CLINICAL RESEARCH IN PEDIATRICS

HIGHLIGHTS

Fondazione
Internazionale
Menarini

13-14 marzo 2015
Firenze

CLINICAL RESEARCH IN PEDIATRICS

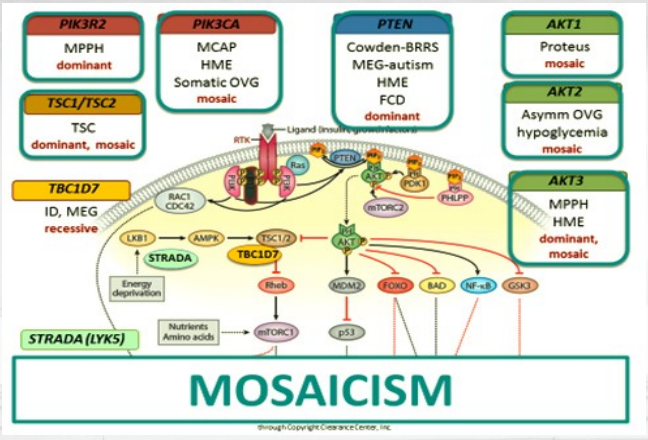
Firenze, 13-14 marzo 2015

Fondazione Internazionale Menarini

HIGHLIGHTS

Ghayda Mirzaa
Seattle Children's Research Institute
Center for Integrative Brain Science
Seattle (WA, USA)

Le mutazioni a Mosaico nel cervello umano alla base della genesi dell'Epilessia.



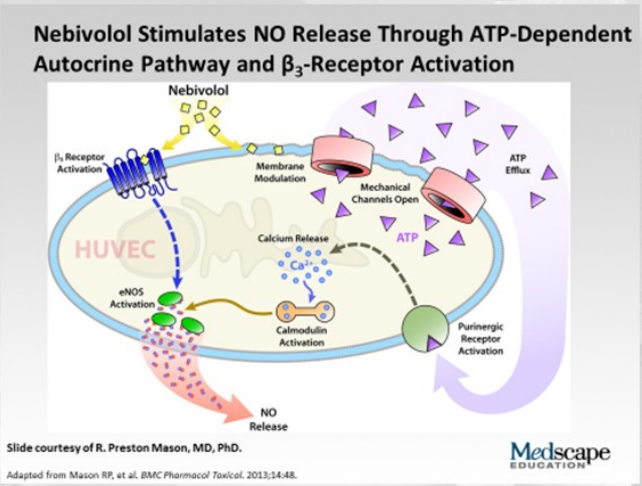
Nel nostro corpo possono coesistere innumerevoli esempi di mosaicismo, che tendono a manifestarsi con differenti sindromi a penetranza variabile. La Prof.ssa Mirzaa di Seattle ha illustrato tutta una serie di sindromi dovute ad alterazioni cerebrali e caratterizzate dalla presenza di epilessia ed altri importanti quadri patologici, quali deficit intellettivi, autismo, malformazioni craniche, malformazioni somatiche quali polidattilie ed altre. Il punto di partenza di queste sindromi è caratterizzato da importanti mutazioni geniche all'interno della pathway PI3K-AKT-mTOR che ne determinano l'attivazione. Questa via è di fondamentale importanza in quanto gioca un ruolo critico nella regolazione di diversi processi cellulari quali: crescita, proliferazione, differenziazione, apoptosi, angiogenesi ed anche genesi tumorale. Molte di queste sindromi solo recentemente sono state collegate all'alterazione della pathway PI3K-AKT- mTOR. Queste alterazioni inoltre sono a loro volta strettamente legate anche con la genesi di quadri patologici di tipo tumorale.

Quali sono i legami fra la pathway PI3K-AKT- mTOR, mosacismo e cancro?

Per approfondimenti clicca su questo link: www.fondazione-menarini.it/….. e, dopo aver effettuato il login entra nel materiale multimediale.

