ce vaste projet nous sommes impliqués au niveau des travaux d'éducation. Nous avons enquêté auprès des centres pédiatriques de toute l'Europe sur leurs besoins en matière de formation aux essais cliniques pédiatriques. Nous avons également contribué à la révision de certains documents de formation générale sur les essais cliniques afin de les adapter aux essais pédiatriques.

Nous contribuons à la création d'une formation pour le prochain essai cASPerCF visant à étudier le traitement de l'aspergillus chez les enfants atteints de mucoviscidose. Cet essai (cASPerCF) a été sélectionné par C4C dans le cadre de son programme de recherche et sera réalisé dans la nouvelle infrastructure de C4C. Site web en langue anglaise:

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

<https://conect4children.org/>



### ERN-LUNG Réseau européen de référence « Poumon »

Nous avons réalisé un webinaire destiné aux membres d'ERN-Lung en novembre 2018, pour partager notre expertise dans la mise en place et la gestion réussie d'un réseau d'essais cliniques. Cinq membres du CTN ont fait une présentation lors de ce webinaire, qui a suscité de nombreux commentaires.

Le webinaire est disponible en anglais via ce lien:

<https://www.youtube.com/watch?v=43hcJnl2PUc>

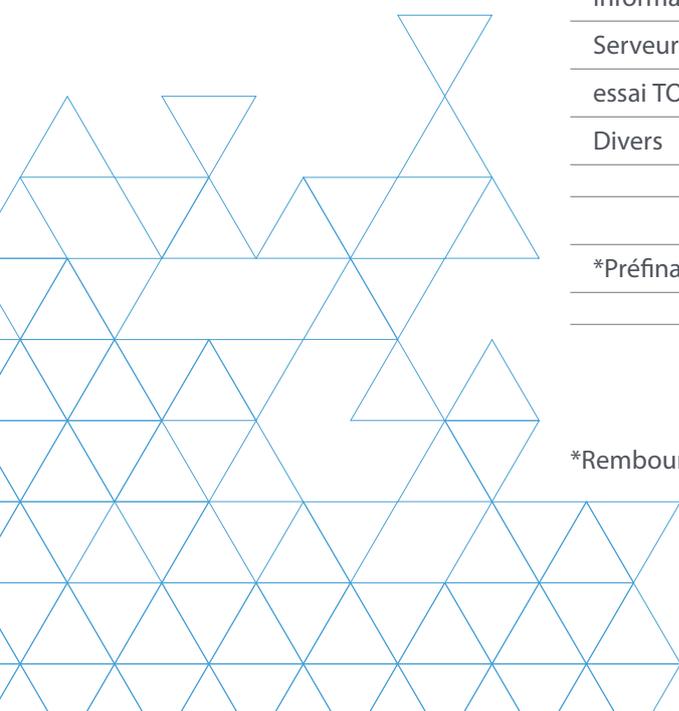
# Rapport financier 2019

## Notre budget

Reflète l'année comptable du 1er janvier au 31 décembre 2019:

CTN - Budget 2019	Euro €
Soutien de la société européenne (ECFS)	100,000
Associations de patients nationales	113,749
Services aux entreprises	174,019
Indice de clairance pulmonaire (Lung clearance index - LCI)	37,637
Autres revenu	3,499
<b>Total des revenus</b>	<b>428,904</b>
Déplacements/réunions	26,969
Ressources humaines	335,972
Ordinateur et logiciels/équipements	1,050
Publications	2,103
Technologies de l'information	345
Formation	8,155
Informatique	5,329
Serveurs dédiés	10,268
essai TORPEDO	4,145
Divers	67
<b>Total des dépenses</b>	<b>336,566</b>
*Préfinancement du département de Louvain	90,659
<b>Résultat de l'année</b>	<b>1,679</b>

