

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

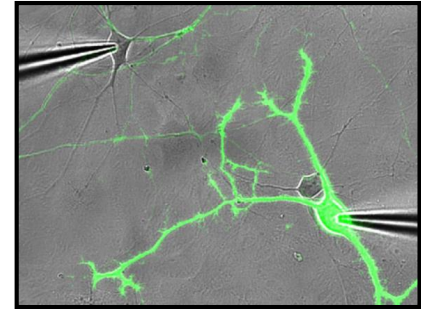


# Cosa Posso Fare per Voi?

**Le basi del funzionamento del cervello**



**Panoramica sulle tecniche sperimentali in neuroscienza**



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



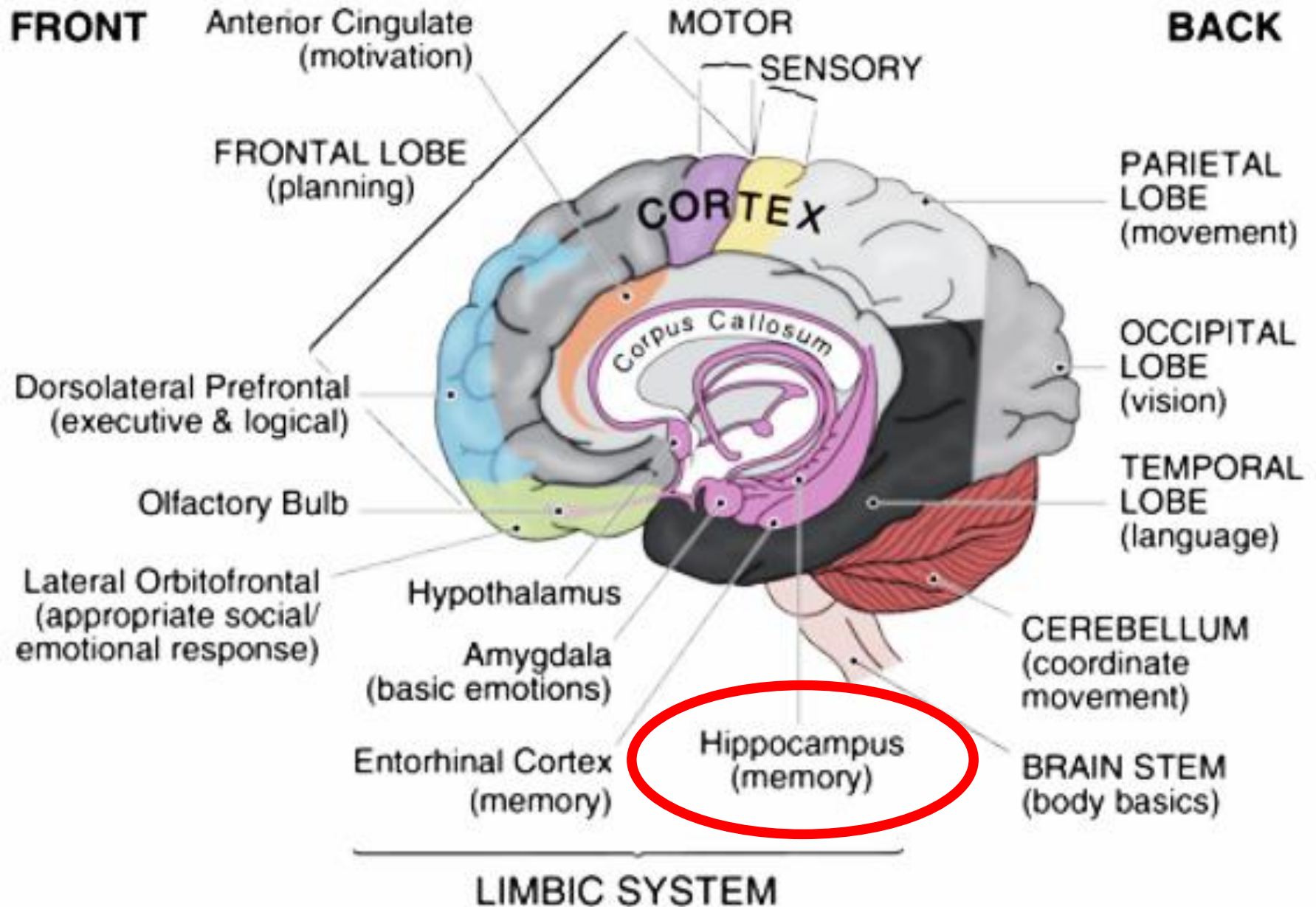
# **Il cervello Umano Genera Comportamenti che Promuovono il Benessere dell'Animale**