Francesco Nieddu
Department of Health Sciences (DSS)
University of Florence
Florence (Italy)

Nuovi metodi diagnostici per le infezioni batteriche:confronto fra diverse tecnologie



A tutt'oggi il gold standard per la diagnosi delle infezioni batteriche è il metodo culturale. Ma questo è valido per tutte le infezioni batteriche? Il Dr. Nieddu si è soffermato ad analizzare alcuni casi di infezione da meningococco, nei quali la diagnosi culturale era negativa, nonostante la presenza dell'infezione. Una metodica alternativa è la cosiddetta real time PCR, che non solo è più sensibile rispetto alla metodica culturale, ma fornisce anche risultati in tempi decisamente minori e anche con l'utilizzo di un numero significativamente inferiore di campioni. Un altro problema legato alla diagnostica culturale è l'alta percentuale di sottostima del fenomeno, che determina, come conseguenza, la sottostima della reale incidenza dell'infezione invasiva meningococcica nella popolazione.

Quali sono i costi legati all'applicazione di questa nuova metodica? E quali i risultati della vaccinazione della popolazione con i nuovi vaccini a 13 carrier proteici ?

Per approfondimenti clicca su questo link: www.fondazione-menarini.it/….. e, dopo aver effettuato il login entra nel materiale multimediale.

