

**SIF INFORMA**  
News Letter n°32 del'08 Maggio 2008



- 
- **Pontignano, XII Seminario Nazionale per Dottorandi in farmacologia e scienze affini**
  - Seconda Edizione della **Scuola di Biolaw, bioetica e biodiritto**
  - **Nuovi successi per la terapia genica: retinopatie**
  - Pubblicato il **Bando “Initial Training Networks”**
- 

**Pontignano, XII Seminario Nazionale per Dottorandi in farmacologia e scienze affini**

Si informano i Soci che, al fine di ridurre le spese dei dottorandi che parteciperanno al Seminario, la SIF ha ricevuto, per il momento, contributi dalle seguenti aziende Farmaceutiche: Chiesi, Eli Lilly, Grunenthal - Formenti Italia, Lundbeck. Si porta a conoscenza, inoltre, che la Dr.ssa Eva A. Montuori, Disease Area Specialist per la Virologia della Bristol-Myers Squibb parteciperà al Seminario. Si coglie l'occasione per esprimere alla Aziende elencate il più vivo ringraziamento sia da parte della SIF che da parte dei dottorandi.

---

**Seconda Edizione della Scuola di Biolaw, bioetica e biodiritto**

La **giornalista medico-scientifico Johanna Rossi Mason** segnala ai Soci che sta per iniziare la seconda edizione della **Scuola di Biolaw, bioetica e biodiritto**, organizzata dal Centro Studi Scientifici Ecsel (istituzione senza fine di lucro). Ulteriori dettagli dell'iniziativa sono disponibili all'indirizzo [http://www.ecsel.org/scuola\\_bl.htm](http://www.ecsel.org/scuola_bl.htm).

---

**Nuovi successi per la terapia genica: retinopatie**

**Valerio Donato (Università degli Studi di Perugia)** segnala l'uscita di tre articoli che trattano di recenti avanzamenti in materia di terapia genica: tutti gli studi convergono verso l'impiego di vettori adenovirali per la terapia genica delle retinopatie.

Il primo studio, pubblicato dalla rivista *Journal of Clinical Investigation*, è stato condotto da un gruppo capitanato da Alberto Auricchio dell'Istituto TIGEM di Napoli (Allocca et al., Serotype-dependent packaging of large genes in adeno-associated viral vectors results in effective gene delivery in mice, *J Clin Invest*, <http://www.jci.org/articles/view/34316>). Gli studiosi hanno identificato nel virus adeno-associato di sierotipo 2/5 (rAVV2/5) il vettore ideale per veicolare geni di grandi dimensioni, quali ad esempio quelli della distrofina o della proteina ABCA4, oggetto di questo studio e mutata nella sindrome di Stargardt, la causa più comune di degenerazione maculare su base genetica. Precedentemente, geni di imponenti dimensioni erano difficilmente veicolabili dai vettori più frequentemente utilizzati a causa di limiti fisici dovuti al contenimento operato dal capsido virale; l'impiego dell'rAVV2/5 apre invece una nuova strada per veicolare molecole di grandi dimensioni con la finalità di ripristinare l'espressione di tali molecole in cellule che ne sono deficitarie. Ovviamente, queste strategie rappresentano un'importante risorsa terapeutica per quelle malattie (quali ad esempio, oltre alla sindrome di Stargardt, la distrofia di Duchenne e la fibrosi cistica) che possono beneficiare del ripristino di espressione genica quand'anche questo non raggiunga il 100% di

efficienza. Nel caso della retinopatia, oggetto di questo studio, la possibilità di inoculo virale intraoculare ha consentito di impiegare quantitativi di virus contenuti, evitandone così la diffusione sistemica.

