

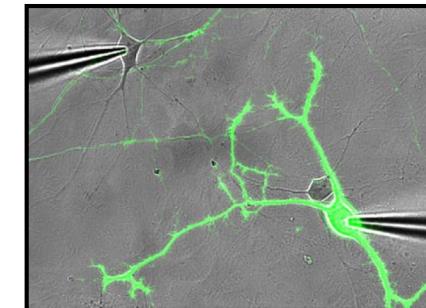
# Nuove Tecnologie per la Ricerca di Base e Traslazionali nelle Neuroscienze

# Cosa Posso Fare per Voi?

**Le basi del funzionamento del cervello**



**Panoramica sulle tecniche sperimentali in neuroscienza**



**Risultati sperimentali su modelli animali di sindrome di Down**



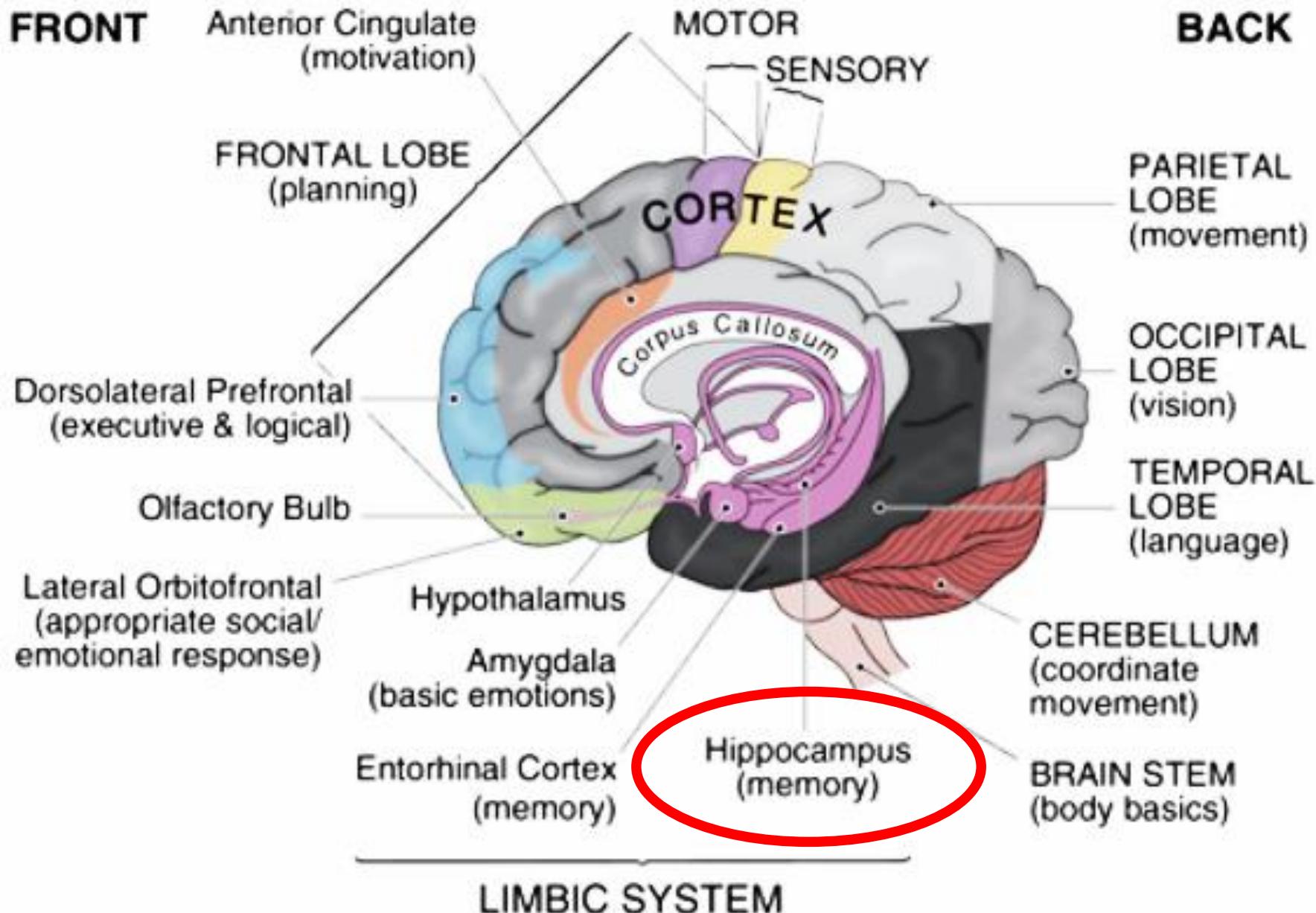
# Il cervello Umano Genera Comportamenti che Promuovono il Benessere dell'Animale



