

Malattie rare, la ricerca sulla Sla guarda al futuro: AriSla investe 1,6 mln in 6 nuovi progetti

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? Un investimento complessivo di 1,6 milioni di euro per sostenere la ricerca sulla sclerosi laterale amiotrofica (Sla), accelerare lo sviluppo di nuove strategie terapeutiche e gettare le basi per futuri studi clinici di medicina personalizzata. Ã? lâ??impegno annunciato da AriSla, Fondazione italiana di ricerca per la Sla Ets, in occasione del X Convegno scientifico â??Eccellenza e sinergie nella ricerca sulla Slaâ??, che si Ã¨ svolto a Milano il 19 e 20 novembre, coinvolgendo oltre 250 ricercatori, clinici e rappresentanti della comunitÃ dei pazienti. La Fondazione â?? informa una nota â?? ha destinato 900mila euro al finanziamento di 6 nuovi progetti selezionati attraverso il Bando AriSla 2026 e ulteriori 700mila euro al progetto internazionale â??Italian Tardbp Trial Readinessâ??, realizzato in collaborazione tra Italia e Stati Uniti per lâ??avvio di futuri studi clinici basati su terapie personalizzate. Ad annunciare i nuovi investimenti sono state la presidente di AriSla, Lucia Monaco, e la responsabile scientifica, Anna Ambrosini. Un impegno che si inserisce in un percorso di lungo periodo: grazie al sostegno dei quattro soci fondatori â?? Aisla, Fondazione Cariplo, Fondazione Telethon Ets e Fondazione Vialli e Mauro per la Ricerca e lo Sport Ets â?? ad oggi Fondazione AriSla ha investito complessivamente 19,4 milioni di euro sostenendo 128 progetti e 178 ricercatori.

â??Il supporto di AriSla alla ricerca tiene conto non solo dei temi oggi piÃ¹ promettenti per lâ??identificazione di nuovi approcci terapeutici, ma anche del potenziale impatto sulla vita delle persone con Sla â?? ha affermato Monaco â?? In questa direzione vanno i nuovi progetti finanziati con il Bando AriSla 2026 e il sostegno allâ??iniziativa â??Italian Tardbp Trial Readinessâ??, una collaborazione che coinvolge diversi soggetti italiani, tra cui Aisla, uno dei nostri soci fondatori, e dimostra quanto il lavoro di squadra sia fondamentale per affrontare sfide cruciali come quella contro la Slaâ?•.

Il convegno AriSla â?? sottolineano dalla Fondazione â?? ha rappresentato unâ??importante occasione di confronto sui principali filoni della ricerca scientifica e sulla visione strategica della Fondazione. Ad aprire le due giornate sono state due lectio magistralis di respiro internazionale. Jeroen Pasterkamp dellâ??universitÃ di Utrecht ha illustrato le potenzialitÃ dei modelli in vitro avanzati per la ricerca preclinica, mentre David Taylor di Als Canada ha portato la visione strategica della International Alliance of Als/Mnd Associations con un panorama delle iniziative di ricerca sulla Sla in altre regioni del

mondo, enfatizzando il valore delle collaborazioni tra i diversi stakeholder. In aggiunta alla discussione sui meccanismi patogenetici, della interazione nervo-muscolo e dei potenziali approcci terapeutici, durante il convegno si Ã¨ parlato di biomarcatori: indicatori con una duplice valenza, che Ã¨ stata valorizzata in due tavole rotonde distinte. Nella prima giornata si Ã¨ parlato del loro ruolo nellâ??individuazione dei meccanismi di malattia. Mentre nella seconda giornata i relatori si sono concentrati sul ruolo dei biomarcatori nella clinica, per individuare precocemente i segni della malattia al fine di avviare una presa in carico e un approccio di intervento sempre piÃ¹ precoce e personalizzato. Grande protagonista delle discussioni durante il convegno Ã¨ stata la proteina Tdp-43. Questa proteina risulta alterata nei motoneuroni nel 97% delle persone con Sla, sia nella forma ereditaria, sia nella piÃ¹ comune forma sporadica. Questa osservazione ha dato un grande impulso alla ricerca che vuole comprenderne il ruolo nella neurodegenerazione ed elaborare strategie volte a ridurne gli effetti tossici. Dal convegno Ã¨ emerso che anche la ricerca nellâ??ambito della genetica offre spunti sul coinvolgimento di Tdp-43. In alcuni casi, la disfunzione di questa proteina Ã¨ causata da mutazioni nel gene che la codifica: Tardpb. La ricerca Ã¨ quindi molto attiva nellâ??individuare le varianti genetiche di questo gene, per lo sviluppo di future terapie geniche mirate.

