

# Grazie alla FDG un importante passo in avanti nella ricerca

Al di là dell'impegno per la salvaguardia dei diritti del giovane con diabete, la Federazione Nazionale Diabete Giovanile è da sempre schierata al fianco delle università per portare avanti la ricerca scientifica.

Il più innovativo di questi studi è incentrato sul Pdx1 umano, uno dei fattori di trascrizione maggiormente coinvolti nel



normale sviluppo del pancreas ed in particolare delle isole pancreatiche nel corso della vita embrionale e fetale. L'idea alla base del progetto di FDG è stata quella di produrre il peptide Pdx1 e di utilizzarlo per guidare cellule del fegato umano alla differenziazione in cellule producenti insulina, con possibili conseguenze per la cura del diabete. Lo studio ha dimostrato che il Pdx1 ricombinante umano è in effetti capace di indurre la differenziazione di una popolazione di cellule staminali isolate dall'albero biliare del donatore adulto di fegato in cellule delle isole pancreatiche e in particolare in cellule con caratteristiche di cellule  $\beta$  produttrici di insulina in risposta ai livelli di glucosio. Lo scopo del progetto è stato quello di valutare l'efficacia della terapia basata sulla somministrazione di Pdx1 umano ricombinante per attenuare/risolvere il diabete in un modello sperimentale murino

di diabete mellito di tipo I. La misurazione dei valori di glicemia effettuata ogni settimana negli animali ha mostrato una significativa riduzione dei valori glicemici nei topi diabetici trattati con PDX1 rispetto ai topi diabetici non trattati con il farmaco tra il giorno 40 e 60 di esperimento. Successivamente le differenze dei due gruppi si sono annullate. A seguito di questi risultati preliminari FDG e Sapienza Università di Roma hanno iniziato un successivo progetto di ricerca apportando opportune modifiche al piano sperimentale, come ad esempio, l'incremento della dose del farmaco, l'utilizzo di particelle per veicolare il farmaco specificatamente al fegato, e, infine, l'utilizzo di topi con compromissione immunitaria per evitare il rigetto del Pdx1 umano. Tale ambizioso progetto punta a fare da spartiacque nella sperimentazione del Pdx1 umano per la terapia del diabete mellito.



di diabete mellito di tipo I. La misurazione dei valori di glicemia effettuata ogni settimana negli animali ha mostrato una significativa riduzione dei valori glicemici nei topi diabetici trattati con PDX1 rispetto ai topi diabetici non trattati con il farmaco tra il giorno 40 e 60 di esperimento. Successivamente le differenze dei due gruppi si sono annullate. A seguito di questi risultati preliminari FDG e Sapienza Università di Roma hanno iniziato un successivo progetto di ricerca apportando opportune modifiche al piano sperimentale, come ad esempio, l'incremento della dose del farmaco, l'utilizzo di particelle per veicolare il farmaco specificatamente al fegato, e, infine, l'utilizzo di topi con compromissione immunitaria per evitare il rigetto del Pdx1 umano. Tale ambizioso progetto punta a fare da spartiacque nella sperimentazione del Pdx1 umano per la terapia del diabete mellito.

Tale ambizioso progetto punta a fare da spartiacque nella sperimentazione del Pdx1 umano per la terapia del diabete mellito.



Chi si batte per una causa ha negli occhi una luce speciale.

## Roche Diabetes Care. Ricerca Dedizione Coraggio.

“Da quando sono in Roche il mio punto di vista di Medico è cambiato. Ho imparato a vedere la Persona nella sua totalità, al di là del sintomo e della malattia. Il senso della nostra ricerca non è trovare una cura per tutti, ma capire le differenze di ogni individuo e intervenire su quelle.”

ELENA  
Medical Affairs Manager



ACCU-CHEK®

## Il diabete: impariamo a riconoscerlo

Il diabete di tipo 1 si manifesta prevalentemente nell'infanzia e adolescenza. In Italia questa patologia ha un tasso di incidenza variabile: da 6/7 casi a 40 casi per 100.000 bambini con età 0-14 anni, a seconda delle regioni. Nel nostro Paese si calcola che le persone con diabete di tipo 1 siano circa 200.000, molte delle quali hanno avuto esordio in età pediatrica. Il 10%, circa 20.000, ha età inferiore a 18 anni. Sono numeri che fanno rabbrivire e che ci fanno riflettere sulla necessità di duplicare, triplicare, decuplicare i nostri sforzi sul piano dell'informazione. Queste poche righe su un giornale così prestigioso vogliono rappresentare un esempio concreto di quello che, tra mille difficoltà, costituisce il nostro obiettivo primario: at-

tirare attenzione attorno al diabete mellito, far squillare nelle teste dei genitori un campanello d'allarme per cogliere i primi segnali della malattia e attivare tutte le procedure per una diagnosi precoce.