\*Remboursement des dépenses en ressources humaines relatives à 2018



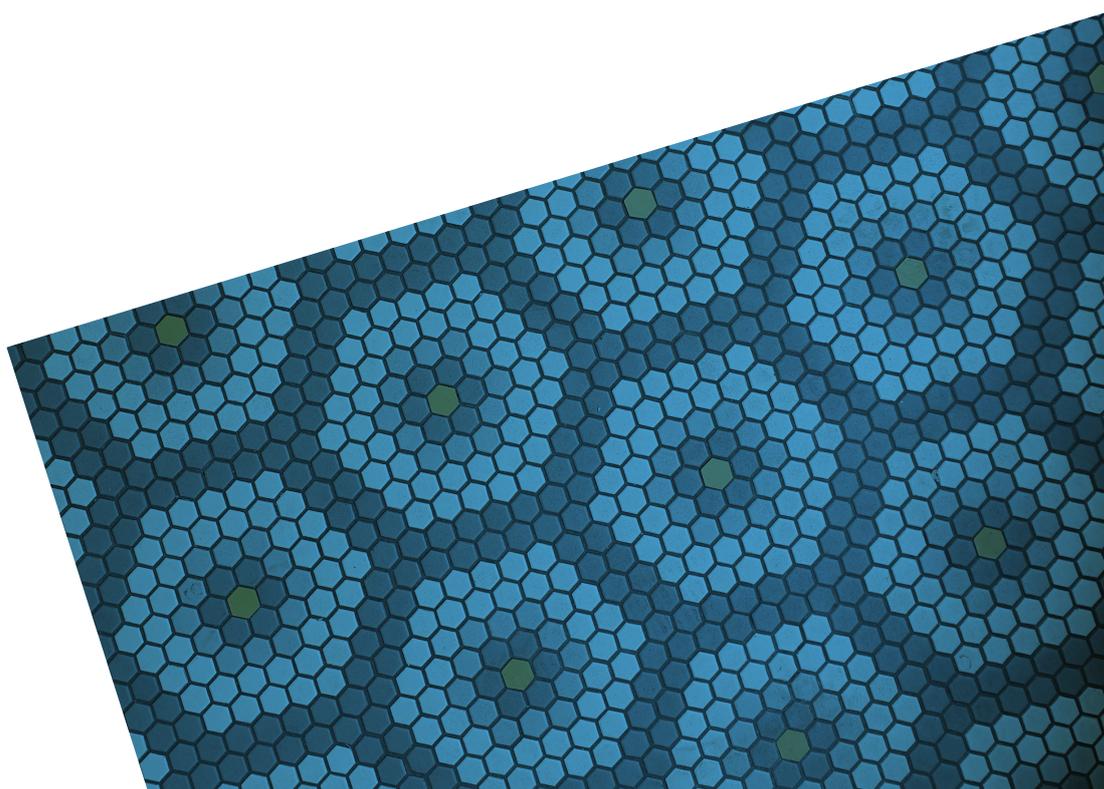
---

## Subvention de la Fondation américaine en soutien à l'activité de recherche clinique ("ARC")

Nous sommes reconnaissants à la Fondation américaine de la mucoviscidose pour le soutien financier accordé au réseau pour la période 2017-2019 pour les éléments suivants:

1. Financement partiel pour l'embauche de personnel de recherche supplémentaire pour un maximum de 22 sites sélectionnés
2. Financement d'un administrateur au centre de coordination du réseau
3. Soutien aux sites pour la saisie des données dans le système de gestion des essais (2600€ par an)

En 2019, le montant maximum de cette subvention était de 759 475 dollars



# Annexe

## Etudes soutenues par le réseau en 2019



### RESTORE CFTR FUNCTION

Phase 1b safety and drug behaviour testing of GLPG2451 and GLPG2222 combination treatment with or without GLPG2737 in adults with 1 or 2  $\Delta F508$  mutations (GLPG2737-CL-105)

Phase 1 safety and drug behaviour testing of PTI-801 in healthy volunteers and in adults with CF (PTI-801-01)

Phase 1 safety and drug behaviour testing of PTI 808 in adults with and without CF (PTI-808-01)