default watermark

Nellâ??ambito della ricerca che ha come target Tardbp si colloca il progetto internazionale Italian Tardbp Trial Readiness. Fondazione AriSla ha destinato 700mila euro a questa iniziativa che vede Italia e Stati Uniti collaborare alla creazione di una piattaforma clinica per preparare lâ??avvio di futuri studi clinici di medicina personalizzata per la Sla associata a mutazioni di Tardbp. Un fronte della ricerca clinica riguarda la valutazione dellâ??efficacia degli oligonucleotidi antisenso (Aso), molecole progettate per agire in modo mirato sullâ??Rna e contrastare i meccanismi patologici legati alle alterazioni della proteina Tdp-43. Grazie alla loro elevata specificitÃ , gli Aso sono progettati per singole mutazioni genetiche (per il singolo paziente), ma potranno successivamente essere usati nei pazienti portatori dello stesso difetto. Lo studio osservazionale finanziato da AriSla non prevede la somministrazione di farmaci, ma intende avviare una ricognizione nazionale delle persone con varianti del gene Tardbp per caratterizzarne il profilo clinico, genetico e molecolare.

â??Lâ??Italia Ã¨ un prezioso laboratorio naturale, dato che qui câ??Ã¨ una presenza relativamente piÃ¹ alta che in altri Paesi di persone con mutazioni nel gene TArdbp â?? ha sottolineato Ambrosini â?? Questa peculiaritÃ rende lâ??Italia il contesto ideale per costruire le basi scientifiche e regolatorie necessarie ai futuri studi clinici basati sugli Aso, e auspichiamo possa diventare un modello anche per altri Paesiâ?•. Il progetto Ã¨ condotto da un gruppo di lavoro scientifico internazionale composto da ricercatori, tra cui alcuni sono intervenuti al convegno raccontando il loro fondamentale contributo, come Mario Sabatelli (Centro clinico Nemo, Roma), Christian Lunetta (Istituti clinici scientifici Maugeri, Milano), Antonia Ratti (Istituto Auxologico, Milano), Piera Pasinelli (Jefferson Weinberg Als Center, Philadelphia, Usa). In questo percorso, Aisla contribuisce a rappresentare le istanze delle persone con Sla e delle loro famiglie, favorendo il confronto con la comunitÃ scientifica e le istituzioni. Come evidenziato dalla presidente nazionale Fulvia Massimelli durante il convegno, la sfida non riguarda soltanto la disponibilitÃ di nuove prospettive terapeutiche, ma anche la costruzione, fin da oggi, delle condizioni scientifiche, organizzative e regolatorie necessarie affinchÃ© le future sperimentazioni possano essere avviate tempestivamente e secondo criteri di equitÃ . Il percorso si inserisce nel piÃ¹ ampio dialogo scientifico tra Italia e Stati Uniti, valorizzando la collaborazione tra ricercatori, clinici e comunitÃ delle persone con Sla. â??In questo ultimo anno e mezzo abbiamo dato vita a un team multidisciplinare che opera in modo concertato e instancabile. Continueremo a lavorare insieme per raggiungere questi ambiziosi obiettiviâ?•, ha assicurato Ambrosini.

Monaco e Ambrosini hanno annunciato i progetti vincitori del Bando AriSla 2026. Le proposte di ricerca sono state selezionate da una commissione di esperti internazionali nei mesi scorsi e riflettono lâ??eccellenza della ricerca italiana. I progetti confermano lâ??importanza dei temi giÃ emersi nel convegno, come la ricerca di strategie per ridurre la tossicitÃ di Tdp-43 e lâ??importanza di individuare biomarcatori per individuare i sottotipi Sla. Un altro tema Ã¨ lâ??uso di tecniche innovative per individuare nuove varianti genetiche e dare risposta ai pazienti che ancora non hanno una diagnosi genetica nota. AriSla stanzierÃ 600mila euro di finanziamento per i progetti Full Grant e 300mila euro per i progetti Pilot Grant. Durante la sessione poster del convegno, i giovani ricercatori hanno condiviso i risultati delle loro ricerche con tutti i colleghi. Una commissione di esperti internazionali ha valutato le loro presentazioni e assegnato il Premio Giovani ricercatori a Francesca Manganelli (Life â?? Istituto di ricerca e cura, Santa Lucia Irccs Roma), Carmelo Milioto (universitÃ degli Studi di Milano) e Charikleia Karastamati (universitÃ del Piemonte Orientale, Novara). I tre giovani scienziati riceveranno 1.000 euro ciascuno da investire nella loro crescita culturale e scientifica. Il premio poster Ã¨ stato possibile grazie al contributo dellâ??associazione Io corro con Giovanni, rappresentata da Alessandro Marocchi che Ã¨ intervenuto sottolineando lâ??importanza di supportare i giovani ricercatori incoraggiando il loro interesse verso la ricerca sulla Sla. AriSla ha ringraziato lâ??associazione che ogni anno sostiene AriSla con lâ??adozione di parte dei progetti di ricerca tra quelli selezionati dalla Fondazione.

