

Image courtesy of M. Cozzolino

CONVEGNO
AriSLA 2022

Ricerca, sviluppo e innovazione nella SLA

Milano

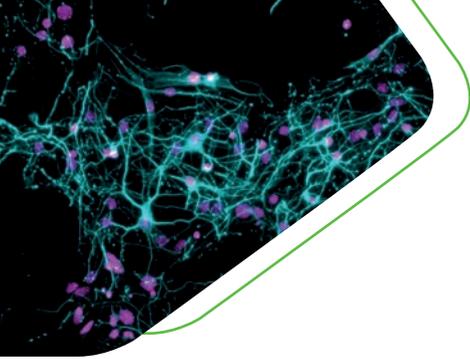
The Westin Palace

3-4 Novembre 2022

PROGRAMMA



FONDAZIONE ITALIANA DI RICERCA PER LA SLA
SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA
ENTE DEL TERZO SETTORE



Benvenuto al Convegno AriSLA 2022!

Il Convegno di quest'anno ha un valore significativo per la Fondazione, perché torniamo finalmente ad organizzarlo in presenza dopo due anni a causa dell'emergenza sanitaria.

Siamo molto felici di rinnovare questo appuntamento perché da sempre il Convegno rappresenta un momento non solo di aggiornamento sui progressi scientifici, ma anche un'occasione di confronto per i ricercatori e in particolare per i più giovani per far conoscere il proprio lavoro.

Anche nell'edizione 2022 abbiamo ideato un programma ricco di interventi, con Letture Magistrali da parte di esperti di fama mondiale, con cui fare il punto sullo stato di avanzamento della ricerca, da quella di base alla clinica.

E allo stesso tempo abbiamo voluto dar spazio a momenti di riflessione su quali siano oggi le strade più promettenti su cui investire per individuare risposte tangibili ai bisogni dei pazienti.

Il messaggio che lanciamo con queste due giornate è proprio quello di una ricerca concreta, con lo sguardo rivolto alla persona per poter, nel lavoro quotidiano, raggiungere nuovi risultati, che tutti noi ci auguriamo arrivino al più presto.

Grazie a tutti coloro che hanno voluto partecipare e contribuire alla realizzazione del Convegno: tutti insieme, condividendo l'impegno a sostegno della ricerca, perseguiamo l'obiettivo di avere a disposizione nel prossimo futuro strumenti terapeutici per la SLA.



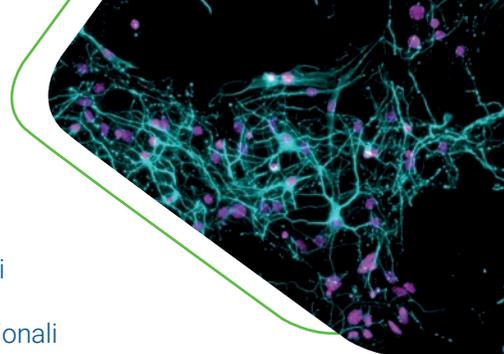
Mario Melazzini
Presidente di Fondazione AriSLA



Fondazione Italiana di Ricerca per la SLA - Sclerosi Laterale Amiotrofica

Ente del Terzo Settore
via Poerio 14, 20129 Milano
tel 02. 20242390
m segreteria@arisl.org
www.arisl.org

Giovedì
3 Novembre



- 08.30 - 09.00 Registrazione dei partecipanti
- 09.00 - 09.45 Apertura lavori e saluti istituzionali
Mario Melazzini - Presidente Fondazione AriSLA
Rappresentanti delle Istituzioni
- 09.45 - 10.15 **Lectio Magistralis - Luc Dupuis**
Disregolazione dell'omeostasi energetica nella sclerosi laterale
amiotrofica

