

## CALL FOR PROJECT 2021 PILOT GRANT

### ReNicALS - La niclosamide come possibile terapia per la SLA

<b>PRINCIPAL INVESTIGATOR</b>	<b>Savina Apolloni</b> Dipartimento di Biologia, Università degli Studi di Roma Tor Vergata
<b>VALORE</b>	<b>60.000</b> euro
<b>DURATA</b>	12 mesi
<b>AMBITO DI RICERCA</b>	Ricerca pre-clinica
<b>BACKGROUND</b>	<p>La SLA è una malattia neurodegenerativa complessa causata da fattori genetici, epigenetici e ambientali che portano ad una alterazione di molteplici meccanismi molecolari e cellulari. La natura multifattoriale della SLA può in parte spiegare i modesti risultati ottenuti finora dai trattamenti proposti, evidenziando la necessità di adottare una terapia multi-target che possa agire in modo sinergico su più aspetti della malattia. La niclosamide è un farmaco usato da anni per le infezioni intestinali, inserito nella lista dei farmaci essenziali dalla OMS, che negli ultimi anni è in sperimentazione clinica per il trattamento del cancro metastatico, delle malattie polmonari e, recentemente, come nuova terapia anti-coronavirus. È inoltre importante sottolineare che la niclosamide è in grado di inibire diversi meccanismi molecolari che hanno un ruolo centrale nello sviluppo e nella progressione della SLA.</p> <p>Il gruppo di ricerca ha recentemente verificato che la niclosamide è in grado di ridurre l'infiammazione, promuovere la rimozione delle proteine alterate in modelli di SLA familiare e sporadica, e favorire la rigenerazione del muscolo scheletrico.</p>
<b>OBIETTIVO</b>	<p><b>Testare l'efficacia della niclosamide nel rallentare la progressione della malattia in due modelli murini (con mutazione di FUS e SOD1).</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>• Trattamento a partire dai primi sintomi, in modo da poter traslare, almeno in parte, i risultati circa l'efficacia della niclosamide anche alla forma sporadica della malattia, nella quale la diagnosi avviene solo dopo l'insorgenza della sintomatologia.</li><li>• Studiare gli effetti della niclosamide sulla degenerazione tissutale dei modelli murini di SLA, al fine di comprendere i meccanismi cardine coinvolti nella malattia e colpiti dal farmaco.</li></ul>