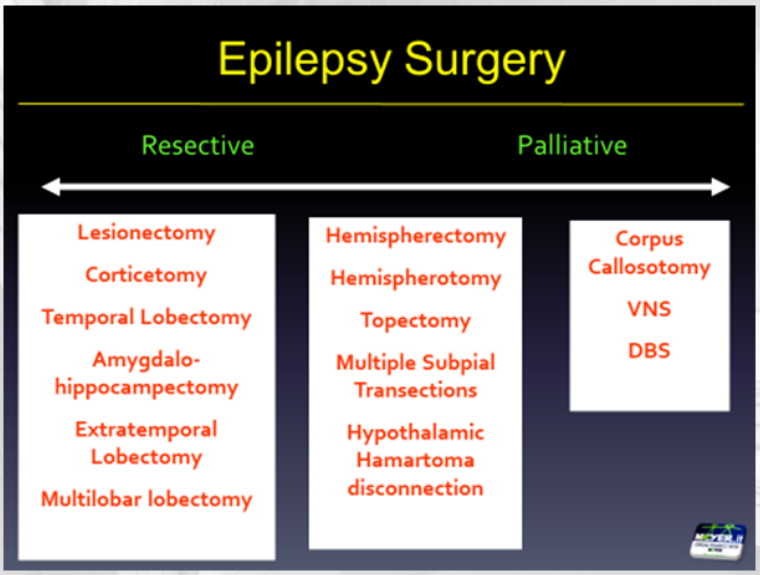
CLINICAL RESEARCH IN PEDIATRICS

Firenze, 13-14 marzo 2015

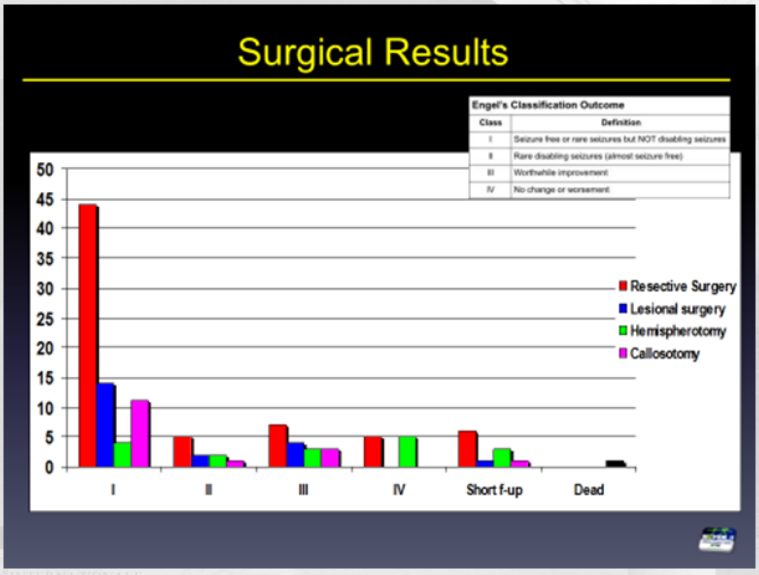
Fondazione Internazionale Menarini

HIGHLIGHTS

Trattamento chirurgico delle epilessie nei bambini: stato dell'arte



Essitono delle precise indicazioni su quando e come intervenire chirurgicamente nei bambini affetti da sindromi epilettiche. Il Prof. Giordano ha sottolineato che i risultati migliori si ottengono quando l'intervento viene eseguito precocemente. L'epilessia infatti è una malattia che determina delle conseguenze a livello cerebrale che nel corso del tempo possono diventare permanenti. Le tecniche chirurgiche utilizzate si possono suddividere in due grandi gruppi, interventi di asportazione di tessuto cerebrale e interventi di disconnessione del tessuto cerebrale in situ. In presenza di specifiche lesioni cerebrali, non è assolutamente dettto che queste siano anche la sede dei foci epilettogeni, eisitono precise tecniche strumentali atte a localizzare i foci epilettogeni che vengono poi asportati e/o disconnessi mediante le tecniche chirurgiche. L'applicazione di quesste tecniche ha permesso all'Unità di Neurochirurgia del Dipartimento di Neuroscienze dell'Ospedale Mayer di Firenze, di ottenere la remissione completa dei fenomeni epilettici in un numero significativo di pazienti.



Flavio Giordano
Department of Neuro-science
Meyer Children's University Hospital
Florence (Italy)

Quali sono le sfide a cui la terapia chirurgica delle epilessie deve quotidianamente far fronte? E quali gli sviluppi futuri?

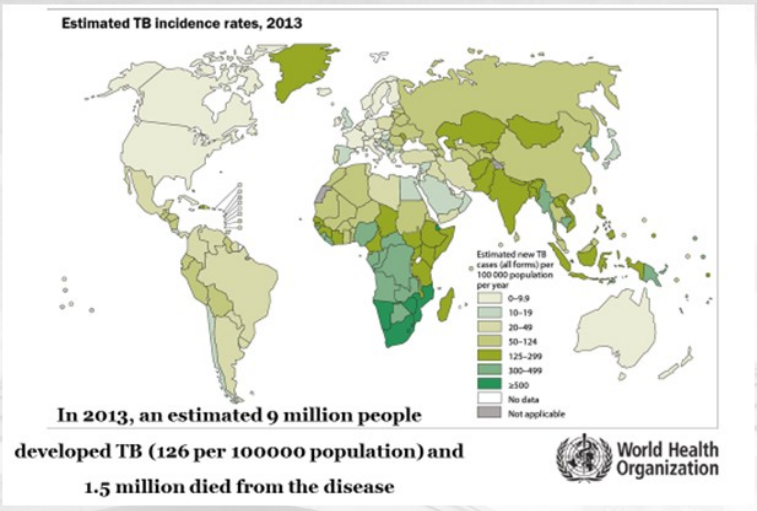
Per approfondimenti clicca su questo link: www.fondazione-menarini.it/….. e, dopo aver effettuato il login entra nel materiale multimediale.