Sessione I Meccanismi patologici nella SLA - Presentazioni orali

Moderatori: **Marco Baralle, Manuela Basso**

- 10.15 - 10.35 **Fabrizio D'Adda di Fagagna**
Call 2016 - DDRNA&ALS, Il ruolo della risposta al danno al DNA
nella neurodegenerazione legata alla SLA
- 10.35 - 10.55 **Serena Carra**
Call 2018 - MLOpathy, Studio dei meccanismi implicati nel
ripristino della funzionalità dei processi di risposta allo stress e
nell'aggregazione di organelli cellulari nella SLA
- 10.55 - 11.05 Discussione generale
- 11.05 - 11.35 Coffee break ☕
- 11.35 - 11.55 **Emanuele Buratti**
Call 2018 - PathensTDP, Studio del ruolo delle proteine che
regolano la composizione dell'RNA sulla tossicità cellulare legata
alla proteina TDP-43
- 11.55 - 12.15 **Fabrizio Chiti**
Call 2017 - TDP-43-STRUCT, Purificazione e determinazione della
struttura della proteina TDP-43
- 12.15 - 12.25 Discussione generale
- 12.25 - 14.00 Pranzo 🍴

Sessione II Identificazione di nuovi bersagli terapeutici - Presentazioni orali

Moderatori: **Valentina Bonetto, Nicola Ticozzi**

- 14.00 - 14.20 **Mauro Cozzolino**
Call 2018 - SPLICEALS, Indagine sull'interazione tra la proteina
FUS e una proteina coinvolta nella regolazione della maturazione
dell'RNA nella SLA
- 14.20 - 14.40 **Alessandro Provenzeni**
Call 2018 - Target-RAN, Identificazione di piccole molecole in
grado di modulare il processo anomalo di traduzione delle
sequenze ripetute dovuto a mutazioni del gene C9ORF72
- 14.40 - 15.00 **Alberto Ferri**
Call 2017 - HyperALS, Modulazione dell'ipermetabolismo e
dell'iperexcitabilità come strategia per combattere la
neurodegenerazione nella SLA
- 15.00 - 15.10 Discussione generale
- 15.10 - 15.40 Coffee break ☕
- 15.40 - 16.00 **Gian Giacomo Consalez**
Call 2017 - AxRibALS, Traslatoma assonale e alterazioni
funzionali in modelli cellulari di Sclerosi Laterale Amiotrofica
- 16.00 - 16.20 **Caterina Bendotti**
Call 2019 - MUSALS-AChR, Studiare i recettori dell'acetilcolina
e la rigenerazione muscolare nella SLA per sviluppare marcatori
prognostici e potenziali terapie che ostacolano la progressione
della malattia
- 16.20 - 16.40 **Jessica Mandrioli**
Call 2015 - RAP-ALS, Il trattamento con Rapamicina per la
Sclerosi Laterale Amiotrofica
- 16.40 - 16.50 Discussione generale

Sessione III Presentazione poster

- 17.00 - 18.30 Sessione poster - Wine and cheese

Sessione IV
La ricerca clinica e i trial innovativi emergenti

Moderatori: **Anna Ambrosini, Mario Melazzini**

- 09.00 - 09.30 **Lectio Magistralis - Lucie Buijn**
Progressi nel disegno degli studi clinici nella SLA
- 09.30 - 10.00 **Paola Marcon**
La roadmap di Biogen per una pipeline diversificata e sinergica
- 10.00 - 10.45 Tavola rotonda - **Anna Ambrosini incontra il Comitato di indirizzo scientifico di AriSLA: Stanley H. Appel, Lucie Buijn, Brian Dickie, Piera Pasinelli, David Taylor**
Come alimentare la pipeline degli approcci terapeutici: dalla ricerca preclinica a quella traslazionale
- 10.45 - 11.15 Discussione generale
- 11.15 - 11.45 Coffee break ☕
- 11.45 - 12.30 **Fabio Mazzeo intervista Mario Melazzini**
Istituzioni, industria e terzo settore: una alleanza per la salute. "Dall'esperienza, un'idea di ricerca e sviluppo"
- 12.30 - 13.00 Bando AriSLA 2022: i progetti selezionati
- Premio Poster "Giovani per la Ricerca"
- Conclusioni e chiusura del Convegno

