



associazione italiana glicogenosi presenta

convegno nazionale glicogenosi
ventiseiesima edizione
5 - 6 ottobre 2024 **Bologna**



*Ascoltare, accogliere,
accompagnare le persone
con glicogenosi oggi
per progettare insieme
il domani*

**Valutazione di nuovi approcci farmacologici per il
trattamento delle Glicogenosi I in modelli animali**

Dott.ssa Roberta Resaz
IRCCS Ospedale Policlinico San Martino - Genova



VALUTAZIONE DI NUOVI APPROCCI FARMACOLOGICI PER IL TRATTAMENTO DELLE GLICOGENOSI I IN MODELLI ANIMALI

**Roberta Resaz
IRCCS Ospedale Policlinico San Martino
Genova**

**XXVI Convegno Nazionale AIGlico
Bologna, 5-6 ottobre 2024**

GLICOGENOSI Ia

Topi KO fegato

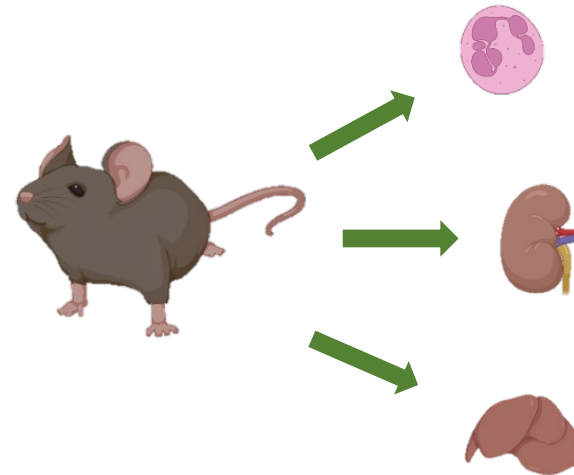
- mutazione solo nel fegato
- sintomi della patologia epatica umana
- adenomi epatici



GLICOGENOSI Ib

Topi inducibili

- sviluppano la patologia da adulti
- sintomi della patologia umana, ma in forma più leggera