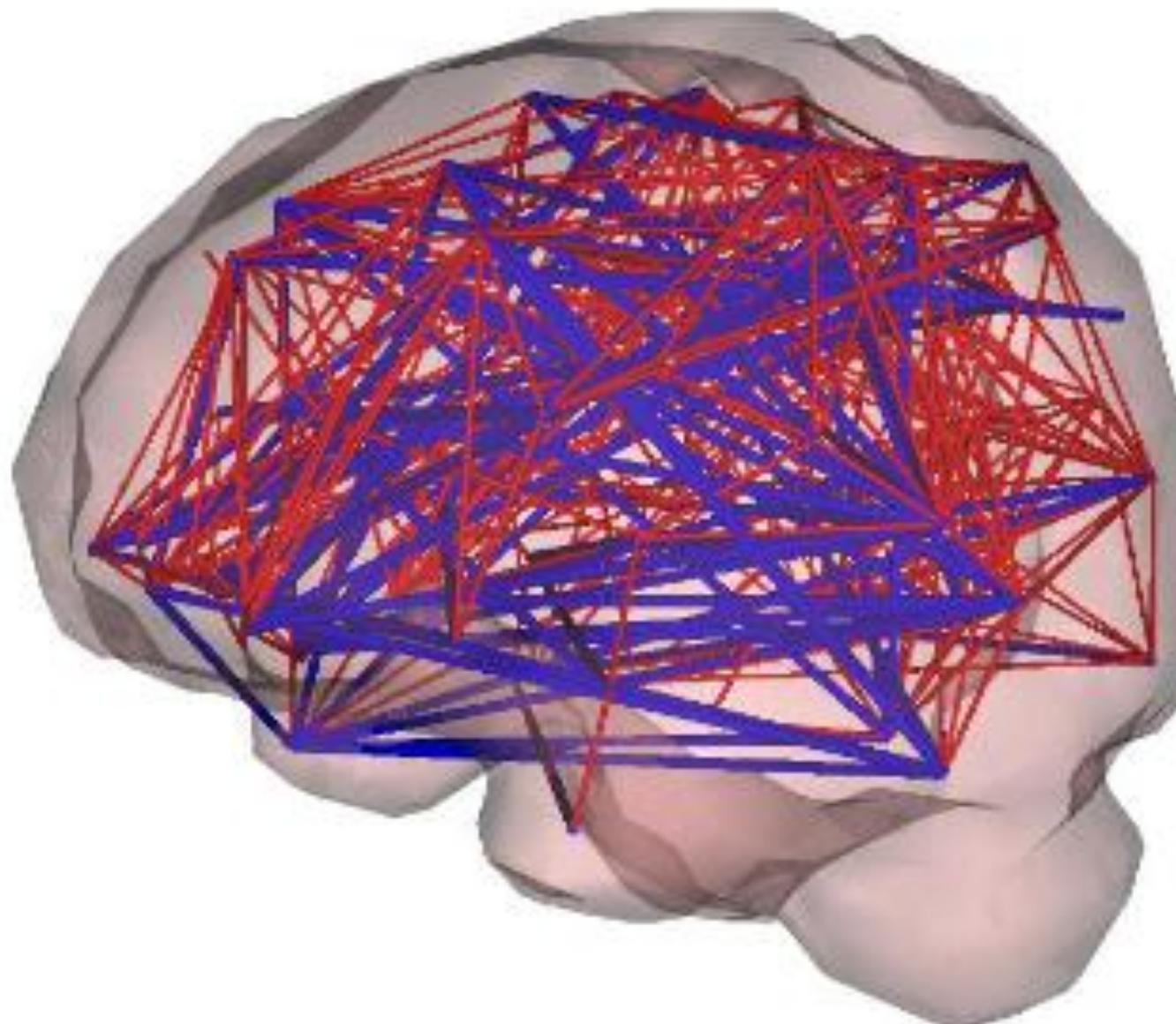
**Cervello adulto: 1,300 - 1,400 g**

**All'incirca 100 miliardi di neuroni  
connessi da 10.000 connessioni l'uno**

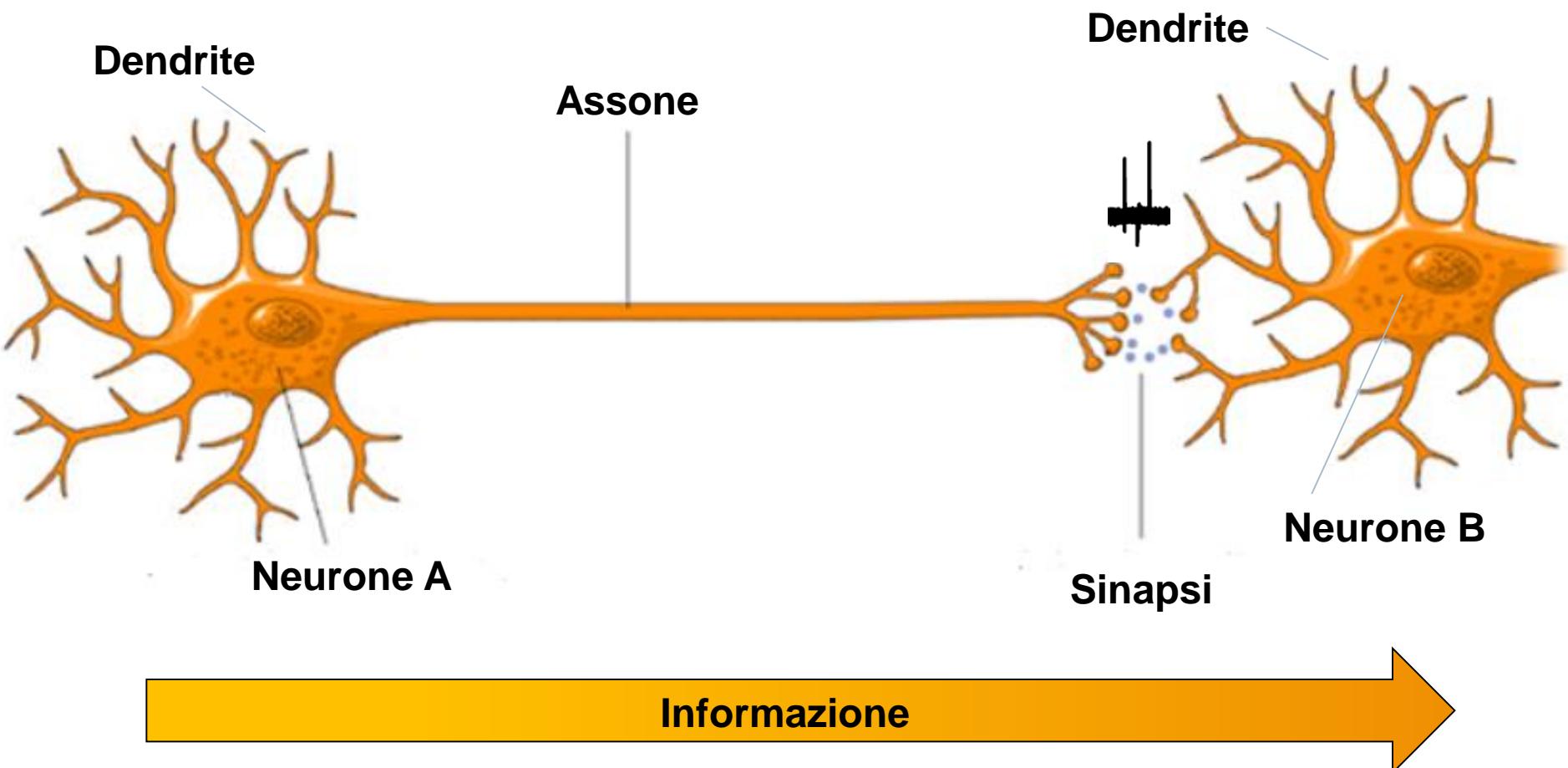
# Il Cervello è Organizzato in Diverse Aree Funzionali



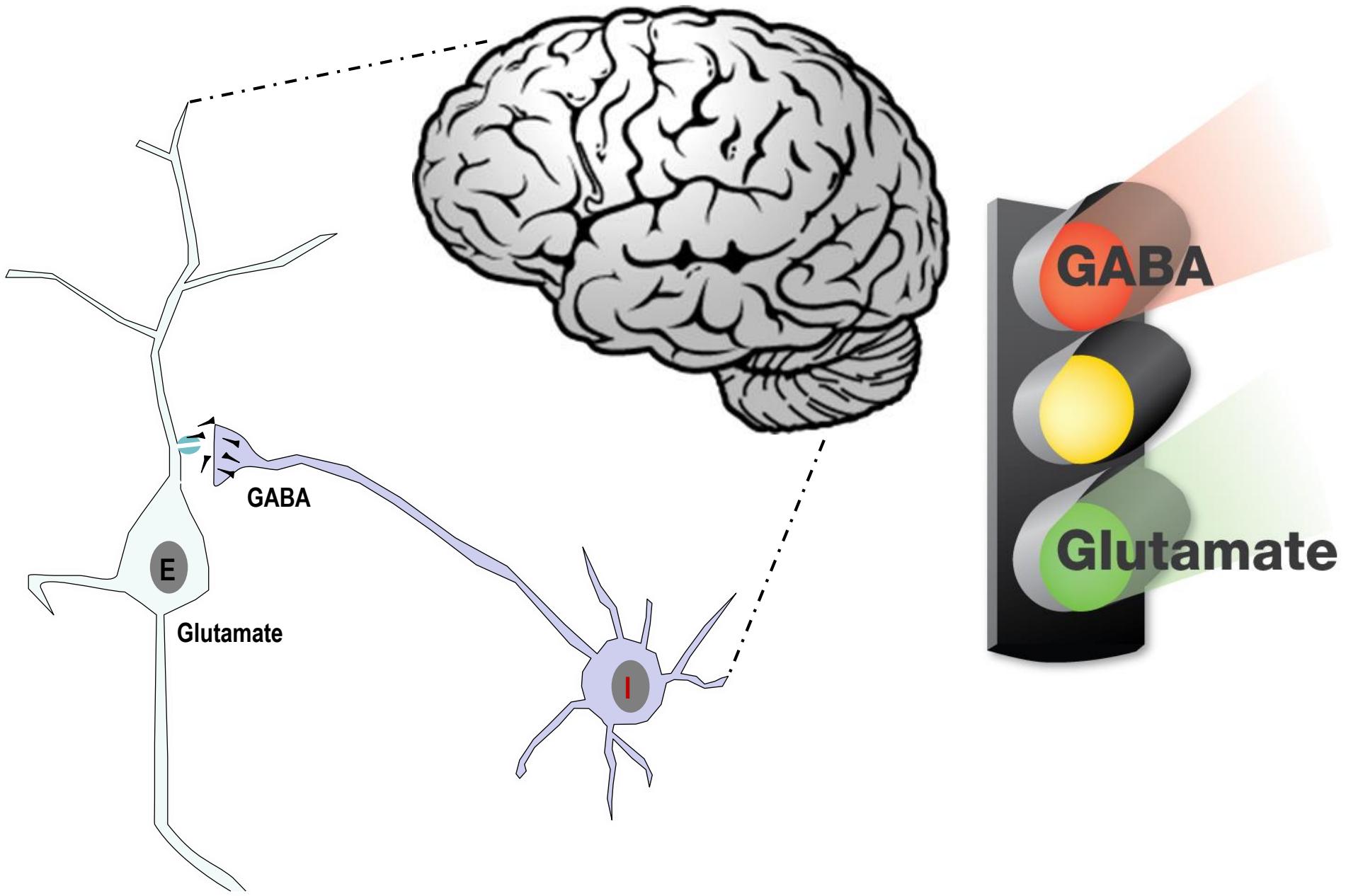
**Le Diverse Aree del Cervello sono  
Connesse tra di Loro**