Relatori e Moderatori
del Convegno

- Ambrosini Anna
Appel Stanley H. Responsabile scientifico Fondazione AriSLA, Milano
Johnson Center for Cellular Therapeutics, Stanley H. Appel Department of Neurology, Houston Methodist Neurological Institute, Houston (TX, USA); Comitato di indirizzo scientifico AriSLA
- Baralle Marco
International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology (ICGEB), Trieste
- Basso Manuela
Dipartimento di Biologia Cellulare, Computazionale e Integrata - CIBIO, Università degli Studi di Trento
- Bendotti Caterina
Bonetto Valentina
Buijn Lucie Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, Milano
Istituto di Ricerche Farmacologiche Mario Negri IRCCS, Milano
Therapeutic Area Lead, NIBR, Novartis, Basel (CH); Comitato di indirizzo scientifico di AriSLA
- Buratti Emanuele
International Centre for Genetic Engineering and Biotechnology (ICGEB), Trieste
- Carra Serena
Chiti Fabrizio Università degli Studi di Modena e Reggio Emilia, Modena
Dipartimento di Scienze Biomediche Sperimentali e Cliniche "Mario Serio", Università degli Studi di Firenze
- Consalez Gian Giacomo
Cozzolino Mauro Università Vita-Salute San Raffaele, Milano
Istituto di Farmacologia Traslazionale, Consiglio Nazionale delle Ricerche, Roma
- D'Adda di Fagagna Fabrizio
Dickie Brian IFOM, Istituto FIRC di Oncologia Molecolare, Milano
MND Association, Northampton (UK); Comitato di indirizzo scientifico di AriSLA
- Dupuis Luc
Ferri Alberto Inserm, Université de Strasbourg, UMRS-1118, Strasbourg (France)
Istituto di Farmacologia Traslazione IFT-CNR, Roma IRCCS Fondazione Santa Lucia, Roma
- Mandrioli Jessica
Dipartimento di Scienze Metaboliche, Biomediche e Neuroscienze
Università degli Studi di Modena e Reggio Emilia, Modena
- Marcon Paola
Masciocchi Paolo
Mazzeo Fabio
Melazzini Mario
Pasinelli Piera Direttore Ricerca Clinica Italia e Israele, Biogen Italia, Milano
Segretario Generale Fondazione AriSLA, Milano
Giornalista scientifico
Presidente Fondazione AriSLA, Milano
Weinberg ALS Center, Frances & Joseph Weinberg, Vickie & Jack Farber Institute for Neuroscience, Department of Neuroscience, Thomas Jefferson University, Philadelphia, (PA, USA) e The Robert Packard Center for ALS Research, Baltimore, (MD, USA); Comitato di indirizzo scientifico di AriSLA
- Provenzani Alessandro
Dipartimento di Biologia Cellulare, Computazionale e Integrata - CIBIO, Università degli Studi di Trento
- Taylor David
ALS Society of Canada, Toronto (CA); Comitato di indirizzo scientifico di AriSLA
- Ticozzi Nicola
IRCCS Istituto Auxologico Italiano, Dipartimento di Fisiopatologia Medico-Chirurgica e dei Trapianti, Centro "Dino Ferrari", Università degli Studi di Milano

Poster

P1 Defining motor cortical patterns of upper motor neuron pathology in Amyotrophic Lateral Sclerosis using a 3T-MRI with iron-sensitive sequences

Donatelli G., Costagli M., Cecchi P., Bianchi F., Migaleddu G., Becattini L., Fontanelli L., Frumento P., Siciliano G., Cosottini M.

P2 EVTestInALS - Extracellular vesicles in ALS: testing their use as biomarkers for prognosis and disease progression

Donini L., Tomè G., Migazzi A., Peroni D., Pasetto L., Fioretti P. V., Belli R., Bonetto V., Tebaldi T., Basso M.