Glicogenosi Ia

microRNA

RNA non codificanti

Regolatori espressione genica

Deregolati in condizioni patologiche

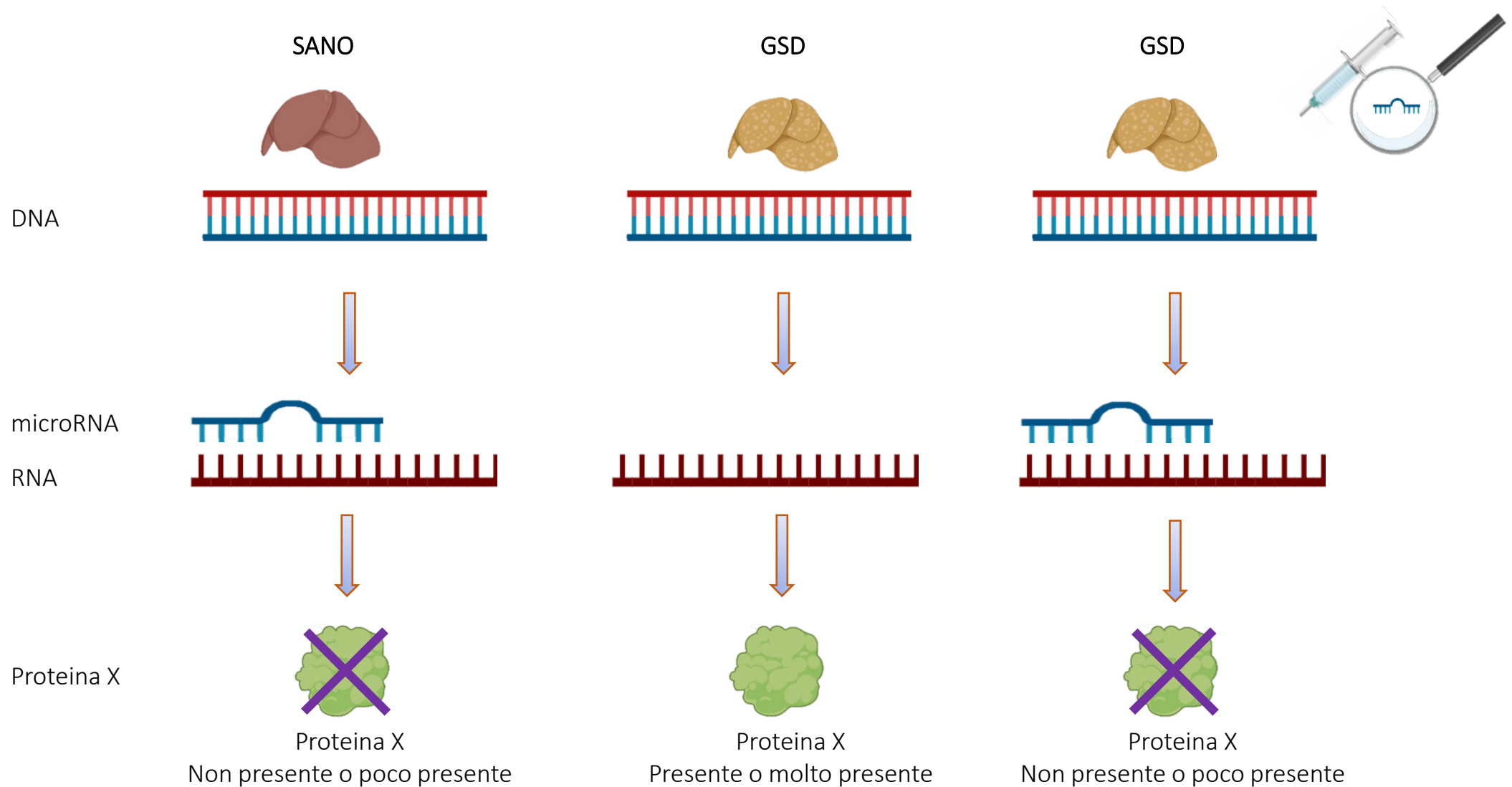
Dapagliflozin

Inibitore del trasportatore del glucosio renale

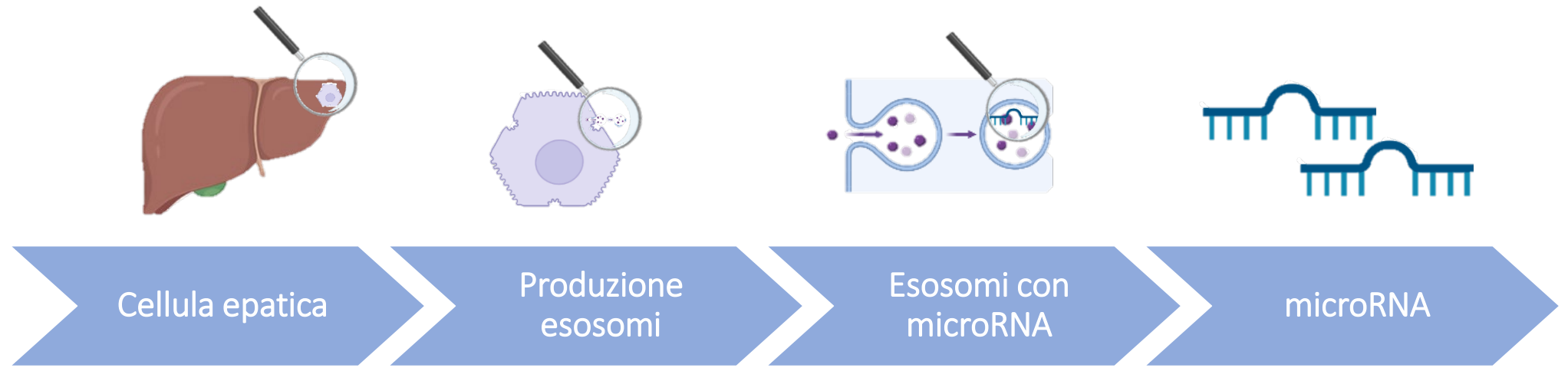
Utilizzato nel trattamento del diabete

Efficace contro la steatosi epatica

Effetto dei microRNA nella prevenzione e cura degli adenomi epatici - GSDIa

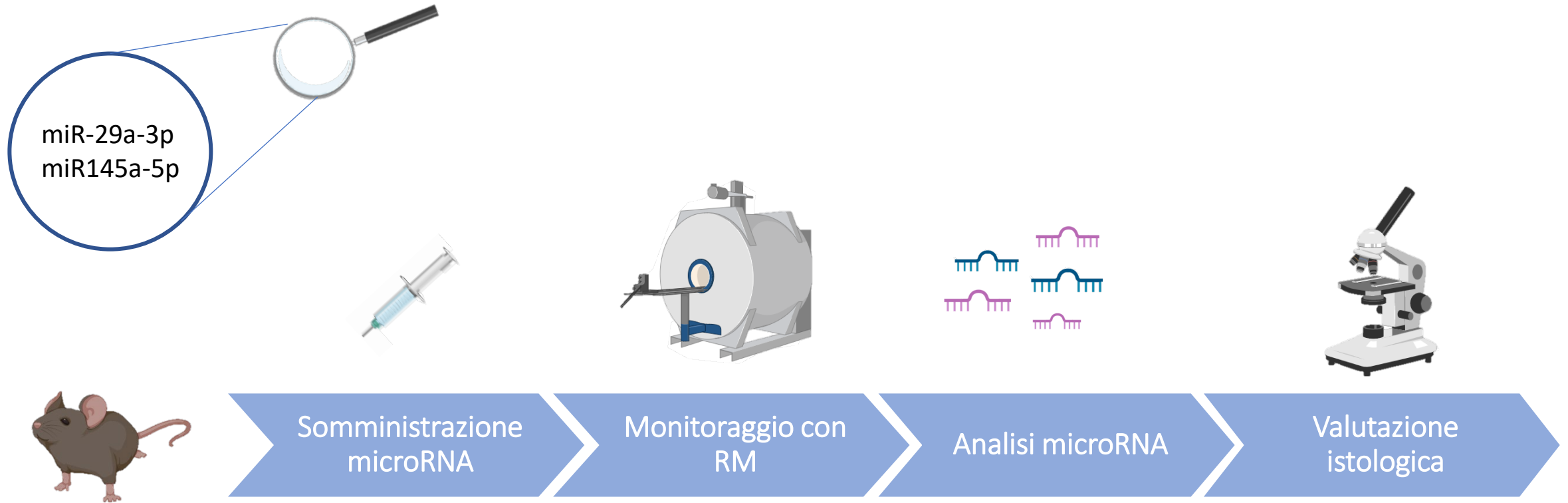