# Trasmissione Neuronale



# GABA e Glutammato Regolano l' Attività del Cervello

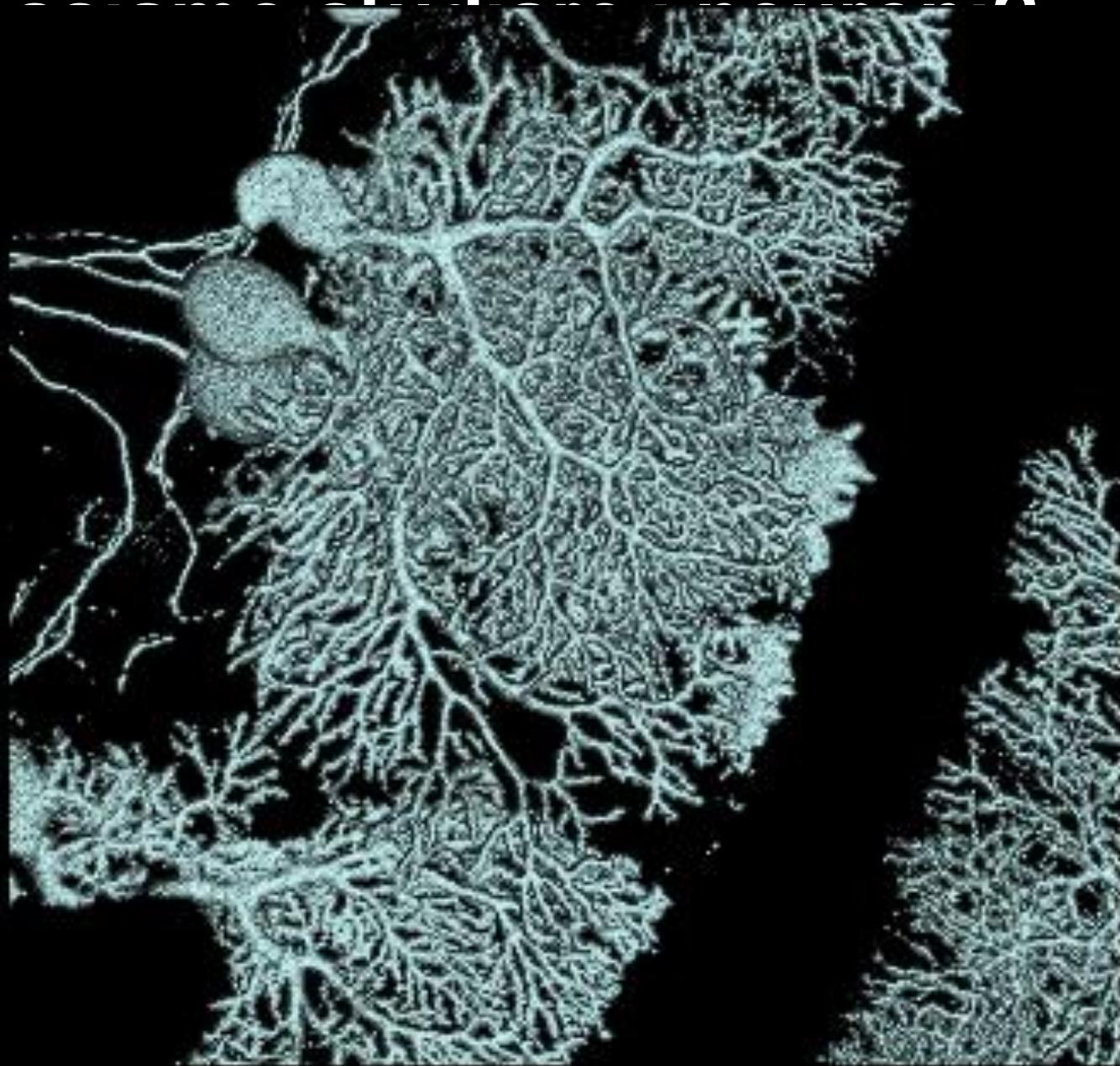
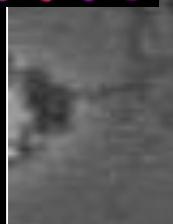
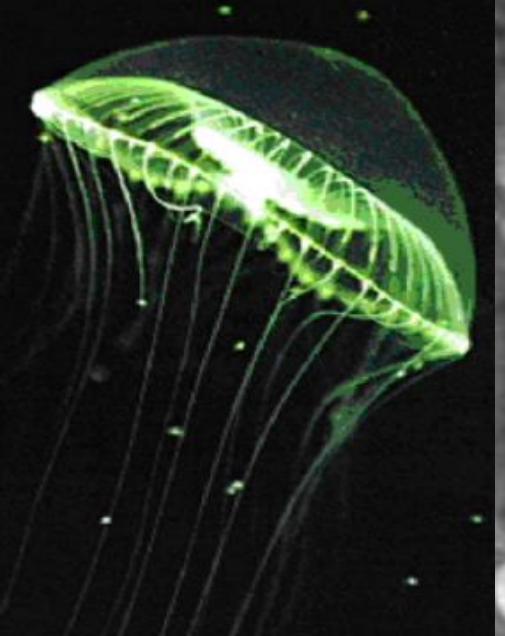


# L'Equilibrio tra Eccitazione e Inibizione è Alterata nelle Malattie del Neurosviluppo

Down Syndrome  
Schizophrenia  
DiGeorge Syndrome  
Autism  
Rett Syndrome  
Fragile X Syndrome  
Tourette Syndrome  
Epilepsy  
Cerebral Palsy  
Neurofibromatosi

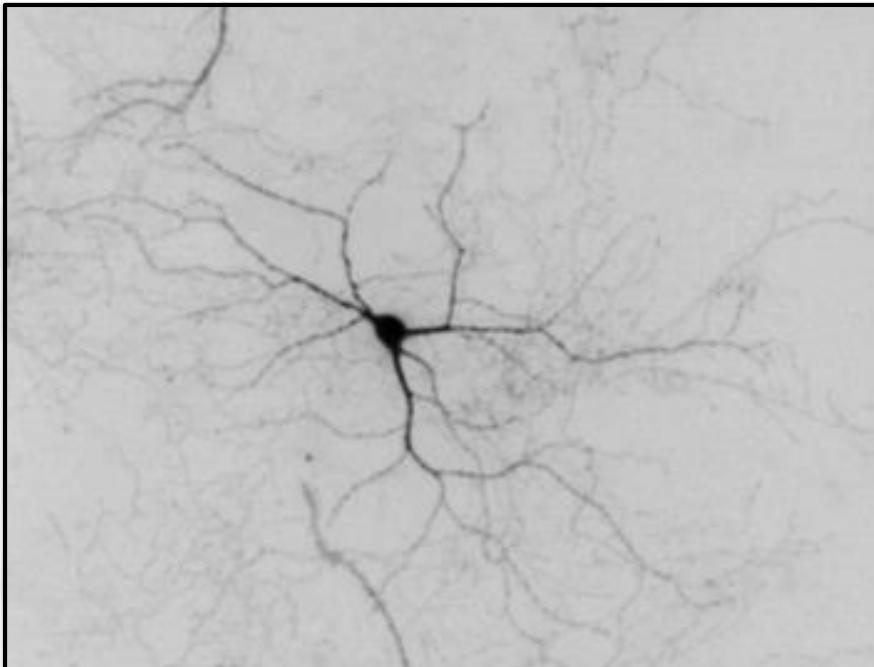


# Come posso

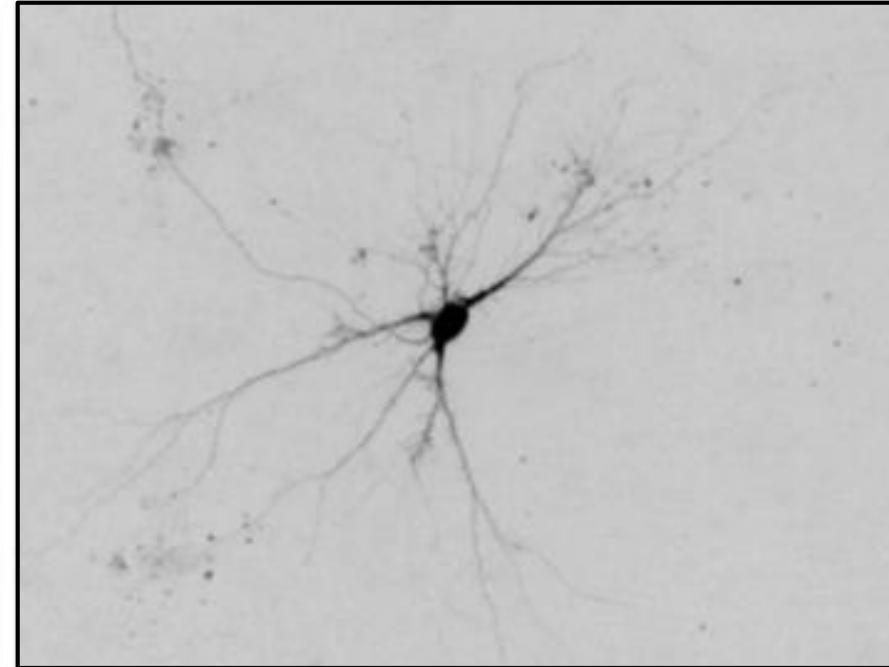


# Attraverso la Morfologia si Possono Distinguire Neuroni Sani da Neuroni Malati

Topo non modificato



Topo Sindrome Down



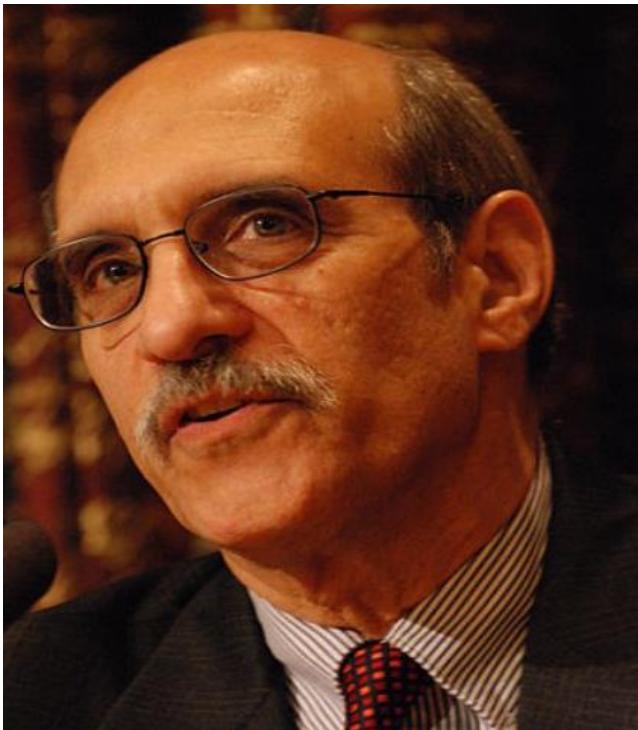
# Il Premio Nobel per la Chimica 2008 è Stato Assegnato agli Scopritori della GFP