P3 ALS Community Support Assessment to Improve Online Access to Information and Resources in Italy

Zicchieri A.D., De Rossi N., Desiderato A., Conte Silverio F., Peviani M., Consonni M., Pozzi S., Petrozziello T., Sproviero D., De Marchi F., Grossini E., Ayala C. J.

P4 A Gene therapy Approach Targeting TDP-43 pathology for ALS

Pasetto L., Columbro S., Scozzari S., Basso M., Bonetto V.

P5 AZYGOS 2.0, Autozygosity mapping followed by next-generation sequencing in unrelated consanguineous individuals to identify novel ALS-associated genes

Brusati A., Grassano M., Calvo A., Ticozzi N.

P6 Boosting nerve REgeneration in ALS by tArgeTing the peripHery_BREATH

D'Este G., Negro S., Fabris F., Zanetti G., Megighian A., Bertoli A., Massimino M. L., Nardo G., Bendotti C., Basso M., Bonetto V., Corona C., Montecuccio C., Pirazzini M., Rigoni M.

P7 Effects of therapeutic hypothermia in an animal model of Amyotrophic Lateral Sclerosis

Columbro S., Pasetto L., Dominici M., Fesce E., Elezgarai S., Biasini E., Bonetto V.

P8 Human in vitro models of TDP-43 proteinopathy for drug screening approaches

Casiraghi V., Colombrita C., Santangelo S., Invernizzi S., Sorce M. N., Silani V., Ratti A.

P9 Inhibition of class I histone deacetylases ameliorates TDP-43 pathology in experimental models of ALS

Scozzari S., Sammali E., Pasetto L., Columbro S. F., De Marco G., Margotta C., Tortarolo M., Bendotti C., A. Calvo, Bonetto V.

P10 Investigating basal mitophagy in ALS: from flies to human neurons

Favaro M., Ziviani E.

P11 KIF5A exon 27 splicing mutations: molecular analysis and splicing correction with modified U1 snRNAs

Vicidomini A., Bussani E., Romano G., Pagani F.

P12 Montelukast counteracts pathological GPR17 upregulation, oligodendrocyte dysfunction and delays disease progression in SOD1G93A amyotrophic lateral sclerosis female mice

Raffaele S., Nguyen N., Boccazzi M., Frumento G., Milanese M., Bonanno G., Abbracchio M. P., Bonifacino T., Fumagalli M.

P13 Natural killer cells modulate motor neuron-immune cell cross talk in models of Amyotrophic Lateral Sclerosis

Garofalo S., Coccozza G., Porzia A., Inghilleri M., Scavizzi F., Raspa M., Aronica E., Bernardini G., Peng L., Ransohoff R. M., Santoni A., Limatola C.

P14 Niclosamide ameliorates disease progression in mice models of ALS

Milani M., Della Valle I., Rossi S., Cozzolino M., D'Ambrosi N., Apolloni S.

P15 Novel functionalized nanoparticles targeted to 18KDa translocator protein (TSPO) to track and modulate neuroinflammation in animal models of familial Amyotrophic Lateral Sclerosis

Gazzano A., Camazzola D., Spatafora M.G., Lamacchia A., Marsala A., Doria E., Sponchioni M., Auriemma R., Lasciafari A., Moscatelli D., Filibian M., Peviani M.

P16 Novel insights on the role and therapeutic potential of Glycoprotein nonmetastatic melanoma protein B (Gpnmb) in Amyotrophic Lateral Sclerosis

Spatafora M. G., Cabras P., Di Nolfi G., Gazzano A., Bandirali L., Custode B. M., Dimartino A., Curti D., Biffi A., Domi T., Riva N., Peviani M.

P17 SWITCHALS - Therapeutic correction of alternative splicing defects in hnRNP A2/B1 as a way to counteract Amyotrophic Lateral Sclerosis associated with FUS

Rossi S., Milani M., Della Valle I., Bisegna S., Apolloni S., D'Ambrosi N., Cozzolino M.

