

A Abradat apresenta a seguir uma livre tradução do resumo da 5th Alpha-1 Global Patient Congress e da 2nd Biennial International Research Conference on Alpha-1 Antitrypsin Deficiency

As fotos do evento podem ser encontradas no seguinte endereço eletrônico:

<http://s986.photobucket.com/.../2015%20Alpha-1%20Global%20Pat...>

"O 5th Alpha-1 Global Patient Congress ("Congresso") aconteceu em Barga, Itália, nos dias 9, 10 e 11 de abril e contou com a participação de 200 pessoas de 26 países. Renomados cientistas, médicos, especialistas, parceiros da indústria, pacientes, cuidadores e familiares estavam reunidos para debaterem sobre o status de:

- Pesquisa científicas
- Quadro regulamentar para o licenciamento de terapias para doenças raras na Europa
- Registros de pacientes
- Formas de reforçar a mensagem da Alfa1 Antitripsina ("AAT") a nível mundial.

O Congresso foi o primeiro organizado pela Alpha-1 Global (<http://www.alpha-1global.org>) ("Global"), um programa da Alpha-1 Foundation (<http://www.alpha1.org>) ("Fundação") dedicado à construção de uma rede colaborativa de organizações de pacientes e suas famílias em todo o mundo. Ele foi lançado como resultado do Congresso de Barcelona, realizado em 2013, onde os participantes decidiram criar uma forma de incentivar a comunicação entre a comunidade de Deficientes de Alfa1 Antitripsina ("DAAT") ao redor do mundo. Desde então, um site foi criado (<http://www.alpha-1global.org>) como uma plataforma global para apoiar a comunidade, com ferramentas e conteúdos digitais.

Os congressistas concordaram que a conscientização sobre a AAT ainda é a necessidade mais premente para as suas comunidades em todos os países. A detecção precoce, a advocacia, e acesso tratamentos, especialmente a terapia de reposição, foram as principais prioridades, seguindo-se a necessidade de apoiar um registro internacional de paciente e partilhar recursos úteis dentro da comunidade global.

Para atender a esses objetivos, os participantes concordaram em trabalhar juntos em todo o mundo com o compromisso de dar os próximos passos nesse roadmap: uma estratégia de três anos que inclui trabalhar numa campanha global de conscientização para desenvolver e atender as necessidades da comunidade de Alfa1 ao redor do mundo.

A 2nd Biennial International Research Conference on Alpha-1 Antitrypsin Deficiency (Conferência) foi realizada em conjunto com o Congresso, e teve foco em conceitos inovadores no mecanismos, acompanhamento e tratamento da AAT doença hepática e outras pesquisas sistêmica.

Pesquisadores especializados guiados pelo diretor científico da Fundação Adam Wanner, MD, Giuseppe Lungarella, MD (Universidade de Siena, Itália) e Robert Stockley, MD (Hospital Universitário de Birmingham, Reino Unido), apresentaram pesquisas. Um painel de discussão conjunta entre pacientes e cientistas em 10 de abril apresentou as últimas atualizações sobre a investigação e estimulou ainda mais a interação entre as comunidades científicas e pacientes.

As sessões do Congresso abordaram temas que incluíram:

- Necessidade de melhorar a formação e o suporte para os países no sentido de estabelecer grupos de apoio

- Necessidade de melhorar o suporte para superar as dificuldades enfrentadas no acesso ao tratamento de reposição nos países onde ela ainda não foi aprovada.

Congresso começou na noite de 09 de abril com uma homenagem comovente à memória de duas figuras importantes que vieram a falecer recentemente :

- Maurizio Luisette, MD, de Piva Itália, proeminente pesquisador sobre AAT por suas magníficas conquistas no campo da pesquisa científica
- Mario Ciuffini, anteriormente figura chave na Associação de Pacientes de AAT italiana, por sua significativa contribuição na conscientização sobre AAT

Jonh Wash, presidente da Fundação e membros do Comitê de Direção da Global congratularam-se com os participantes na sexta-feira pela manhã e os atualizaram sobre a situação da comunidade global de pacientes. Dos dados apresentados por Marilyn Black (Austrália e Nova Zelândia), Mimi McPhedran (Canadá), Henry Moehring (EUA), Guillermo Menga (América do Sul), Joanna Chrorostowska (Europa Central) e Catarina Pyrrait (Europa Ocidental) destacaram-se: o sub diagnóstico e falta de consciência sobre AAT. Contudo, também refletiram as medidas já tomadas pelas organizações participantes na construção da comunidade de pacientes e aumento da advocacia em cada uma dessas áreas

Estudos em terapias de novos genes, terapias moleculares e de células-tronco estão no horizonte dos tratamentos de AAT no fígado e no pulmão e foram apresentadas pelos Drs. Jeffrey Teckman, Matthias Griese e Jonathan Edelman. Jonathan Edelman falou sobre as possibilidades futuras para o tratamento da AAT associada a doença hepática. A sessão sobre AAT associada a doença pulmonar foi focada em terapias futuras e na eficácia da inalação e reposição intravenosa de AAT. Teckman é o investigador principal de um estudo multi-center de 5 anos em fígado de DAAT em adultos nos EUA. As inscrições para participar do estudo seguem abertas.