CLINICAL RESEARCH IN PEDIATRICS
Firenze, 13-14 marzo 2015

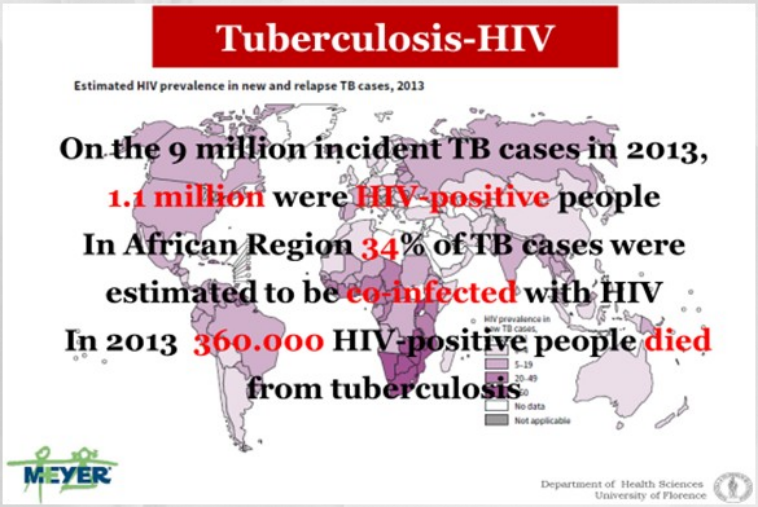
Fondazione Internazionale Menarini

HIGHLIGHTS

Nuovi vaccini contro La Tubercolosi



Nel 2013 la TBC nel mondo si è manifestata in circa 9 milioni di persone e di queste almeno 1.500.000 sono morte a causa della malattia. Questi dati veramente allarmanti sono stati presentati dalla Dr.ssa Carlotta Montagnani nel corso del convegno. Inoltre l'incidenza di TBC è in aumento nella popolazione giovanile della Toscana. Al fine di limitarne la diffusione è fondamentale trattare precocemente tutte le persone infette, anche nello stadio pre-sintomatologico e soprattutto vaccinare la popolazione al fine di creare uno stato permanente di immunizzazione. Per ottenere questo risultato non solo sono necessari nuovi test diagnostici, di cui l'IGRA ne è un esempio, ma anche sviluppare nuovi vaccini che siano in grado di agire nelle persone portatrici della duplice infezione HIV e TBC. La Dr.ssa Montagnani ha infatti sottolineato come in questa categoria di persone il classico vaccino BCG sia assolutamente controindicato in quanto gravato da un'alta incidenza di eventi avversi non solo locali ma anche sistemici. Inoltre il potere protettivo di questo vaccino tende a calare nel tempo. E' necessario quindi studiare e produrre nuovi vaccini che coprano adeguatamente la popolazione in età pediatrica e che siano utilizzabili anche in quei pazienti affetti da HIV e a rischio d TBC.



Carlotta Montagnani
Department of Pediatrics
Meyer Children's University Hospital
Florence (Italy)

Quali sono le caratteristiche che questi nuovi vaccini devono possedere? E quali nuove molecole sono attualmente in studio?

Per rispondere a queste domande clicca su questo link: www.fondazione-menarini.it/….. e, dopo aver effettuato il login entra nel materiale multimediale.

CLINICAL RESEARCH IN PEDIATRICS

Firenze, 13-14 marzo 2015

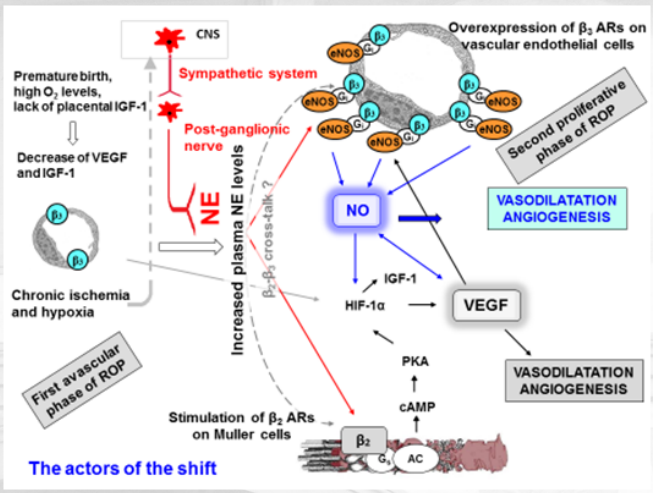
Fondazione Internazionale Menarini

HIGHLIGHTS

Luca Filippi
Neonatal Intensive Care Unit
Meyer Children's University Hospital
Florence (Italy)

Il sistema β adrenergico fra malattia neovascolarizzante della retina e cancro: esite un possibile legame?