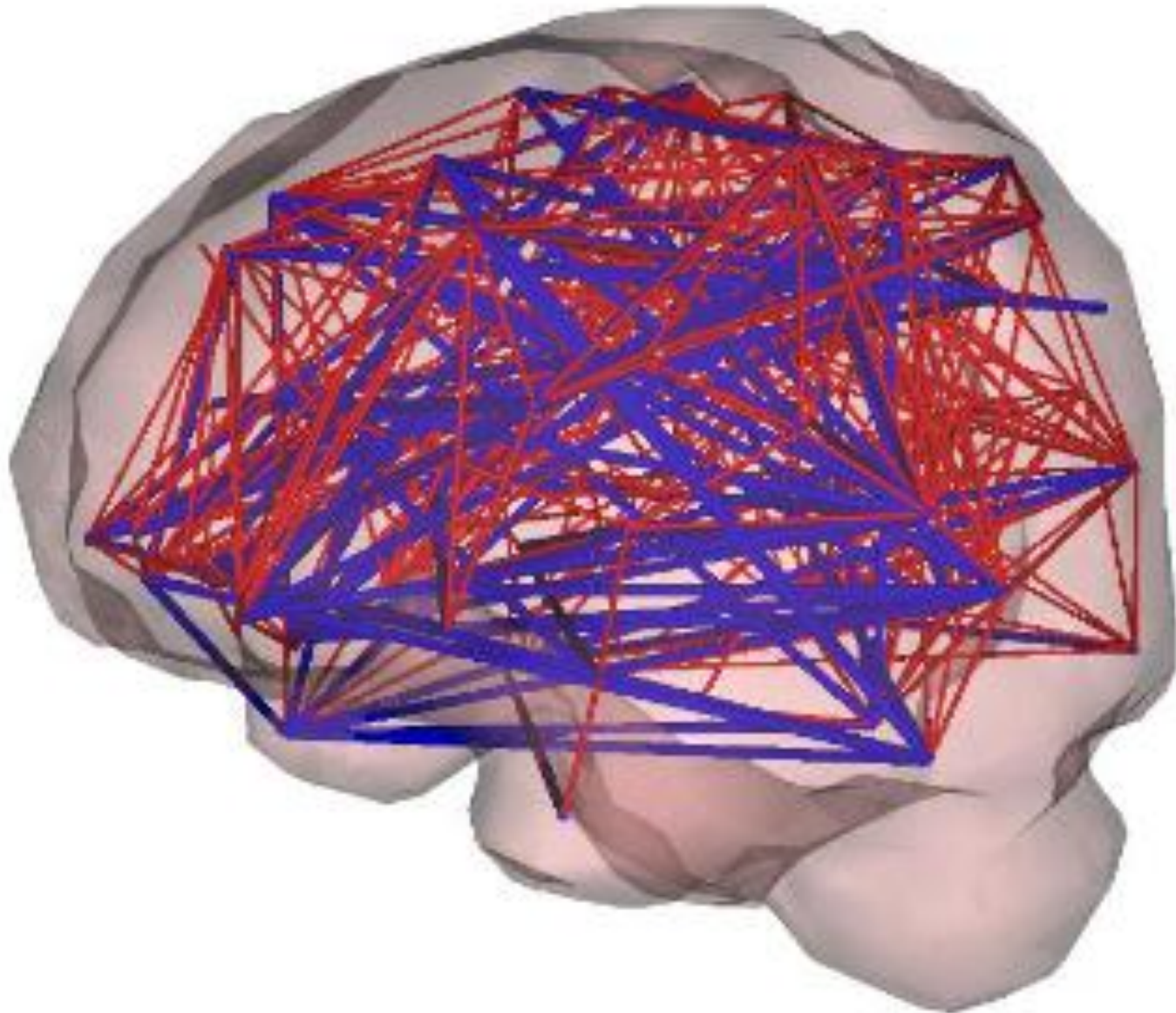
**Cervello adulto: 1,300 - 1,400 g**

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

# Il Cervello è Organizzato in Diverse Aree Funzionali

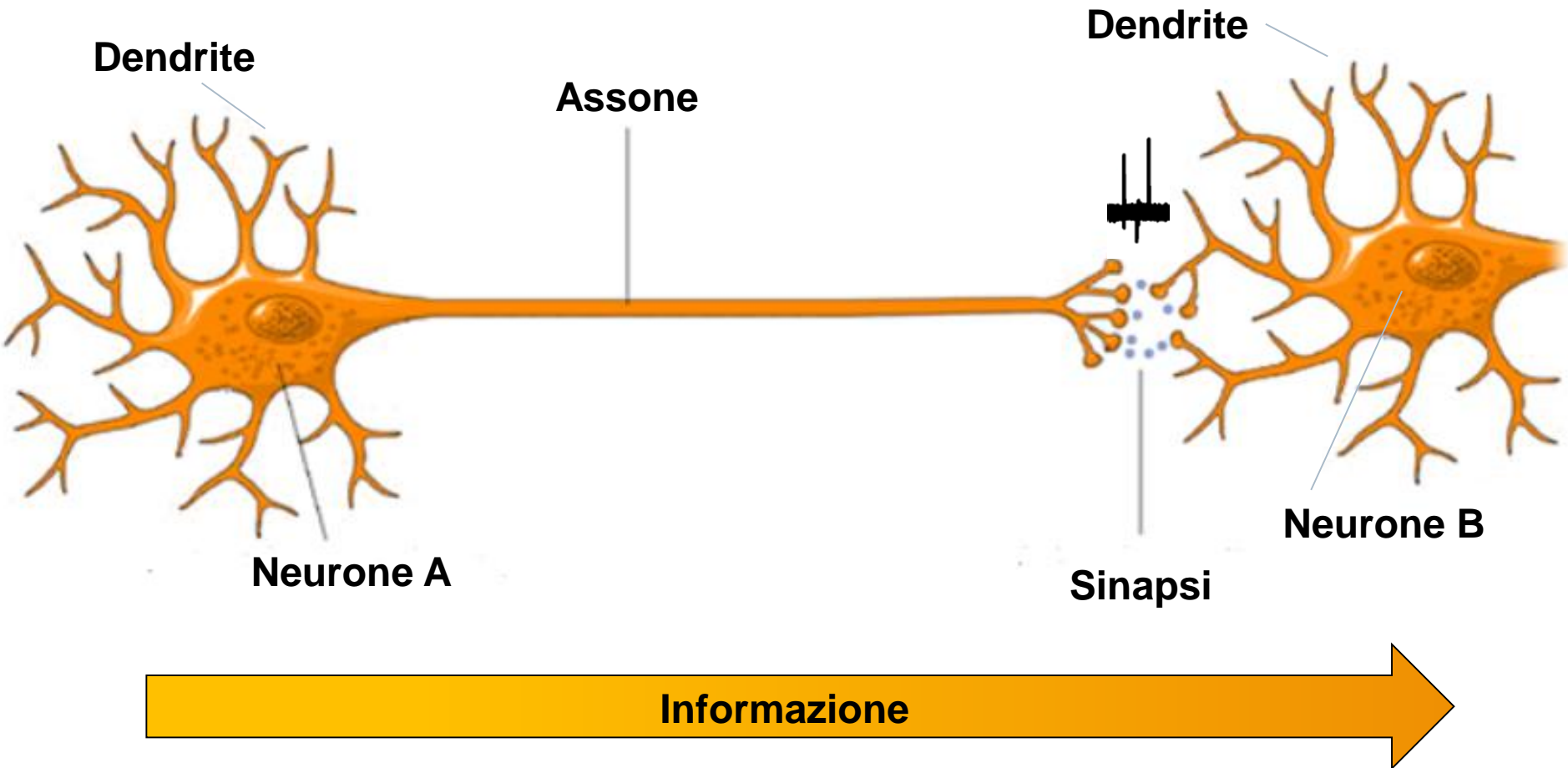


# **Le Diverse Aree del Cervello sono Connesse tra di Loro**

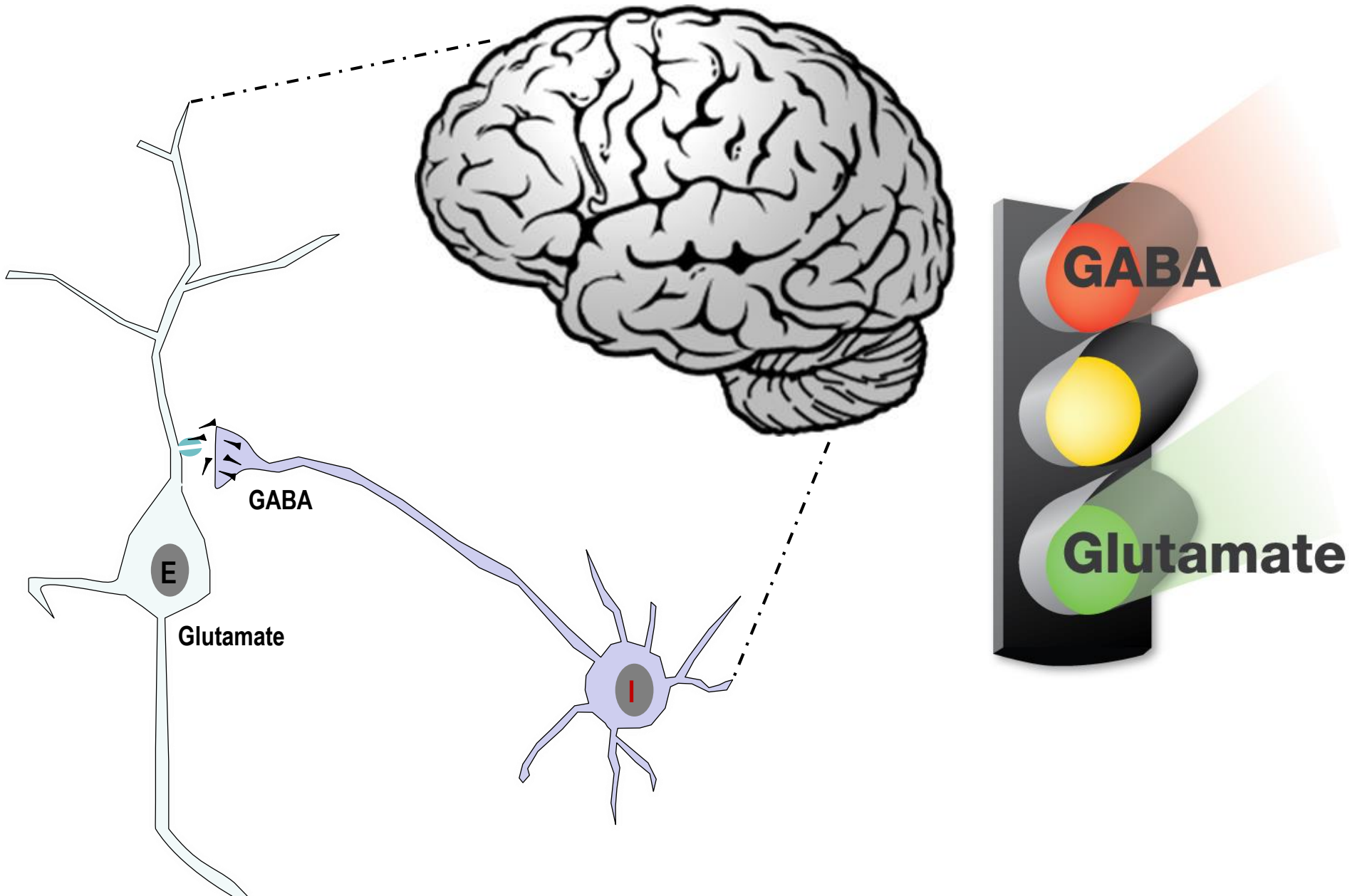