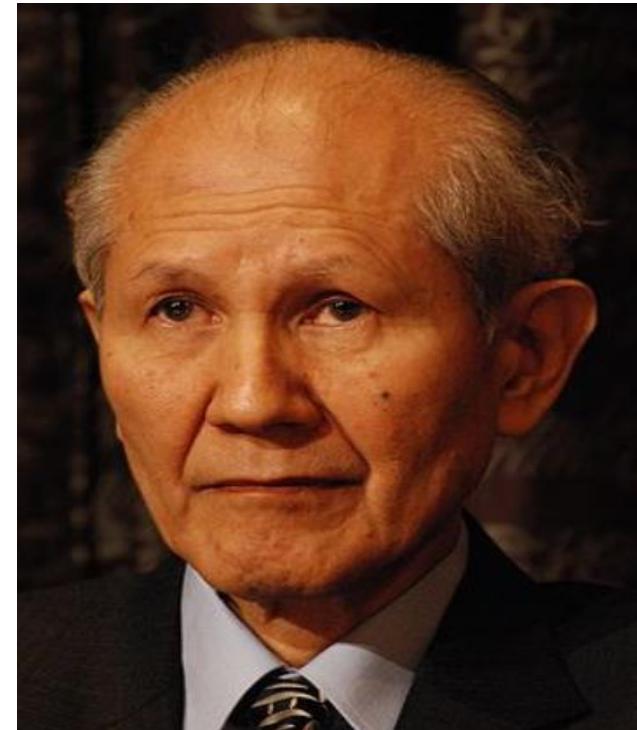
**Roger Y. Tsien**



**Martin Chalfie**

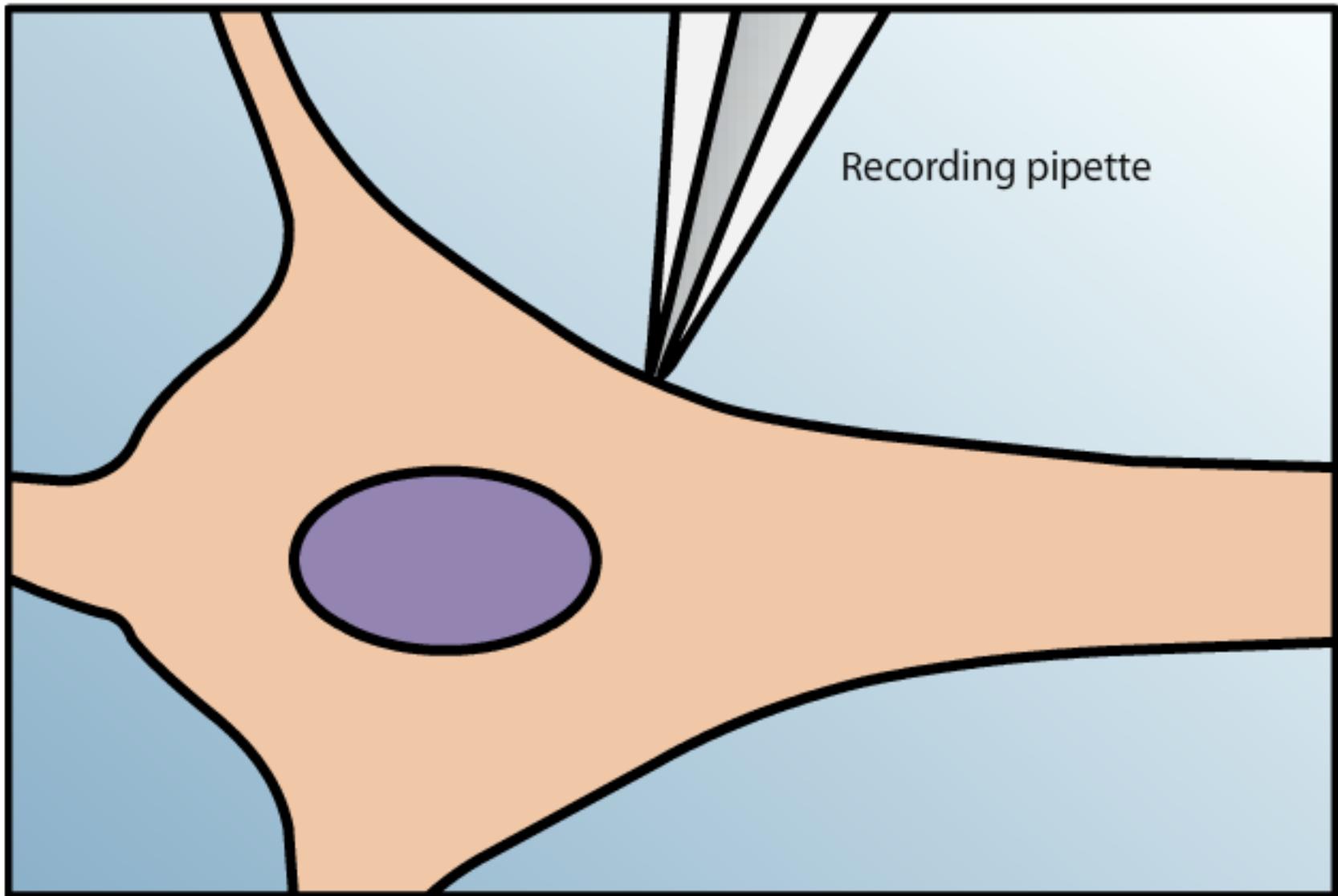


**Shimomura Osamu**

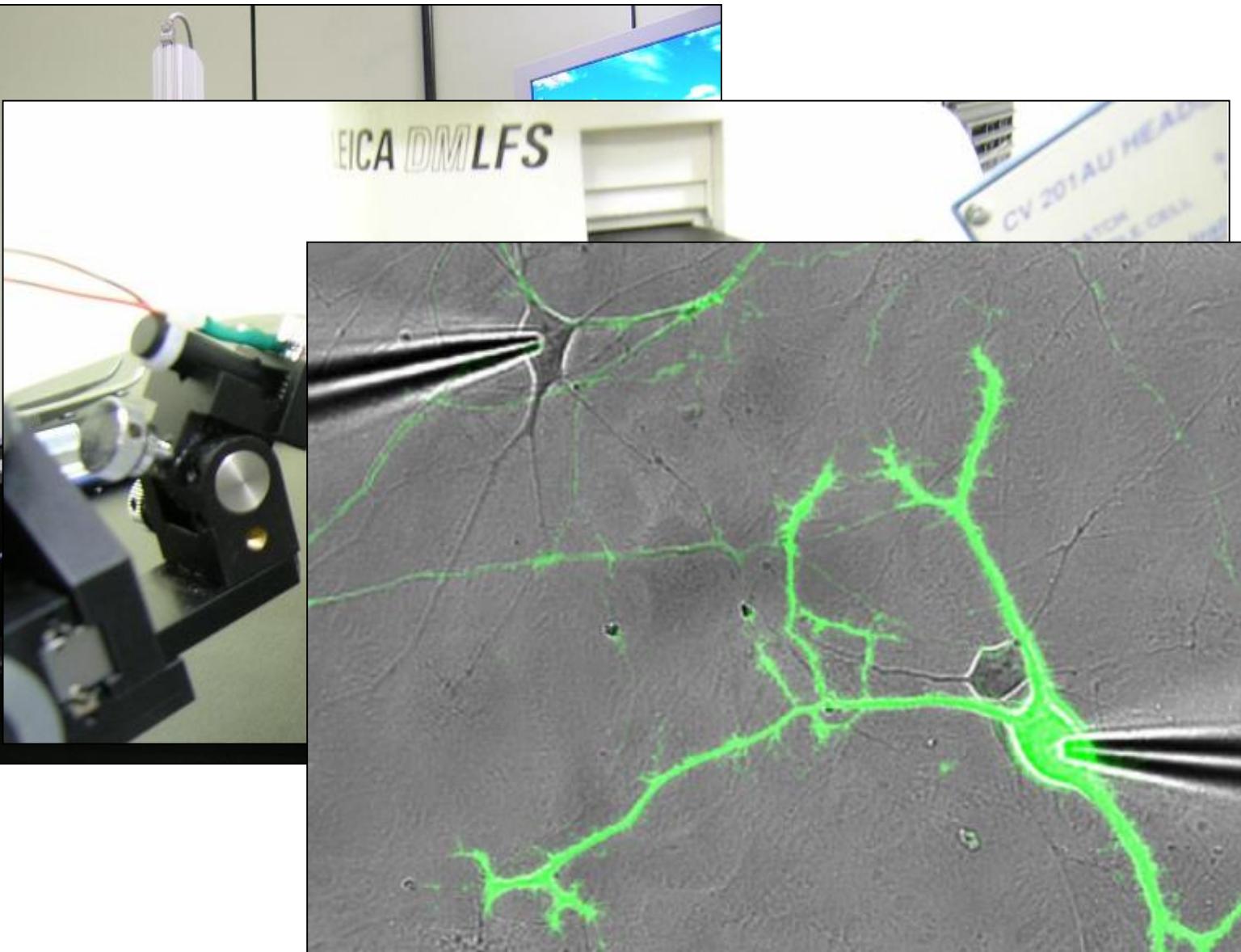


# Come Possiamo Studiare i Neuroni?

## (2) Registrazioni elettrofisiologiche



# Patch-Clamp Setup



# Attraverso l'Elettrofisiologia si Possono Distinguere Neuroni Sani da Neuroni Malati

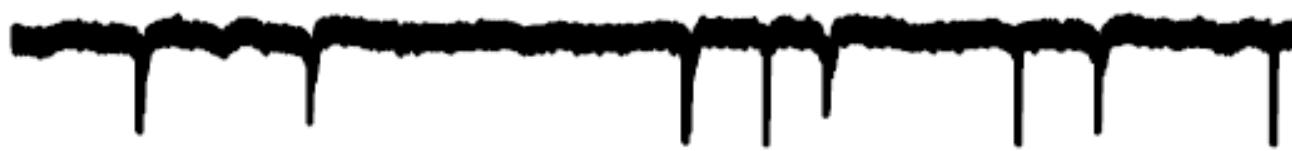
Topo non modificato

Non  
Modificato



Topo con Sindrome di Down

Sindrome  
di Down

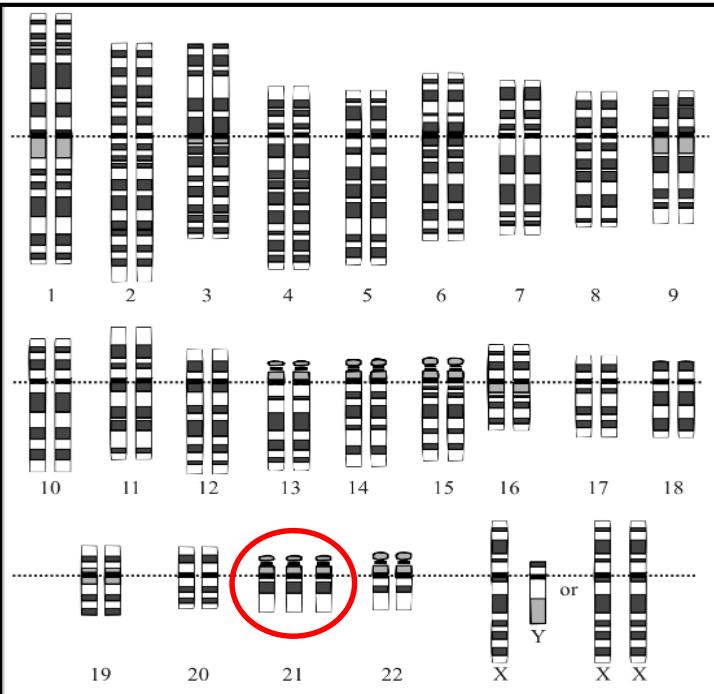