default watermark

Il convegno ha rappresentato lâ??occasione per raccontare una iniziativa supportata da due donatori, Massimo di Rienzo e Pietro Prosino, con lâ??assegnazione del Travel Grant â??Giorgio e Graziella di Rienzoâ?? alla giovane ricercatrice Elena Chinosi dellâ??universitÃ degli Studi di Milano. â??Questo finanziamento di 10mila euro Ã¨ stato conferito per gettare un seme e fornire una opportunitÃ di esperienza di ricerca allâ??estero, che auspichiamo possa essere rilevante per la crescita scientifica, professionale e personale della giovane ricercatriceâ?•, ha evidenziato di Rienzo. In chiusura del convegno, inoltre, Ã¨ stata ringraziata Nicoletta De Rossi, presidente dellâ??associazione ConSlancio Ets, per la donazione di 15.700 euro, fondi raccolti tramite un evento territoriale a favore della ricerca scientifica di AriSla. Il X Convegno AriSla ha ricevuto la Medaglia del presidente della Repubblica e ha goduto del patrocinio di Regione Lombardia, Comune di Milano, Fnomceo (Federazione nazionale degli Ordini dei medici chirurghi e degli odontoiatri), Sin (SocietÃ italiana di neurologia), Sins (SocietÃ italiana di neuroscienze). Inoltre, ha beneficiato del supporto dellâ??associazione Io Corro con Giovanni e della sponsorizzazione non condizionante delle aziende Italfarmaco, Biogen, Hoya e Dba Italia.

I progetti vincitori del Bando Arisla 2026 Full Grant: SuALS â?? Modulare la coniugazione di SUMO2 per prevenire o contrastare la patologia da TDP-43 nella Sla. Il progetto SuALS sarÃ condotto da Luana Fioriti, principal investigator, e da Laura Pasetto, in qualitÃ di partner, entrambe dellâ??Istituto di ricerche farmacologiche Mario Negri Irccs Milano. Il progetto approfondirÃ il ruolo della SUMOilazione, una modifica delle proteine, nella Sla. In particolare, verrÃ studiato se lâ??aumento di SUMO2 sia in grado di promuovere la SUMOilazione di Tdp-43 (una proteina coinvolta nella Sla) e ridurne la tossicitÃ . I ricercatori valuteranno quindi il potenziale terapeutico della molecola SBT02, che mima lâ??azione di SUMO2 in un modello murino di Sla. (Ambito di ricerca Preclinica, valore 300.000 euro e durata 36 mesi). Sumo-Tdp: Modificazione selettiva di Tdp-43 mediante Sumo2/3 per lo sviluppo di terapie per la Sla. Il progetto Sumo-Tdp Ã¨ condotto dalla principal investigator Serena Carra del Dipartimento di Scienze Biomediche, Metaboliche e Neuroscienze (UniversitÃ di Modena e Reggio Emilia) insieme a Greta Bergamaschi dellâ??Istituto di Scienze e Tecnologiche Chimiche â??Giulio Nattaâ?? (Cnr, Milano) in qualitÃ di partner. Lâ??obiettivo del progetto Sumo-Tdp Ã¨ caratterizzare lâ??azione di PIAS4, un enzima in grado di promuovere la SUMOilazione di Tdp-43. Queste

conoscenze saranno importanti per sviluppare delle molecole che contrastino lâ??aggregazione di Tdp-43. La ricerca valuterÃ inoltre se la riduzione della SUMOilazione di Tdp-43 Ã¨ coinvolta nella vulnerabilitÃ dei motoneuroni e quindi studierÃ il potenziale effetto neuroprotettivo delle molecole identificate. (Ambito di ricerca di Base, valore 300.000 euro e durata 36 mesi).