# Trasmissione Neuronale



# GABA e Glutammato Regolano l'Attività del Cervello



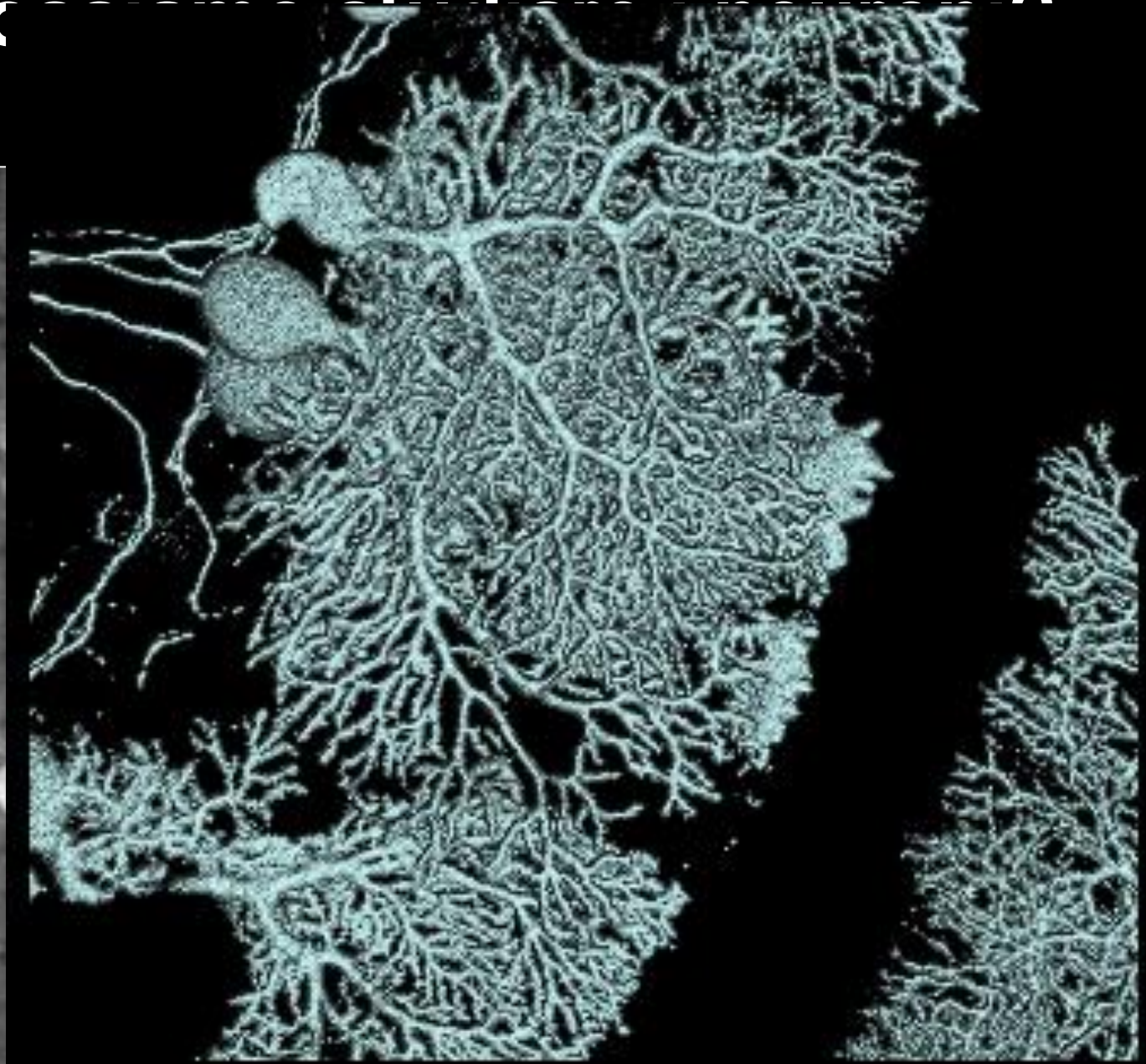
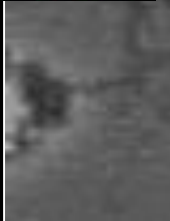
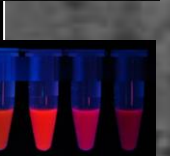
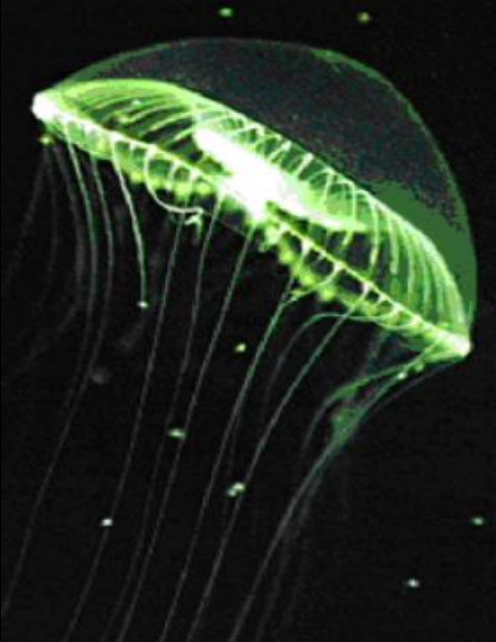
# **L'Equilibrio tra Eccitazione e Inibizione è Alterata nelle Malattie del Neurosviluppo**