# Come possiamo Studiare i Neuroni?

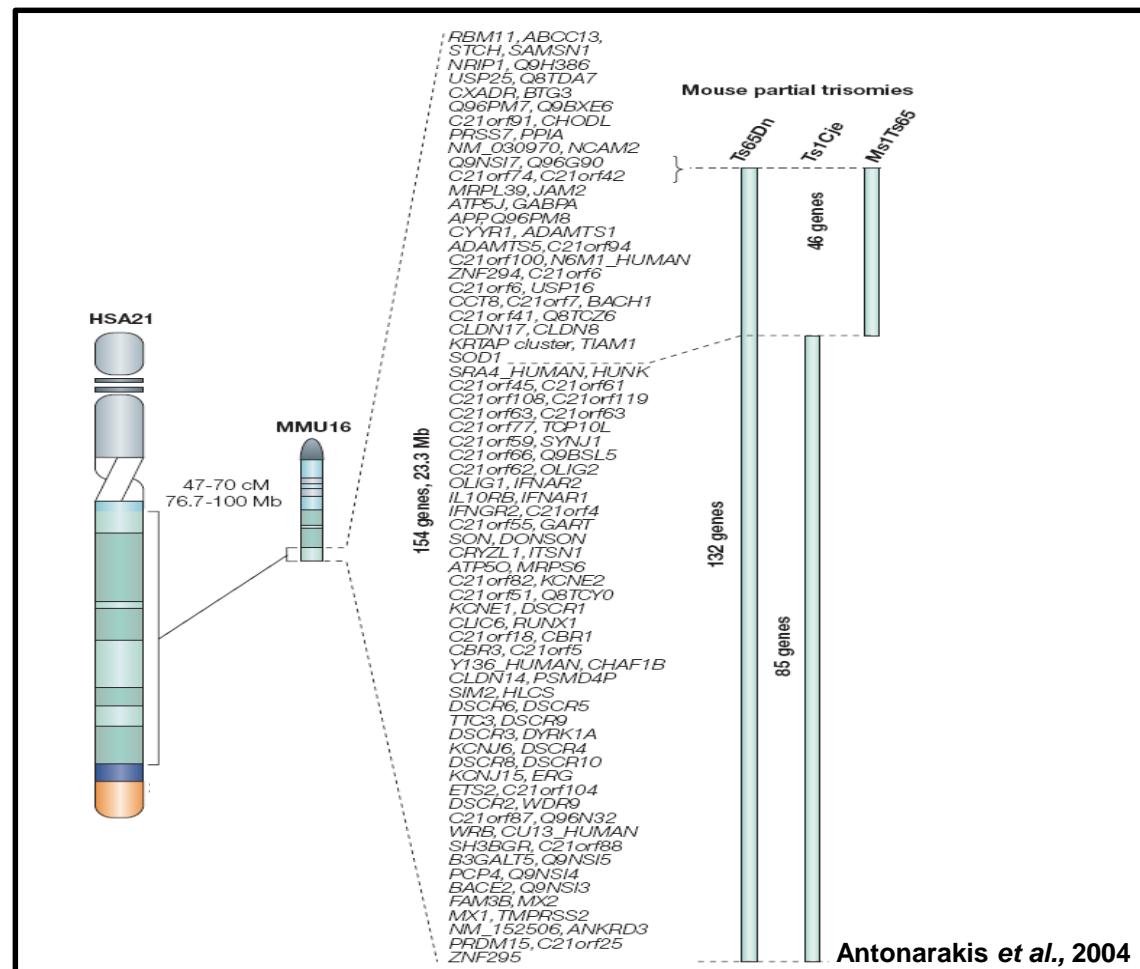
## (3) Studi comportamentali su modelli animali

### Sindrome di Down

Umano



Modello murino



# Come possiamo Studiare i Neuroni?

## (3) Studi comportamentali su modelli animali

Non modificato   **Sindrome Down**

### Multisistemico:

- taglia minore
- alterazioni allo scheletro cranio-facciale
- alterazioni immunologiche
- difetti cardiaci

### Cervello:

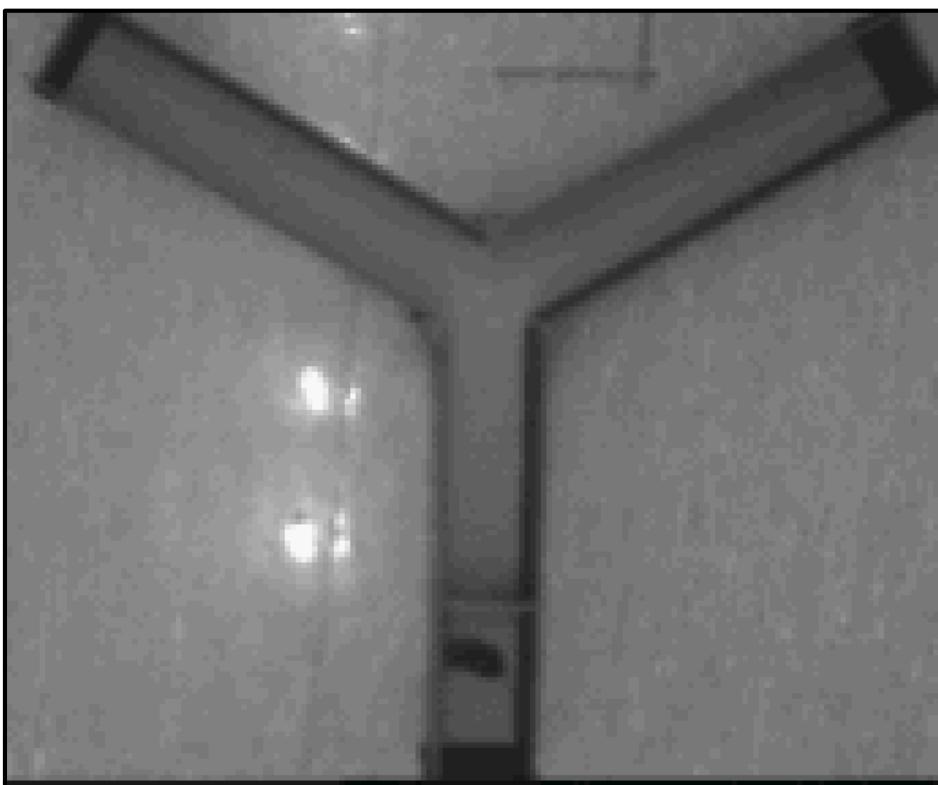
- aumentata suscettibilità alle crisi epilettiche
- ansia
- ipercinesi
- problemi di sonno
- leggera degenerazione tipo Alzheimer's



