

## CALL FOR PROJECT 2014

### EpiALS - Study of the role of epigenetic regulators in the pathogenesis of ALS

<b>PRINCIPAL INVESTIGATOR</b>	<b>Camilla Bernardini</b> Università Cattolica del Sacro Cuore, Roma
<b>VALORE DEL PROGETTO</b>	60.000 euro
<b>AMBITO DI RICERCA</b>	Ricerca di Base - Pilot Grant
<b>DURATA</b>	12 mesi
<b>OBIETTIVI DEL PROGETTO</b>	<p>La Sclerosi Laterale Amiotrofica (SLA) è una patologia caratterizzata dalla perdita graduale e continua della connessione tra il nervo ed il muscolo, dovuta alla progressiva degenerazione dei motoneuroni. La maggior parte degli studi svolti fino ad ora sulla SLA si sono concentrati sull'analisi del motoneurone per comprendere l'eziologia della malattia, senza considerare i cambiamenti che avvengono invece nel muscolo, spesso antecedenti all'insorgenza dei primi sintomi.</p> <p>Lo scopo di questo progetto è di studiare nel muscolo di pazienti affetti da SLA i meccanismi alla base della degenerazione, partendo dall'analisi di una classe di enzimi che controllano il processo di trascrizione del DNA in proteine, chiamati istone deacetilasi (HDAC), i cui inibitori sono stati recentemente proposti per il trattamento di alcune malattie neurodegenerative. L'inibizione delle istone deacetilasi verrà effettuata, oltre che mediante inibitori esistenti delle HDAC, anche utilizzando alcune molecole che mimano l'azione dei microRNA, piccole molecole endogene di RNA non codificante, implicate nella regolazione dell'espressione genica ed in grado di silenziare in maniera specifica alcuni geni.</p>
<b>IMPATTO SULLA MALATTIA</b>	Il progetto potrebbe portare alla scoperta di microRNA e/o geni target che possano avere una futura applicazione per la SLA. Dopo una apposita validazione funzionale, i potenziali risultati di questo studio potrebbero porre le basi per lo sviluppo di inibitori molecolari o agenti bloccanti che rallentino la progressione della patologia.