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



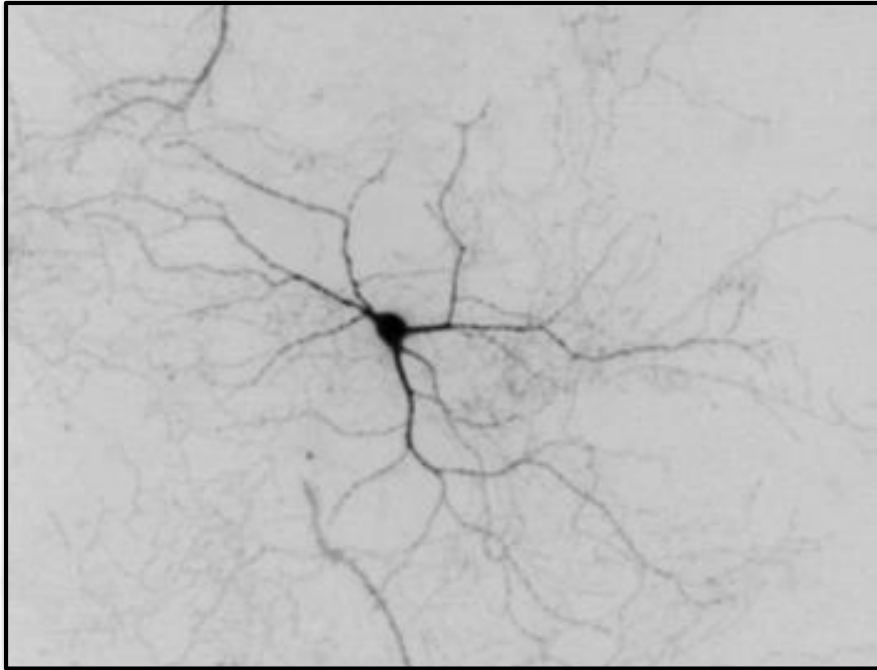


# Come parlare di biodiversità

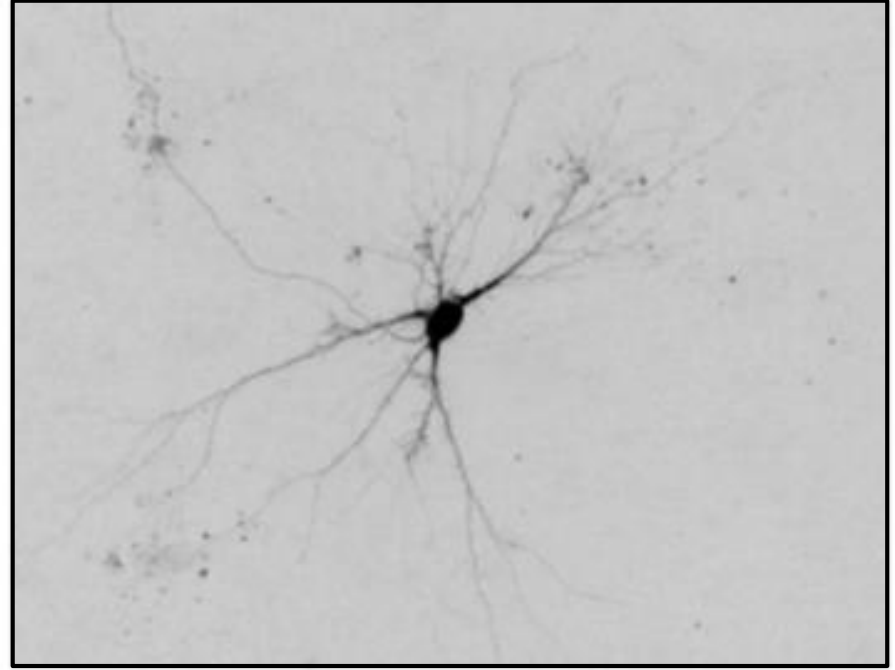


# Attraverso la Morfologia si Possono Distinguere Neuroni Sani da Neuroni Malati

**Topo non modificato**



**Topo Sindrome Down**





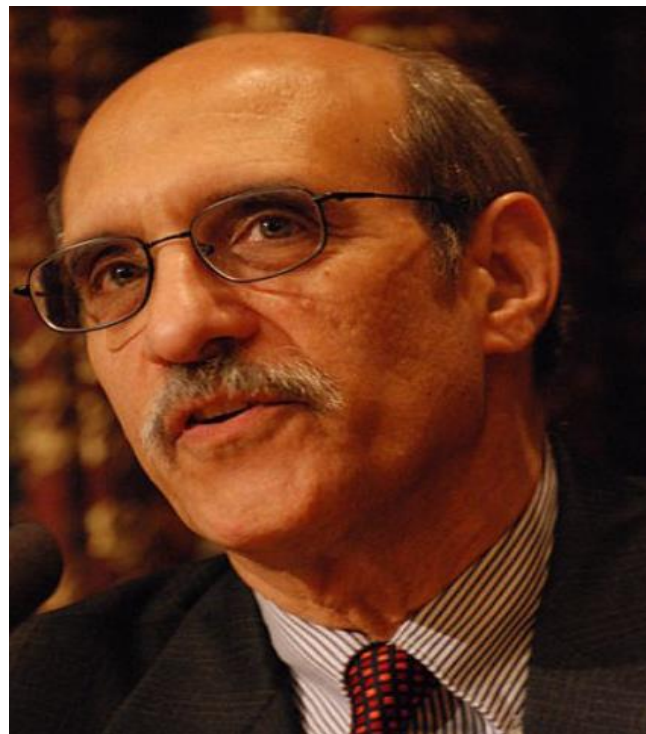
# **Il Premio Nobel per la Chimica 2008 è Stato Assegnato agli Scopritori della GFP**