Jackson labs

# I Topi con Sindrome di Down sono Iperattivi

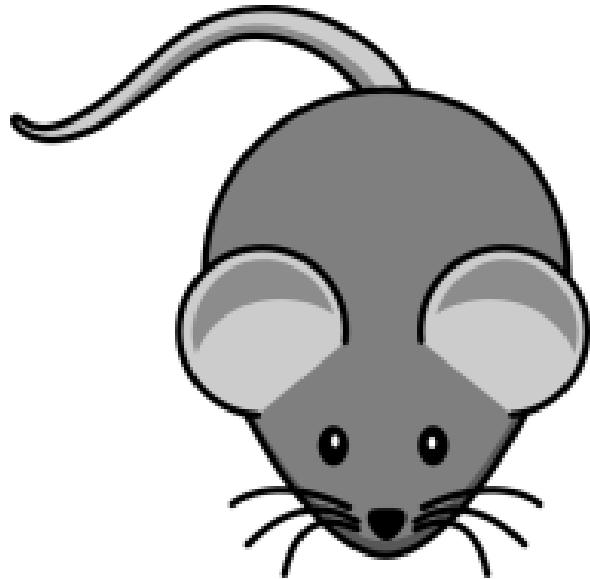
**Topo non modificato**



**Topo con Sindrome  
di Down**



# **Ad Oggi non C'e' Nessun Farmaco per Trattare i Sintomi Cognitivi nella Sindrome di Down**



**Topo Sindrome Down**

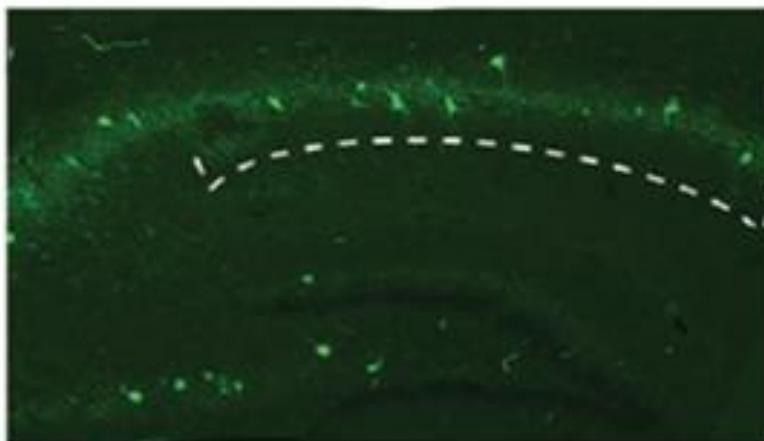
**Trattamento:**

**Interventi Educazionali  
Precoci**

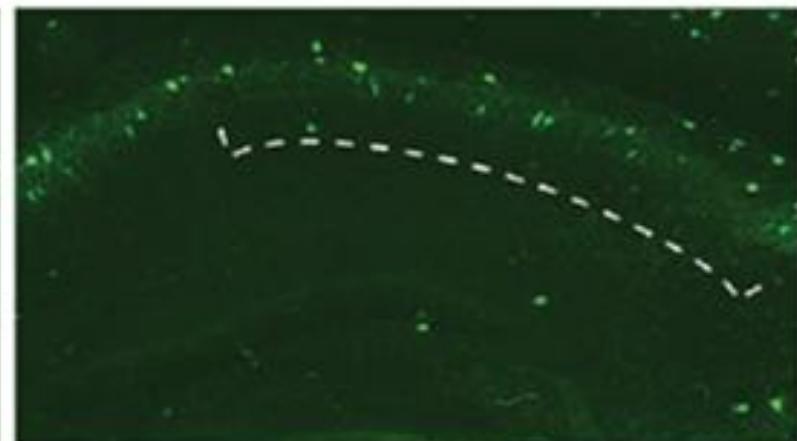
# I Topi con Sindrome di Down hanno Troppo GABA



Cellule GABA  
(tipol)

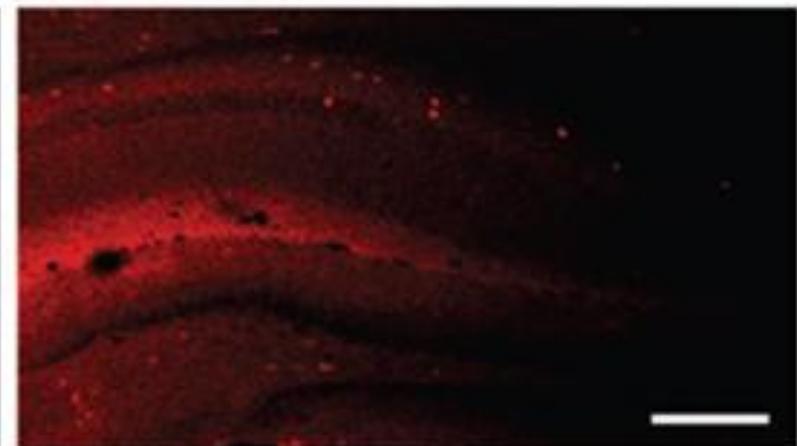
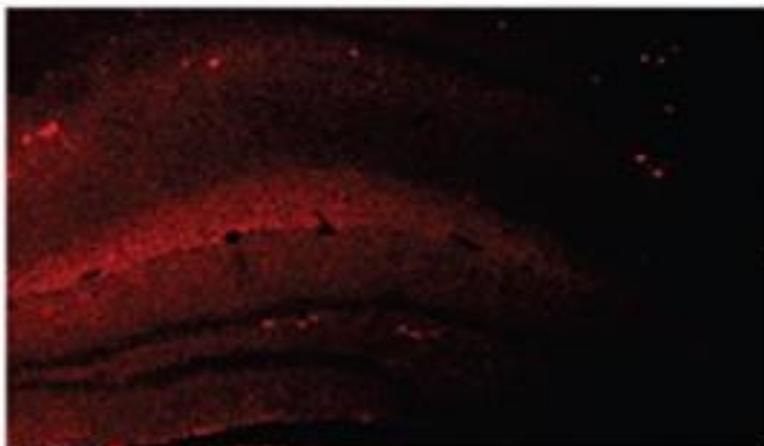


Non modificato



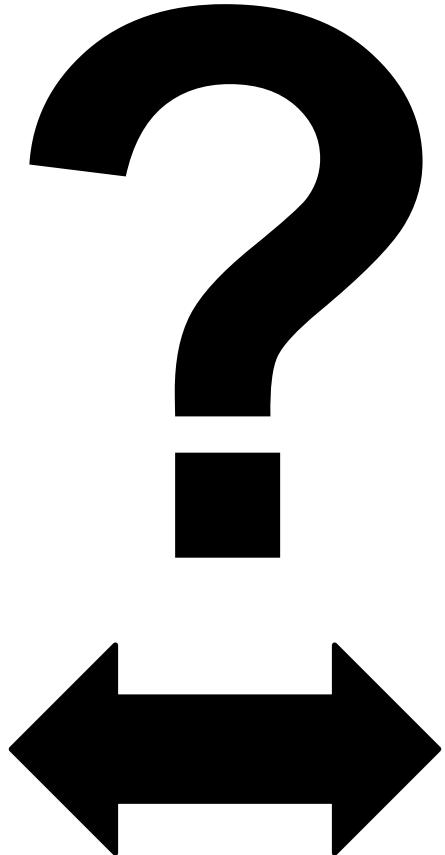
Sindrome Down

Cellule GABA  
(tipoli)



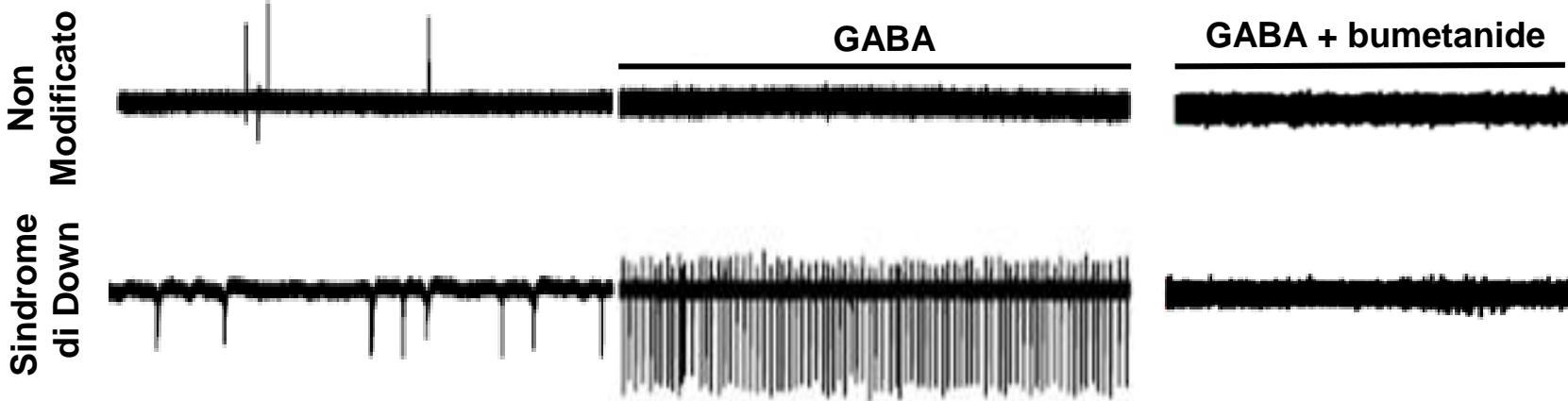
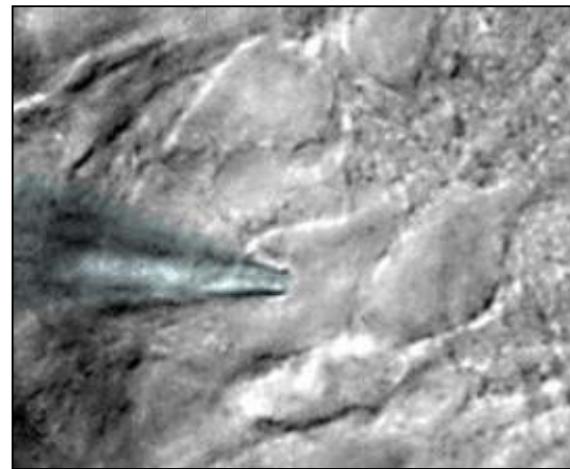
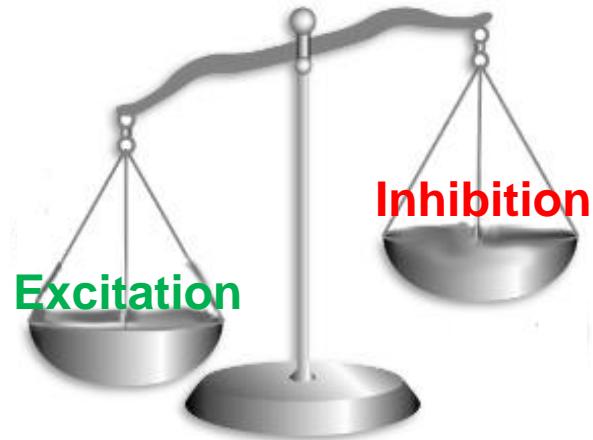