Effetto dei microRNA nella prevenzione e cura degli adenomi epatici - GSD1a



miR-29a-3p, miR145a-5p

Effetto dei microRNA nella prevenzione e cura degli adenomi epatici - GSD1a

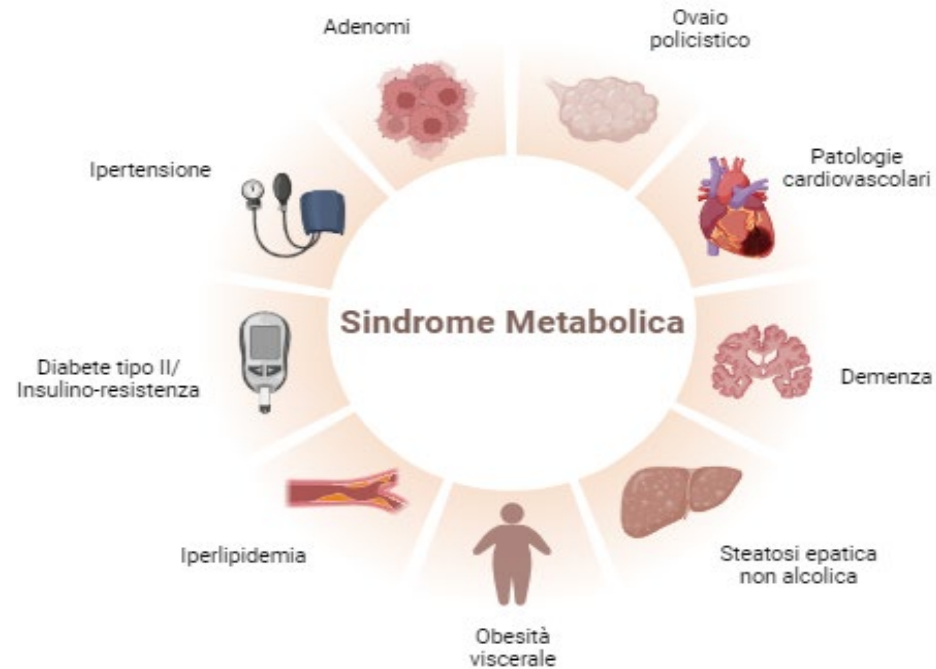
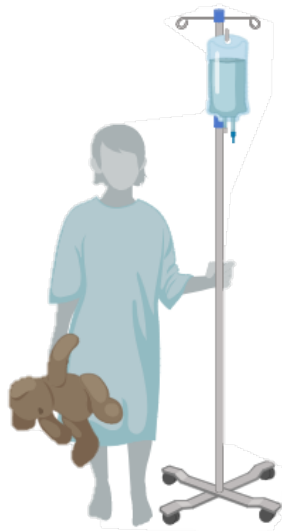


Effetto delle gliflozine nella prevenzione e cura degli adenomi epatici - GSDIa

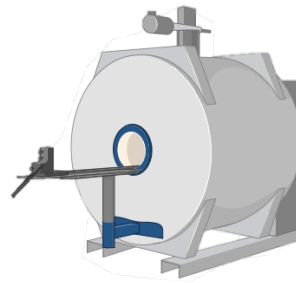


Proteine associate allo sviluppo di:

- Steatosi epatica non alcolica
- Iperlipidemia
- Resistenza all'insulina



Effetto delle gliflozine nella prevenzione e cura degli adenomi epatici - GSDIa



Somministrazione
gliflozine

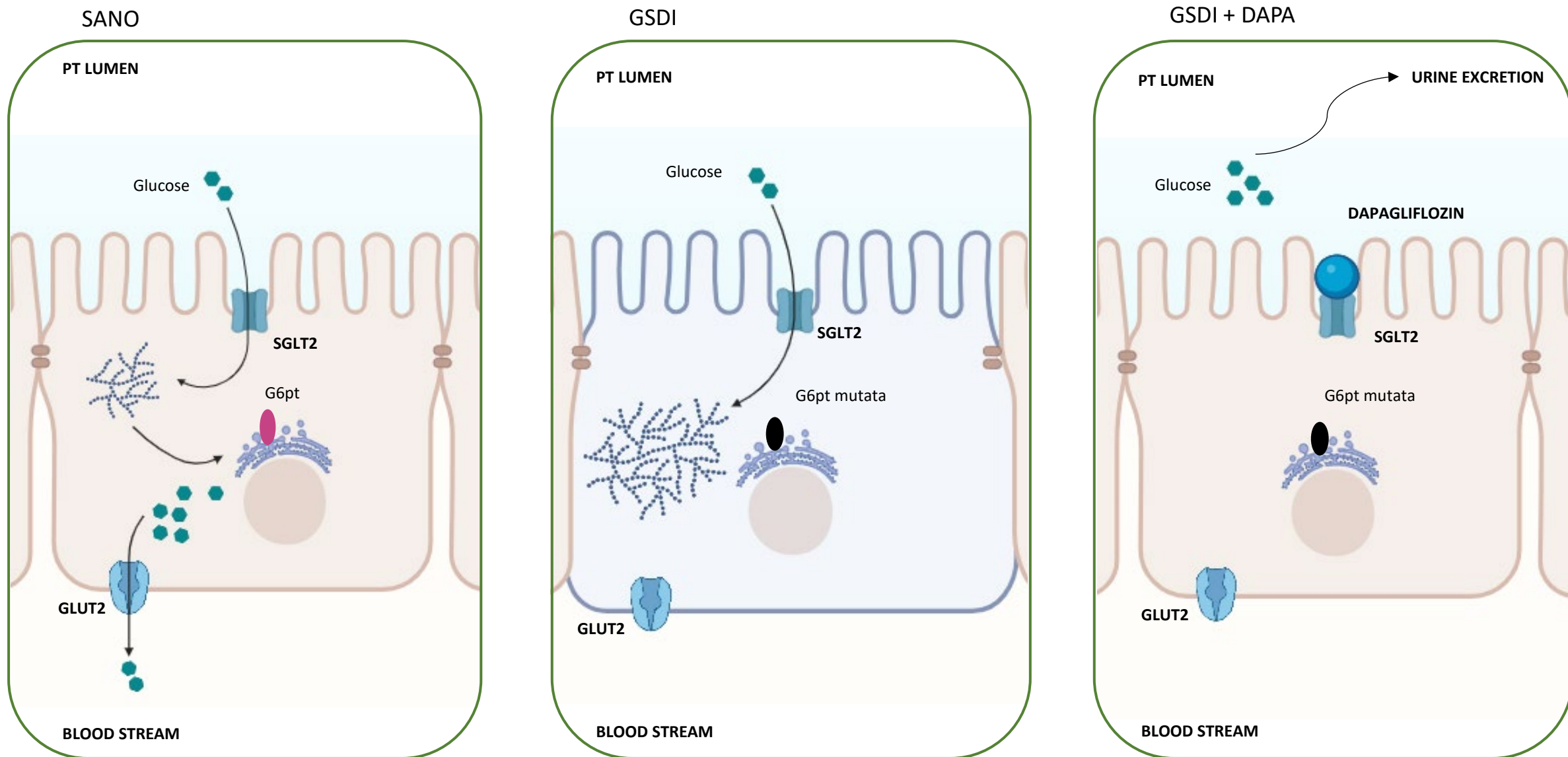