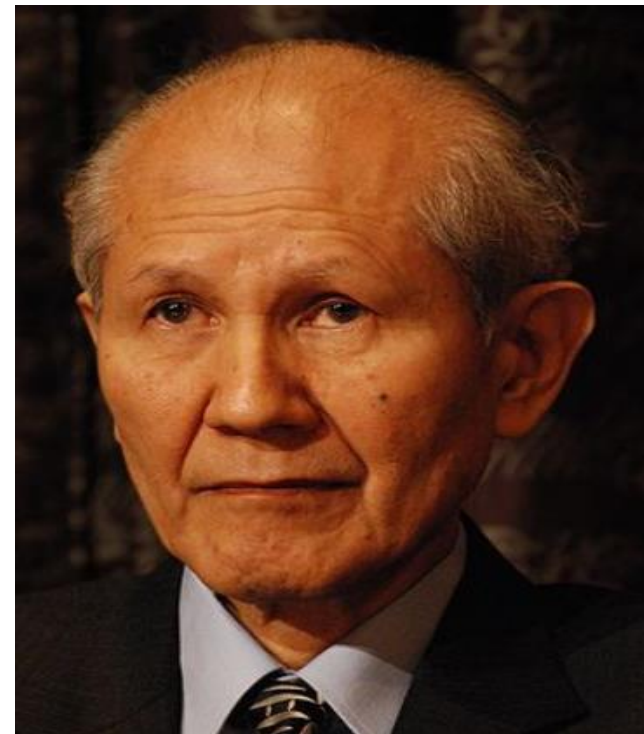
**Roger Y. Tsien**



**Martin Chalfie**



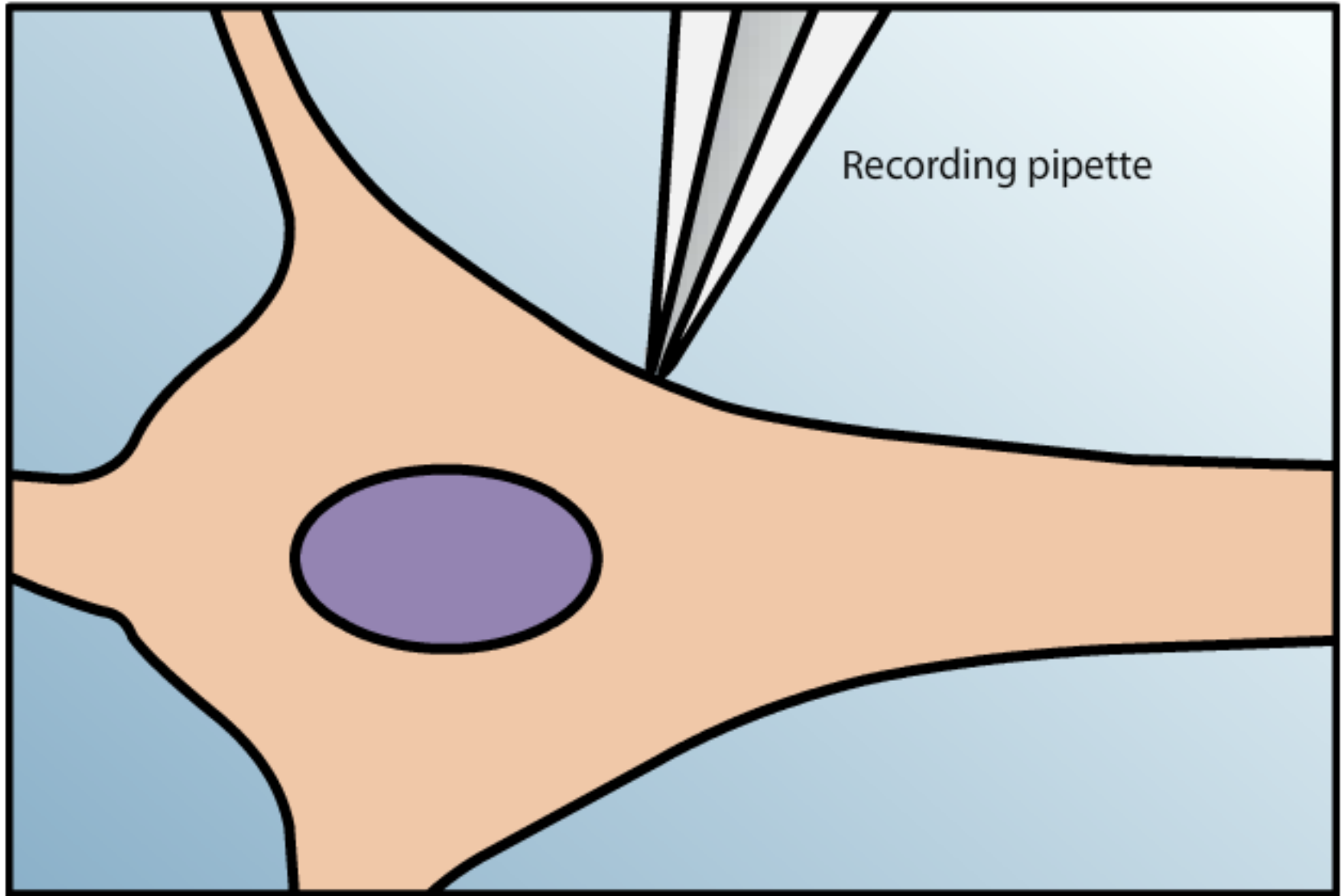
**Shimomura Osamu**



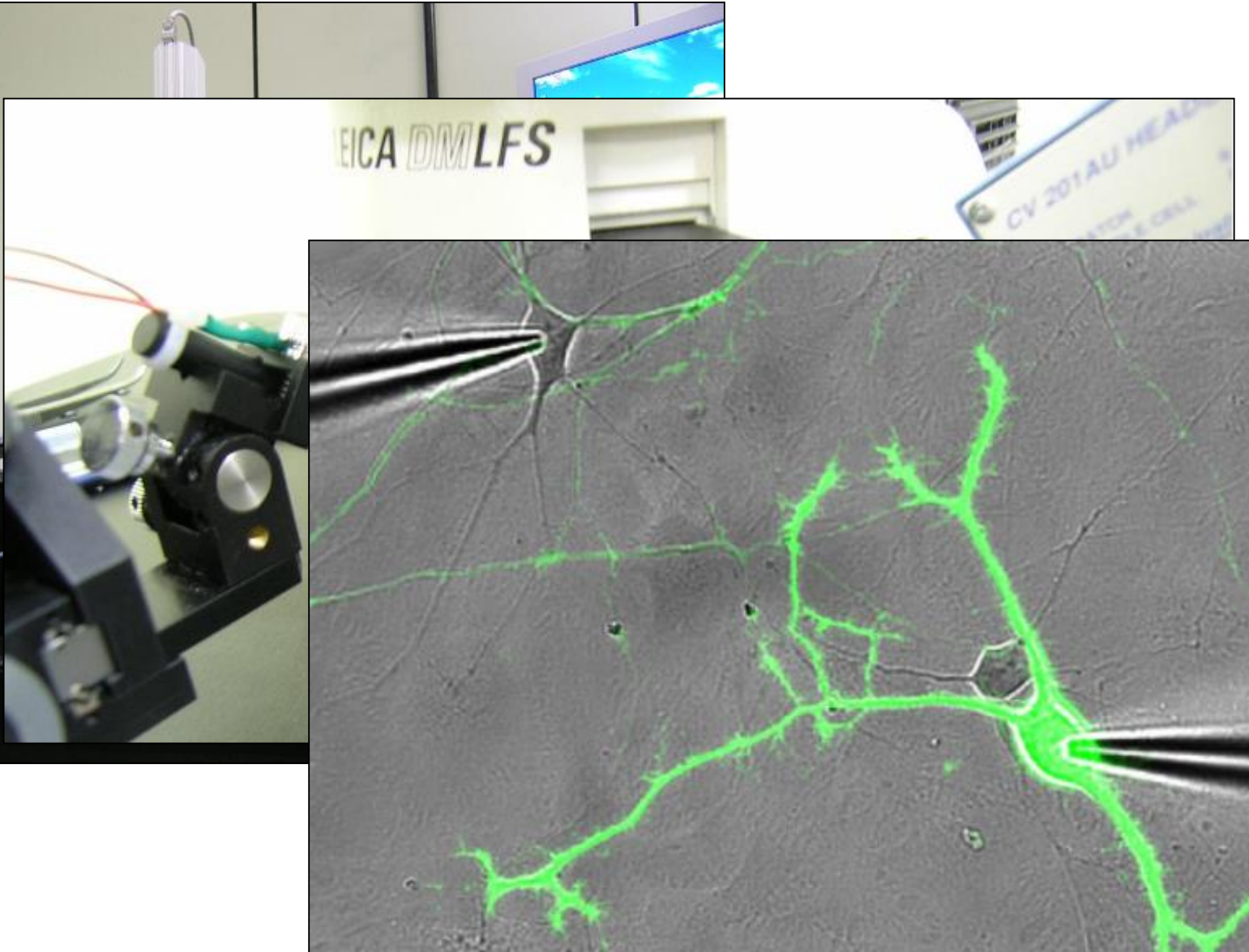


# Come Possiamo Studiare i Neuroni?

## (2) Registrazioni elettrofisiologiche



# Patch-Clamp Setup



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

Topo non modificato



Topo con Sindrome di Down



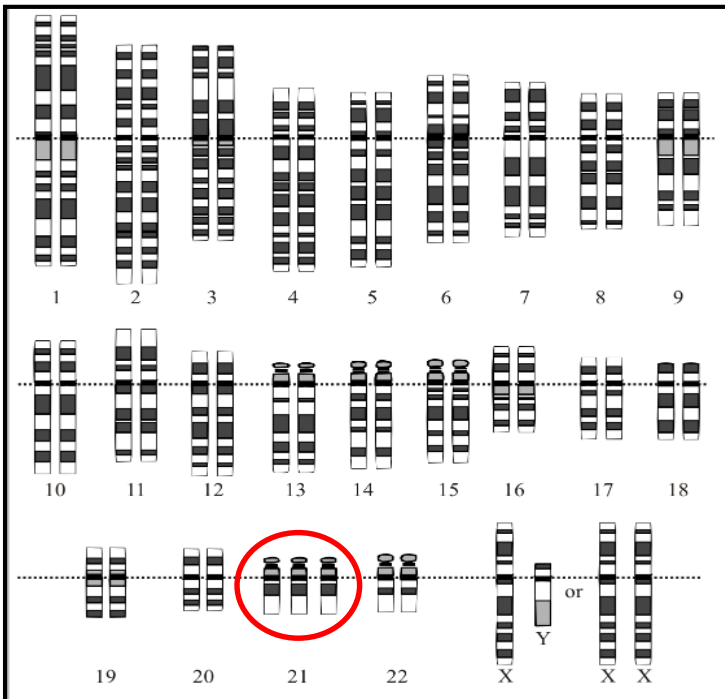


# Come possiamo Studiare i Neuroni?

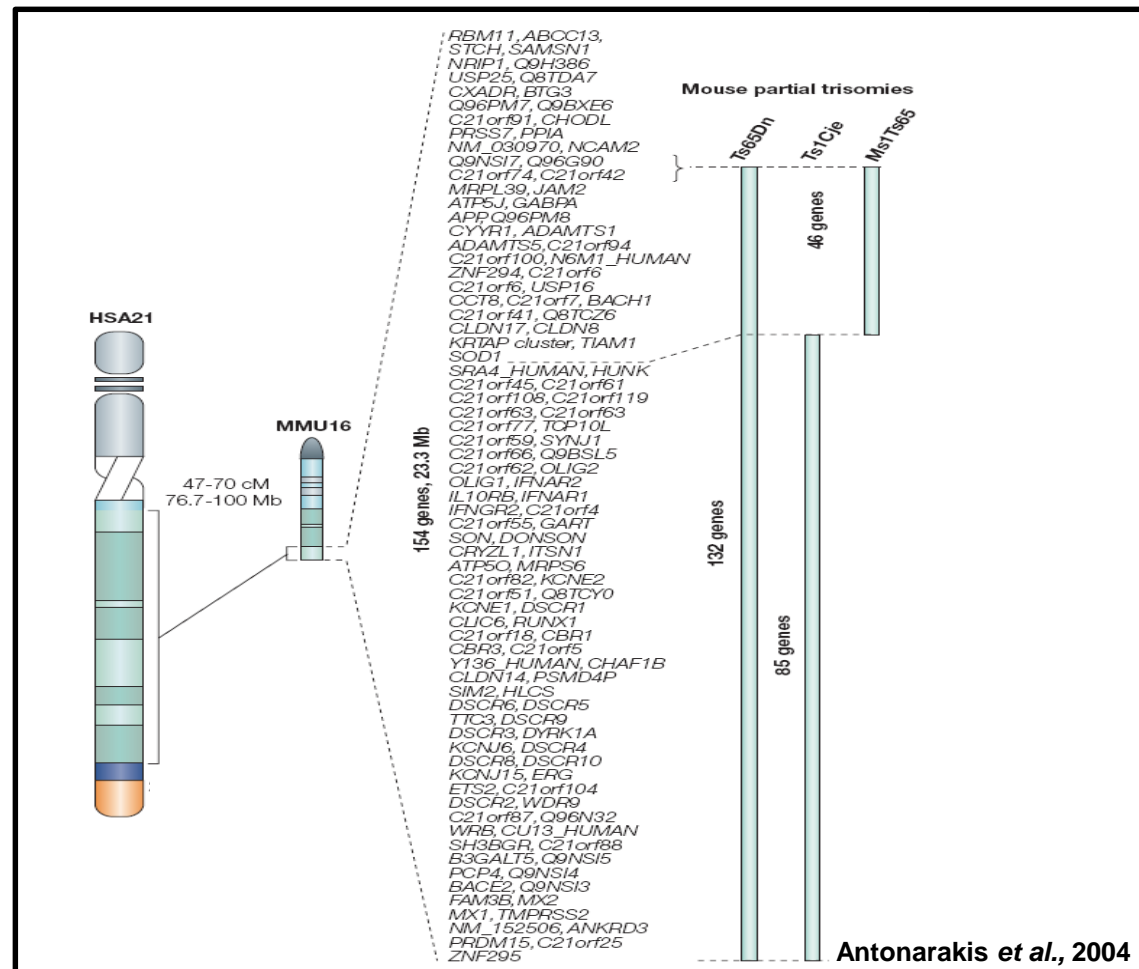
## (3) Studi comportamentali su modelli animali