**GABA**  
Inibizione

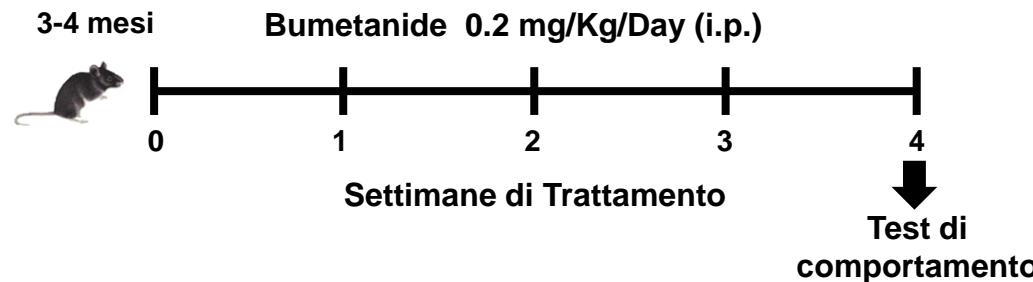


**Epilessia  
Ipercinesia  
Ansia**

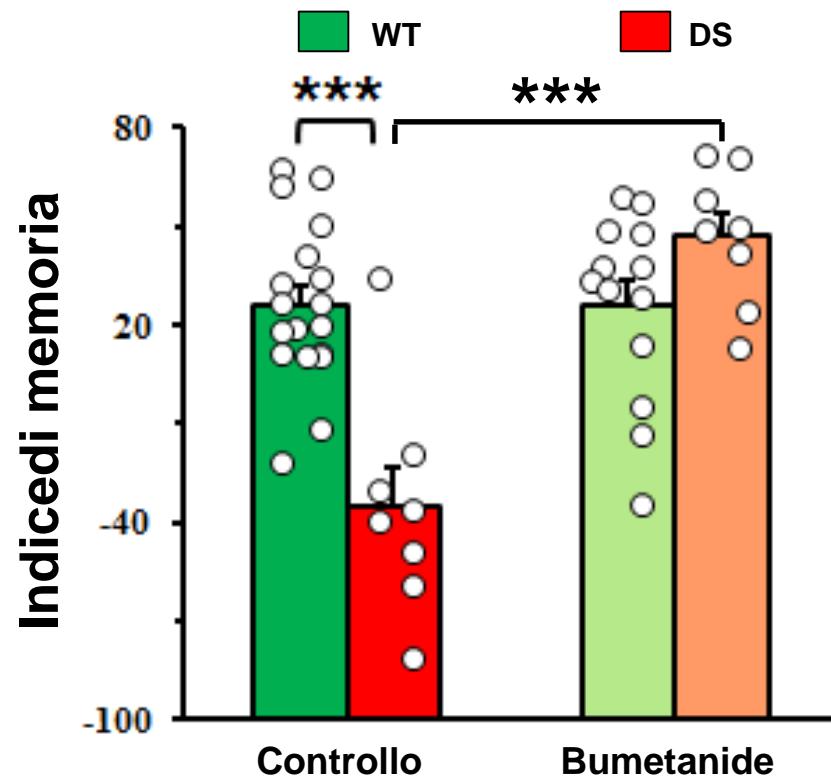
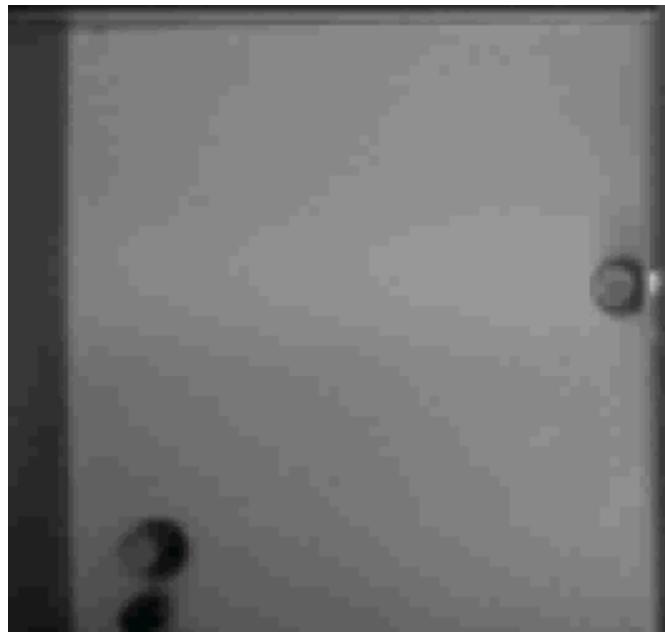
# Il GABA è Eccitatorio nella Sindrome di Down