Monitoraggio con
RM

Analisi proteomica

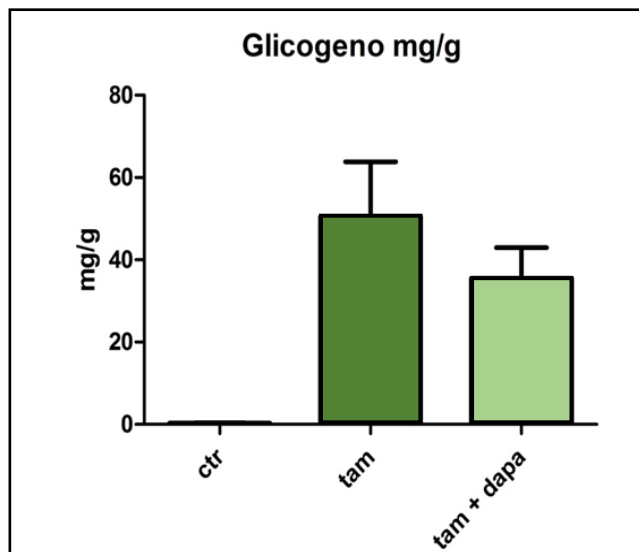
Valutazione
istologica

Glicogenosi Ib

Effetto delle gliflozine nel trattamento della patologia renale- GSDIb