P18 Targeting upper motor neurons: a novel neural stem cell therapy for Amyotrophic Lateral Sclerosis

Ongaro J., Quetti L., Ottoboni L., Contardo M., De Gioia R., Melzi V., Brambilla L., Abati E., Rizzo F., Nizzardo M., Corti S.

P19 The p97-Nploc4 ATPase complex plays a role in muscle atrophy during cancer and amyotrophic lateral sclerosis

D. Re Cecconi A., Barone M., Gaspari S., Tortarolo M., Bendotti C., Porcu L., Terribile G., Piccirillo R.

P20 Therapeutic effects of retromer stabilization in Amyotrophic Lateral Sclerosis

Mariotti V., Pedrini M., Maiocchi A., Mastrangelo E., Riva N., Milani M., Marinelli L., Martino G., Seneci P., Muzio L.

P21 OMIC characterization of patient-derived spinal cord organoids to unravel new therapeutic targets in C9ORF72 form of Amyotrophic Lateral Sclerosis

Galli N., Rizzuti M., Brambilla L., Ongaro J., Nizzardo M., Corti S.

P22 Modelling ALS disease by 3D organoids culture from human- derived iPSCs

Sorce M. N., Lattuada C., Santangelo S., Podini P., Invernizzi S., Casiraghi V., Quattrini A., Silani V., Ratti A., Bossolasco P.

P23 Spinal cord organoids from sALS patients show impairment in maturation and self-organization

Bordoni M., Scarian E., Messa L., Garofalo M., Jacchetti E., Raimondi M. T., Gagliardi S., Carelli S., Cereda C., Pansarasa O.

P24 One motor neuron at the time: uncovering the molecular logics for subtype-specific disease vulnerability

Zuccaro E., Bregolin E., Banani N., Landry J., Benes V., Cacchiarelli D., Pennuto M.

P25 A knockout zebrafish line for ALS2 gene as a new in-vivo model for Juvenile Amyotrophic Lateral Sclerosis

Tesoriero C., Greco F., Ghirotto F., Gorni G., Cadoria E., Vettori A.

P26 Association with Neuronal Development and Oncogenesis implicated-IncRNAs and SOD1-G93A Amyotrophic Lateral Sclerosis pathology

Rey F., Marcuzzo S., Bonanno S., Bordoni M., Giallongo T., Malacarne C., Zuccotti G., Carelli S., Cereda C.

P27 HuD (ELAVL4) gain-of-function phenocopies a severe ALS-FUS mutation in iPSC-derived muscle-nerve co-cultures

Silvestri B., Garone M. G., Salerno D., Mochi M., De Turrís V., Medici M., Rosa A.

P28 Investigation of the lncRNA ZEB1-AS1 in sporadic ALS: deregulation in neuronal differentiation and characterization of a novel disease pathway

Maghraby E., Rey F., Messa L., Esposito L., Barzaghini B., Pandini C., Bordoni M., Gagliardi S., Diamanti L., Raimondi M. T., Mazza M., Zuccotti G., Carelli S., Cereda C.

P29 Oxygen sensing in amyotrophic lateral sclerosis: current mechanisms, implication of transcriptional response and pharmacological modulation

Messa L., Rey F., Maghraby E., Casili G.a, Ottolenghi S., Cuzzocrea S., Zuccotti G., Esposito E., Cereda C., Carelli S.

P30 Transcriptomic characterization of ALS phenotypes highlights patient-specific gene expression patterns

Garofalo M., Scarian E., Dragoni F., Di Gerlando R., Grieco L., Busacca M., Fiamingo G., Garau J., Diamanti L., Bordoni M., Pansarasa O., Gagliardi S.

P31 U1 snRNA as a novel RNA-based therapeutic approach to modulate C9ORF72 pathology in patient-derived iPSC-motoneurons

Santangelo S., Colombrina C., Bussani E., Invernizzi S., Sorce M. N., Casiraghi V., Lattuada C., Silani V., Bossolasco P., Pagani F., Ratti A.