Gli altri due studi sono stati pubblicati dal *New England Journal of Medicine* (Maguire et al., Safety and Efficacy of Gene Transfer for Leber's Congenital Amaurosis, *NEJM*, <http://content.nejm.org/cgi/content/full/NEJMoa0802315>, anche questo studio coinvolge l'*équipe* del Prof. Auricchio; Bainbridge et al., Effect of Gene Therapy on Visual Function in Leber's Congenital Amaurosis, *NEJM*, <http://content.nejm.org/cgi/content/full/NEJMoa0802268>) e presentano i risultati di studi clinici pionieristici per la valutazione dell'efficacia e della sicurezza, per ora a breve termine, del trasferimento adenovirale del gene codificante per la proteina RPE65 in 3 pazienti affetti da amaurosi congenita di Leber, malattia autosomica recessiva che rappresenta la più grave forma di distrofia retinica su base ereditaria. In entrambi i *trials* sono stati impiegati vettori adenovirali, differenti però tra loro per la scelta dei promotori: il team per Prof. Auricchio ha impiegato un promotore aspecifico, avendo dimostrato in modelli animali di malattia che tale strategia interventistica consente il massimo contenimento della diffusione adenovirale, mentre l'altro gruppo ha impiegato un promotore tessuto-specifico. Il gruppo del Prof. Auricchio ha però operato una "selezione" virale per ottenere la *clearance* dei virioni vuoti, in modo da minimizzare il volume di soluzione virale da inoculare. In entrambi i casi, i pazienti selezionati sono stati pretrattati con glucocorticoidi al fine di ridurre il rischio di reazioni immunitarie qualora fosse già avvenuta una precedente esposizione ad adenovirus con conseguente immunizzazione. I risultati ottenuti si sono rivelati particolarmente soddisfacenti e, grazie anche all'apparente sicurezza della strategia terapeutica, rappresentano un importante stimolo per una sperimentazione a lungo termine, oltre che un incoraggiamento all'allestimento di progetti di ricerca volti all'estensione di tale approccio terapeutico anche per malattie che affliggono altri distretti corporei.

**Ancora una volta i risultati della ricerca molecolare di base aprono a nuove e concrete prospettive terapeutiche.**

---

### **Publicato il Bando "Initial Training Networks"**

Il Prof. **Luciano Saso** (Dipartimento di Fisiologia Umana e Farmacologia "Vittorio Erspamer", **Università La Sapienza di Roma**) porta a conoscenza dei Soci interessati che è stato pubblicato il **bando "Initial Training Networks"**.

"The European Commission has published a call for proposals under the 'People' section of the Seventh Framework Programme (FP7). The call relates to the **Marie Curie Initial Training Networks (ITNs), which are intended to improve the career perspectives of early-stage researchers in both the public and private sectors, thereby making research careers more attractive to young people.** This will be achieved through a trans-national networking mechanism, aimed at structuring the existing high-quality initial research training capacity throughout Member States and Associated countries in both the public and private sectors. It will be implemented by supporting competitively selected networks of organisations from different countries engaged in research training. The networks will be built on a joint research training programme, responding to identified training needs in defined scientific or technological areas, with appropriate references to interdisciplinary and newly emerging supra-disciplinary fields. The action is primarily for researchers from Member States and Associated countries, but is also open to researchers from third countries.

The budget for the call is €185,000,000.

**The deadline for submitting proposal documents is 2 September 2008.**

More info available at:

[http://cordis.europa.eu/fetch?CALLER=FP7\\_NEWS&ACTION=D&DOC=2&CAT=NEWS&QUERY=0119376728ec:e2f6:72674f86&RCN=29306](http://cordis.europa.eu/fetch?CALLER=FP7_NEWS&ACTION=D&DOC=2&CAT=NEWS&QUERY=0119376728ec:e2f6:72674f86&RCN=29306).

---

*Buona Lettura*

Società Italiana di Farmacologia  
Segreteria organizzativa  
Viale Abruzzi 32  
20131 Milano  
Tel 02 29520311 – fax 02 29520179  
Sito Web: <http://www.sifweb.org>  
E-mail: [sif.farmacologia@segr.it](mailto:sif.farmacologia@segr.it); [sifcese@comm2000.it](mailto:sifcese@comm2000.it)

I numeri precedenti sono disponibili, in formato PDF, nella Sezione  
"SIF-Informa" del nostro Web (<http://www.sifweb.org/news/comunicati.php>).

Nella consapevolezza che le e-mail indesiderate sono oggetto di disturbo, vi informiamo che il vostro indirizzo viene conservato e trattato nel rispetto del DL 196/03 e in qualsiasi momento potrà esserne richiesta la modifica o cancellazione come previsto dall'articolo 13. Tutti i destinatari della e-mail sono in copia nascosta (Privacy L. 75/96). Qualora non intendeste ricevere ulteriori comunicazioni vi preghiamo di inviare una risposta all'indirizzo [sif.farmacologia@segr.it](mailto:sif.farmacologia@segr.it) con oggetto: CANCELLA.

---

---