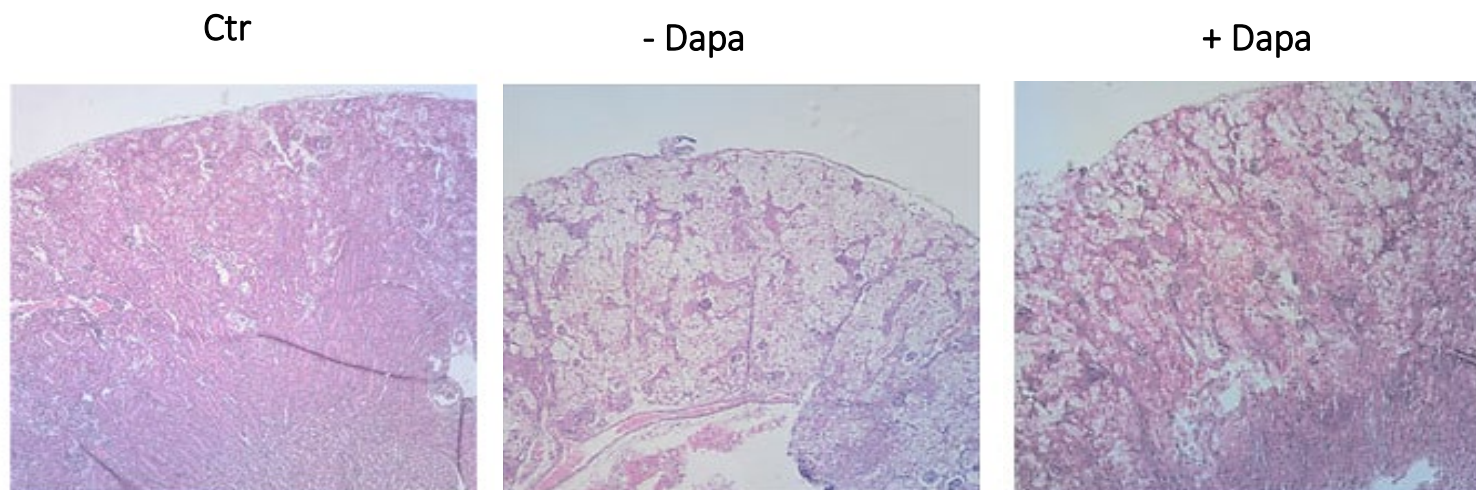


Effetto delle gliflozine nel trattamento della patologia renale- GSDIb

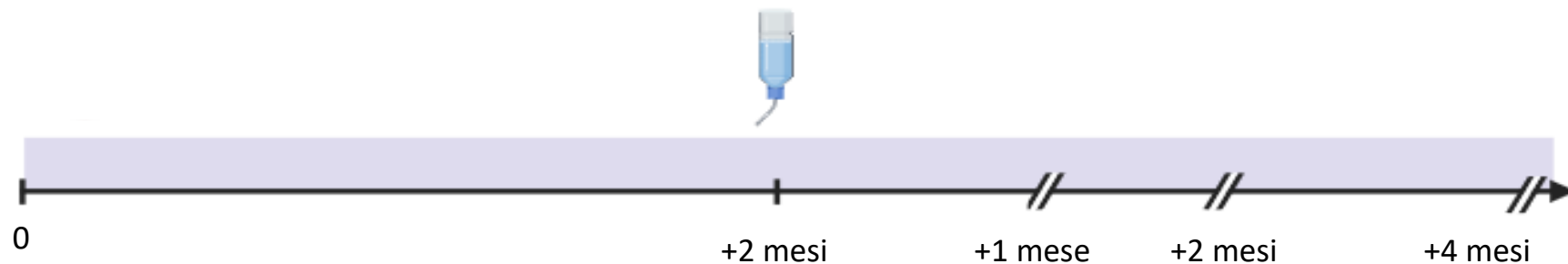
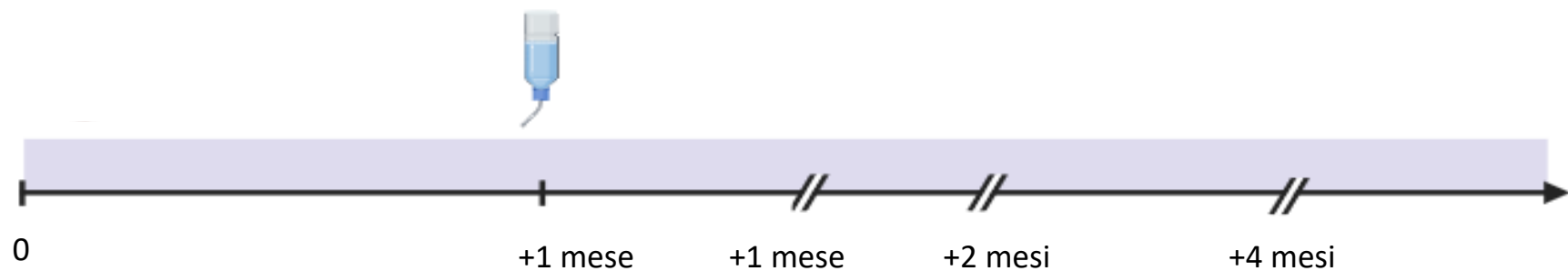
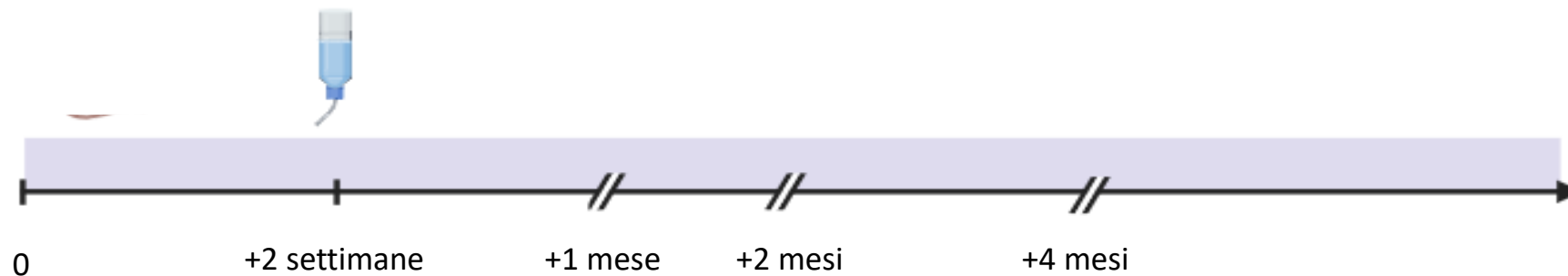


