



Malattie rare, Telethon premia la ricerca di 3 dipartimenti dell'Università Tor Vergata

Descrizione

(Adnkronos) Con 3 dipartimenti premiati da Telethon, la ricerca dell'università di Roma Tor Vergata sulle malattie rare diventa il primo ateneo nel Lazio per numero di progetti finanziati. L'ateneo romano grazie ai dipartimenti di Biomedicina e prevenzione, Scienze e tecnologie chimiche, e Biologia si distingue nella prima selezione del bando multi-round di Fondazione Telethon, i cui risultati sono stati diffusi oggi. Il bando finalizzato al finanziamento di progetti di ricerca di base e preclinica sulle malattie genetiche rare, presentati da enti di ricerca non profit, pubblici o privati, attivi su tutto il territorio nazionale. I risultati ottenuti afferma il rettore, Nathan Levialdi Ghiron confermano la solidità della nostra ricerca e la sua capacità di esprimersi in ambiti scientifici diversi, di particolare rilevanza per l'avanzamento degli studi sulle malattie rare. Un quadro che riflette un patrimonio di competenze ampio e qualificato, costruito nel tempo e capace di sostenere con continuità sfide scientifiche complesse.

Nel dettaglio riporta una nota dell'ateneo di Tor Vergata il gruppo di ricerca guidato da Claudia Bagni presso il Dipartimento di Biomedicina e prevenzione di Tor Vergata tra i protagonisti dei 6 progetti finanziati nel Lazio dalla Fondazione Telethon con un finanziamento di 360mila euro, il più elevato a livello regionale. Il progetto dedicato allo sviluppo di strategie innovative in ambito biomedico e si colloca nel settore della nanomedicina, con l'obiettivo di superare uno dei principali ostacoli nella terapia delle patologie neurologiche: l'attraversamento della barriera ematoencefalica. Attraverso l'impiego di nanoparticelle innovative per il trasporto di mRNA nel cervello, la ricerca mira ad una terapia per la sindrome dell'X fragile (Fxs). A oggi non esiste la cura per la Fxs, la forma monogenica più frequente di diversa abilità intellettiva e autismo. La patologia, associata a difficoltà sensoriali, cognitive, sociali e a disturbi del sonno, è causata dalla mancanza dell'mRNA Fmr1 che codifica per la proteina Fmrp. Essere tra i vincitori di un finanziamento così importante afferma Bagni è stato possibile grazie al lavoro congiunto del mio gruppo che mi affianca all'università di Roma Tor Vergata e all'università di Losanna, al sostegno di Telethon e delle associazioni delle Famiglie X fragile italiane, svizzere e internazionali. Prevediamo di sviluppare un agente sicuro ed efficace in grado di permettere una terapia della Fxs.

Il progetto si svilupperà in collaborazione con Alessandro Bertucci, professore, esperto di nanoparticelle presso l'università di Parma, e con altre collaborazioni internazionali, tra cui l'università di Losanna. I risultati attesi dal team di Bagni rappresentano un potenziale avanzamento nei campi della biomedicina e della nanotecnologia. «Ripongo grandi speranze in questo progetto» continua Bagni «Andremo a intervenire alla radice della condizione Fxs attraverso il ripristino dell'mRna mancante mediante queste nuove particelle, la terapia potrebbe non essere lontana». Secondo l'esperta, «lo sviluppo di queste speciali nanoparticelle potrebbe migliorare in modo significativo il profilo di sicurezza e gli approcci terapeutici per numerose altre patologie neurologiche oltre la Fxs».

Il team di Gianfranco Bocchini del Dipartimento di Scienze e tecnologie chimiche di Tor Vergata, che ha ricevuto un finanziamento di oltre 150mila euro, lavora sulle basi per trattamenti mirati delle RASopatie, un gruppo di patologie genetiche che collettivamente rappresentano le malattie rare più diffuse; nonostante ciò, ad oggi non esiste una cura. Tra le proteine coinvolte, Shp2 riveste un ruolo chiave, agendo da ponte tra i recettori sulla membrana e l'interno della cellula e attivando alcune cascate di segnale che regolano le funzioni biologiche più importanti. «Il nostro progetto che porteremo avanti in stretta collaborazione con colleghi dell'ospedale pediatrico Bambino Gesù, dell'Istituto superiore di sanità e del Cnr di Padova» illustra Bocchini «punta a creare e ottimizzare molecole in grado di impedire l'interazione di Shp2 con altre proteine, riducendo così la trasmissione patologica dei segnali. Grazie a un approccio multidisciplinare che integra biofisica, chimica, biologia molecolare e cellulare, svilupperemo inibitori mirati e ne testeremo l'efficacia in laboratorio». Al termine del lavoro, i ricercatori contano di avere composti pronti per studi preclinici, da sviluppare ulteriormente in collaborazione con aziende farmaceutiche interessate. «L'obiettivo di lungo periodo» rimarca «» «» porre le basi per i primi trattamenti mirati delle RASopatie».

I ricercatori guidati da Nadia D'Ambrosi, professoressa associata del Dipartimento di Biologia dell'ateneo romano, partecipano a un progetto di ricerca di cui è capofila il Cnr con la ricercatrice Simona Rossi dell'Istituto di farmacologia traslazionale (Cnr-Ift). Finanziato con 240mila euro dalla Fondazione Telethon, è dedicato allo studio dell'ataxia spinocerebellare tipo 37 (Sca 37), una rara malattia neurodegenerativa che colpisce i neuroni del cervelletto, una regione del cervello deputata alla coordinazione dei movimenti e all'equilibrio. La Sca37 è causata da una mutazione genetica caratterizzata dalla ripetizione anomala di una breve sequenza di Dna all'interno del gene Dab1. Studi recenti indicano che queste sequenze di Dna mutato possano generare strutture anomale capaci di interferire con il normale funzionamento delle cellule nervose, alterando processi fondamentali per la loro sopravvivenza. Il progetto mira a chiarire questi meccanismi attraverso diversi modelli sperimentali. In questo contesto, il gruppo di Tor Vergata contribuirà allo sviluppo e alla caratterizzazione di un nuovo modello utile a studiare la malattia e il ruolo di specifici fattori coinvolti nella regolazione e nella maturazione degli Rna messaggeri, molecole fondamentali per trasmettere le informazioni contenute all'interno del Dna.

«Il gruppo di ricerca che coordino, composto da giovani ricercatrici, laureande e laureandi molto motivati e con competenze multidisciplinari» sottolinea D'Ambrosi «sarà impegnato nell'individuazione di nuovi meccanismi molecolari alterati nella Sca37. Questa conoscenza è fondamentale per identificare specifiche molecole e vie biologiche che potranno rappresentare in futuro nuovi bersagli terapeutici da esplorare nell'ambito della ricerca sulla patologia».

»

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Febbraio 9, 2026

Autore

redazione

default watermark