Il Dr. Filippi ha presentato dati estremamente interessanti relativi ai principali meccanismi patogenetici coinvolti nello sviluppo della retinopatia del prematuro. Un'importante malattia che si sviluppa nella persona nata pretermine e che può condurre a cecità. Questa malattia è caratterizzata da una prima fase ipossica, seguita da una seconda fase iperossica con conseguente neovascolarizzazione patologica ed importanti alterazioni retiniche. Nel passaggio dalla fase ipossica a quella iperossica, sembrano profondamente coinvolti i recettori β-adrenergici e più in particolare i β-1, β-2 e β-3, a loro volta stimolati dalla Norepinefrina. La stimolazione di recettori β-3 ne determina la sovraespressione a livello delle cellule endoteliali e conseguente stimolazione di NO a sua volta responsabile dell'angiogenesi mediata dalla stimolazione di VEGF.



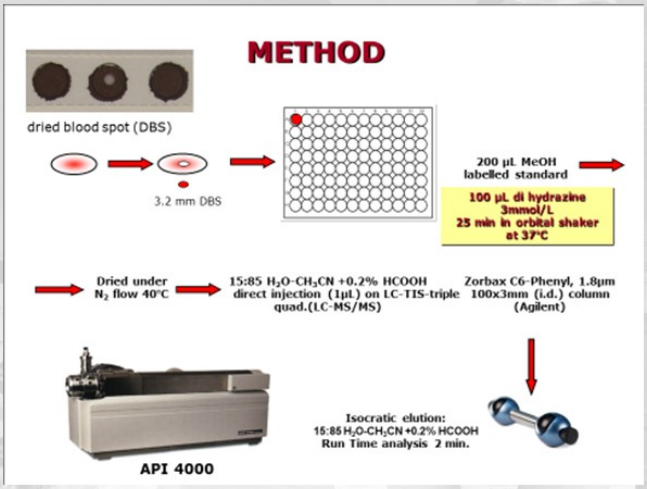
Ma questi meccanismi sono coinvolti solo nell'angiogensi della ROP od anche in altre situazioni quali ad esempio tutte le condizioni che determinano la crescita tumorale?

Per ulteriori approfondimenti clicca su questo link: www.fondazione-menarini.it/….. e, dopo aver effettuato il login entra nel materiale multimediale.

Giancarlo La Marca
Department of Neurosciences, Drug Research and Child Health (NeuroFarba)
University of Florence
Florence (Italy)

Nuove Tecniche in Pediatria per condurre studi di Farmacocinetica e Clinical Trials: quali novità?

Le tecniche di studio tradizionali di fatto hanno ridotto in maniera significativa la possibilità di sviluppare farmaci specifici per la popolazione pediatrica. Le persone in età pediatrica non sono piccoli uomini. Di conseguenza non è possibile che le dosi di farmaco indicate nella popolazione pediatrica derivino dal semplice dimezzamento delle dosi testate negli adulti, come affermato dal Dr. La Marca. Il relatore ha presentato dei dati relativi ad una metodica di prelievo di sangue alternativa, rispetto a quella classica: la cosiddetta tecnica blood spot. Questa tecnica prevede il prelievo di singole gocce di sangue capillare da analizzare con la spettometria di massa che è in grado di rilevare le componenti farmacocinetiche delle sostanze contenute in quantità veramente esigue di sangue. Le due tecniche unite insieme rendono così possibili studi di farmacocinetica e trial clinici, anche nelle popolazioni pediatriche e quindi aprono la strada agli studi registrativi in pediatria.



Esiste una sufficiente riproducibilità del dato utilizzando la metodica classica di prelievo di sangue e quella dry blood spot?

Per rispondere a questa ed altre domande clicca su questo link: www.fondazione-menarini.it/…..