Valutazione degli effetti **curativi** di dapagliflozin sul rene

GSDIb



Effetto delle gliflozine nel trattamento della patologia renale- GSD1b



CONCLUSIONI

Per la **Glicogenosi Ia** la sperimentazione in corso e futura prevede la valutazione dell'effetto terapeutico:

- dei **microRNA** per il controllo dell'espressione proteica
 - di **gliflozine** per il controllo metabolico



Per la **Glicogenosi Ib** la sperimentazione in corso e futura prevede la valutazione dell'effetto terapeutico:

- del **dapagliflozin** sulla funzionalità renale su topi





ISTITUTO GIANNINA GASLINI
Istituto Pediatrico di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico



OSPEDALE POLICLINICO SAN MARTINO
Sistema Sanitario Regione Liguria
Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico
1923 Cent'anni di cura 2023

Università degli Studi di Salerno

D. Melis
A. Assunto

Istituto G. Gaslini Genova

A. Petretto
C. Lavarello

Thank

You

Ospedale Policlinico San Martino Genova

R. Resaz

F. Grillo
L. Mastracci

BioGeM
Ariano Irpino

M. d'Acerno
F. Trepiccione

Istituto G. Gaslini Genova

A. Madeo
A. La Rosa
L. Rombolà
D. Segalerba
A. Eva

Grazie!

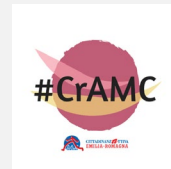
Per la partecipazione al Convegno ed il loro supporto all'Associazione, ringraziamo:
Sanofi Genzyme, Amicus Therapeutics, Dr. Scharr (Kanso), Vitaflo (Mevalia).



Per aver sostenuto l'operato dell'Associazione ed aver patrocinato l'iniziativa, ringraziamo: Cittadinanzattiva Emilia Romagna e il suo CrAMC – Coordinamento regionale delle Associazioni di Malattie Croniche, Consulta delle Malattie Neuromuscolari e Consulta delle Malattie Neuromuscolari dell'Emilia-Romagna.



CITTADINANZA
ATTIVA
EMILIA-ROMAGNA



Per la loro collaborazione e per essere al nostro fianco, ringraziamo:
TuVaiChePuoi e AIHC - Associazione Italiana Health Coaching.



convegno nazionale glicogenosi

ventiseiesima edizione • **Bologna** • 5-6 ottobre 2024

