



NEUROSCIENCE INSTITUTE CAVALIERI OTTOLENGHI

Regione Gonzole, 10 - 10043 Orbassano (Turin - Italy)

phone.: +390116706617 fax.: +390112366617

alessandro.vercelli@unito.it

Alla dott.ssa Simona Taverna
Presidente della Associazione Girotondo Onlus
e agli amici della Associazione

Torino, 22 marzo 2015

Cari Amici

che sostenete da anni il nostro lavoro con le Vostre donazioni e il vostro 5xmille, vi scrivo per ringraziarVi per l'aiuto del passato e per chiedere di continuare a sostenerci, soprattutto in questi anni difficili per l'economia e per i finanziamenti alla ricerca scientifica.

Come sapete il nostro laboratorio si occupa di atrofia muscolare spinale da diversi anni, in collaborazione con il laboratorio del dott. Battaglia (dell'Istituto Besta di Milano). In questo campo stiamo svolgendo ricerche su diversi versanti:

- 1) studiamo l'autofagia (un meccanismo attraverso cui le cellule nervose possono "digerire" le sostanze tossiche accumulate, ma che in alcuni casi porta alla morte della cellula stessa) nel modello sperimentale di atrofia muscolare spinale, per comprenderne i meccanismi molecolari e modularla (presto sottometteremo l'articolo per la pubblicazione su una rivista internazionale).
- 2) Il lavoro sulla agrina biologica, che rallenta l'atrofia delle fibre muscolari, in collaborazione con il laboratorio del prof. Ruegg (Basilea) e una ditta biotecnologica (Neurotune, Lugano) è terminato e anch'esso è in fase di sottomissione per la pubblicazione.
- 3) Collaboriamo con un'altra ditta biotecnologica svizzera per ottenere una nuova formulazione di questa molecola che ne favorisca la penetrazione nelle cellule e l'efficacia: i risultati sono molto positivi e stiamo chiedendo il brevetto dell'idea per accedere a finanziamenti internazionali.
- 4) Abbiamo inoltre individuato una molecola (miRNA 206) la cui espressione varia nella malattia (come succede anche nella SLA) e che intendiamo utilizzare per sviluppare altri farmaci. L'articolo è stato sottomesso ed è attualmente in fase di revisione per la pubblicazione.
- 5) Recentemente stiamo studiando alcune forme di SLA in cui la sintomatologia e le caratteristiche istopatologiche sono simili alla SMA. In questi casi sembra che ci siano delle alterazioni di geni che influenzano l'espressione della proteina smn (alterata nella SMA), e il loro studio potrebbe far comprendere meglio come influenzarne l'espressione.

La Vostra associazione si occupa anche di lesioni del midollo spinale. A tal proposito recentemente abbiamo pubblicato un lavoro in cui abbiamo studiato, in modelli sperimentali del midollo spinale, le potenzialità terapeutiche dei trapianti di diverse cellule staminali (mesenchimali e precursori neurali) e dell'esercizio fisico passivo e attivo. La dott.ssa Boido inoltre, ricercatrice facente parte del nostro gruppo, insieme a colleghi del Politecnico di Torino, sta elaborando una strategia combinata che prevede l'utilizzo di scaffold biomimetici (idrogeli) e cellule staminali embrionali o adulte.

Il vostro contributo è stato ed è fondamentale per il procedere delle nostre ricerche sulla Atrofia Muscolare Spinale, e, oltre a stimolarci a lavorare sempre di più e meglio, ci ha permesso di stabilire le basi per richiedere finanziamenti in Italia e all'estero. Confido nel vostro sostegno anche per gli anni a venire, e resto a vostra disposizione per qualsiasi chiarimento.

Alessandro Vercelli

(<http://www.nico.ottolenghi.unito.it/index.php/it/brain-development-and-disease>)