

Κέντρο Αριστείας biobank.cy: Επίσημη έναρξη του ευρωπαϊκού προγράμματος ALP-RARE στο Διεθνές Συνέδριο για το Σύνδρομο Alport

Η ερευνητική ομάδα του Κέντρου Αριστείας biobank.cy του Πανεπιστημίου Κύπρου παρουσίασε τους στόχους και τη μεθοδολογία του προγράμματος στη διεθνή επιστημονική κοινότητα και σε ασθενείς και εκπροσώπους της κοινότητας Alport από όλο τον κόσμο.

Το ευρωπαϊκό ερευνητικό έργο ALP-RARE, το οποίο συντονίζεται από το Κέντρο Αριστείας biobank.cy, παρουσιάστηκε στις 8 Σεπτεμβρίου σε επίσημη τελετή έναρξης στο πλαίσιο του International Workshop on Alport Syndrome 2026, που πραγματοποιήθηκε στη Βουδαπέστη από τις 5-8 Σεπτεμβρίου. Πρόκειται για την κορυφαία διεθνή συνάντηση που διοργανώνεται από την παγκόσμια πρωτοβουλία ασθενών Alport για να προωθήσει την συνεργασία, την ενημέρωση, την έρευνα, την κλινική αντιμετώπιση και την ανάπτυξη νέων θεραπευτικών προσεγγίσεων στην σπάνια αυτή νεφροπάθεια.

Η συμμετοχή στη συγκεκριμένη διοργάνωση, έδωσε στην ερευνητική ομάδα του Κέντρου Αριστείας biobank.cy και στους εταίρους της κοινοπραξίας ALP-RARE, την ευκαιρία να αναλύσουν τους στόχους και την επιστημονική προσέγγιση του προγράμματος με επιστήμονες και ειδικούς από διαφορετικές χώρες, καθώς και ασθενείς και εκπροσώπους της κοινότητας Alport από όλη την Ευρώπη.

Οι εστιασμένες συζητήσεις ανέδειξαν τις ανάγκες, τις εμπειρίες και τις προτεραιότητες των ανθρώπων που ζουν με διαταραχές του συνδρόμου Alport και των οικογενειών τους. Η ενεργή συμμετοχή τους αποτελεί εξάλλου βασική συνιστώσα του ALP-RARE. Δεν περιορίζεται στην ενημέρωση των ασθενών για την πορεία της έρευνας, αλλά επεκτείνεται στη διαμόρφωση προτεραιοτήτων στις στρατηγικές εξεύρεσης θεραπειών και στην ανάδειξη αναγκών με πραγματική σημασία για την καθημερινή τους ζωή. Συγκεκριμένα, **μέσω του ALP-RARE, οι ασθενείς με σύνδρομο Alport θα έχουν τη δυνατότητα να θεσπίσουν για πρώτη φορά μέτρα αξιολόγησης της δικής τους προσωπικής θέσης και διάθεσης κατά τη διάρκεια μιας κλινικής μελέτης.**

Όπως σημειώνει ο εκπρόσωπος της Γερμανικής Ένωσης Υποστήριξης Ασθενών Alport Selbsthilfe e.V., **Christof Finkler**: «Ως επίσημος εταίρος στο ALP-RARE, η ομάδα Alport Selbsthilfe e.V. συντονίζει την συμπερίληψη και συμμετοχή των ασθενών με νόσο Alport, με στόχο την καταγραφή και ενσωμάτωση της εμπειρίας τους ως ασθενείς στις προ-κλινικές μελέτες, βοηθώντας κατά προέκταση στη θέσπιση επιπέδων ελέγχου στην απόκριση σε μια θεραπεία που να ανταποκρίνονται στις πραγματικές ανάγκες των ασθενών. Η συνεργασία αυτή συνδυάζει τους επιστημονικούς και κλινικούς στόχους της, με τις καθημερινές ανάγκες

των ασθενών και των μελών των οικογενειών τους. Το πρόγραμμα ALP-RARE έχει ως στόχο την ανάπτυξη και καθιέρωση νέων θεραπειών που καθυστερούν τη ζημιά και διατηρούν τη λειτουργικότητα των νεφρών. Ως ασθενείς αντιλαμβανόμαστε και στηρίζουμε τον στόχο αυτό».