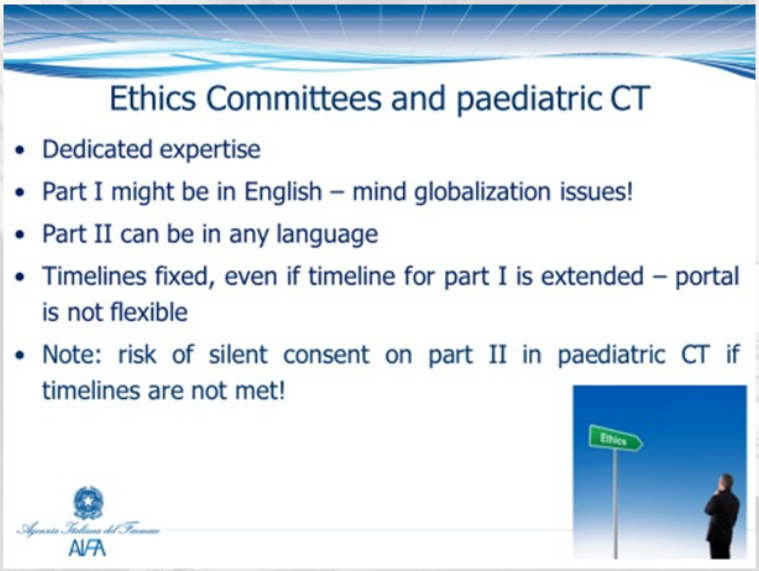
CLINICAL RESEARCH IN PEDIATRICS

Firenze, 13-14 marzo 2015

Fondazione Internazionale Menarini

HIGHLIGHTS

Il futuro della Ricerca Clinica in Pediatria alla luce della nuova normativa europea: quali indicazioni?



Il Prof. Luca Pani Direttore Generale di AIFA, ha affrontato questo tema cruciale per lo sviluppo futuro della pediatria. In base alla nuova normativa europea che entrerà in vigore verso giugno 2016, non sarà più possibile registrare farmaci in età pediatrica senza la presentazione di dati prodotti su popolazioni pediatriche. Questa importante novità inoltre si lega a tutta una serie di altri cambiamenti che possiamo definire "epocali". Il Prof. Pani ha infatti sottolineato come i nuovi processi di submission saranno totalmente centralizzati, uno studio internazionale ad esempio verrà autorizzato oltre che dalla Autorità Competente dello Stato Membro di Riferimento, anche dal CE del Centro Coordinatore presente in quello Stato Membro. Tutta la procedura sarà centralizzata a livello europeo e verrà totalmente eliminato l'utilizzo di documenti cartacei. Le submission verranno eseguite completamente sui portali web-based delle Autorità Competenti degli Stati Membri coinvolti. Anche i tempi di autorizzazione saranno significativamente inferiori rispetto al presente, esisterà la clausola di silenzio/ assenso e se un CE non riuscirà, nel tempo previsto, a dare una risposta, lo studio sarà automaticamente autorizzato. La conoscenza della Legge di Buona Pratica Clinica verrà considerato un prerequisito fondamentale per gli Sperimentatori che, di conseguenza, dovranno applicarla in ogni attività di Ricerca Clinica.

Queste sono alcune delle principali novità previste dalla nuova normativa, per approfondimenti clicca su questo link: www.fondazione-menarini.it/….. e, dopo aver effettuato il login entra nel materiale multimediale.

Luca Pani
Italian Medicines Agency
(Agenzia Italiana del Farmaco, AIFA)
Rome (Italy)