Pilot Grant. TAcT-ALS: ASRGL1 come bersaglio terapeutico per contrastare la tossicitÃ di TDP-43 nella Sla. Il progetto TAcT-ALS sarÃ condotto da Ciro Iaccarino del Dipartimento di Scienze biomediche (UniversitÃ di Sassari) e si propone di identificare nuove molecole in grado di potenziare ASRGL1, un enzima in grado di favorire lâ??eliminazione delle forme tossiche di Tdp-43. Lâ??effetto protettivo di queste molecole verso i neuroni sarÃ studiato anche in un nuovo modello transgenico di Drosophila (moscerino della frutta). (Ambito di ricerca di Base, valore 60.000 euro e durata 12 mesi). MolEVeALS: Stratificazione molecolare della Sla sporadica mediante profilazione delle vescicole extracellulari in campioni di sangue e liquido cerebrospinale. Il progetto MolEVeALS sarÃ condotto da Matteo Zanovello del Dipartimento di Neuroscienze (UniversitÃ di Padova) e si propone di identificare sottotipi della Sla, chiamati â??endotipiâ??. Mediante lâ??analisi di prelievi di sangue e di liquido cerebrospinale provenienti da persone con Sla sarÃ effettuata una profilazione genomica, proteica e immunitaria con tecniche avanzate. I risultati saranno integrati con le caratteristiche cliniche dei pazienti per definire e caratterizzare meglio gli endotipi delle forme sporadiche di Sla. Individuare questi endotipi migliorerÃ la costruzione dei futuri studi clinici, grazie a una selezione piÃ¹ mirata e una piÃ¹ precisa valutazione delle risposte ai trattamenti. Inoltre, le conoscenze acquisite potranno contribuire allo sviluppo di strumenti diagnostici e di monitoraggio piÃ¹ personalizzati. (Ambito di ricerca Preclinica, valore 80.000 euro e durata 12 mesi).

default watermark

Reveal-Als: Ricerca di varianti genetiche nascoste e complesse nella SLA esoma-negativa mediante sequenziamento long-read. Il progetto sarÃ condotto da Alessia Fiorentino dellâ??Irccs Istituto delle scienze neurologiche di Bologna (Azienda Usl Bologna). Reveal-Als â?? conclude la nota â?? si propone di individuare cause genetiche della Sla ancora sconosciute, studiando pazienti privi di una diagnosi genetica, con forme familiari o con forme sporadiche che presentano caratteristiche cliniche comuni ad altre malattie neurodegenerative. Il progetto utilizzerÃ il sequenziamento long-read dellâ??intero genoma, una tecnologia che consente di leggere lunghi frammenti di Dna e di rilevare alterazioni difficilmente identificabili con i test convenzionali. Lâ??obiettivo Ã¨ approfondire la conoscenza delle basi genetiche della SLA e contribuire a migliorarne la diagnosi. (Ambito di ricerca Preclinica, valore 80.000 euro e durata 12 mesi). Cryp-Als: Decodificare la Sla attraverso le vescicole extracellulari di derivazione neuronale. Il progetto Cryp-Als sarÃ condotto da Luisa Donini di Cibio (UniversitÃ di Trento) e ha lâ??obiettivo di studiare e identificare dei particolari frammenti chiamati â??esoni cripticiâ?• e â??peptidi cripticiâ??. Questi elementi disfunzionali si formano quando la proteina TDP-43, una proteina implicata nella Sla, non riesce a esercitare la sua funzione biologica. Saranno studiati gli esoni e i peptidi criptici provenienti dalle vescicole extracellulari (Ev). Le Ev sono particelle che danno informazioni sullâ??organo di provenienza. In particolare, questa ricerca si propone di isolare e studiare gli esoni e i peptidi criptici nelle vescicole extracellulari ottenute da neuroni. Questi neuroni sono derivati da cellule staminali ottenute da pazienti con una mutazione nel gene TARDBP (che codifica per Tdp-43). Lâ??analisi sarÃ di esoni e peptidi criptici alle vescicole extracellulari provenienti da fluidi biologici di persone con Sla, per valutare lâ??impatto della disfunzione di Tdp-43 nelle fasi precoci della malattia. (Ambito di ricerca Clinica Osservazionale, valore 80.000 euro e durata 12 mesi).

â??

economia

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Novembre 23, 2026
Autore
redazione

default watermark