



UNIVERSITÀ
DEGLI STUDI DI BARI
ALDO MORO

ALLEGATO 1

IDEA PROGETTUALE

CODICE SELEZIONE R543/2015

DIPARTIMENTO	Dipartimento di Bioscienze, biotecnologie e biofarmaceutica
SSD	BIO/09 - FISILOGIA
AREA SSD	Area 05 - Scienze biologiche
NOME PROGETTO	La Neuromielite Ottica: dalla ricerca di base alla medicina traslazionale.
IDEA PROGETTUALE (in italiano)	<p>La presente Idea Progettuale riguarda lo sviluppo di nuovi approcci e strumenti per la comprensione dei meccanismi patogenetici e per la diagnosi di una malattia rara, autoimmune demielinizzante, la Neuromielite Ottica (NMO). Marker diagnostico dell’NMO e responsabile della sintomatologia, è la presenza di un autoanticorpo (NMO-IgG) che lega la principale proteina canale che permette il movimento rapido dell’acqua nel Sistema Nervoso Centrale, l’Acquaporina-4 (AQP4). Il meccanismo molecolare dell’insorgenza della malattia è poco noto, la sua diagnosi complessa e a volte tardiva con negative ripercussioni sulle possibilità terapeutiche. Obiettivi specifici del progetto sono: 1) sviluppare, sulla base di recentissimi risultati scientifici ottenuti e pubblicati dal proponente, un kit ad alta sensibilità e specificità per una precoce diagnosi molecolare della malattia, 2) sviluppare un modello animale di NMO per lo studio del meccanismo molecolare della sua insorgenza e per la sperimentazione di nuovi precoci approcci terapeutici 3) individuare, mediante screening su larga scala, molecole in grado di legare selettivamente gli autoanticorpi o la AQP4, potenzialmente utili per lo sviluppo di nuove specifiche terapie farmacologiche. Fondamentale per il raggiungimento degli obiettivi proposti è la disponibilità di strumentazione avanzata e le collaborazioni, già in atto, con centri di ricerca specialistici nazionali ed internazionali e con imprese innovative.□</p>
DENOMINAZIONE	Neuromyelitis Optica: from basic research to translational medicine.
IDEA PROGETTUALE (in inglese)	<p>Project objectives are development of new approaches and tools to give new insights into pathogenesis and diagnosis of Neuromyelitis Optica (NMO), a rare demyelinating autoimmune disease. An autoantibody (NMO-IgG), that binds Aquaporin-4 (AQP4), the main water channel in the central nervous system, is the diagnostic marker of NMO and responsible of symptoms. Molecular mechanisms at the base of NMO is not well known, moreover NMO diagnosis is complex and sometimes late, with negative therapeutic impact. Specific objectives of the project are to: 1) develop, based on recent scientific results obtained and published by the proposer, a kit with high sensitivity and specificity for early molecular diagnosis, 2) develop an NMO animal model to explore molecular mechanisms at the base of the disease and to test new therapeutic approaches, 3) identify, by large scale screening, molecules able to selectively bind auto-antibodies or AQP4, potentially useful for new specific drug therapies development. Critical to these purposes, is the availability of advanced instruments and collaborations, already started, with specialized research centers and with innovative national and international companies.</p>