CLINICAL RESEARCH IN PEDIATRICS

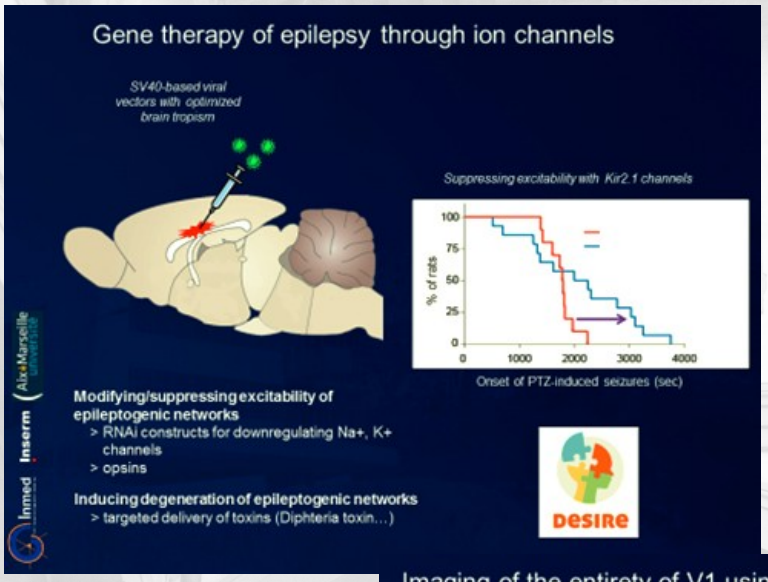
Firenze, 13-14 marzo 2015

Fondazione Internazionale Menarini

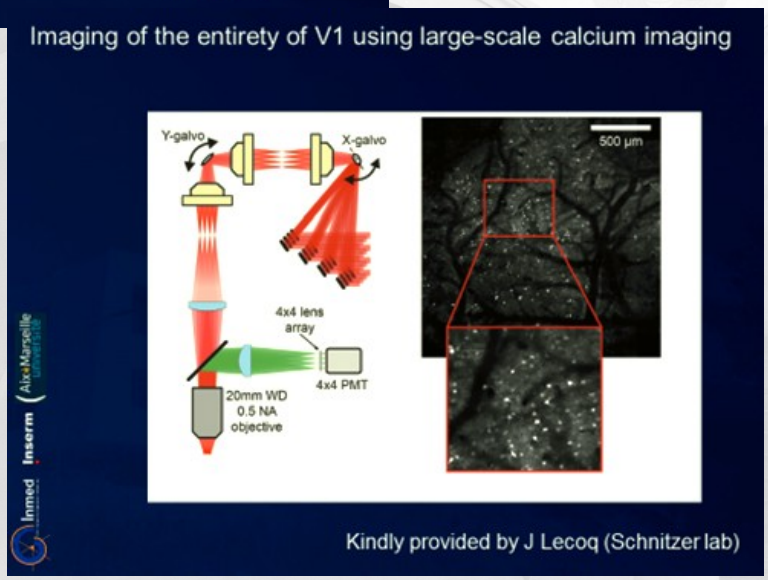
HIGHLIGHTS

La genesi dell'Epilessia: nuove strategie di studio

Alfonso Represa
Centre Direction
Mediterranean Institute of Neurobiology (INMED)



Quali sono i processi che determinano la genesi dell'epilessia in una corteccia cerebrale in formazione? Il Prof. Represa di Marsiglia ha presentato gli ultimi dati prodotti dalla ricerca scientifica. Alla base di questi fenomeni spesso sono presenti mutazioni gnetiche, anche legate alla presenza di convulsioni. Queste determinano delle lesioni corticali o ectopie che si accompagnano ad alterazioni secondarie del network neuronale, a loro volta responsabili della genesi di sindromi cliniche con differenti quadri fenotipici. Sono in corso innumerevoli studi su modelli animali di epilessia, che hanno come finalità quella di individuare terapie geniche che possano sconfiggere questa temibile malattia. Sono stati inoltre fatti passi da gigante nella messa a punto di diagnostiche strumentali di Imaging.



Quale il futuro di queste nuove terapie geniche? E lo sviluppo di tecniche innovative di imaging che scenari possono aprire?

Queste sono solo alcune delle tematiche trattate durante i lavori congressuali. Per un maggior approfondimento si rimanda al sito della Fondazione Internazionale Menarini dove sono presenti le relazioni congressuali in versione integrale.

Vai al link: www.fondazione-menarini.it/….. e, dopo aver effettuato il login entra nel materiale multimediale.

Fondazione Internazionale Menarini
Edificio L - Strada 6 Centro Direzionale Milanofiori 20089 Rozzano (MI)
Tel. +39 02 55308110 Fax +39 02 55305739 Email: milan@fondazione-menarini.it
www.fondazione-menarini.it - www.facebook.com/fondazionemenarini