Phase 3 testing of VX-659 in combination with ivacaftor and tezacaftor in people aged 12 years and older with the  $\Delta F508$  mutation and a minimal function mutation (VX17-659-102)

Phase 3 open-label testing of VX-659 in triple combination with ivacaftor and tezacaftor in people aged 12 years and older with 1 or 2  $\Delta F508$  mutations (VX17-659-105)

Phase 3 open-label extension observation of long-term treatment with tezacaftor in combination with ivacaftor in children aged 6 years and older with 1 or 2  $\Delta F508$  mutations (VX16-661-116; parent studies: VX16-661-113 and VX16-661-115)

Long term rollover testing of VX-661 in combination with ivacaftor in people aged 12 years and older with 1 or 2  $\Delta F508$  mutations (VX14-661-110)

Phase 3 testing of VX-445 in combination with ivacaftor and tezacaftor in people aged 12 years and older with  $\Delta F508$  mutation and a minimal function mutation (VX17-445-102)

Phase 3 open-label extension testing of VX-445 in combination with ivacaftor and tezacaftor in people aged 12 years and older with 1 or 2  $\Delta F508$  mutations (VX17-445-105; parent studies: VX17-445-102 and VX17-445-103)

Long term rollover testing of Orkambi (Lumacaftor/Ivacaftor) in people aged 6 years and older with 2  $\Delta F508$  mutations (VX15-809-110)

Phase 2 open-label long-term observation of Orkambi's (Lumacaftor/Ivacaftor) effect on CF progression in children aged 2-5 years with 2  $\Delta F508$  mutations (VX16-809-121)

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

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

Phase 2 testing of VX-121 in combination with tezacaftor and ivacaftor in adults with CF with one  $\Delta F508$  mutation and one minimal function mutation (VX17-121-001; PartD)

Phase 2 testing of VX-121 in combination with tezacaftor and ivacaftor in adults with CF with one  $\Delta F508$  mutation and one minimal function mutation, or two  $\Delta F508$  mutations (VX17-121-101)



New



New

New

Phase 2 study of ELX-02 in people aged 16 years and over with at least one G542X nonsense mutation (EL-004)

Phase 3 study of elexacaftor (VX-445) in triple combination with tezacaftor and ivacaftor in people with CF aged 12 years and over with one  $\Delta$ F508 mutation and one gating or residual function mutation (VX18-445-104)

New

Phase 3 study of elexacaftor (VX-445) in triple combination with tezacaftor and ivacaftor in people with CF aged 12 years and over with two  $\Delta$ F508 mutations (VX18-445-109)

New

Phase 1 and 2 study of how FDL176 and FDL176 interact and behave in the body in adults with CF who have two  $\Delta$ F508 mutations (FDL169-2018-10)

New

Phase 3 study of long term safety of elexacaftor (VX-445) in triple combination with tezacaftor and ivacaftor in people with CF aged 12 years and over who previously participated in Study VX17-659-105 (VX18-445-113)

New

Phase 3 study of elexacaftor (VX-445) in triple combination with tezacaftor and ivacaftor in people with CF aged 6 to 11 years with one  $\Delta$ F508 mutation and one minimal function mutation, or two  $\Delta$ F508 mutations (VX18-445-106)

A phase 2 study of ABBV-3067 alone and in combination with various doses of ABBV-2222 in adults with CF who have two  $\Delta$ F508 mutations (M19-530)

New

New



**ANTI-INFLAMMATORY**



**ANTI-INFECTIVE**

Phase 2 testing of lenabasum in in people aged 12 years and older with recent antibiotic treatment for pulmonary exacerbation (JBT101-CF-002)



**MUCOCILIARY CLEARANCE**

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

Phase 2 testing of inhaled SPX-101 (SPX-101-CF-201)

New

Phase 2 study of BI 1265162 to clear mucus in the airway in adults and teenagers with CF (BI 1399-0003)



[www.ecfs.eu/ctn](http://www.ecfs.eu/ctn)  
[ecfs-ctn@uzleuven.be](mailto:ecfs-ctn@uzleuven.be)  
Tel : +32-479 983839