Από την προ-κλινική έρευνα προς νέες θεραπευτικές επιλογές

Οι διαταραχές του φάσματος Alport αποτελούν ομάδα σπάνιων κληρονομικών νεφροπαθειών και παρουσιάζουν αυξημένη συχνότητα στον κυπριακό πληθυσμό. Συνδέονται με παθογόνες παραλλαγές στα γονίδια COL4A3, COL4A4 και COL4A5 τα οποία κωδικοποιούν αλυσίδες του βασικού δομικού συστατικού της βασικής μεμβράνης του νεφρικού σπειράματος, του κολλαγόνου τύπου IV. Διατάραξη της λειτουργικής δομής της βασικής μεμβράνης λόγω τέτοιων παραλλαγών, οδηγεί τις περισσότερες φορές σε μικροσκοπική αιματουρία, πρωτεϊνουρία και ενδεχομένως, σε νεφροπάθεια τελικού σταδίου.

Οι σημερινές θεραπευτικές επιλογές μπορούν να επιβραδύνουν την εξέλιξη της νεφρικής νόσου, χωρίς όμως να αντιμετωπίζουν το υποκείμενο γενετικό και μοριακό αίτιο.

Το τριετές πρόγραμμα προ-κλινικής έρευνας ALP-RARE επιχειρεί να συμβάλει στην κάλυψη αυτού του θεραπευτικού κενού. Όπως τονίζει ο **συντονιστής της κοινοπραξίας του προγράμματος ALP-RARE, Δρ Γρηγόρης Παπαγρηγορίου, Ανώτερος Επιστήμονας, Κέντρο Αριστείας biobank.cy**: «Το ALP-RARE επιδιώκει να επιταχύνει την ανάπτυξη θεραπευτικών προσεγγίσεων για τις διαταραχές του φάσματος του συνδρόμου Alport, αξιοποιώντας γνώση και υποψήφιες θεραπείες που έχουν ήδη προκύψει από προηγούμενη έρευνα. Δεν ξεκινάμε από το μηδέν. Αξιολογούμε και, κυρίως, συνδυάζουμε υφιστάμενες θεραπευτικές προσεγγίσεις με νεότερες μικρομοριακές παρεμβάσεις, ορισμένες από τις οποίες έχουν ήδη μελετηθεί και δημοσιευθεί από μέλη της κοινοπραξίας. Συνοπτικά, τρεις τέτοιες θεραπευτικές οδοί, όπου έχουν ξεχωριστά βρεθεί να στοχεύουν θετικά ένα διαφορετικό μέρος της συνολικής κλινικής ή μοριακής εικόνας του συνδρόμου Alport, θα μελετηθούν μόνες και σε συνδυασμό με τρέχουσες μη-ειδικές όμως για το σύνδρομο Alport θεραπείες, ώστε να προκύψουν πιο δραστικές και πιο ωφέλιμες θεραπευτικές στρατηγικές που θα αναπτυχθούν περαιτέρω. Για την προ-κλινική μελέτη αυτή θα χρησιμοποιηθούν πειραματικά ζωικά μοντέλα, που νοσούν με τη νόσο Alport, αφού φέρουν γενετικές βλάβες όμοιες με αυτές που συναντάμε σε ασθενείς. Συνεπώς, η άμεση συμμετοχή των ασθενών αποτελεί ουσιαστικό μέρος αυτής της διαδικασίας, καθώς μας βοηθά να διατηρούμε την ερευνητική μας κατεύθυνση συνδεδεμένη με τις πραγματικές ανάγκες και προτεραιότητές τους. **Απώτερη επιδίωξη είναι, να δημιουργήσουμε φαρμακευτικά προφίλ τα οποία θα μπορούν πολύ γρήγορα να προχωρήσουν σε κλινικές μελέτες στον άνθρωπο, που θα μπορούν να επιβραδύνουν ουσιαστικά την εξέλιξη της νόσου και να διατηρούν τη νεφρική λειτουργία για μεγαλύτερο χρονικό διάστημα».**

