



*Fondazione per la Ricerca
sulla Fibrosi Cistica - Onlus
italian cystic fibrosis research foundation*

XIX CONVENTION OF INVESTIGATORS IN CYSTIC FIBROSIS

25 – 26 novembre 2021

Andrea Armirotti

Istituto Italiano di Tecnologia

***STUDIARE IL CONTENUTO LIPIDICO E PROTEICO DELL'EPITELIO BRONCHIALE IN RISPOSTA
AL TRATTAMENTO CON KAFTRIO PER INDAGARE I MECCANISMI DEL RECUPERO DI CFTR.***

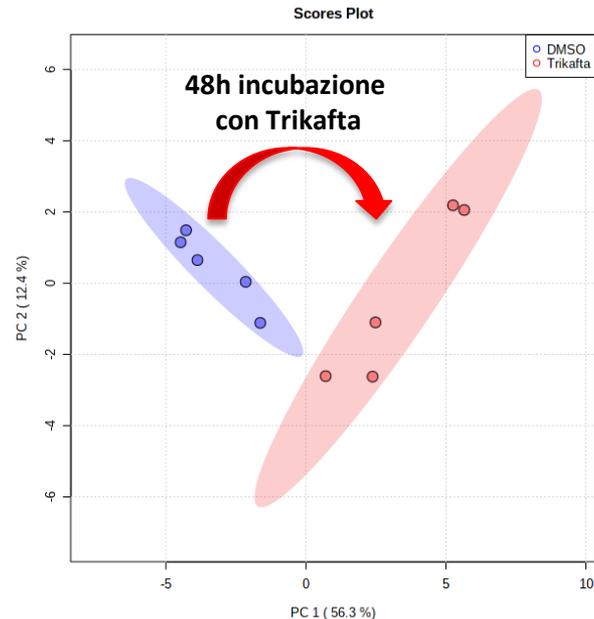
FFC#1/2021

OBIETTIVI SCHEMATICI DEL PROGETTO:

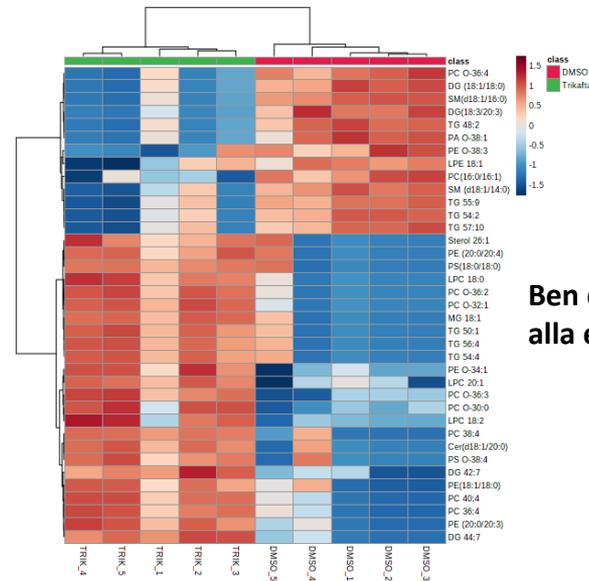
- 1) Studiare le alterazioni nel lipidoma e nel proteoma cellulare legate alla F508del FC
- 2) Distinguere gli effetti primari (alterazioni legate specificatamente al recupero di CFTR) da quelli secondari (effetti off-target dei farmaci)
- 3) Identificare le «firme» molecolari della risposta al Trikafta e, soprattutto, della *assenza* di risposta
- 4) Aumentare la comprensione dei meccanismi molecolari FC

DATI PRELIMINARI:

Il trattamento con Trikafta altera in maniera chiara e misurabile il contenuto lipidico delle cellule bronchiali FC



**Cellule primarie di soggetto
F508del/F508del, 5 replicati biologici**



**Ben definiti profili lipidici associati
alla esposizione a Trikafta**

COME QUESTO PROGETTO CONTRIBUISCE ALL'AVANZAMENTO DELLA RICERCA SULLA FIBROSI CISTICA

- Capiremo ancora meglio come i lipidi della cellula sono coinvolti nella CF e nel recupero di CFTR
- Identificheremo dei nuovi meccanismi potenzialmente sfruttabili farmacologicamente per aiutare il recupero stesso
- Troveremo dei biomarkers di risposta, anche individuale, al Trikafta