### 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

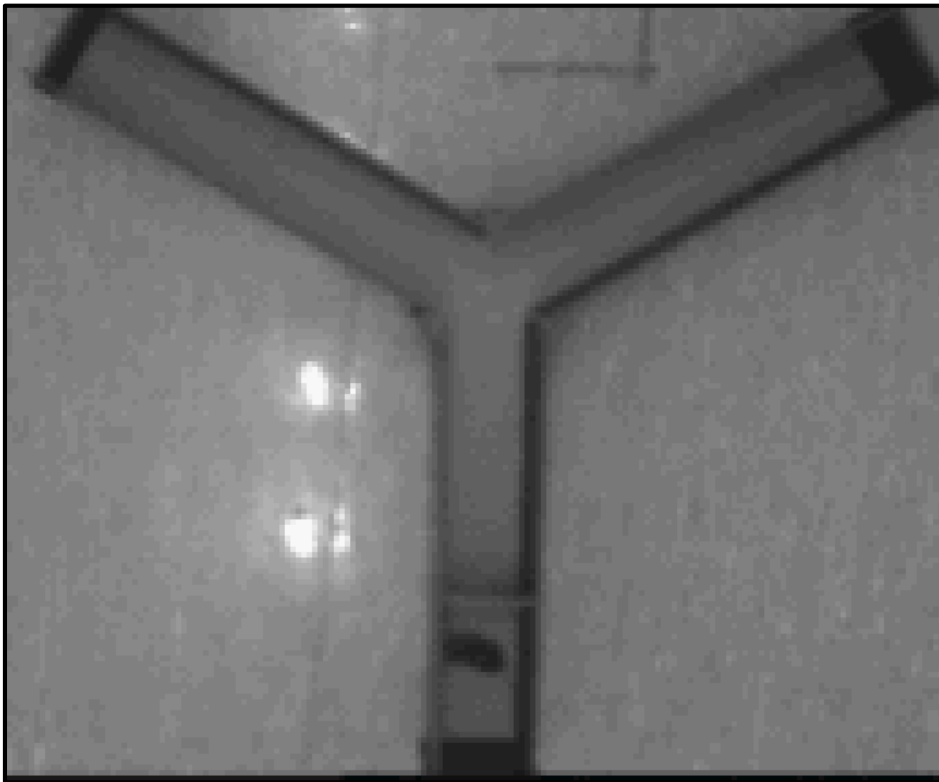
### Cervello:

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



# I Topi con Sindrome di Down sono Iperattivi

Topo non modificato



Topo con Sindrome di Down  
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**

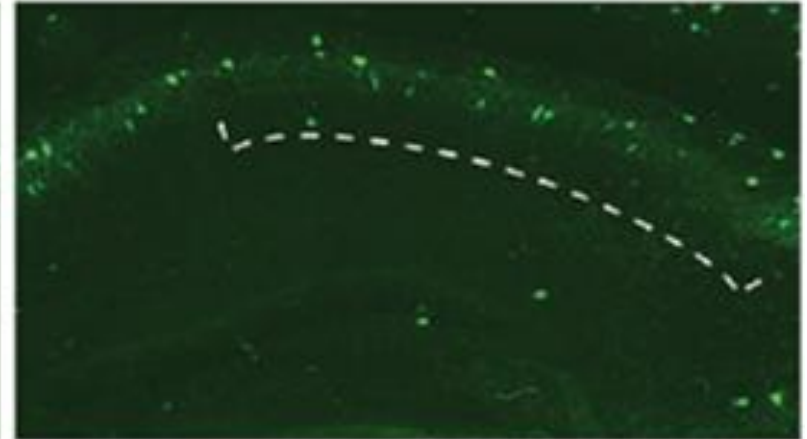
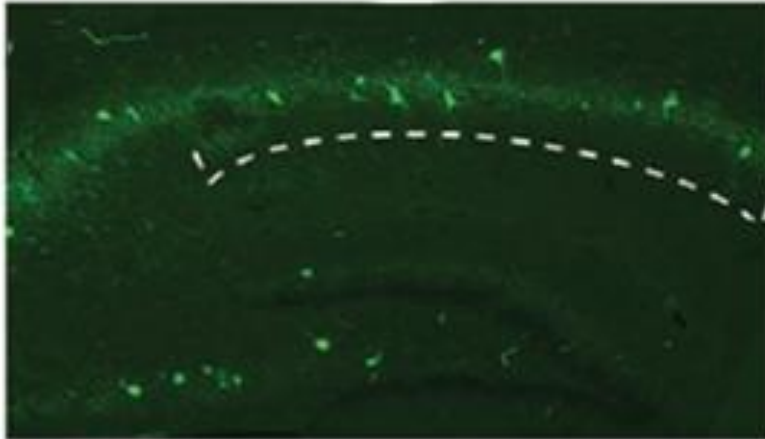
# I Topi con Sindrome di Down hanno Troppo GABA



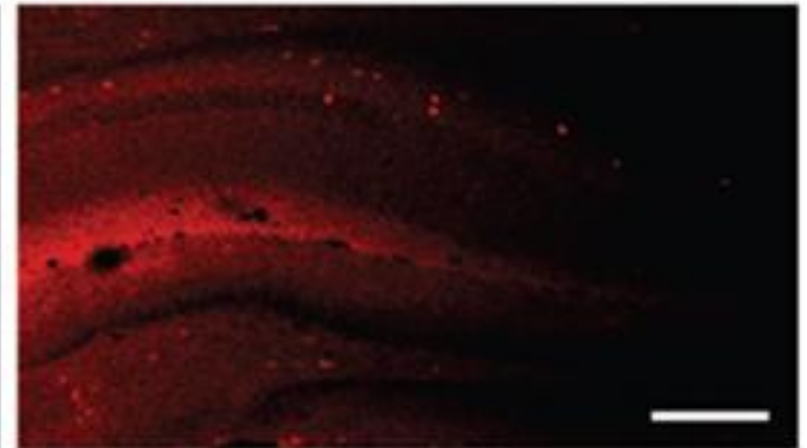
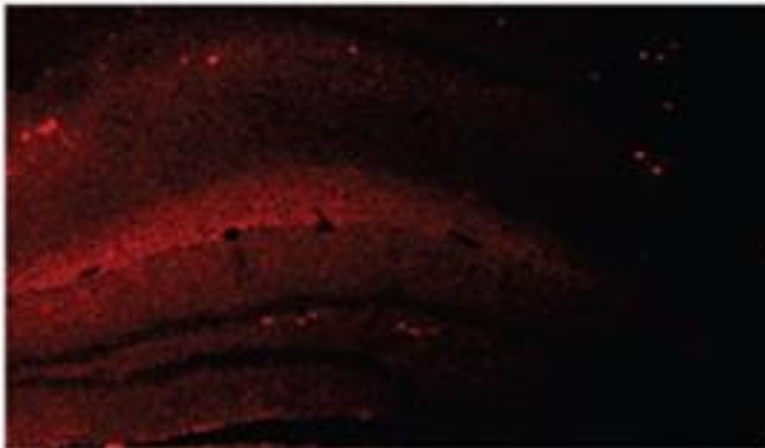
Non modificato

Sindrome Down

Cellule GABA  
(tipol)



Cellule GABA  
(tipolII)





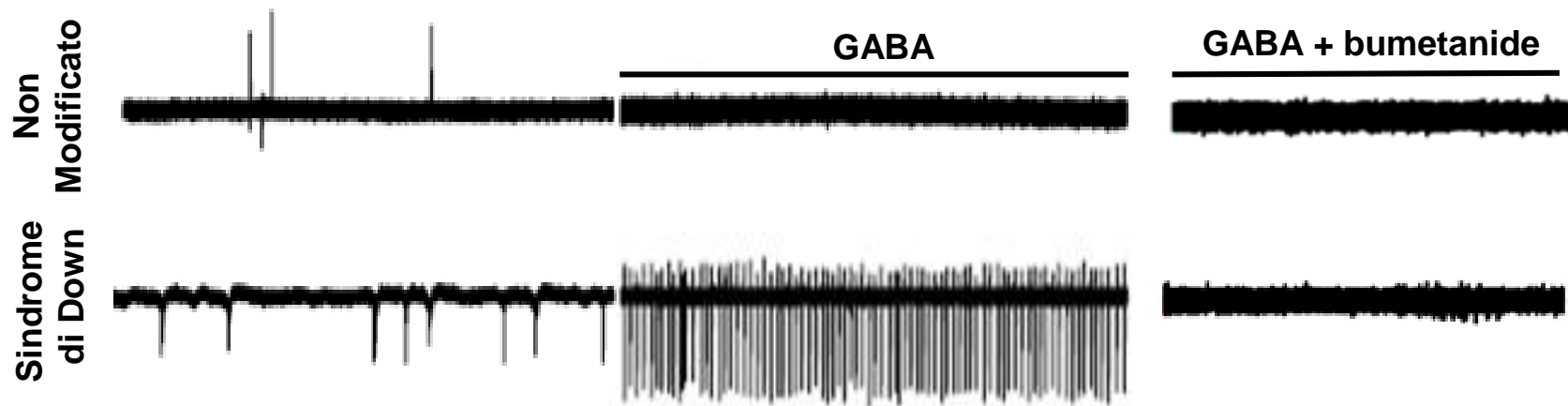
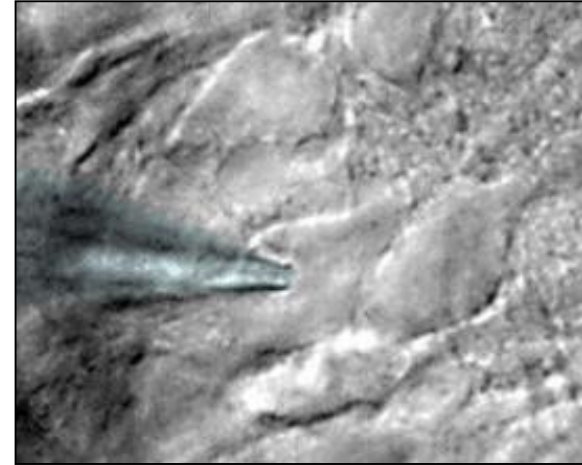
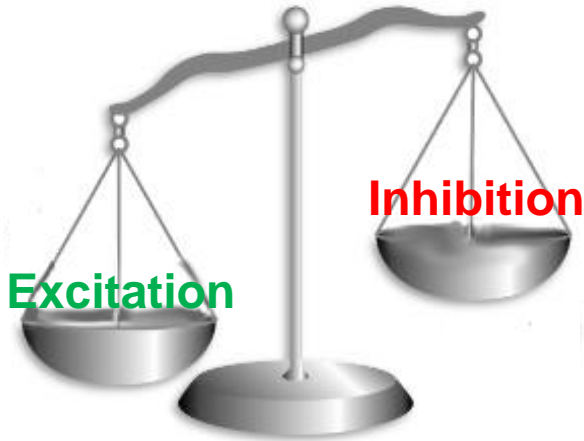
**GABA**