Η Κύπρος ως συντονιστής της κοινοπραξίας ALP-RARE

Η κοινοπραξία ALP-RARE συγκεντρώνει από τη μία πλευρά τεχνογνωσία στη βασική και μεταφραστική έρευνα, στην κλινική νεφρολογία, στη βιοτεχνολογία, στην ανάπτυξη φαρμάκων, και στην πραγματοποίηση κλινικών και προ-κλινικών μελετών, και από την άλλη, την ενεργή συμμετοχή των ίδιων των ασθενών με σύνδρομο Alport. Την κοινοπραξία αποτελούν κορυφαία ιδρύματα και οργανισμοί: το **Karolinska Institutet** και η **RenCo Pharma AB (ex Guard Therapeutics International)** στη Σουηδία, το **Ludwig Maximilian University of Munich** και το **University Medical Center Göttingen** στη Γερμανία, το **Erasmus Medical University Rotterdam** στην Ολλανδία, το **Meyer Children's Hospital Firenze** στην Ιταλία και η οργάνωση ασθενών **Alport Selbsthilfegruppe** στη Γερμανία. Ταυτόχρονα, το ALP-RARE υποστηρίζεται

από το **University College London** στο Ηνωμένο Βασίλειο και τον **Ευρωπαϊκό Σύνδεσμο Νεφροπαθών**, με έδρα την Ισπανία.

Στην Κύπρο, το Κέντρο Αριστείας biobank.cy θα πραγματοποιήσει το μεγαλύτερο μέρος των προ-κλινικών μελετών σε ποντίκια που φέρουν μια παθογόνα παραλλαγή στο γονίδιο *COL4A3*, η οποία εντοπίζεται αποκλειστικά στον Κυπριακό πληθυσμό και έχει βρεθεί παλαιότερα από το κέντρο υπό τον συντονισμό του Καθ. Κωνσταντίνου Δέλτα και τους Δρ Κωνσταντίνο Βοσκαρίδη και Δρ Άλκη Πιερίδη. Οι προ-κλινικές μελέτες στο ALP-RARE συντονίζονται στο KA biobank.cy από τον Δρ Χριστόφορο Οδιάτη, με τη συμμετοχή του Δρ Παύλου Ιωάννου και της κα Μελίνας Πιτσιλλίδου.

Αναφερόμενοι στην επιστημονική συνεργασία στο πλαίσιο του ALP RARE, οι επικεφαλής εκπρόσωποι των εταιρών δήλωσαν:

«Στο *Ludwig Maximilian University of Munich* είμαστε ιδιαίτερα χαρούμενοι που συνεισφέρουμε με την επιστημονική μας εμπειρογνωμοσύνη στο πρόγραμμα ALP-RARE και τη συνεργασία μας με κορυφαίους ευρωπαίους εταίρους για την προώθηση ελπιδοφόρων θεραπευτικών προσεγγίσεων για τις διαταραχές του φάσματος της νόσου *Alport*. Στόχος αυτής της συνεργασίας είναι η ενίσχυση των επιστημονικής γνώσης που εν τέλει θα οδηγήσει σε καινοτόμες θεραπείες». **Prof. Dr. Hans-Joachim Anders, Department of Medicine IV, LMU University Hospital, Munich, Germany**

«Στο *Karolinska Institutet*, είμαστε ενθουσιασμένοι που θα συνεισφέρουμε με την εμπειρία μας στον τομέα της πειραματικής νεφρολογίας και της νόσου *Alport* στο πρόγραμμα ALP-RARE. Θα ηγηθούμε της προ-κλινικής αξιολόγησης θεραπειών που βασίζονται στην συνδυαστική χορήγηση πεπτιδίων εμπνευσμένων από την δομή της άλφα-1 μικροσφαιρίνης (*A1M*) σε μοντέλα ποντικών με τη νόσο *Alport* και θα συμβάλουμε στην πολυκεντρική επικύρωση προηγούμενων αποτελεσμάτων που έδωσαν οι θεραπείες αυτές. Μέσω αυτής της συνεργασίας, ελπίζουμε να συμβάλουμε στην προώθηση αξιόπιστων, μεταφραστικών δεδομένων που μπορούν να φέρουν τις νέες θεραπείες πιο κοντά στους ασθενείς». **Hannes Olauson, MD - Karolinska Institutet, Stockholm, Sweden.**