Laura Fregonese , da European Medicines Agency (EMA) , falou sobre os caminhos científicos e regulamentares para novos tratamentos para doenças raras. Kenneth Chapman, MD, da Canadian Registry; Iliaria Ferrarotti , da Italian Registry; Robert Stockley , da Alpha-1 International Registry (AR); e Charlie Strange, diretor da Foundation Research Registry, atualizaram sobre a situação dos registros de pesquisa e sobre a necessidade de colaboração entre paciente, clínico e as comunidades científicas . O tópico , com as suas questões para melhorar a coleta de dados , as questões de proteção de dados através dos países , financiamento e gestão , é considerado essencial na comunidade de DAAT, no sentido de melhorar as oportunidades para a investigação e desenvolvimento de novos tratamentos e para o entendimento da AAT

As sessões no sábado foram focadas em formas de construção de organizações sustentáveis para reforçar a mensagem de Alfa-1 e reforçar a defesa do paciente . Johan Prevot , da International Patient Organization for Primay Immonodeficiencies (IPOPI) , e Shane Fitch, da Lovexair Foundation com sede em Espanha , ofereceram diferentes ideias para o desenvolvimento de uma rede de pacientes solida e estratégias de comunicação focadas na sensibilização, detecção e acesso a tratamento.

As sessões de networking enfatizaram os esforços para envolver os adolescentes e adultos jovens e o apoio as crianças DAAT. Esse ponto também foi levantado e discutido na 2014 Alpha-1 National Conference, que ocorreu no Kansas, USA.

Prevot também forneceu exemplos de melhores práticas e orientações em áreas de interesse chave, expandindo uma comunidade internacional de paciente e defendendo os interesses dos pacientes em todo o mundo.

O dia terminou com uma sessão produtiva do trabalho em grupo com representantes de vários países da América Latina, Europa Central, Oceania e América do Norte. O produto da sessão foi estabelecer os próximos objetivos da comunidade global de DAAT. John Wash resumiu as sugestões da comunidade global, destacando:

- A necessidade de uma campanha global de conscientização
- A partilha de informação para facilitar a criação de novas associações de pacientes nos países.
- Trabalhar no sentido do registro internacional de paciente
- Criar um forte relacionamento entre os médicos e os DAAT no sentido de progredir positivamente em melhores diagnósticos da doença e registros.

A Conferência, que incluiu 17 palestrantes e cerca de 15 debatedores, juntamente com outros participantes, abordou três temas relacionados com a AAT doença pulmonar:

- Mecanismos básicos
- Detecção
- Tratamento.

Wanner resumiu seis novas descobertas científicas apresentadas na Conferência, que, segundo Wanner vai impulsionar pesquisa de AAT e se aproximar de novos tratamentos e, de uma cura:

- Heterozigotos : Alfa-1 portadores - que fumam têm um risco aumentado de perda de função pulmonar em comparação com pessoas sem os genes de Alfa-1 que fumam.
- Alfa1 Antitripsina tem ampla ação anti-inflamatórias e imuno-moduladora em adição para inibir a protease de serina; isto levanta dúvidas sobre o mecanismo pelo qual a terapia de reposição melhora a progressão da doença pulmonar em DAAT, e se a Alfa1 Antitripsina pode ser usada para tratar outras doenças pulmonares, incluindo Fibrose Cística e doença comum pulmonar obstrutiva crônica (DPOC).
- Terapia de reposição, vem sendo agora apresentada em um estudo randomizado, controlado com potência adequada para retardar a destruição do tecido pulmonar, avaliada por densitometria tomografia computadorizada de tórax.
- Terapia de aerossol de Alfa1 Antitripsina é segura e estamos aguardando os resultados de estudos que avaliaram o seu efeito em DAAT com doença pulmonar.
- Dois novos biomarcadores "inteligentes" de deficiência de AAT estão ficando perto de ser totalmente validados como marcadores de presença da doença, progressão e resposta à terapia. Um é o soro desmosina / isodesmosina como um marcador da degradação da elastina (inteligente porque se relaciona mecanicamente ao enfisema), e polímeros de AAT no soro (porque refletem polímeros Z-proteína, que são envolvidos em Alfa1 do fígado e doença pulmonar).
- A terapia genética não está morta. Prova de princípio foi estabelecida com o músculo esquelético como alvo transfeção (viável, mas a baixa eficiência). Outros objetivos, incluindo a pleura (anatomicamente perto do pulmão) estão sob investigação.

Os trabalhos individuais apresentados na Conferência serão publicados em um jornal peer-reviewed a ser anunciado, disse Wanner."