**Inibizione**



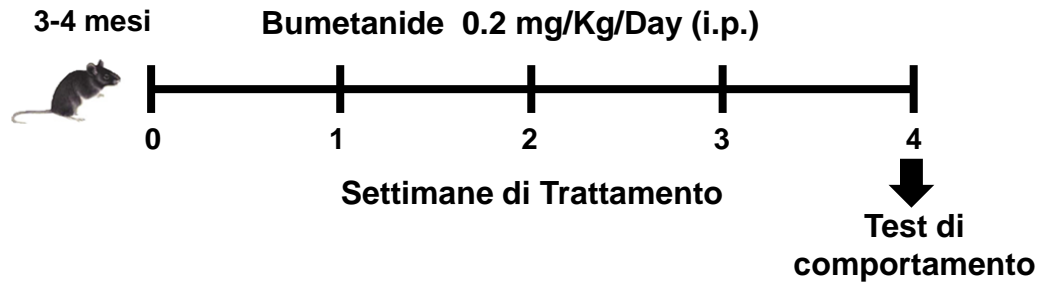
**Epilessia**  
**Ipercinesia**  
**Ansia**

# Il GABA è Eccitatorio nella Sindrome di Down

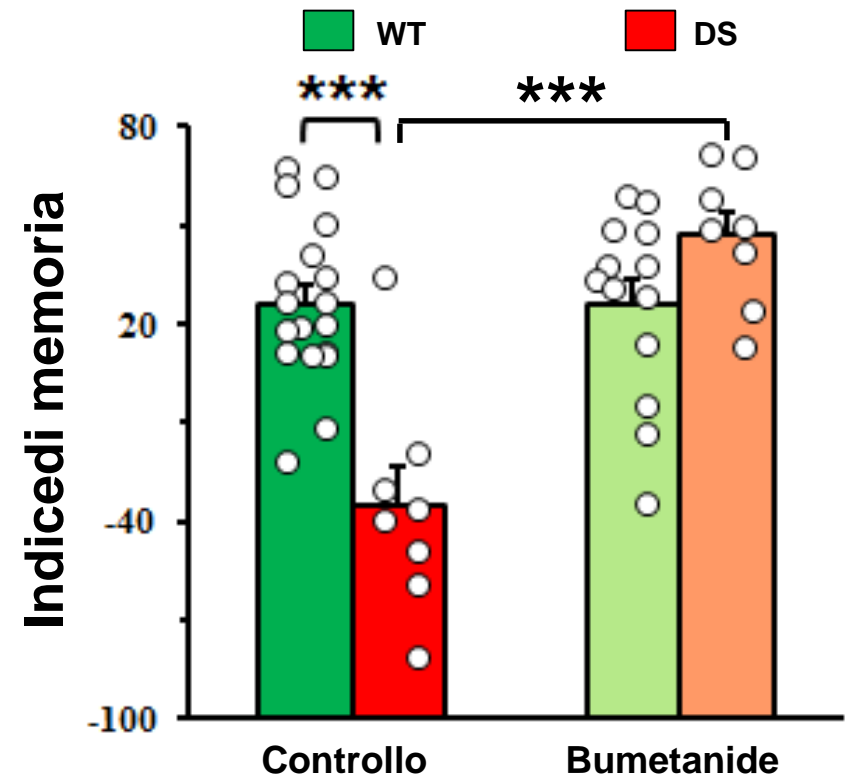




# Bumetanide Migliora le Capacità Cognitive dei Topi con la Sindrome di Down



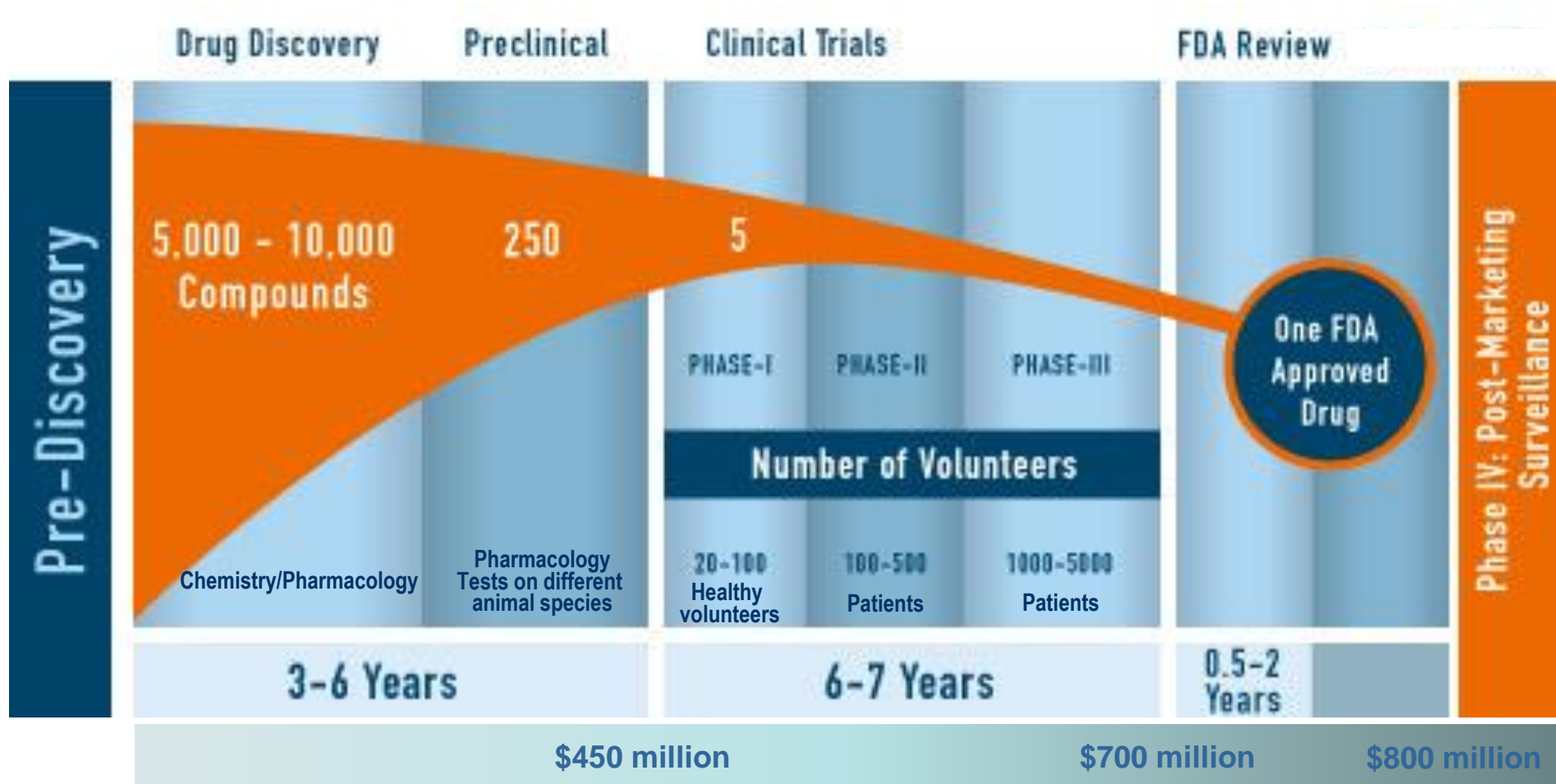
## Test cognitivo comportamentale





**In collaboration with Dr. Vicari, Bambino Gesù', 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**



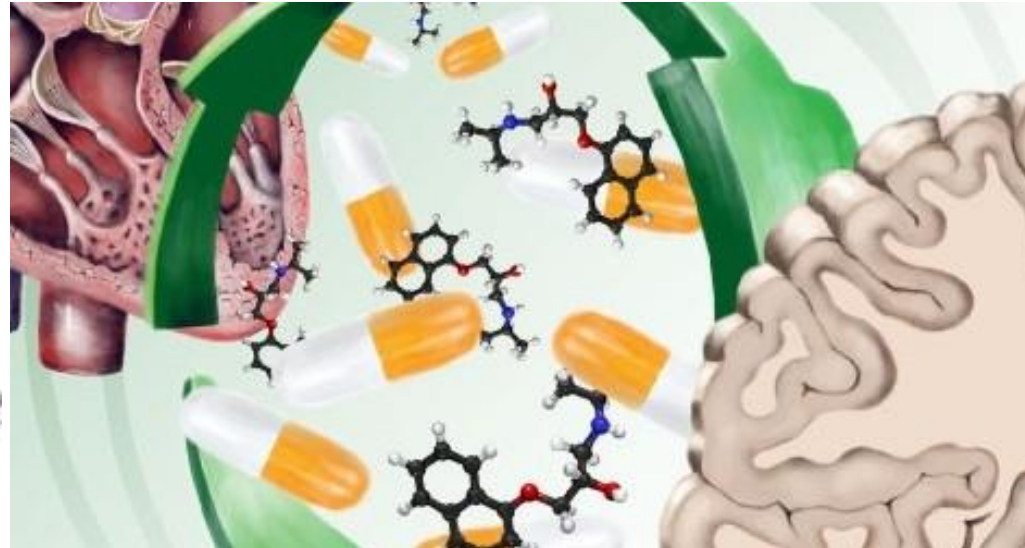
# Il Riposizionamento di Vecchi Farmaci può Ridurri i Rischi Economici e di Tempo

■ BEDSIDE TO BENCH

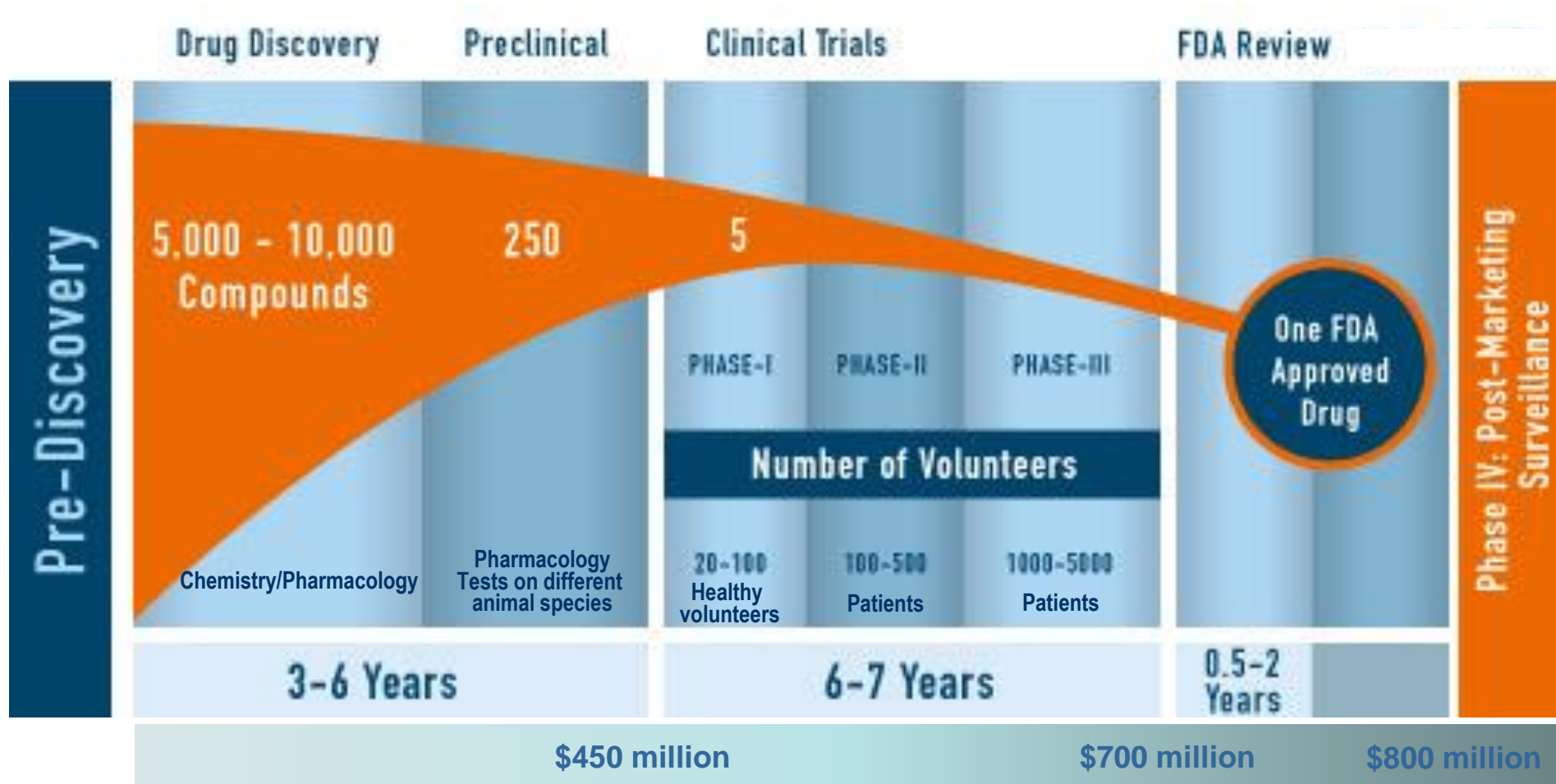