«Ως Πανεπιστημιακό Ιατρικό Κέντρο του *Göttingen*, είμαστε υπεύθυνοι για τον καθορισμό υποκατάστατων τελικών σημείων για μελλοντικές κλινικές δοκιμές σχετικά με το φάσμα της νόσου *Alport*, όπως για παράδειγμα βιο-δείκτες που ενδέχεται να επιτρέψουν την ανίχνευση των αποτελεσμάτων της θεραπείας εντός μιας εφικτής χρονικής περιόδου της δοκιμής. Συνεισφέρουμε μία από τις μεγαλύτερες συλλογές κλινικών δειγμάτων παγκοσμίως από άτομα με νόσο *Alport*, καθώς και την εμπειρία μας στον σχεδιασμό δοκιμών για τη νόσο αυτή σύμφωνα με τα κανονιστικά πρότυπα». **Dr. med. Jan Böckhaus, Department of Nephrology and Rheumatology, University Medical Center Göttingen, Germany**

«Είμαστε στην ευχάριστη θέση να συμμετέχουμε στο πρόγραμμα ALP-RARE και να συμβάλουμε στην προώθηση τόσο των υφιστάμενων, όσο και των καινοτόμων θεραπειών για τους ασθενείς με σύνδρομο *Alport*. Η ομάδα μας διαθέτει εκτεταμένη εμπειρία στην ανάπτυξη θεραπειών για νεφρικές παθήσεις και θεωρεί τη συμμετοχή στο ALP-RARE ως μια σημαντική ευκαιρία για να συμβάλει στην επιτάχυνση της μετατροπής των πολλά υποσχόμενων επιστημονικών ανακαλύψεων, σε κλινικό όφελος. Μέσω της εμπειρογνωμοσύνης μας στην ανάπτυξη φαρμάκων, τη μεταφραστική ιατρική, τη ρυθμιστική στρατηγική και την κλινική ανάπτυξη, προσβλέπουμε να υποστηρίξουμε την αποστολή του ALP-RARE για τη βελτίωση των αποτελεσμάτων και τη διεύρυνση των θεραπευτικών επιλογών για τους ασθενείς με σύνδρομο *Alport*». **Tobias Agervald, RenCo Pharma AB, Sweden**

«Με ιδιαίτερη χαρά συμμετέχουμε στο πρόγραμμα ALP-RARE, αξιοποιώντας την εκτεταμένη εμπειρία μας όσον αφορά στη φυσική ιστορία του συνδρόμου Alport και την κλινική έρευνα. Μέσω της συνεργασίας σε επίπεδο κοινοπραξίας, ελπίζουμε να συγκεντρώσουμε τα απαραίτητα στοιχεία ώστε να προωθήσουμε τις πιο ελπιδοφόρες νέες προσεγγίσεις προς κλινικές δοκιμές και, τελικά, προς καλύτερες θεραπείες για τους ασθενείς». **Prof. Daniel Gale, Renal Medicine, University College London, UK (RaDaR Trial).**

Η παρουσία των εταίρων και της κοινότητας των ασθενών στο International Workshop on Alport Syndrome 2026 ανέδειξε στην πράξη τη διεπιστημονική και συμμετοχική φιλοσοφία του ALP-RARE: η επιστημονική γνώση, η κλινική εμπειρία και η βιωμένη εμπειρία των ασθενών αποτελούν συμπληρωματικά στοιχεία στην προσπάθεια ανάπτυξης αποτελεσματικότερων θεραπευτικών λύσεων.

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

Περισσότερες πληροφορίες: www.biobank.cy

Έφη Κυρινοπούλου, Communication Officer **T.** 96595414, **M.** kyrinopoulou.effrosyni@ucy.ac.cy

Τέλος Ανακοίνωσης