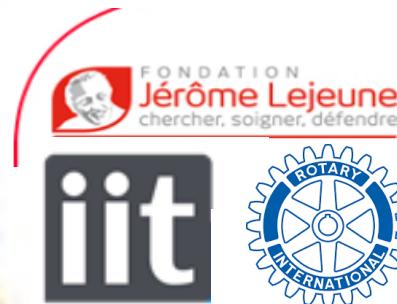


# Bumetanide Migliora le Capacità Cognitive dei Topi con la Sindrome di Down



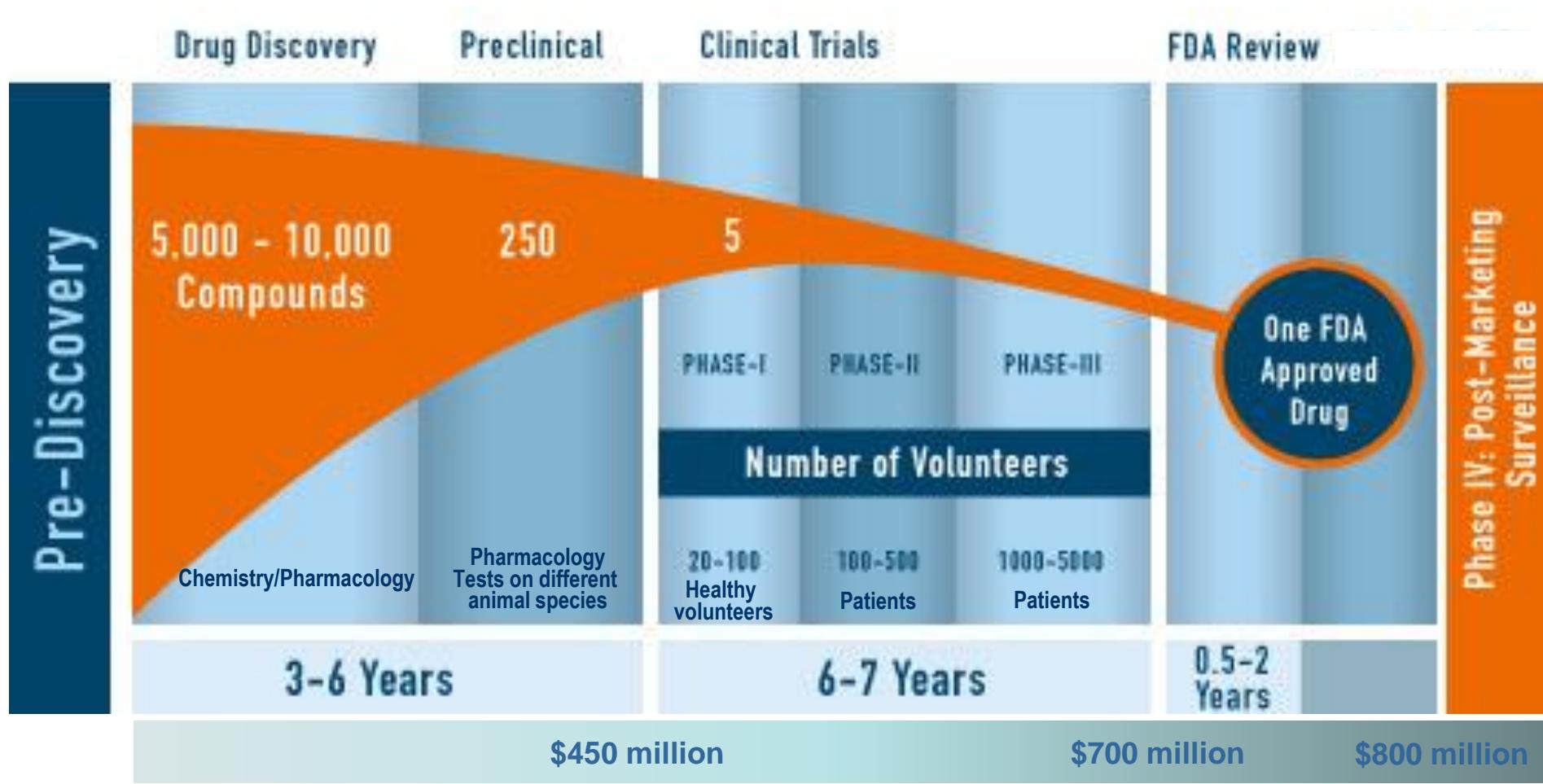
Test cognitivo comportamentale





**In collaboration with Dr. Vicari, Bambino Gesu', Rome, Italy**

# Lo Sviluppo di Farmaci è un Investimento Molto Rischioso in Termini di Tempo e Denaro





**Una stima sommaria:**  
**2 miliardi di dollari**  
**10-15 anni di ricerca**  
**1 su 5-10'000 molecole**

# Il Riposizionamento di Vecchi Farmaci può Ridurri i Rischi Economici e di Tempo

■ BEDSIDE TO BENCH

## Old drugs learn new tricks

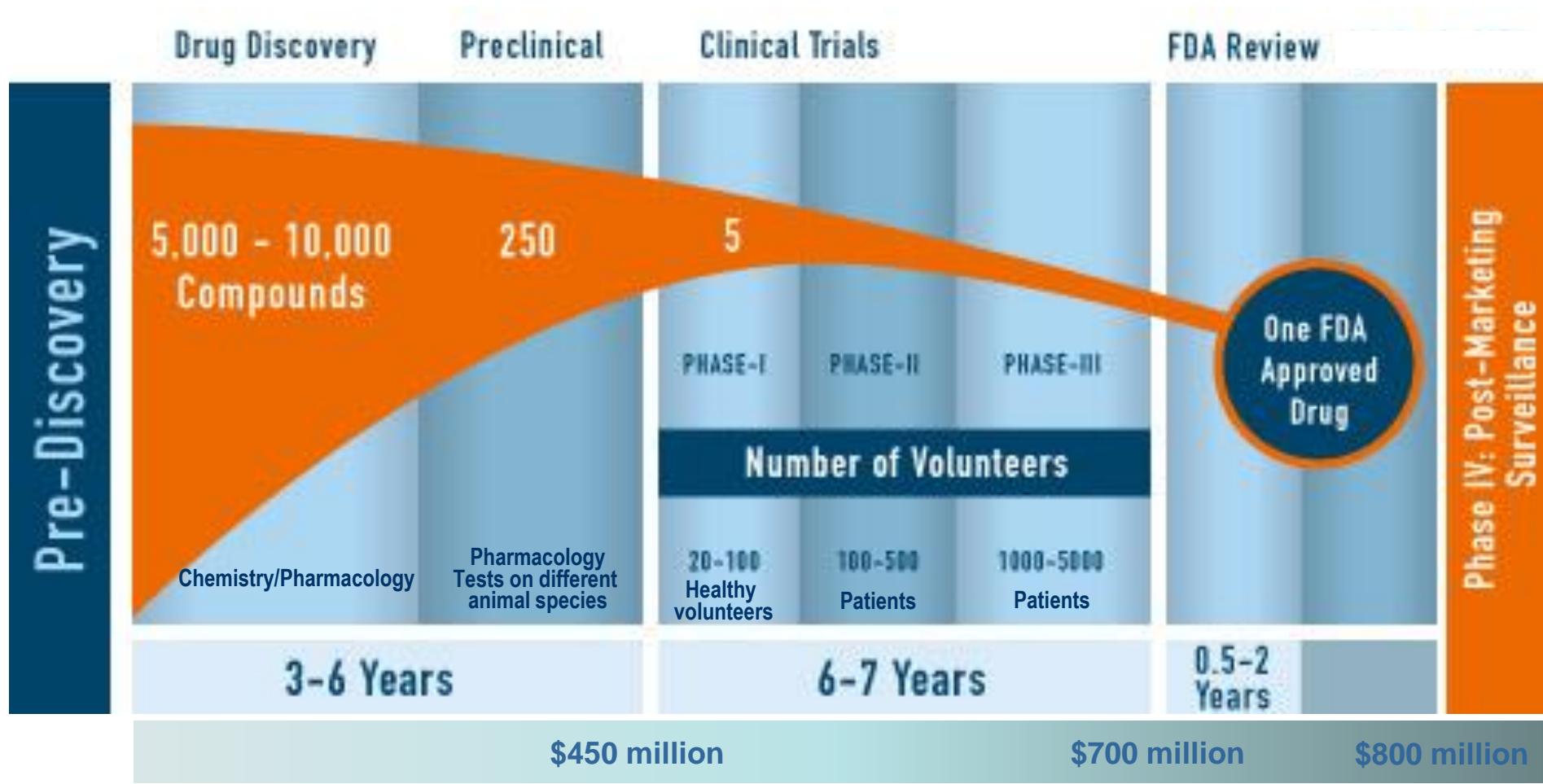
Stephen M Strittmatter

VOLUME 20 | NUMBER 6 | JUNE 2014 **NATURE MEDICINE**

**nature**  
**medicine**



# Lo Sviluppo di Farmaci è un Investimento Molto Rischioso in Termini di Tempo e Denaro



# Riposizionamento di farmaci: il lato oscuro



Home

Pharmaceuticals

NIBR

Consumer Health

V&D

Alcon

Sandoz

Animal Health

We achieve success  
through close collaboration  
with partners who share  
a common vision and  
complimentary strengths

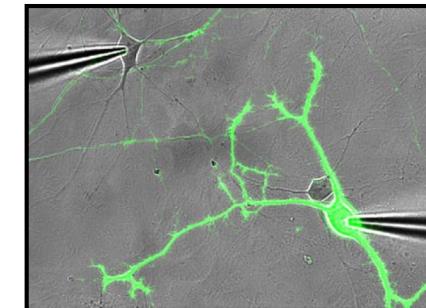


# Cosa Posso Fare per Voi?

**Le basi del funzionamento del cervello**



**Panoramica sulle tecniche sperimentali in neuroscienza**



**Risultati sperimentali su modelli animali di sindrome di Down**



# Cosa Potete Fare Voi per Noi?

Aumentare la consapevolezza nel pubblico  
senza generare false speranze

Troveremo studenti migliori



Garantirete il supporto alle fondazioni benefiche



**COMPAGNIA**  
di San Paolo



**fondazione**  
**cariplo**



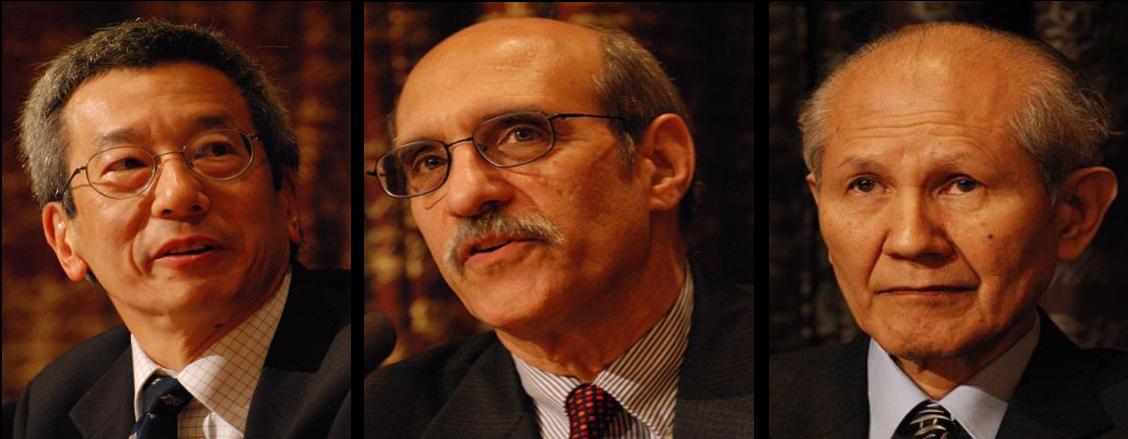
# Morale della Storia

**Anche la ricerca di base ha il potenziale necessario  
per influenzare la vita dei pazienti**



# Morale della Storia

**Tutti possono diventare bravi scienziati**



**Le neuroscienze sono bellissime**