Oggi le moderne terapie consentono di affrontare il diabete con relativa serenità e di assicurare ai nostri bambini una vita assolutamente normale: ma perché ciò avvenga è fondamentale non trascurare quei segnali che per superficialità, per distrazione, per ignoranza possono a lungo andare diventare un problema e un pericolo per il bene più prezioso: la salute dei nostri figli.

**Antonio Cabras**  
Presidente Federazione Nazionale Diabete Giovanile

## Il vero pericolo si chiama chetoacidosi

Qualora la diagnosi di diabete mellito fosse ritardata, il giovane paziente può presentarsi con un quadro clinico di grave scompenso metabolico, caratterizzato da glicemie anche elevatissime, glucosio e acetone nelle urine e uno stato di acidosi metabolica definito chetoacidosi diabetica. Il paziente in chetoacidosi diabetica rappresenta ancora oggi una seria emergenza e richiede un corretto intervento terapeutico ed una costante sorveglianza clinica.

Il Gruppo di Diabetologia della SIEDP ha condotto uno studio retrospettivo sulla frequenza di chetoacidosi all'esordio clinico del diabete

mellito tipo 1, risultata pari al 38.5% dei casi, e maggiormente espressa nel bambino più piccolo.

Se oggi non è ancora possibile un'efficace e duratura prevenzione del diabete mellito tipo 1, è invece fondamentale abbattere la frequenza di esordio clinico in chetoacidosi. Innanzitutto con una capillare e continua informazione sulla sintomatologia di esordio clinico del diabete mellito rivolta non solo ai pediatri e ai medici di famiglia, ma anche a tutti gli ambienti frequentati dal bambino e dall'adolescente (scuola, palestre, ecc). La conoscenza della sintomatologia di esordio clinico del diabete mellito determina una maggiore sensibilizza-

zione di fronte a un bambino o un adolescente che manifesta i primi sintomi, con conseguente diagnosi tempestiva, evitando la chetoacidosi.

## Il piacere di mangiare

Grazie alle moderne pompe di infusione continua di insulina e ai tipi di insulina di ultima generazione è oggi possibile il passaggio dalle rigide regole alimentari prescritte all'applicazione del conteggio dei carboidrati, uno strumento che, una volta appreso, restituisce alle persone con diabete il piacere di mangiare. Nella pratica il conteggio dei carboidrati, nato in Canada e negli Stati Uniti prima di svilupparsi in Europa e in

Italia, permette al paziente preparato e quindi esperto, di dosare la quantità di insulina pre-pasto in relazione al quantitativo di carboidrati che desidera, prevede o ha appena terminato di consumare.

## Il Progetto PedArPan

Per la prima volta al mondo 30 bambini dai cinque ai nove anni sono entrati nella storia della sperimentazione sul diabete di tipo 1. Il progetto PedArPan (Pediatric Artificial Pancreas) si basa su un pancreas artificiale costituito da tre componenti collegati tra loro: un sensore sottocutaneo che rileva in continuo il livello di glucosio, un algoritmo di controllo specifico per pazienti pe-

diatrici inserito in uno smartphone che, sulla base delle indicazioni fornite costantemente dal sensore, permette di regolare l'erogazione di insulina attraverso un microinfusore, il terzo componente. I piccoli pazienti si sono riuniti a Bardonecchia e sono stati monitorati 24 ore su 24 da medici e dai genitori durante le normali attività quotidiane: tutti hanno partecipato con grande entusiasmo e i risultati scientifici sono stati valutati molto interessanti. “Si tratta di una tappa cruciale per l'evoluzione della terapia contro il diabete” ha dichiarato Riccardo Schiaffini, diabetologo pediatrico dell'Ospedale Bambin Gesù di Roma, uno dei protagonisti del progetto.