## Old drugs learn new tricks

Stephen M Strittmatter

VOLUME 20 | NUMBER 6 | JUNE 2014 NATURE MEDICINE



# 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

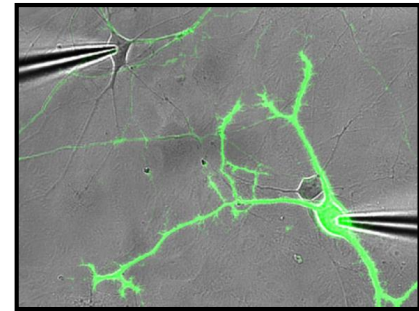


# Cosa Posso Fare per Voi?

**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**



Dulbecco Telethon  
Institute



istituto  
italiano di  
tecnologia

Interdisciplinary/interdepartmental  
grant program

**COMPAGNIA**  
**di San Paolo**



**fondazione  
cariplo**



FONDATION  
**Jérôme Lejeune**  
chercher, soigner, défendre



SCUOLA  
NORMALE  
SUPERIORE  
PISA

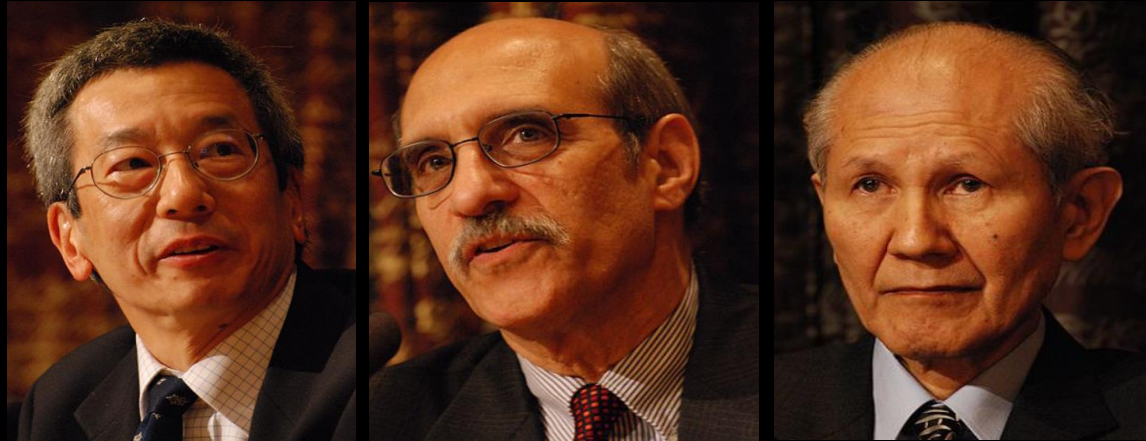
# Morale della Storia

**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**

