ALP-RARE

Το ευρωπαϊκό ερευνητικό έργο ALP-RARE, αποτελεί μια φιλόδοξη πρωτοβουλία με στόχο την επιτάχυνση της ανάπτυξης νέων θεραπειών για νεφροπάθειες του Φάσματος Alport. Πρόκειται για σπάνιες κληρονομικές παθήσεις που συχνά εκδηλώνονται με αιματουρία και πρωτεϊνουρία, ενώ οδηγούν σε προοδευτική νεφρική βλάβη και, σε πολλές περιπτώσεις, νεφρική ανεπάρκεια που απαιτεί αιμοκάθαρση ή μεταμόσχευση νεφρού. Για τους-ις ασθενείς και τις οικογένειες, η νόσος επιφέρει δια βίου ιατρικές, ψυχολογικές και κοινωνικές επιβαρύνσεις, με περιορισμένες επιλογές θεραπείας.

Οι Διαταραχές Φάσματος Alport οφείλονται σε παθογενείς γενετικές παραλλαγές που επηρεάζουν το κολλαγόνο τύπου IV, βασικό δομικό συστατικό της σπειραματικής βασικής μεμβράνης, δηλαδή του φίλτρου των νεφρών που ρυθμίζει την ορθή διήθηση του αίματος λειτουργώντας ως φυσικός φραγμός στη δημιουργία των ούρων. Οι αλλοιώσεις αυτές διαταράσσουν τη δομή και λειτουργία του φίλτρου, οδηγώντας σε προοδευτική νεφρική βλάβη που επιτρέπει σε οργανικά μόρια όπως πρωτεϊνες ή σε ερυθρά αιμοσφαίρια να απελευθερωθούν στα ούρα. Η σταδιακή καταστροφή του φραγμού διήθησης με την πάροδο των χρόνων συχνά εξελίσσεται σε χρόνια νεφρική νόσο και, σε πολλές περιπτώσεις, σε νεφρική ανεπάρκεια που απαιτεί αιμοκάθαρση ή μεταμόσχευση νεφρού. Οι υφιστάμενες θεραπείες παραμένουν μη ειδικές για τέτοιες σπειραματοπάθειες όμως μπορούν να επιβραδύνουν με περιορισμένη αποδοτικότητα την εξέλιξη της νόσου.

Το ALP-RARE εισάγει μια καινοτόμο και ρεαλιστική προσέγγιση και επικεντρώνεται στον έλεγχο συνδυαστικών θεραπειών, προσαρμόζοντας νέες υποσχόμενες αγωγές πάνω στις ήδη καθιερωμένες. Εστιάζει στη βελτιστοποίηση και προκλινική διερεύνηση υποσχόμενων θεραπευτικών παρεμβάσεων που βρίσκονται ήδη σε ώριμο ερευνητικό στάδιο αξιολόγησης. Πρόκειται για μόρια και ενώσεις που είναι είτε νέα δημιουργήματα, είτε επανατοποθετούνται ως μέσα θεραπευτικής διαχείρισης για νεφροπάθειες στο Φάσμα Alport. Μέσα από αυτή τη στρατηγική, το πρόγραμμα επιδιώκει να επιταχύνει τη μετάβαση προς κλινικές μελέτες με συμμετοχή ασθενών, στοιχείο καθοριστικής σημασίας για τις σπάνιες νόσους. Ταυτόχρονα, αξιοποιεί τη γνώση και τα θετικά ευρήματα προηγούμενων ερευνητικών προσπαθειών, συμβάλλοντας στη μείωση τόσο του ερευνητικού ρίσκου, όσο και του απαιτούμενου χρόνου που ενέχει η ανάπτυξη εντελώς νέων θεραπευτικών μέσων.

Το έργο θα δημιουργήσει μια ολοκληρωμένη προκλινική πλατφόρμα επικύρωσης και ανάπτυξης θεραπειών, σχεδιασμένη ώστε να βελτιώσει τον τρόπο με τον οποίο εντοπίζονται, αξιολογούνται και προετοιμάζονται θεραπευτικές προσεγγίσεις για την ευκολότερη διεξαγωγή κλινικών μελετών. Στόχος είναι η διατήρηση της ομαλής νεφρικής λειτουργίας και η επιμήκυνση της διάρκειας ζωής των νεφρών στους-ις ασθενείς.

Το ερευνητικό πρόγραμμα ALP-RARE έχει επιλεγεί για χρηματοδότηση στο πλαίσιο της ιδιαίτερα ανταγωνιστικής πρόσκλησης του European Rare Diseases Research Alliance (ERDERA), με εθνική στήριξη στην Κύπρο από το Ίδρυμα Έρευνας και Καινοτομίας (ΙδΕΚ).

Μέσω του Κέντρου Αριστείας biobank.cy, η Κύπρος λειτουργεί ως κεντρικός κόμβος για το συντονισμό προηγμένης προκλινικής έρευνας, την ενοποίηση δεδομένων και τη διαμόρφωση της μεταφραστικής στρατηγικής σε επίπεδο ευρωπαϊκής κοινοπραξίας η οποία απαρτίζεται από κορυφαίους επιστήμονες στο πεδίο και συνεργάζεται στενά με

οργανώσεις ασθενών. Συγκεκριμένα, συμμετέχουν το Ινστιτούτο Karolinska και η Guard Therapeutics Int. (Σουηδία), το Πανεπιστήμιο του Μονάχου και το Πανεπιστημιακό Ιατρικό Κέντρο του Γκέτινγκεν (Γερμανία), το Πανεπιστήμιο Erasmus Ρόττερνταμ (Ολλανδία), το Νοσοκομείο Παίδων Meyer (Ιταλία) και ο σύνδεσμος ασθενών Alport Selbsthilfegruppe (Γερμανία). Ταυτόχρονα, συμμετέχουν το Πανεπιστημιακό Κολλέγιο του Λονδίνου (Βρεττανία) και ο Ευρωπαϊκός Σύνδεσμος Νεφροπαθών με βάση την Ισπανία.

Κατά τη διάρκεια των 36 μηνών υλοποίησης, το ALP-RARE αναμένεται να θέσει τα επιστημονικά και ρυθμιστικά θεμέλια για μελλοντικές κλινικές δοκιμές σε ασθενείς με σπειραματοπάθεια, συμβάλλοντας στη βελτίωση της ποιότητας ζωής και στην καθυστέρηση της νεφρικής ανεπάρκειας στους-ις ασθενείς που πάσχουν από αυτή τη σπάνια γενετική πάθηση. Πέρα από τους άμεσους επιστημονικούς στόχους, το ALP-RARE θα παρέχει αξιόπιστα ζωικά μοντέλα της νόσου, δείκτες πρόγνωσης και ολοκληρωμένα σύνολα δεδομένων έτοιμα για χρήση από αρμόδιους φορείς και συνεργάτες, δημιουργώντας μακροπρόθεσμη αξία που υπερβαίνει τη διάρκεια του έργου.