P32 Improving muscle regeneration by virtue of peripheral macrophages: a therapeutic strategy for Amyotrophic Lateral Sclerosis

Margotta C., Fabrizio P., Trolese M. C., D'agostino J., Suanno G., Bendotti C., Nardo G.

P33 Translatome profiling reveals deregulated neurovascular crosstalk in motor neuron disease

Brambilla I., De Pretis S., Badaloni A., Malpighi C., Bhat G., Bonanomi D.

P34 Increased ADAM 10/17 activity in an animal model of ALS: rationale for targeting ADAMs as potential therapeutic target?

Cabras P., Spatafora M. G., Dimartino A., Gazzano A., Peviani M.

P35 DNA methylation and histone post-translational modifications of TARDBP and subsequent modulation of TDP-43

Abou A. L., Pacetti M., De Conti L., Frascolla I., Marasco L., Romano M., Rashid M. M., Nubiè M., Baralle F., Baralle M.

P36 Senescent astrocytes drive neurodegeneration via extracellular vesicles in ALS-FTD.

Fioretti P. V., Tomè G., Soldano A., Donini L., Barbieri A., Pasetto L., Fiordaliso F., Peroni D., Belli R., D'Agostino V., Canarutto G., Piazza S., Pennuto M., Bonetto V., Tebaldi T., Basso M., Migazzi A.

P37 Large and small extracellular vesicles may contribute to the propagation of ALS and FTD carrying toxic TDP species and potentially harmful miRNAs

Casarotto E., Garofalo M., Messa L., Sproviero D., Carelli S., Cozzi M., Chierichetti M., Cristofani R., Galbiati M., Ferrari V., Piccolella M., Rusmini P., Tedesco B., Pramaggiore P., Cereda C., Gagliardi S., Poletti A., Crippa V.

P38 The small extracellular vesicles released by motoneuron mSOD1-NSC-34 cells, in vitro model of Amyotrophic Lateral Sclerosis, induce the activation of the peripheral immune system

Carata E., Muci M., Mariano S., Nigro A., Romano A., Panzarini E.

P39 Phase Separation of Full Length TAR DNA-Binding Protein (TDP-43)

Staderini T., Bigi A., Mongiello D., Chiti F.

P40 Towards unveiling the nexus between axonal granules and polysomes in ALS

Lauria F., Maniscalco F., Marchioretto M., Busarello E., Cella F., Tebaldi T., Pisciotanni A., Croci L., Perrucci C., Lorenzo L., D'Antoni M., Peroni D., Basso M., Quattrone A., Siciliano V., Consalez G. G., Viero G.

P41 Sumoylation regulates tdp-43 splicing activity and nucleocytoplasmic distribution

Feligioni M., Ratti A.

P42 Circulating muscle-derived miR-206 links skeletal muscle dysfunction to heart sympathetic denervation

Ronfini M.

P43 Sympathetic neurons are additional cell types affected in Amyotrophic Lateral Sclerosis

Mazzaro A., Casola I., Vita V., Klein A., Gobbo G., Dobrowolny G., Sorarù G., Musarò A., Mongillo M., Zaglia T.

Il Convegno AriSLA gode dell'assegnazione della

MEDAGLIA DEL PRESIDENTE DELLA REPUBBLICA

Grazie alle Istituzioni, alle Associazioni e alle Imprese che hanno deciso di essere al nostro fianco

Con il patrocinio di



Con il contributo non condizionato di



Premio Poster "Giovani per la Ricerca" sostenuto da





FONDAZIONE ITALIANA DI RICERCA PER LA SLA
SCLEROSI LATERALE AMIOTROFICA
ENTE DEL TERZO SETTORE

Segreteria Scientifica
**Fondazione Italiana di Ricerca
per la SLA - Sclerosi Laterale Amiotrofica**
Ente del Terzo Settore
via Poerio 14, 20129 Milano
tel 02. 20242390
m segreteria@arisl.org
www.arisla.org



Segreteria Organizzativa
MZ Events
via Carlo Farini 81, 20159 Milano
tel 02. 66802323
m giorgio.mazzeo@MZevents.it

